



# Time to Rare

MALATTIE RARE FEBBRAIO 2024



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	
 <b>Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori</b>	<b>ALSITEK</b> Masitinib (Mesilato)	giu-16	apr-18 	lug-18 				
	<b>APLIDIN</b> Plitidepsina	nov-16	dic-17 	lug-18 				
	<b>BESREMI</b> Ropeginterferone Alfa-2b	mar-17	dic-18	feb-19	gen-21	ott-21	07/04/2022	18/11/2019  <b>SSN</b>
	<b>KYMRIAH</b> Tisagenlecleucel	dic-17	giu-18	ago-18	ott-18	mar-19	12/08/2019	<b>SSN</b>
	<b>LEDAGA</b> Mecloretamina	lug-15	dic-16	mar-17	set-17	set-17	22/01/2019	<del>SSN</del>
	<b>MYLOTARG</b> Gemtuzumab Ozogamicin	gen-17	feb-18	apr-18	lug-18	dic-18	18/06/2019	12/11/2018  <b>SSN</b>
	<b>ONIVYDE</b> Irinotecan Cloridrato Triidrato	giu-15	lug-16	ott-16	apr-23	giu-23	01/12/2023	<b>SSN</b>
	<b>POTELIGEO</b> Mogamulizumab	nov-17	set-18	nov-18	mar-20	giu-20	10/12/2020	<b>SSN</b>
	<b>POLIVY</b> Polatuzumab Vedotin	feb-19	nov-19	gen-20	lug-20		04/11/2020	<del>SSN</del>
	<b>RUBRACA</b> Rucaparib	dic-16	mar-18	mag-18	giu-19	lug-19	12/11/2019	<b>SSN</b>
	<b>TRECONDI</b> Treosulfan	feb-18	dic-18	giu-19	apr-20	ott-20	07/01/2022	03/12/2019  <del>SSN</del>
<b>ULTOMIRIS</b> Ravulizumab	ago-18	apr-19	lug-19	lug-19	nov-19	18/08/2020	<del>SSN</del>	
<b>VANFLYTA</b> 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 <span style="color: green;">SSN</span>
	VYXEOS Daunorubicin/Cytarabine	dic-17	giu-18	ago-18	nov-18	dic-18	18/06/2019 <span style="color: green;">SSN</span>
	XOSPATA Gilteritinib	apr-19	set-19	ott-19	mar-20	mag-20	08/03/2021 02/04/2020  <span style="color: green;">SSN</span>
	YESCARTA Axicabtagene Ciloleucl	set-17	giu-18	ago-18	ott-18	mar-19	11/11/2019 <span style="color: green;">SSN</span>
	CALQUENCE Acalabrutinib	nov-19	lug-20	nov-20	mar-21	set-21	03/12/2021 25/03/2021  <span style="color: green;">SSN</span>
	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  <span style="color: green;">SSN</span>
	AYVAKYT Avapritinib	ago-19	lug-20	set-20	dic-20	apr-21	05/01/2022 14/06/2021  <del>SSN</del>
	BLENREP Belantamab Mafodotin	feb-20	lug-20	ago-20	nov-20	mar-21	07/12/2021 21/06/2021  <span style="color: green;">SSN</span>
	COPIKTRA Duvelisib	gen-20	mar-21	mag-21	mag-22		04/07/2022 <del>SSN</del>
	GAMIFANT Emapalumab	set-18	lug-20 <del></del>	gen-21 <del></del>			
	INREBIC Fedratinib	feb-20	dic-20	feb-21	set-21	nov-21	03/05/2022 <span style="color: green;">SSN</span>
	DAURISMO Glasdegib	giu-19	apr-20	giu-20	mag-21	ott-21	30/06/2022 <span style="color: green;">SSN</span>
IDEFIRIX Imlifdase	mar-19	giu-20	ago-20	dic-21	lug-22	07/12/2022 <span style="color: green;">SSN</span>	










AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori</b>	SARCLISA Isatuximab	lug-19	mar-20	mag-20	giu-20	feb-21	21/09/2021	29/03/2021  <b>SSN</b>
	LUMOXITI Moxetumomab Pasudotox	gen-20	dic-20	feb-21				
	PEMAZYRE Pemigatinib	gen-20	gen-21	mar-21	apr-21	nov-21	30/05/2022	<b>SSN</b>
	TURALIO Pexidartinib	apr-19	giu-20 	ott-20 				
	ENSPRYNG Satralizumab	set-19	apr-21	giu-21	nov-21	apr-22	09/09/2022	<b>SSN</b>
	NEXPOVIO Selinexor	feb-19	gen-21	mar-21	nov-23			
	ELZONRIS Tagraxofusp	feb-19	nov-20	gen-21	giu-21	mar-22	03/03/2023	<b>SSN</b>
	KOSELUGO Selumetinib	apr-20	apr-21	giu-21	set-21	ott-22	23/01/2024	<b>SSN</b>
	ABECMA Ideabtagene Vicleucel	giu-20	giu-21	ago-21	ott-21	mag-22	19/08/2023	<del><b>SSN</b></del>
	MINJUVI Tafasitamab	giu-20	giu-21	ago-21	dic-21	apr-22	07/11/2022	<b>SSN</b>
	FLYNPOVI Eflornithine/Sulindac	lug-20	lug-21 	ott-21 				
	BRUKINSA Zanubrutinib	lug-20	set-21	nov-21	mar-22	giu-22	13/10/2022	<b>SSN</b>
BREYANZI Lisocabtagene Maraleucel	ago-20	gen-22	apr-22	ott-22	mar-23	08/02/2024 	<b>SSN</b>	


















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	WITHDRAWN					
	QINLOCK Ripretinib		ott-20	set-21	nov-21	dic-22	gen-23	15/09/2023	SSN
	TAVNEOS Avacopan		nov-20	nov-21	gen-22	gen-23	mar-23		
	UPLIZNA Inebilizumab		gen-21	nov-21	apr-22	set-22	gen-23	24/03/2023	SSN
	Retifanlimab		mar-21						
	CARVYKTI Ciltacabtagene Autoleucel		giu-21	mar-22	mag-22	ott-22	dic-23		
	Copanlisib		giu-21	WITHDRAWN					
	PEPAXTI Melphalan		giu-21	giu-22	ago-22	gen-24			
	SCEMBLIX Asciminib		ago-21	giu-22	ago-22	ott-22	mar-23	19/05/2023	SSN
KIMMTRAK Tebentafusp		stt-21	feb-22	apr-22	lug-22	ott-22	08/03/2023	28/11/2022  SSN	
VYVGART Efgartigimod Alfa		set-21	giu-22	ago-22	nov-22	apr-23	11/07/2023		






AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO		 INIZIO ITER REGISTRATIVO	 OPINIONE CHMP	 REGISTRAZIONE EUROPEA	 CTS	 CPR	 GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori</b>	Bardoxolone		nov-21	WITHDRAWN					
	ZYNLONTA Loncastuximab Tesirine		nov-21	set-22	dic-22	giu-23	ott-23		
	ENJAYMO Sutimlimab	 U.C.	nov-21	set-22	nov-22	dic-22	mag-23		
	Infigratinib		dic-21	WITHDRAWN					
	LUNSUMIO Mosunetuzumab	 U.C.	dic-21	apr-22	giu-22	ott-22	dic-22	15/09/2023	SSN
	Parsaclisib		gen-22	WITHDRAWN					
	TECVAYLI Teclistamab	 U.C.	mar-22	lug-22	ago-22	gen-23	apr-23	01/10/2023	17/04/2023  SSN
	TIBSOVO Ivosidenib		feb-19	feb-23	mag-23	nov-23			
	TEVIMBRA Tislelizumab		apr-22	lug-23	set-23				
	IMJUDO Tremelimumab		apr-22	dic-22	feb-22	giu-23	nov-23	17/02/2024 	SSN
	LYTGOBI Futibatinib		mag-22	apr-23	lug-23	nov-23			
	COLUMVI Glofitamab	 U.C.	mag-22	apr-23	lug-23	ott-23	nov-23		
JAYPIRCA Pirtobrutinib		lug-22	apr-23	ott-23					











AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE
 <b>Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori</b>	Alpelisib	ago-22	WITHDRAWN				
	Ivosidenib	ago-22					
	<b>INAQOVI</b> Decitabine/Cedazuridine	set-22	lug-22	set-23	gen-24		
	<b>VANFLYTA</b> Quizartinib (Dihydrochloride)	set-22	set-23	nov-23			
	Masitinib (Mesilato)	set-22					
	<b>FINLEE</b> Dabrafenib	ott-22	set-23	nov-23			
	<b>SPEXOTRAS</b> Trametinib	ott-22	nov-23	gen-24			
	<b>ZILBRYSQ</b> Zilucoplan	ott-22	set-23	dic-23			
	<b>TEPKINLY</b> Epcoritamab	dic-22	lug-22	set-23	dic-23		
	Leniolisib	dic-22					
	<b>OMJJARA</b> Mometinib	dic-22	nov-23	gen-24			
	<b>RYSTIGO</b> Rozanolixizumab	dic-22	nov-23	gen-24			
	<b>ELREXFIO</b> Elranatamab	feb-23	ott-23	dic-23			

 U.C.











AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO		INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori</b>	TALVEY Talquetamab		feb-23	lug-23	ago-23				
	VOYDEYA Danicopan		apr-23	feb-24 					
	Retifanlimab		apr-23	feb-24 					
	Serplulimab		apr-23						
	Iptacopan		giu-23						
	Zolbetuximab		ago-23						
	Odronextamab		set-23						
	Imetelstat		ott-23						
	Mirvetuximab Soravtansine		nov-23						
	Vorasidenib		feb-24 						
 <b>Apparato gastrointestinale e metabolismo</b>	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











AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Apparato gastrointestinale e metabolismo</b>	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
	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	lug-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	ott-23				





AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO		INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE
 <b>Apparato gastrointestinale e metabolismo</b>	<b>IMCIVREE</b> Setmelanotide		ago-20	mag-21	lug-21	nov-21	feb-22	27/08/2022
	<b>NEXVIADYME</b> Avalglucosidase alfa	 U.C.	ott-20	lug-21	giu-22	dic-22	giu-23	24/01/2024
	<b>LIVMARLI</b> Maralixibat	 U.C.	ott-21	ott-22	dic-22	feb-23	mag-23	04/12/2023
	<b>BYLVAY</b> Odevixibat	 U.C.	dic-20	mag-21	lug-21	ott-21	mar-22	27/08/2022
	<b>KINPEYGO</b> Budesonide		giu-21	mag-22	lug-22	set-23		
	<b>POMBILITI</b> CipaglucoSidase		dic-21	dic-22				
	<b>NULIBRY</b> Fosdenopterin		dic-21	lug-22	set-22			
	<b>XENPOZYME</b> Olipudase	 U.C.	dic-21	mag-22	giu-22	set-22	feb-23	24/11/2023
	<b>ELFABRIO</b> Pegunigalsidase Alfa	 U.C.	mar-22	feb-23	mag-23	nov-23		
	<b>LOARGYS</b> Pegzilarginase		set-22	ott-23	dic-23			
	<b>Elafibranor</b>		nov-23					
<b>Govorestat</b>		gen-24						



SSN

SSN

SSN







AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Organi di senso</b>	<b>CYSTADROPS</b> Mercaptamina Cloridrato	ott-14	ott-16	gen-17	ott-17	feb-18	08/03/2019	SSN
	<b>LUXTURNA</b> Voretigene Neparvovec	set-17	set-18	nov-18	apr-19	feb-20	09/01/2021	SSN
	<b>VERKAZIA</b> Ciclosporina	feb-17	lug-17	lug-18	feb-19	lug-19	16/07/2020	SSN
	<b>Lenadogene</b> Noparvovec	nov-20	WITHDRAWN					
	<b>Polihexanide</b>	mag-22						
 <b>Sangue ed organi emopoietici</b>	<b>CABLIVI</b> Caplacizumab	mar-17	giu-18	ago-18	feb-19	lug-19	17/01/2020	SSN
	<b>COAGADEX</b> Fattore X di Coagulazione Umana	ago-15	gen-16	mar-16	lug-18	-	27/06/2019	<del>SSN</del>
	<b>ESPEROCT</b> Turoctocog Alfa Pegol	apr-18	apr-19	giu-19	dic-19	feb-20	16/07/2020	SSN
	<b>JIVI</b> Damoctocog Alfa Pegol	ott-17	set-18	nov-18	dic-18	set-19	27/01/2020	
	<b>TAKHZYRO</b> Lanadelumab	apr-18	ott-18	nov-18	ott-19	gen-20	10/04/2020	SSN
	<b>TREPULMIX</b> Treprostinil	mar-19	gen-20	apr-20	giu-21	ott-21	23/05/2022	SSN
	<b>VEYVONDI</b> Vonicog Alfa	lug-17	giu-18	ago-18	gen-20	ott-20	29/12/2020	<del>SSN</del>









AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 Sangue ed organi emopoietici	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	lug-23	ott-23	24/01/2024	SSN
	OXBRYTA Voxelotor	feb-21	dic-21	feb-22				
	PYRUKYND Mitapivat	ago-21	set-22	nov-22				
	ROCTAVIAN Valoctogene Roxaparvec	ago-21	giu-22	ago-22	feb-23	lug-23	22/01/2024	SSN
	HEMGENIX Etranacogene Dezaparvec	apr-22	dic-22	feb-23	apr-23			
	CASGEVY Exagamglogene Autotemcel	feb-23	dic-23	feb-24 				
	Apadamtase Alfa/Cinaxadamtase Alfa	giu-23						
Efanesoctocog Alfa	giu-23							
Fidanacogene Elaparvec	giu-23							
Amino Acids	ott-23							





AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 Sangue ed organi emopoietici	Marstacimab	nov-23						
	Garadacimab	dic-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 exuparovec	feb-20	mag-22	lug-22	mar-23	giu-23	04/12/2023	SSN
	SKYSONA Elivaldogene autotemcel	ott-20	mag-21	lug-21				
	Arimoclomol	dic-20	WITHDRAWN					
	AMVUTTRA Vutrisiran	ott-21	lug-22	set-22	nov-22	mar-23	18/08/2023	SSN
	ZTALMY Ganaxolone	nov-21	mag-23					
Sodium Phenylbutyrate Ursodoxicoltaurine		mar-22	giu-23 					












AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
Sistema nervoso centrale	Sodium Phenylbutyrate Ursodoxicoltaurine	mar-22						
	Leriglitazone	set-22	gen-24					
	QALSODY Tofersen	dic-22	feb-24					
	SKYCLARYS Omaveloxolone	gen-23	dic-23	feb-24				
	Eplontersen	nov-23						
	Troriluzole	nov-23						
	Troriluzole	feb-24						
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
	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 Lonaepsomatropin	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 Somatrogen	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				
	YORVIPATH Palopegteriparatide	dic-22	set-23	nov-23				

 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 					
	AGAMREE Vamorolone	ott-22	ott-23	dic-23				
	Givinostat	set-23						















AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Sistema cardiovascolare</b>	NAMUSCLA Mexiletine hcl	set-17	ott-18	dic-18	lug-20	nov-20	04/08/2021	<del>SSN</del>
	WAYLIVRA Volanesorsen (sodio)	set-17	feb-19	mag-19	mar-20	ott-20	20/02/2021	SSN
	Sotatercept	nov-23						
	Acoramidis	feb-24 						
 <b>Antimicrobici generali per uso sistemico</b>	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  <del>SSN</del>
	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	22/06/2023	SSN
	REZZAYO Rezafungin	set-22	ott-23	dic-23				 U.C.





AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE	
 <b>Sistema respiratorio</b>	<b>SYMKEVI</b> Tezacaftor/Ivacaftor	set-17	lug-18	ott-18	mag-19	gen-20	05/07/2021	05/04/2019  <b>SSN</b>
	<b>KAFTRIO</b> Elexaftor/Tezacaftor/Ivacaftor	nov-19	giu-20	ago-20	dic-20	mar-21	05/07/2021	15/03/2021  <b>SSN</b>
 <b>Apparato tegumentario e pelle</b>	<b>FILSUVEZ</b> Birch Bark Extract	mar-21	apr-22	giu-22	feb-23	set-23		
	<b>Beremagene Geperpavec</b>	dic-21						
 <b>Prodotti antiparassitari, insetticidi e repellenti</b>	<b>Artesunate</b>	nov-20	set-21	nov-21				
 <b>Vari</b>	<b>LUTATHERA</b> 177 Lutezio-dotatato	giu-16	lug-17	set-17	mar-18	mag-18	29/03/2019	<b>SSN</b>
	<b>SOMAKIT TOC</b> Edotreotide	nov-15	ott-16	dic-16	set-21	ott-21	20/09/2022	08/08/2017  <b>SSN</b>
	<b>VORAXAZE</b> Glucarpidase	set-20	nov-21	gen-22	gen-23	feb-23	01/12/2023	13/09/2022  <b>SSN</b>





AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	CTS	CPR	GAZZETTA UFFICIALE
Vari	Omburtamab	giu-21					
	EBVALLO Tabelecleucel	dic-21	ott-22	dic-22	lug-23	gen-24	
	FILSPARI Sparsentan	set-22	feb-24				

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 Farmaci ritirati dall'azienda

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



NEL MESE DI **FEBBRAIO** 2024



A livello **EUROPEO**:

La Commissione Europea ha rilasciato EC DEC per:

**CASGEVY** (exagamlogene), **SKYCLARYS** (omaveloxolone)



A livello **ITALIANO**:

Aifa ha autorizzato i seguenti medicinali:

**BREYANZI** (lisocabtagene maraleuce), **IMJUDO** (tremelimumab)

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**