



COMITATO RUDI - ONLUS

www.fagofar.org

Torino, 2/02/2009

Spett.le AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Via della Sierra Nevada, 60

00144 Roma

Alla C.A. del DIRETTORE GENERALE

Dott. RASI

OGGETTO: OPPOSIZIONE ALLA DETERMINAZIONE del 2 dicembre 2008– AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO- relativa all'esclusione dall'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale del **medicinale contenente il principio attivo IDEBENONE (specialità farmaceutica MNESIS 45 mg) per l' atassia di Friedreich (FRDA), come previsto ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648.**

Il COMITATO RUDI, Organizzazione Non Lucrativa di Utilità Sociale con sede in Torino, via Giacosa 21 bis, avente, tra l'altro come da statuto, lo scopo di *"...agevolare e promuovere la ricerca scientifica per la cura dell'Atassia di Friedreich,...i possibili trattamenti ad essa rivolti..."*, nella persona del suo Legale Rappresentante Filomena D'Agostino, a nome e per conto dei pazienti Italiani affetti da Atassia di Friedreich, propone opposizione avverso la Determinazione in oggetto riguardante l'esclusione del medicinale contenente il principio attivo "Idebenone" (specialità farmaceutica MNESIS 45 mg) dall'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale per l' atassia di Friedreich.

Il provvedimento anticipa arbitrariamente un esito sfavorevole delle sperimentazioni controllate in corso volte a valutare l'entità dell'efficacia dell' Idebenone per il trattamento della

cardiomiopatia ipertrofica nella FRDA, nonché per la prevenzione del precoce instaurarsi di un quadro clinico di grave handicap.

Il diniego da parte del Comitato europeo per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'EMEA a concedere l'autorizzazione provvisoria del farmaco SOVRIMA (principio attivo Idebenone) come specifico per il trattamento dell' atassia di Friedreich in data 24 luglio, successivamente confermato in data 20 novembre 2008, nulla ha a che vedere con la necessità e il diritto dei pazienti italiani di avvalersi del farmaco MNESIS secondo le modalità già previste, ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648.

In mancanza di valida alternativa terapeutica, non è venuta a mancare nessuna delle evidenze che ne suggeriscono la sua prescrizione. All' interno della comunità scientifica internazionale si è altresì rafforzata la convinzione che le prescrizioni dovrebbero adattarsi ad un dosaggio più alto rispetto a quanto fin ora concesso.

E' dunque auspicabile la sospensione del giudizio sfavorevole emesso dall' AIFA per l'erogazione gratuita del farmaco MNESIS e l' immediato ripristino quantomeno della situazione *quo ante*.

Pertanto il Comitato RUDI onlus presenta istanza a codesta Agenzia di rimettersi alle indicazioni degli esperti in materia mediante:

- Annullamento immediato del provvedimento adottato
- Disponibilità all'adeguamento del rimborso per i dosaggi maggiorati, come da relazione scientifica allegata alla presente a firma del Prof. Massimo Pandolfo, conformemente alle modalità individuate dalla comunità scientifica internazionale

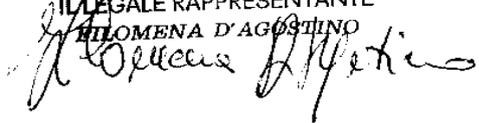
E' fatto fermo che l'eventuale conferma della decisione assunta dall'AIFA, con determinazione del 2 dicembre 2008, sarà da intendersi quale assunzione consapevole da parte dell'Agenzia medesima della responsabilità di ogni eventuale danno, aggravamento e/o deterioramento del quadro clinico dei pazienti FRDA derivante dalla sospensione del trattamento con Idebenone, qualora, al termine delle sperimentazioni cliniche controllate in atto, l'EMEA dovesse sciogliere la riserva.

Il Comitato RUDI è fiducioso in una risoluzione positiva e tempestiva della spiacevole situazione creatasi, nella ragionevole convinzione che obiettivo primario e comune sia il bene dei pazienti FRDA affetti da patologia rara, progressiva e altamente invalidante, per i quali ad oggi non esiste valida alternativa terapeutica.

In attesa di un sollecito riscontro

In fede

Filomena D'Agostino
Legale rappresentante Comitato RUDI onlus

COMITATO RUDI
IL LEGALE RAPPRESENTANTE
FILOMENA D'AGOSTINO


Allegati alla presente :

- Relazione scientifica Prof. Massimo Pandolfo – Université Libre de Bruxelles resa in data 29/01/2009: **Trattamento dell'Atassia di Friedreich con Idebenone;**
- Pubblicazione del Prof. Massimo Pandolfo datata Febbraio 2008: **Drug Insight: antioxidant therapy in inherited ataxias**, Nature Clinical Practice Neurology:.

VIA GIACOSA 21BIS - 10125 Torino
TEL.+39 011 657381
C.F. 97638210019
minagofar@yahoo.com