



Time to Rare

MALATTIE RARE APRILE 2023



Una **malattia** si definisce **rara** quando è presente con una bassa frequenza nella popolazione.
Nell'Unione Europea una malattia è considerata rara se colpisce al massimo lo 0,05% della popolazione, ossia 5 persone su 10.000.

Per le malattie rare sia la diagnosi che il trattamento risultano essere molto difficoltosi. Ciò è dovuto, da un lato, al livello limitato di conoscenze medico-scientifiche relative alla specifica patologia e, dall'altro, al ridotto interesse che le Aziende farmaceutiche hanno ed avrebbero nella ricerca e produzione di farmaci utilizzabili solo da un numero piuttosto ridotto di pazienti.

Si parla di **farmaci orfani**, intesi come farmaci potenzialmente idonei al trattamento di una malattia rara, ma che, in condizioni normali di mercato, non sarebbero prodotti né commercializzati in quanto poco remunerativi. Per sostenere le possibili terapie per i pazienti affetti da malattie rare, l'Unione Europea applica specifici incentivi volti ad incoraggiarne lo sviluppo e la commercializzazione.

L'accesso di un nuovo farmaco al paziente, sia esso orfano o meno, è il momento finale di un lungo e complesso "viaggio" che parte dall'**Agenzia Europea per i Medicinali (EMA)**, coinvolge l'**Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)** ed arriva infine alle singole **Regioni**.

In questo processo, EMA ha il compito di valutare il farmaco dal punto di vista scientifico, AIFA prende una decisione in merito alla rimborsabilità, mentre le singole Regioni effettuano, in modo non omogeneo e con procedure tra loro diverse, un'ulteriore valutazione prima di rendere effettivamente disponibile il farmaco ai pazienti Italiani.

La procedura di autorizzazione inizia con una **domanda di registrazione presso l'EMA**, che valuta il prodotto e formula, attraverso il Comitato per i Medicinali per uso Umano (CHMP), un'"**Opinione**" (favorevole o contraria). Questa viene poi ratificata nella **Decisione della Commissione Europea**. A questo punto il farmaco è registrato in tutti i paesi dell'Unione Europea, ed è in teoria disponibile per i pazienti.

Inizia ora la fase nazionale in cui l'**AIFA** deve decidere se e a quali condizioni (prezzo e tipologia di pazienti) il farmaco meriti di essere **rimborso**, e quindi reso gratuitamente disponibile al paziente. Durante questo periodo le Aziende possono rendere comunque disponibile il farmaco (inserendolo nella cosiddetta classe "C non negoziata"), ma la gratuità e quindi l'effettiva disponibilità per i pazienti viene decisa dai singoli ospedali, ASL o Regioni.

Queste decisioni, all'interno dell'AIFA, vengono prese dalla **Commissione Tecnico-Scientifica (CTS)** e dal **Comitato Prezzi e Rimborso (CPR)**. Sulla base delle decisioni espresse dalle due Commissioni, l'AIFA rilascia un'autorizzazione che viene pubblicata sulla **Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana (GURI)**.

Con la **Gazzetta Ufficiale di Rimborso** il farmaco dovrebbe essere disponibile per i cittadini Italiani, ma il viaggio verso il paziente non è terminato, perché le singole Regioni Italiane spesso rallentano l'effettiva disponibilità dei farmaci per i pazienti con ulteriori procedure burocratiche.

Questo percorso può durare anche **fino a 3 anni**.

Al momento, purtroppo, a differenza dei farmaci innovativi, la norma non prevede anche per i farmaci orfani un inserimento automatico nei singoli Prontuari Terapeutici.

Per fortuna l'Italia, come le altre principali nazioni europee, ha previsto **diverse procedure per rendere disponibile gratuitamente un farmaco anche prima che venga ufficialmente autorizzato**, nel caso in cui questo possa apportare dei benefici importanti per pazienti con gravi patologie.

La **Legge 648** del 1996 prevede, per alcuni farmaci di particolare valore, inclusi i farmaci orfani, la possibilità di un accesso al mercato anticipato rispetto al rilascio dell'autorizzazione all'immissione in commercio. In questo caso l'erogazione è a carico del SSN, previo parere positivo della CTS.











Inoltre, con la Legge 326 del 2003, è stato istituito un fondo nazionale - **il fondo AIFA 5%** - per l'impiego, a carico del SSN, dei farmaci orfani in circostanze eccezionali, in attesa della loro commercializzazione ed in presenza di patologie particolari e gravi.

Per i farmaci orfani, per accelerare l'iter di prezzo e rimborso, l'AIFA - su richiesta dell'Azienda - può avviare l'iter di valutazione già al momento del rilascio dell'Opinione Positiva del CHMP, senza attendere la Decisione della Commissione Europea, e può applicare una procedura negoziale a "tempi ridotti" che si conclude in **100 giorni**, anziché 180 dalla data di presentazione della domanda.

L'obiettivo di "**Time to Care**" è quello di consentire ai pazienti affetti da malattie rare ed ai loro parenti di conoscere in modo tempestivo, semplice e trasparente, quali sono i **nuovi farmaci orfani in arrivo**, lo stato del loro percorso, e la loro effettiva disponibilità. Uno strumento, speriamo un aiuto, per affrontare la malattia in modo consapevole e senza false illusioni.







Il nostro impegno sarà nell'aggiornamento continuo del Report. Confidiamo nella collaborazione dell'AIFA, per un accesso sempre più completo e tempestivo alle informazioni pubbliche, e delle Regioni, affinché rendano più celere e trasparente l'effettiva disponibilità di un farmaco nel loro territorio.

Il grafico che segue indica per singola tipologia di tumore lo stato di avanzamento della registrazione dei farmaci oncologici in arrivo in Italia:

| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|--|--|--|--|--|--------|------------|--------------------|---|
|  Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | ALSITEK Masitinib (Mesilato) | giu-16 | apr-18  | lug-18  | | | | |
| | APLIDIN Plitidepsina | nov-16 | dic-17  | lug-18  | | | | |
| | BESREMI Ropeginterferone Alfa-2b | mar-17 | dic-18 | feb-19 | gen-21 | ott-21 | 07/04/2022 | 18/11/2019  SSN |
| | KYMRIAH Tisagenlecleucel | dic-17 | giu-18 | ago-18 | ott-18 | mar-19 | 12/08/2019 | SSN |
| | LEDAGA Mecloretamina | lug-15 | dic-16 | mar-17 | set-17 | set-17 | 22/01/2019 | SSN |
| | MYLOTARG Gemtuzumab Ozogamicin | gen-17 | feb-18 | apr-18 | lug-18 | dic-18 | 18/06/2019 | 12/11/2018  SSN |
| | ONIVYDE Irinotecan Cloridrato Triidrato | giu-15 | lug-16 | ott-16 | gen-17 | set-17 | 28/11/2020 | SSN |
| | POTELIGEO Mogamulizumab | nov-17 | set-18 | nov-18 | mar-20 | giu-20 | 10/12/2020 | SSN |
| | POLIVY Polatuzumab Vedotin | feb-19 | nov-19 | gen-20 | lug-20 | | 04/11/2020 | SSN |
| | RUBRACA Rucaparib | dic-16 | mar-18 | mag-18 | giu-19 | lug-19 | 12/11/2019 | SSN |
| | TRECONDI Treosulfan | feb-18 | dic-18 | giu-19 | apr-20 | ott-20 | 07/01/2022 | 03/12/2019  SSN |
| ULTOMIRIS Ravulizumab | ago-18 | apr-19 | lug-19 | lug-19 | nov-19 | 18/08/2020 | SSN | |
| VANFLYTA Quizartinib | nov-18 | ott-19  | dic-19  | | | | | |







648 



| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|--|---|--------------------------|--------------------|-----------------------|--------|---|--|
|  Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | VITRAKVI Larotrectinib | ott-18 | lug-19 | set-19 | set-19 | mar-21 | 07/09/2021 SSN |
| | VYXEOS Daunorubicin/Cytarabine | dic-17 | giu-18 | ago-18 | nov-18 | dic-18 | 18/06/2019 SSN |
| | XOSPATA Gilteritinib | apr-19 | set-19 | ott-19 | mar-20 | mag-20 | 08/03/2021 02/04/2020  SSN |
| | YESCARTA Axicabtagene Ciloleucel | set-17 | giu-18 | ago-18 | ott-18 | mar-19 | 11/11/2019 SSN |
| | CALQUENCE Acalabrutinib | nov-19 | lug-20 | nov-20 | mar-21 | set-21 | 03/12/2021 25/03/2021  SSN |
| | TECARTUS Autologous peripheral blood T cells CD4 and CD8 selected and CD3 and CD28 activated transduced with retroviral vector expressing anti-CD19 CD28/CD3-zeta chimeric antigen receptor and cultured | feb-20 | ott-20 | dic-20 | gen-21 | ott-21 | 11/03/2022 06/10/2021  SSN |
| | AYVAKYT Avapritinib | ago-19 | lug-20 | set-20 | dic-20 | apr-21 | 05/01/2022 14/06/2021  SSN |
| | BLENREP Belantamab Mafodotin | feb-20 | lug-20 | ago-20 | nov-20 | mar-21 | 07/12/2021 21/06/2021  SSN |
| | COPIKTRA Duvelisib | gen-20 | mar-21 | mag-21 | mag-22 | | 04/07/2022 SSN |
| | GAMIFANT Emapalumab | set-18 | lug-20 | gen-21 | | | |
| | INREBIC Fedratinib | feb-20 | dic-20 | feb-21 | set-21 | nov-21 | 03/05/2022 SSN |
| | DAURISMO Glasdegib | giu-19 | apr-20 | giu-20 | mag-21 | ott-21 | 30/06/2022 SSN |
| IDEFIRIX Imlifdase | mar-19 | giu-20 | ago-20 | dic-21 | lug-22 | 07/12/2022 SSN | |











| AMBITO DELLA PATOLOGIA | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|--|-----------------------------------|--------------------------|--|--|--------|------------|--------------------|---|
|  Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | SARCLISA Isatuximab | lug-19 | mar-20 | mag-20 | giu-20 | feb-21 | 21/09/2021 | 29/03/2021  SSN |
| | LUMOXITI Moxetumomab Pasudotox | gen-20 | dic-20 | feb-21 | | | | |
| | PEMAZYRE Pemigatinib | gen-20 | gen-21 | mar-21 | apr-21 | nov-21 | 30/05/2022 | SSN |
| | TURALIO Pexidartinib | apr-19 | giu-20  | ott-20  | | | | |
| | ENSPRYNG Satralizumab | set-19 | apr-21 | giu-21 | nov-21 | apr-22 | 09/09/2022 | SSN |
| | NEXPOVIO Selinexor | feb-19 | gen-21 | mar-21 | | | | |
| | ELZONRIS Tagraxofusp | feb-19 | nov-20 | gen-21 | giu-21 | mar-22 | 03/03/2023 | SSN |
| | KOSELUGO Selumetinib | apr-20 | apr-21 | giu-21 | set-21 | ott-22 | | |
| | ABECMA Ideabtagene Vicleucel | giu-20 | giu-21 | ago-21 | ott-21 | mag-22 | | |
| | MINJUVI Tafasitamab | giu-20 | giu-21 | ago-21 | dic-21 | apr-22 | 07/11/2022 | SSN |
| | FLYNPOVI Eflornithine/Sulindac | lug-20 | lug-21  | ott-21  | | | | |
| BRUKINSA Zanubrutinib | lug-20 | set-21 | nov-21 | mar-22 | giu-22 | 13/10/2022 | SSN | |
| BREYANZI Lisocabtagene Maraleucel | ago-20 | gen-22 | apr-22 | ott-22 | mar-23 | | | |





| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | | |
|---|---|--|---------------|-----------------------|--------|--------|--|------------|--|
|  Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | ASPAVELI Pegcetacoplan | ott-20 | ott-21 | dic-21 | feb-22 | apr-22 | 13/08/2022 | SSN | |
| | Autologous glioma tumor cells, inactivated / autologous glioma tumor cell lysates, inactivated / allogeneic glioma tumor cells, inactivated / allogeneic glioma tumor cell lysates, inactivated | ott-20 | | | | | | | |
| | QINLOCK Ripretinib | ott-20 | set-21 | nov-21 | dic-22 | gen-23 | | | |
| | TAVNEOS Avacopan |  U.C. | nov-20 | nov-21 | gen-22 | gen-23 | mar-23 | | |
| | UPLIZNA Inebilizumab | | gen-21 | nov-21 | apr-22 | set-22 | gen-23 | | |
| | Retifanlimab | | mar-21 | | | | | | |
| | CARVYKTI Ciltacabtagene Autoleucel | | giu-21 | mar-22 | mag-22 | ott-22 | | | |
| | Copanlisib | | giu-21 | | | | | | |
| | PEPAXTI Melphalan | | giu-21 | giu-22 | ago-22 | | | | |
| | SCEMBLIX Asciminib | | ago-21 | giu-22 | ago-22 | ott-22 | mar-23 | | |
| | KIMMTRAK Tebentafusp |  U.C. | stt-21 | feb-22 | apr-22 | lug-22 | ott-22 | 08/03/2023 | 28/11/2022  SSN |
| | VYVGART Efgartigimod Alfa |  U.C. | set-21 | giu-22 | ago-22 | nov-22 | apr-23  | | |
| | Bardoxolone | | nov-21 | | | | | | |





| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|-------------------------|--|--------------------------|---------------|-----------------------|--------|--------|--------------------|
| | Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | nov-21 | set-22 | dic-22 | | | |
| | ZYNLONTA Loncastuximab Tesirine | | | | | | |
| | ENJAYMO Sutimlimab | nov-21 | set-22 | nov-22 | dic-22 | | |
| | Infigratinib | dic-21 | | | | | |
| | LONSUMIO Mosunetuzumab | dic-21 | apr-22 | giu-22 | ott-22 | dic-22 | |
| | | | | | | | |
| | Parsaclisib | gen-22 | | | | | |
| | TECVAYLI Teclistamab | mar-22 | lug-22 | ago-22 | gen-23 | apr-23 | |
| | | | | | | | |
| | TIBSOVO Ivosidenib | feb-19 | feb-23 | | | | |
| | Tislelizumab | apr-22 | | | | | |
| | IMJUDO Tremelimumab | apr-22 | dic-22 | | | | |
| | LYTGOBI Futibatinib | mag-22 | apr-23 | | | | |
| | COLUMVI Glofitamab | mag-22 | apr-23 | | | | |
| | | | | | | | |
| | JAYPIRCA Pirtobrutinib | lug-22 | apr-23 | | | | |
| | Alpelisib | ago-22 | | | | | |
| | Ivosidenib | ago-22 | | | | | |






| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|-------------------------|--|--------------------------|---------------|-----------------------|-----|-----|--------------------|
| | Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | set-22 | | | | | |
| | Decitabine/Cedazuridine | set-22 | | | | | |
| | Quizartinib (Dihydrochloride) | set-22 | | | | | |
| | Masitinib (Mesilato) | ott-22 | | | | | |
| | Dabrafenib | ott-22 | | | | | |
| | Trametinib | ott-22 | | | | | |
| | Zilucoplan | dic-22 | | | | | |
| | Epcoritamab | dic-22 | | | | | |
| | Leniolisib | dic-22 | | | | | |
| | Momelotinib | dic-22 | | | | | |
| | Rozanolixizumab | feb-23 | | | | | |
| | Elranatamab | feb-23 | | | | | |
| | Talquetamab | | | | | | |











| AMBITO DELLA PATOLOGIA | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|------------------------|---------|--------------------------|---------------|-----------------------|-----|-----|--------------------|
|------------------------|---------|--------------------------|---------------|-----------------------|-----|-----|--------------------|

| | | | | | | | |
|--|--------------|--|--|--|--|--|--|
|  Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori | Danicopan | apr-23  | | | | | |
| | Retifanlimab | apr-23  | | | | | |
| | Serplulimab | apr-23  | | | | | |

| | | | | | | | | |
|--|---|--------|--------|--------|--------|------------|------------|-----|
|  Apparato gastrointestinale e metabolismo | AMGLIDIA Glibenclamide | nov-16 | feb-18 | mag-18 | | | | |
| | BRINEURA Cerliponase Alfa | ott-16 | apr-17 | mag-17 | ott-17 | nov-17 | 12/05/2020 | SSN |
| | CHENODEOXYCHOLIC ACID LEADIANT Acido Cenodeossicolico | nov-15 | set-16 | apr-17 | ott-17 | feb-18 | 02/03/2020 | SSN |
| | CUFENCE Trientine (dicloridrato) | mar-18 | mag-19 | lug-19 | feb-20 | mar-20 | 06/11/2020 | SSN |
| | GIVLAARI Givosiran | ago-19 | gen-20 | mar-20 | mar-20 | set-20 | 19/01/2021 | SSN |
| | JORVEZA Budesonide | lug-17 | nov-17 | gen-18 | lug-20 | ott-20 | 07/09/2021 | SSN |
| | LAMZEDE Velmanase Alfa | ott-16 | gen-18 | mar-18 | gen-19 | apr-19 | 14/08/2020 | SSN |
| MEPSEVII Vestronidasi Alfa | giu-17 | giu-18 | ago-18 | dic-20 | mar-21 | 07/09/2021 | SSN | |







| AMBITO DELLA PATOLOGIA | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|--|--|--|--|--|--|--------|--------------------|--|
|  Apparato gastrointestinale e metabolismo | MEPSEVII Vestronidasi Alfa | giu-17 | giu-18 | ago-18 | dic-20 | mar-21 | 07/09/2021 | SSN |
| | MYALEPTA Metreleptin | feb-17 | mag-18 | lug-18 | nov-18 | mar-19 | 19/03/2020 | SSN |
| | PALYNZIQ Pegvaliase | apr-18 | feb-19 | mag-19 | nov-19 | mar-20 | 09/01/21 | 26/10/2020  SSN |
| | XYNDARI Glutamine | mar-18 | mag-19  | set-19  | | | | |
| | FINTEPLA Fenfluramine | mar-19 | ott-20 | dic-20 | set-21 | nov-21 | 13/06/2022 | SSN |
| | ZOKINVY Lonafarnib | mag-20 | mag-22 | lug-22 | apr-23  | | | |
| | OXLUMO Lumasiran | mag-20 | ott-20 | nov-20 | gen-21 | set-21 | 04/04/2022 | |
| | SIBNAYAL Potassium citrate/potassium hydrogen carbonate | dic-19 | dic-20 | apr-21 | | | | |
| | IMCIVREE Setmelanotide | ago-20 | mag-21 | lug-21 | nov-21 | feb-22 | 27/08/2022 | |
| | NEXVIADYME Avalglucosidase alfa |  U.C. | ott-20 | lug-21 | giu-22 | dic-22 | | |
| LIVMARLI Maralixibat |  U.C. | ott-21 | ott-22 | dic-22 | feb-23 | | | |
| BYLVAY Odevixibat |  U.C. | dic-20 | mag-21 | lug-21 | ott-21 | mar-22 | 27/08/2022 | |





| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|--|--|--------------------------|---------------|-----------------------|--------|--------|--------------------|
|  Apparato gastrointestinale e metabolismo | KINPEYGO Budesonide | giu-21 | mag-22 | lug-22 | | | |
| | POMBILITI Cipaglicosidase | dic-21 | dic-22 | | | | |
| | NULIBRY Fosdenopterin | dic-21 | lug-22 | set-22 | | | |
| | XENPOZYME Olipudase | dic-21 | mag-22 | giu-22 | set-22 | feb-23 | |
| | ELFABRIO Pegunigalsidase Alfa | mar-22 | feb-23 | | | | |
| | Pegzilarginase | set-22 | | | | | |
|  Organi di senso | CYSTADROPS Mercaptamina Cloridrato | ott-14 | ott-16 | gen-17 | ott-17 | feb-18 | 08/03/2019 |
| | LUXTURNA Voretigene Neparvovec | set-17 | set-18 | nov-18 | apr-19 | feb-20 | 09/01/2021 |
| | VERKAZIA Ciclosporina | feb-17 | lug-17 | lug-18 | feb-19 | lug-19 | 16/07/2020 |
| | Lenadogene Nolparvovec | nov-20 | | | | | |
| | Polihexanide | mag-22 | | | | | |

 U.C.


SSN

SSN

SSN









| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | EUROPEA | | | ITALIANA | | GAZZETTA UFFICIALE | |
|---|---|-----------------------------|------------------|--------------------------|----------|--------|-----------------------|----------------|
| | | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | | |
|  Sangue ed organi emopoietici | CABLIVI Caplacizumab | mar-17 | giu-18 | ago-18 | feb-19 | lug-19 | 17/01/2020 | SSN |
| | COAGADEX Fattore X di Coagulazione Umana | ago-15 | gen-16 | mar-16 | lug-18 | - | 27/06/2019 | SSN |
| | ESPEROCT Turoctocog Alfa Pegol | apr-18 | apr-19 | giu-19 | dic-19 | feb-20 | 16/07/2020 | SSN |
| | JIVI Damoctocog Alfa Pegol | ott-17 | set-18 | nov-18 | dic-18 | set-19 | 27/01/2020 | |
| | TAKHZYRO Lanadelumab | apr-18 | ott-18 | nov-18 | ott-19 | gen-20 | 10/04/2020 | SSN |
| | TREPULMIX Trepstinil | mar-19 | gen-20 | apr-20 | giu-21 | ott-21 | 23/05/2022 | SSN |
| | VEYVONDI Vonicog Alfa | lug-17 | giu-18 | ago-18 | gen-20 | ott-20 | 29/12/2020 | SSN |
| | ZYNTEGLO Cellule CD34+ autologhe trasdotte con vettore BB305 (gene beta A-T87Q-globina umana) | nov-18 | mar-19 | mag-19 | lug-19 | dic-20 | | |
| | ADAKVEO Crizanlizumab | lug-19 | lug-20 | ott-20 | gen-21 | feb-21 | 07/01/2022 | SSN |
| | REBLOZYL Luspatercept | giu-19 | apr-20 | giu-20 | dic-20 | giu-21 | 09/12/2021 | SSN |
| ORLADEYO Berotralstat | apr-20 | feb-21 | apr-21 | | | | | |
| OXBRYTA Voxelotor | feb-21 | dic-21 | feb-22 | | | | | |











| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|--|-------------------------------------|--------------------------|---------------|-----------------------|--|--------|--------------------|---|
| | | | | | | | | |
|  Sangue ed organi emopoietici | PYRUKYND Mitapivat | ago-21 | set-22 | nov-22 | | | | |
| | ROCTAVIAN Valoctogene Roxaparvec | ago-21 | giu-22 | ago-22 | feb-23 | | | |
| | HEMGENIX Etranacogene Dezaparvec | apr-22 | dic-22 | feb-23 | apr-23  | | | |
| | Exagamglogene Autotemcel | feb-23 | | | | | | |
|  Sistema nervoso centrale | EPIDYOLEX Cannabidiol | feb-18 | lug-19 | set-19 | gen-20 | lug-20 | 24/06/2021 | SSN |
| | ONPATTRO Patisiran (sodio) | feb-18 | lug-18 | ago-18 | nov-18 | mag-19 | 30/01/2020 | SSN |
| | TEGSEDI Inotersen (sodio) | dic-17 | mag-18 | lug-18 | apr-19 | ott-19 | 27/05/2020 | SSN |
| | LIBMELDY Cellule CD34+ autologhe | dic-19 | ott-20 | dic-20 | mar-21 | giu-21 | 07/04/2022 | 05/07/2021  SSN |
| | UPSTAZA Eladocagene exuparvec | feb-20 | mag-22 | lug-22 | mar-23 | | | |
| | SKYSONA Elivaldogene autotemcel | ott-20 | mag-21 | lug-21 | | | | |
| | Arimoclomol | dic-20 | | | | | | |
| | AMVUTTRA Vutrisiran | ott-21 | lug-22 | set-22 | nov-22 | mar-23 | | |












| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|--|--|--------------------------|---------------|-----------------------|-----|-----|--------------------|
|  Sistema nervoso centrale | Ganaxolone | nov-21 | | | | | |
| | Sodium Phenylbutyrate Ursodoxicoltaurine | mar-22 | | | | | |
| | Sodium Phenylbutyrate Ursodoxicoltaurine | mar-22 | | | | | |
| | Leriglitzone | set-22 | | | | | |
| | Tofersen | dic-22 | | | | | |
| | Omaveloxolone | gen-23 | | | | | |

| | | | | | | | | |
|--|--|--------|--------|--------|--------|--------|------------|--|
|  Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali | NATPAR Ormone Paratiroideo | dic-14 | feb-17 | apr-17 | dic-17 | giu-18 | 26/05/2020 |  |
| | ISTURISA Osilodrostat | dic-18 | nov-19 | gen-20 | feb-21 | giu-21 | 04/01/2023 | 11/06/2020  SSN |
| | SOGROYA Somapacitan | ott-19 | gen-21 | mar-21 | feb-22 | | 06/05/2022 |  |
| | EFMODY Hydrocortisone | apr-20 | mar-21 | mag-21 | gen-22 | apr-22 | 26/08/2022 |  |
| | LONAPEGSOMATROPIN ASCENDIS PHARMA Lonapegsomatropin | nov-20 | nov-21 | gen-22 | | | | |

648 








| AMBITO DELLA PATOLOGIA | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|---|--|--------------------------|--|--|--------|--------|--------------------|---|
|  Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali | NGENLA Somatrogon | mar-21 | dic-21 | feb-22 | mag-22 | ott-22 | 28/03/2023 | 02/01/2023  SSN |
| | MYCAPSSA Octreotide | ago-21 | set-22 | dic-22 | | | | |
| | Palopegteriparatide | dic-22 | | | | | | |
|  Sistema muscolo-scheletrico | CRYSVITA Burosumab | gen-17 | dic-17 | feb-18 | lug-18 | feb-19 | 05/09/2019 | SSN |
| | EXONDYS Eteplirsen | gen-17 | mag-18  | dic-18  | | | | |
| | ZOLGENSMA Onasemnogene Apeparvovec | set-17 | mar-20 | mag-20 | lug-20 | nov-20 | 13/03/2021 | SSN |
| | EVRYSDI Risdiplam | set-20 | feb-21 | mar-21 | mag-21 | ott-21 | 07/02/2022 | 26/07/2021  SSN |
| | VOXZOGO Vosoritide | set-20 | giu-21 | ago-21 | gen-22 | mar-22 | 12/09/2022 | SSN |
| | SOHONOS Palovarotene | giu-21 | gen-23  | | | | | |
| | Vamorolone | ott-22 | | | | | | |





| AMBITO DELLA PATOLOGIA* | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE | |
|---|---|--------------------------|---------------|-----------------------|--------|--------|--------------------|-----------------------------|
|  Sistema cardiovascolare | NAMUSCLA Mexiletine hcl | set-17 | ott-18 | dic-18 | lug-20 | nov-20 | 04/08/2021 | SSN |
| | WAYLIVRA Volanesorsen (sodio) | set-17 | feb-19 | mag-19 | mar-20 | ott-20 | 20/02/2021 | SSN |
|  Sistema respiratorio | SYMKEVI Tezacaftor/Ivacaftor | set-17 | lug-18 | ott-18 | mag-19 | gen-20 | 05/07/2021 | 05/04/2019 € SSN |
| | KAFTRIO Elexaftor/Tezacaftor/Ivacaftor | nov-19 | giu-20 | ago-20 | dic-20 | mar-21 | 05/07/2021 | 15/03/2021 € SSN |
|  Antimicrobici generali per uso sistemico | PREVYMIS Letermovir | mag-17 | nov-17 | gen-18 | feb-18 | mag-18 | 17/09/2018 | SSN |
| | ARIKAYCE LIPOSOMAL Amikacin | ago-19 | lug-20 | ott-20 | dic-20 | apr-21 | 07/02/2023 | 02/05/2022 € SSN |
| | HEPCLUDEX Bulevirtide | nov-19 | mag-20 | lug-20 | giu-21 | nov-21 | 25/01/2023 | SSN |
| | OBILTOXAXIMAB SFL Obiltoxaximab | lug-19 | set-20 | nov-20 | | | | |
| | PRETOMANID FGK Pretomanid | apr-19 | mar-20 | lug-20 | apr-21 | set-21 | 04/01/2022 | SSN |
| | LIVTENCITY Maribavir | giu-21 | set-22 | nov-22 | gen-23 | mar-23 | | |
| | Rezafungin | set-22 | | | | | | |





| AMBITO DELLA PATOLOGIA | FARMACO | INIZIO ITER REGISTRATIVO | OPINIONE CHMP | REGISTRAZIONE EUROPEA | CTS | CPR | GAZZETTA UFFICIALE |
|--|---------------------------------|--------------------------|---------------|-----------------------|--------|--------|------------------------|
| Apparato tegumentario e pelle | FILSUVEZ Birch Bark Extract | mar-21 | apr-22 | giu-22 | feb-23 | | |
| Prodotti antiparassitari, insetticidi e repellenti | Artesunate | nov-20 | set-21 | nov-21 | | | |
| Vari | LUTATHERA 177 Lutezio-dotato | giu-16 | lug-17 | set-17 | mar-18 | mag-18 | 29/03/2019 |
| | SOMAKIT TOC Edotreotide | nov-15 | ott-16 | dic-16 | set-21 | ott-21 | 20/09/2022 08/08/2017 |
| | VORAXAZE Glucarpidase | set-20 | nov-21 | gen-22 | gen-23 | feb-23 | 13/09/2022 |
| | Omburtamab | giu-21 | | | | | |
| | EBVALLO Tabelecleucel | dic-21 | ott-22 | dic-22 | | | |
| | Sparsentan | set-22 | | | | | |

LEGENDA

Opinione negativa da parte del CHMP Farmaco in commercio non ancora rimborsato, a carico del cittadino Farmaco rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (classe A/H) Farmaco non rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (classe C)

Farmaci aggiornati nell'ultimo mese Farmaci presenti in elenco 648/1996 Farmaci a uso compassionevole

* Le categorie di riferimento delle patologie si riferiscono al codice ATC (Anatomico, Terapeutico e Chimico)



NEL MESE DI **APRILE** 2023



A livello **EUROPEO**:

Il CHMP ha rilasciato Opinione favorevole per i seguenti farmaci:

COLUMVI (glofitamab); **JAYPIRCA** (pirtobrutinib); **LYTGOBI** (futibatinib).

R E A L I Z Z A T O D A



Via del Tritone 169, 00187 Roma
Tel. +39 06 3229681 Fax +39 06 5919977
info@ntexo.it
www.intexo.it