



Tavolo Tecnico Indisponibilità
Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
SEDE
Via del Tritone 181, 00187, ROMA

26 agosto 2025

Oggetto: Segnalazione problematiche legate alla carenza della specialità farmaceutica Desmopressina Acetato Triidrato

Gentilissimi,

In qualità di Presidenti dell'Associazione Italiana Centri Emofilia (AICE), della Società Italiana per lo Studio dell'Emostasi e della Trombosi (Siset) e della Federazione Italiana delle Associazioni Emofilici (FedEmo), desideriamo portare alla vostra attenzione le problematiche legate alla carenza della specialità farmaceutica Desmopressina Acetato Triidrato (Emosint, Kedrion SpA) sul territorio nazionale. Tale carenza è dovuta alla cessazione della commercializzazione del farmaco Emosint 20 mcg/1mL (codice AIC 027665025) ed Emosint 4 mcg/0.5 mL (codice AIC 027665013) come riportato nella lista dei farmaci carenti pubblicata sul sito AIFA.

Nonostante sia stata autorizzata l'importazione dall'estero di un farmaco analogo (Octostim 15 mcg/1 mL, Ferring Pharmaceuticals), le farmacie sia ospedaliere che territoriali a cui ci riferiamo stanno segnalando difficoltà a reperire tale farmaco anche all'estero.

Vogliamo porre alla vostra attenzione le conseguenze che una mancata disponibilità a lungo termine di Desmopressina Acetato Triidrato avrà sulle prospettive terapeutiche dei pazienti con Malattie Emorragiche Congenite sul territorio nazionale. La Desmopressina Acetato Triidrato (Emosint) è attualmente regolarmente prescritta in caso di sanguinamenti o come profilassi antiemorragica per procedure o eventi a rischio emorragico in pazienti affetti da malattia di von Willebrand, emofilia A lieve/moderata e nelle piastrinopatie congenite da rilascio di mediatori intrapiastrinici.

È opportuno ricordare che la formulazione sottocutanea di desmopressina consente la terapia domiciliare, che diversi pazienti utilizzano per autotrattarsi in caso di sanguinamenti improvvisi non gravi o talora per procedure invasive che non richiedano lo stretto monitoraggio intraospedaliero. La mancanza di Desmopressina Acetato Triidrato pertanto comporterà necessariamente le seguenti modifiche di approccio terapeutico:

- nella malattia di von Willebrand la prescrizione di concentrati di fattore VIII/fattore di von Willebrand, che, oltre al maggior costo, richiederanno l'accesso in ospedale (Pronto Soccorso o altri Servizi) per effettuare la somministrazione che per tali prodotti è esclusivamente endovenosa.
- nell'emofilia A lieve/moderata responsivi alla desmopressina la prescrizione di concentrati ricombinanti o plasmaderivati di fattore VIII. Anche in questo caso, oltre al maggior costo, sarà necessario l'accesso in ospedale per effettuare la somministrazione per via endovenosa.

- per pazienti con piastrinopatia, laddove non fosse sufficiente il solo acido tranexamico, sarà necessario ricorrere alla trasfusione di concentrati piastrinici che per definizione richiede accesso in ospedale per somministrazione ed osservazione post-trasfusione.

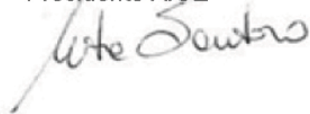
In Italia si può stimare la presenza di almeno 1500 persone con emofilia A responsive a desmopressina e circa 2000-3000 persone con varianti di Malattia di von Willebrand che potrebbero giovare di tale specialità farmaceutica senza far ricorso a concentrati di fattori della coagulazione più costosi e meno maneggevoli. Si ricorda inoltre che l'esposizione a concentrati di fattore VIII di alcuni individui con emofilia A può essere causa di sviluppo di anticorpi neutralizzanti anti-fattore VIII con ulteriore impatto sulla gestione clinico-assistenziale degli stessi.

Alla luce delle evidenti implicazioni di aumento della complessità di gestione delle terapie per i pazienti, della maggiore necessità di accesso alle strutture ospedaliere e dell'utilizzo di farmaci a maggior costo, chiediamo di valutare la possibilità di reperire la Desmopressina Acetato Triidrato tramite canali alternativi alla sola importazione dall'estero che non può essere sufficiente a soddisfare i bisogni a lungo termine. A tal scopo chiediamo di valutare la fattibilità di una produzione a livello nazionale.

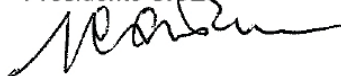
Ringraziandovi per l'attenzione che siamo certi vorrete porre a questo problema, rimaniamo a disposizione per eventuali ulteriori chiarimenti.

Cordiali saluti

Dr.ssa Rita Carlotta Santoro
Presidente AICE



Dr. Giancarlo Castaman
Presidente SISET



Avv. Cristina Cassone
Presidente FedEMO

