

PO USO DEL LUSPATERCEPT NELLA REGIONE UMBRIA

Marano Giuseppe (a), Annunziata Arianna (a), Rocchi Rosalba Elisabetta (b), Ippoliti Ilaria (a), Bucaneve Giampaolo (b), Da Cas Roberto (a), Rossi Mariangela (c)

(a) *Centro Nazionale per la Ricerca e la Valutazione Preclinica e Clinica dei Farmaci, Istituto Superiore di Sanità, Roma*

(b) *Centro Regionale di Farmacovigilanza dell'Umbria, Perugia*

(c) *Servizio Programmazione Socio-Sanitaria dell'Assistenza Distrettuale, Regione Umbria, Perugia*

Introduzione. Luspatercept trova indicazione per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione dipendente dovuta a Sindrome Mielodisplastica (SMD) o associata a beta-talassemia con somministrazione ogni tre settimane. L'Agenzia Italiana del Farmaco ha approvato la rimborsabilità di luspatercept nel novembre 2021 e le Regioni lo hanno progressivamente inserito nell'elenco dei farmaci prescrivibili. Il presente studio ha valutato il *pattern* prescrittivo del luspatercept nella Regione Umbria nel corso del 2022, anno in cui, nel mese di giugno, è stata prodotta una scheda informativa rivolta ai medici prescrittori.

Metodi. La fonte dei dati usata nello studio è il sistema di monitoraggio della Regione Umbria che raccoglie informazioni individuali sulle prescrizioni farmaceutiche territoriali, comprensive della distribuzione diretta e per conto, a carico del SSN. Sono state analizzate le caratteristiche demografiche e cliniche degli utilizzatori, il consumo del farmaco in termini di confezioni e milligrammi totali e per utilizzatore. È stato, altresì, valutato il costo medio di terapia mensile per utilizzatore.

Risultati. Nel secondo semestre 2022, un totale di 10 pazienti ha ricevuto almeno una dose di luspatercept. I pazienti hanno un'età media di 74 anni (*range* 46-85 anni), sono in maggioranza maschi (70%) ed affetti da SMD (80%). Nel periodo in studio sono state prescritte 108 confezioni (48 da 25 mg e 60 da 75 mg) per un totale di 5.700 mg di farmaco. La durata media del trattamento è stata di 3,8 mesi (*range* 1-6 mesi); due pazienti hanno eseguito le somministrazioni per l'intero periodo d'osservazione. Nel 50% dei casi si è osservato un incremento della dose mentre in un solo caso il trattamento è stato sospeso (2 somministrazioni eseguite). La spesa totale a carico del Servizio Sanitario Nazionale è stata di circa 185 mila euro pari ad un costo medio mensile per paziente di 4.863 euro.

Conclusioni. Sebbene l'analisi sia stata condotta su un periodo relativamente breve e su una casistica limitata, ha comunque consentito di poter valutare le modalità di trattamento nella pratica clinica e di stimare l'impatto economico anche in prospettiva di un futuro allargamento delle indicazioni di utilizzo del luspatercept.