



Verbale incontro Parent Project onlus - OPEN AIFA 16 maggio 2018.

Oggetto: Modalità di Accesso Precoce a potenziali nuovi trattamenti per la DMD/BMD

Presenti

Parent Project: Filippo Buccella (*Responsabile Ricerca e Clinical Network, PPO*), Stefano Mazzariol (*Vice Presidente, PPO*), Fernanda De Angelis (*Responsabile Scientifico PPO*) Eugenio Mercuri (*Direttore Unità operativa di Neuropsichiatria infantile Policlinico A. Gemelli, Roma*).

AIFA: S. Petraglia, M.G. Caleno, C. Niccolini (Area Pre-Autorizzazione), L. Pierattini, L.G. Torino (Area Relazioni Esterne) F. Pomponi (Ufficio Stampa e Comunicazione), E. Agricola, P. Erba (Segreteria Tecnica Direzione Generale)

Gli esperti dell'Agenzia, i rappresentanti dell'associazione e il Prof. E. Mercuri si sono confrontati sulle potenziali opportunità di accesso precoce per i pazienti affetti da distrofia muscolare di Duchenne in riferimento ai seguenti farmaci sperimentali: Eteplirsén, Givinstat e Raxone.

Nel caso di **Eteplirsén**, disegnato per pazienti Duchenne con mutazioni trattabili mediante lo skipping dell'esone 51, gli esperti dell'Agenzia ritengono più appropriata l'ipotesi di una richiesta di accesso mediante quanto previsto dalla legge 326/2003 per:

- pazienti con caratteristiche sovrapponibili a quelle dei partecipanti al trial di fase 2, sui cui risultati si basa l'approvazione all'impiego negli USA. Una potenziale somministrazione attraverso questo percorso dovrebbe includere anche una raccolta dettagliata di dati clinici che permettano di ottenere indicazioni utili ai fini della valutazione di efficacia e sicurezza del trattamento;

- pazienti precedentemente coinvolti negli studi clinici con drisapersen, farmaco sperimentale applicabile allo stesso sottogruppo di pazienti, ma che ha concluso negativamente il suo percorso di sviluppo.

In entrambi i casi, l'Agenzia auspica l'avvio di un confronto con l'azienda sviluppatrice Sarepta Therapeutics per valutare la possibilità di una riduzione del prezzo del farmaco.

Riguardo al **Givinstat**, l'Agenzia indica il percorso dell'uso compassionevole come potenziale via di accesso per i soli pazienti che rispondevano ai criteri preliminari di inclusione allo studio di fase 3 in corso, ma che siano risultati non arruolabili dopo lo screening.

Rispetto a **Raxone**, gli esperti dell'Agenzia ritengono opportune richieste di accesso basate sulla legge 326/2003 formulate per casi specifici e ben giustificati. Gli esperti suggeriscono inoltre di contattare l'azienda per discutere di un potenziale expanded access.

Al momento per nessuno dei tre candidati sembra appropriata una richiesta secondo Legge 648.