



Scheda informativa: Lamzede® (velmanase alfa)

Data di redazione: 17/09/2020

Nome commerciale	Lamzede®
Principio attivo	Velmanase alfa
Indicazione oggetto di valutazione	<p><u>Indicazione da GU:</u> terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi da lieve a moderata.</p> <p><u>Indicazione rimborsata a carico SSN:</u> terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi moderata.</p>
Classificazione (nuova entità terapeutica, estensione delle indicazioni...)	Nuova entità terapeutica
Determina (n./data) e GU (n./data)	Determina n. 788 del 03-08-2020 GU n. 203 del 14-08-2020
Ditta produttrice	Chiesi Farmaceutici S.p.a.
ATC e descrizione	A16AB15, Altri farmaci dell'apparato gastrointestinale e del metabolismo, enzimi
Formulazione	Polvere per soluzione per infusione - uso endovenoso
Dosaggio	10 mg (dopo ricostituzione, 1 ml di soluzione contiene 2 mg di velmanase alfa)
Posologia	Il regime posologico raccomandato è 1 mg/kg di peso corporeo, somministrato una volta alla settimana tramite infusione endovenosa a velocità controllata.
Meccanismo di azione	<p>Velmanase alfa è una forma ricombinante dell'alfa-mannosidasi umana. La sequenza aminoacidica della proteina monomerica è identica a quella dell'enzima umano naturale alfa-mannosidasi.</p> <p>L'uso di Velmanase alfa deve essere inteso come integrazione o sostituzione dell'alfa-mannosidasi naturale, che catalizza la degradazione sequenziale degli oligosaccaridi ibridi e complessi ad alto contenuto di mannosio nel lisosoma, riducendo l'accumulo di oligosaccaridi ricchi di mannosio e rilasciando mannosio che possono essere riutilizzati dall'organismo.</p>
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	H
Classificazione ai fini della fornitura	Medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, da rinnovare volta per volta, vendibile al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti - su prescrizione dei centri per le malattie rare identificati dalle regioni (RNRL).
Nota AIFA	No
PT/PHT	No
Prezzo Ex-factory (IVA esclusa)	10 mg (2 mg/ml) – 1 flaconcino: 975,00 € 10 mg (2 mg/ml) – 5 flaconcini : 4.875,00 €* 10 mg (2 mg/ml) – 10 flaconcini: 9.750,00 €* * confezionamento non in commercio alla data di stesura della presente scheda informativa
Ulteriori condizioni negoziali (qualora previste)	Sconto obbligatorio sul prezzo ex factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.
Registro AIFA (specificare principali criteri di eleggibilità)	Sì, con i seguenti principali criteri di eleggibilità: - diagnosi di alfa-mannosidosi di tipo 2 (moderata) - presenza di esclusivo coinvolgimento neurologico (criterio bloccante). Nei FUP (obbligatorio ogni 6 mesi): - miglioramento/stabilizzazione della malattia (criterio bloccante).
Il principio attivo è già autorizzato per altre indicazioni?	No
Sono presenti altri farmaci già autorizzati per la stessa patologia? Se sì, indicare i riferimenti del decreto di autorizzazione	No
E' presente una Rete di patologia o Centri specializzati deliberati dalla Regione Veneto?	Centri accreditati per le malattie rare (DGR n. 1522/2017)
Sono presenti requisiti specifici per i Centri che trattano la patologia in oggetto?	Secondo modalità di accreditamento per la Rete 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.	- Dall' <i>anagrafe esenzioni AUR</i> risultano 2 pazienti con codice esenzione RCG091; - Dai dati trasmessi dal Coordinamento Malattie Rare: gli assistiti veneti affetti da alfa-mannosidosi, certificati attraverso il Registro Malattie Rare, sono attualmente 3 (tutti adulti), di cui solo uno seguito da un centro regionale.



<p>Place in therapy</p>	<p>Nessun trattamento farmacologico risulta ad oggi autorizzato al trattamento di questa patologia; velmanase alfa è, pertanto, il primo principio autorizzato al commercio.</p> <p>Il trapianto di cellule staminali ematopoietiche risulta una terapia intrapresa in casi selezionati, soprattutto nella prima infanzia e in caso di patologia severa.</p>								
<p>Analisi dei costi</p>	<table border="1"> <thead> <tr> <th data-bbox="836 620 1043 685">Posologia</th> <th data-bbox="1048 620 1198 685">Peso, Kg</th> <th data-bbox="1203 620 1463 685">Costo annuo di terapia*, €</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td data-bbox="836 692 1043 763">1 mg/kg ev/settimana</td> <td data-bbox="1048 692 1198 763">50</td> <td data-bbox="1203 692 1463 763">173.041</td> </tr> </tbody> </table> <p>* I costi sono stati calcolati utilizzando il prezzo ex factory del farmaco, al netto di eventuali riduzioni di legge e/o sconti nascosti e al lordo di IVA 10%.</p>			Posologia	Peso, Kg	Costo annuo di terapia*, €	1 mg/kg ev/settimana	50	173.041
Posologia	Peso, Kg	Costo annuo di terapia*, €							
1 mg/kg ev/settimana	50	173.041							