



Scheda istruttoria: ORFADIN (Nitisinone)

Data di refazione: 15.12.2022 (aggiornamento del 20.12.2022)

Nome commerciale	Orfadin
Principio attivo	Nitisinone
Indicazione oggetto di valutazione	Trattamento di pazienti adulti con alcaptonuria (AKU)
Classificazione (nuova entità terapeutica, estensione delle indicazioni...)	Nuova indicazione terapeutica
Determina (n./data) e GU (n./data)	Determina n. 791/2022 GU n.268 del 16-11-2022
Ditta produttrice	Swedish Orphan Biovitrum International AB
ATC e descrizione	A16AX04-Tratto alimentare e metabolismo-altri prodotti per il tratto alimentare e il metabolismo
Formulazione	Capsula rigida
Dosaggio	10 mg
Posologia	Dose raccomandata: 10 mg/die per os <i>Visto RCP</i>
Meccanismo di azione	L'alcaptonuria (AKU) è dovuta ad un difetto raro del metabolismo della fenilalanina e della tirosina, caratterizzato dall'accumulo di acido omogentisico (HGA) e del prodotto della sua ossidazione, l'acido benzochinone acetico (BQA), in diversi tessuti e nei liquidi corporei con conseguente patologia invalidante a livello delle articolazioni assiali e periferiche (artropatia ocronotica). <i>Visto Orphanet</i> Il nitisinone è un inibitore competitivo della 4-idrossifenilpiruvato diossigenasi, il secondo passaggio nel metabolismo della tirosina. Inibendo il normale catabolismo della tirosina, il nitisinone impedisce l'accumulo di metaboliti nocivi a valle della 4-idrossifenilpiruvato diossigenasi, come l'acido omogentisico (HGA), che altrimenti conduce all'ocronosi delle articolazioni e della cartilagine e di conseguenza allo sviluppo delle caratteristiche cliniche della malattia. <i>Visto RCP</i>
Farmaco innovativo (ai sensi della determina n. 1535/2017)	No
Accesso al Fondo (ex art. 1, c. 403 della Legge di bilancio 2017)	No
Classificazione ai fini della rimborsabilità	A
Classificazione ai fini della fornitura	Medicinale soggetto a prescrizione medica (RR)
Nota AIFA	No
PT/PHT	PT/PHT



Prezzo Ex-factory (IVA esclusa)	10 mg, 60 cps - € 3.213,30
Ulteriori condizioni negoziali	Sconto obbligatorio da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche e private accreditate
Registro AIFA (specificare principali criteri di eleggibilità)	No
Il principio attivo è già autorizzato per altre indicazioni?	<p>Si</p> <p>Trattamento dei pazienti adulti e pediatrici (di qualsiasi fascia d'età) con diagnosi confermata di tirosinemia ereditaria di tipo 1 (HT-1), in associazione con ridotto apporto alimentare di tirosina e fenilalanina»</p> <p>Indicazione con codice RCG040 - gruppo dei difetti congeniti del metabolismo e del trasporto degli aminoacidi</p> <p>[Elenco Centri – Decreto n. DGR n. 1451 del 8.10.2018]</p>
Sono presenti altri farmaci già autorizzati per la stessa patologia? Se sì, indicare i riferimenti del decreto di autorizzazione	No
È presente una Rete di patologia o Centri specializzati deliberati dalla regione Veneto?	Rete Malattie Rare (DGR 1522 del 25.09.2017)
Sono presenti requisiti specifici per i Centri che trattano la patologia in oggetto?	<p>I Centri devono (DGR 1522 del 25.09.2017):</p> <ul style="list-style-type: none"> - essere accreditati per “difetti congeniti del metabolismo e del trasporto degli aminoacidi” (RCG040), gruppo in cui ricade l'alcaptonuria - prescrivere mediante Piano Terapeutico Personalizzato (PTP) su Registro Malattie Rare
Sono presenti Linee di indirizzo/Raccomandazioni regionali con competitor oppure relative all'indicazione in oggetto? Se sì, indicare gli estremi del Decreto di autorizzazione	No
Stima dei pazienti in Regione Veneto che, a regime, saranno trattati con il farmaco in oggetto.	<p>Attualmente, i pazienti residenti in Veneto viventi con diagnosi di Alcaptonuria nel Registro malattie rare sono 2 (di cui uno adulto, in relazione all'impiego terapeutico rimborsato SSN). Il paziente pediatrico risulta seguito da un Centro di riferimento extra-regione. Si annoverano inoltre altri 2 assistiti con diagnosi di Alcaptonuria provenienti da altre regioni e presi in carico da Centri del Veneto (entrambi adulti).</p> <p style="text-align: center;"><i>Sentito Coordinamento Malattie Rare</i></p>
Place in therapy	<p>Fino ad oggi era previsto solo il trattamento palliativo, e prevedeva la restrizione alimentare (dieta a ridotto contenuto di proteine) e/o terapia farmacologica (paracetamolo, antinfiammatori non steroidei) associata alla fisioterapia per ridurre il dolore e aumentare l'estensione del movimento articolare.</p> <p>Veniva già usato nitisinone stesso come uso-off label.</p> <p><i>Visto Orphanet</i></p>