



Nota AIFA 39 – Criteri per la prescrivibilità a carico SSN

La prescrizione di ormone della crescita e analoghi a carico del Servizio sanitario nazionale (SSN), su diagnosi e piano terapeutico di centri specializzati, università, aziende ospedaliere, aziende sanitarie, IRCCS, individuati dalle regioni e dalle Province autonome di Trento e Bolzano, è limitata alle condizioni sotto indicate in base all'età del soggetto in trattamento. così riassumibili:

- **periodo neonatale**, se durante una crisi ipoglicemica l'ormone della crescita (GH) sierico <5 ng/mL e se è presente almeno un altro deficit ipofisario e/o le classiche anomalie morfologiche RMN (ectopia della neuroipofisi, ipoplasia della adenoipofisi con anomalie del peduncolo);
 - **a partire dal secondo mese di vita fino ai 2 anni di vita**: se la RMN ha dimostrato una anomalia della adenoipofisi associata a quella del peduncolo e/o della neuroipofisi in un bambino con decelerazione della velocità di crescita (perdita di almeno 0,5 SDS di lunghezza) valutato per almeno 6 mesi e/o segni clinici riferibili a ipopituitarismo e/o ipoglicemia;
 - **età evolutiva** nelle seguenti condizioni:
 - 1) Bassa statura da deficit di GH (GHD), secondo i parametri definiti dalla Nota stessa;
 - 2) Deficit staturale in pazienti con sindrome di Turner dimostrata citogeneticamente;
 - 3) Deficit staturale nell'insufficienza renale cronica;
 - 4) Soggetti affetti dalla sindrome di Prader Willi, dimostrata geneticamente, con normale funzionalità respiratoria e non affetti da: obesità severa (definita con BMI $>95^{\circ}$ centile), diabete mellito non controllato, sindrome dell'apnea ostruttiva nel sonno esclusa mediante poligrafia o polisonnografia, tumore in fase attiva, psicosi attiva;
 - 5) Deficit staturale in soggetti con alterata funzione del gene SHOX, dimostrata geneticamente;
 - 6) Bambini nati piccoli per l'età gestazionale (SGA-Small for Gestational Age), diagnosticati sulla base dei criteri ivi elencati;
 - 7) Soggetti affetti dalla sindrome di Noonan, dimostrata geneticamente, con statura $\leq -2,5$ DS.
 - **età di transizione**: età compresa tra il momento del raggiungimento della statura definitiva del soggetto trattato e l'età di 25 anni. Durante tale età la terapia con ormone della crescita e analoghi può essere proseguita senza successive rivalutazioni nei soggetti con:
 - 1) deficit di GH causato da mutazione genetica documentata;
 - 2) panipituitarismo o ipopituitarismo comprendente 3 o più deficit ipofisari congeniti o acquisiti;
- Tutti gli altri soggetti con GHD devono essere rivalutati (re-testing) dopo almeno un mese dalla sospensione del trattamento sostitutivo con rGH e la terapia può essere proseguita se:
- 1) deficit di GH confermato con $\text{GH} < 6 \mu\text{g/L}$ dopo ipoglicemia insulinica (ITT);
 - 2) deficit di GH confermato con $\text{GH} < 19 \mu\text{g/L}$ dopo GHRH+arginina.

Nei soggetti con Sindrome di Prader-Willi la terapia puo' essere proseguita se rispondono ai criteri elencati nella Nota

Al raggiungimento della statura definitiva non e' piu' indicata la terapia con rGH nelle seguenti patologie:

- Sindrome di Turner;
- Insufficienza renale cronica;
- Soggetti nati piccoli per eta' gestazionale (SGA);
- Soggetti con alterata funzione del gene SHOX;
- Soggetti con sindrome di Noonan accertata geneticamente

- **Età adulta:** la terapia con rGH in eta' adulta e' indicata nei casi di:
 - 1) Ipopituitarismo post ipofisectomia totale o parziale (chirurgica, da radiazioni);
 - 2) Ipopituitarismo idiopatico, post ipofisite autoimmune, post trauma cranio-encefalico, da terapie chirurgiche o radianti per neoplasie sellari e parasellari, da sella vuota primitiva, da Sindrome di Sheehan;
 - 3) Deficit congenito di GH da causa genetica dimostrata.

Tratto da:

Testo Nota AIFA 39 –Allegato alla Determina AIFA n. DG/104/2023 (GU Serie Generale n.74 del 28-03-2023), reperibile anche sul portale istituzionale dell’AIFA al link : <https://www.aifa.gov.it/nota-39>