intexo
Società Benefit
A ProductLifeGroup Company

Certified B Corporation

Time to Rare

MALATTIE RARE OTTOBRE 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 **rimborsato**, 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	START CTS/CSE	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	07/04/2022	18/11/2019 €	SSN
	KYMRIAH Tisagenlecleucel	dic-17	giu-18	ago-18	ott-18	12/08/2019		SSN
	LEDAGA Mecloretamina	lug-15	dic-16	mar-17	set-17	22/01/2019		SSN ⊘
	MYLOTARG Gemtuzumab Ozogamicin	gen-17	feb-18	apr-18	lug-18	18/06/2019	12/11/2018 €	SSN
	ONIVYDE Irinotecan Cloridrato Triidrato	giu-15	lug-16	ott-16	apr-23	01/12/2023		SSN
	POTELIGEO Mogamulizumab	nov-17	set-18	nov-18	mar-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	12/11/2019		SSN
	TRECONDI Treosulfan 648	feb-18	dic-18	giu-19	apr-20	07/01/2022	03/12/2019 €	SSN ⊘
	ULTOMIRIS Ravulizumab	ago-18	apr-19	lug-19	lug-19	18/08/2020		SSN ⊘
	VANFLYTA Quizartinib	nov-18	ott-19 ⊘	dic-19 ⊘				

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	VITRAKVI Larotrectinib	ott-18	lug-19	set-19	set-19	07/09/2021		SSN
	VYXEOS Daunorubicin/Cytarabine	dic-17	giu-18	ago-18	nov-18	18/06/2019		SSN
	XOSPATA Gilteritinib	apr-19	set-19	ott-19	mar-20	08/03/2021	02/04/2020 €	SSN
	YESCARTA Axicabtagene Ciloleucel	set-17	giu-18	ago-18	ott-18	11/11/2019		SSN
	CALQUENCE Acalabrutinib	nov-19	lug-20	nov-20	mar-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	11/03/2022	06/10/2021 €	SSN
	AYVAKYT Avapritinib	ago-19	lug-20	set-20	dic-20	05/01/2022	14/06/2021 €	SSN
	BLENREP Belantamab Mafodotin	feb-20	lug-20	ago-20	nov-20	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	03/05/2022		SSN
	DAURISMO Glasdegib	giu-19	apr-20	giu-20	mag-21	30/06/2022		SSN
	IDEFIRIX Imlifdase	mar-19	giu-20	ago-20	dic-21	07/12/2022		SSN

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	SARCLISA Isatuximab	lug-19	mar-20	mag-20	giu-20	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	30/05/2022		SSN
	TURALIO Pexidartinib	apr-19	giu-20	ott-20				
	ENSPRYNG Satralizumab	set-19	apr-21	giu-21	nov-21	09/09/2022		SSN
	NEXPOVIO Selinexor	feb-19	gen-21	mar-21	nov-23	03/08/2024	18/12/2023	SSN
	ELZONRIS Tagraxofusp	feb-19	nov-20	gen-21	giu-21	03/03/2023		SSN
	KOSELUGO Selumetinib	apr-20	apr-21	giu-21	set-21	23/01/2024		SSN
	ABECMA Ideabtagene Vicleucel	giu-20	giu-21	ago-21	ott-21	19/08/2023		SSN
	MINJUVI Tafasitamab	giu-20	giu-21	ago-21	dic-21	07/11/2022		SSN
	FLYNPOVI Eflornithine/Sulindac	lug-20	lug-21	ott-21				
	BRUKINSA Zanubrutinib	lug-20	set-21	nov-21	mar-22	13/10/2022		SSN
	BREYANZI Lisocabtagene Maraleucel	ago-20	gen-22	apr-22	ott-22	08/02/2024		SSN

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	ASPAVELI Pegcetacoplan	ott-20	ott-21	dic-21	feb-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	15/09/2023		SSN
	TAVNEOS Avacopan U.C.	nov-20	nov-21	gen-22	gen-23	08/06/2024		SSN
	UPLIZNA Inebilizumab	gen-21	nov-21	apr-22	set-22	24/03/2023		SSN
	Retifanlimab	mar-21						
	CARVYKTI Ciltacabtagene Autoleucel	giu-21	mar-22	mag-22	ott-22			
	Copanlisib	giu-21	WITHDRAWN					
	PEPAXTI Melphalan	giu-21	giu-22	ago-22	gen-24			
	SCEMBLIX Asciminib	ago-21	giu-22	ago-22	ott-22	19/05/2023		SSN
	KIMMTRAK Tebentafusp U.C.	set-21	feb-22	apr-22	lug-22	08/03/2023	28/11/2022 €	SSN
	VYVGART Efgartigimod Alfa U.C.	set-21	giu-22	ago-22	nov-22	11/07/2023		
	Bardoxolone	nov-21	WITHDRAWN					

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO		INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	ZYNLONTA Loncastuximab Tesirine		nov-21	set-22	dic-22	giu-23	16/03/2024	
	ENJAYMO Sutimlimab	U.C.	nov-21	set-22	nov-22	dic-22	17/10/2024 NEWS	SSN
	Infigratinib		dic-21	WITHDRAWN				
	LUNSUMIO Mosunetuzumab	U.C.	dic-21	apr-22	giu-22	ott-22	15/09/2023	SSN
	Parsaclisib		gen-22	WITHDRAWN				
	TECVAYLI Teclistamab	U.C.	mar-22	lug-22	ago-22	gen-23	01/10/2023	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	17/02/2024	SSN
	LYTGOBI Futibatinib		mag-22	apr-23	lug-23	nov-23	01/08/2024	SSN
	COLUMVI Glofitamab	U.C.	mag-22	apr-23	lug-23	ott-23	15/03/2024	SSN
	JAYPIRCA Pirtobrutinib		lug-22	apr-23	ott-23	giu-24	22/10/2024 NEWS	SSN
	Alpelisib		ago-22	WITHDRAWN				

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	Ivosidenib	ago-22						
	INAQOVI Decitabine/Cedazuridine	set-22	lug-22	set-23	gen-24	23/09/2024	30/08/2024	SSN
	VANFLYTA Quizartinib (Dihydrochloride)	set-22	set-23	nov-23	ott-24 NEWS			
	Masitinib (Mesilato)	set-22	giu-24					
	FINLEE Dabrafenib	ott-22	set-23	nov-23	giu-24	15/10/2024 NEWS		SSN
	SPEXOTRAS Trametinib	ott-22	nov-23	gen-24	giu-24	15/10/2024 NEWS		SSN
	ZILBRYSQ Zilucoplan U.C.	ott-22	set-23	dic-23	giu-24			
	TEPKINLY Epcoritamab	dic-22	lug-22	set-23	dic-23	25/09/2024	02/03/2024	SSN
	Leniolisib	dic-22						
	OMJJARA Momelotinib	dic-22	nov-23	gen-24	giu-24			
	RYSTIGO Rozanolixizumab	dic-22	nov-23	gen-24	set-24			
	ELREXFIO Elranatamab	feb-23	ott-23	dic-23	giu-24		09/09/2024	
	TALVEY Talquetamab U.C.	feb-23	lug-23	ago-23	giu-24			

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	VOYDEYA Danicopan	apr-23	feb-24	apr-24	set-24	
	ZYNYZ Retifanlimab	apr-23	feb-24	apr-24	set-24	
	HETRONIFLY Serplulimab	apr-23	set-24			
	FABHALTA Iptacopan	giu-23	mar-24	mag-24	set-24	
	VYLOY Zolbetuximab	ago-23	lug-24	set-24		
	ORDSPONO Odronextamab	set-23	giu-24	ago-24		
	Imetelstat	ott-23				
	ELAHERE Mirvetuximab Soravtansine	nov-23	set-24			
	Vorasidenib	feb-24				
	Nirogacestat	mar-24				
	Resminostat	mar-24				
	Obecabtagene Autoleucel	mag-24				
	Belantamab Mafodotin	lug-24				

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Farmaci antineoplastici ed immunosoppressori	Zanidatamab	lug-24					
	Vimseltinib	lug-24					
	Mirdametinib	ago-24					
	Belumosudil	ott-24 NEWS					
Apparato gastrointestinale e metabolismo	AMGLIDIA Glibenclamide	nov-16	feb-18	mag-18			
	BRINEURA Cerliponase Alfa	ott-16	apr-17	mag-17	ott-17	12/05/2020	SSN
	CHENODEOXYCHOLIC ACID LEADIANT Acido Cenodeossicolico	nov-15	set-16	apr-17	ott-17	02/03/2020	SSN
	CUFENCE Trientine (dicloridrato)	mar-18	mag-19	lug-19	feb-20	06/11/2020	SSN
	GIVLAARI Givosiran	ago-19	gen-20	mar-20	mar-20	19/01/2021	SSN
	JORVEZA Budesonide	lug-17	nov-17	gen-18	lug-20	07/09/2021	SSN
	LAMZEDE Velmanase Alfa	ott-16	gen-18	mar-18	gen-19	14/08/2020	SSN
	MEPSEVII Vestronidasi Alfa	giu-17	giu-18	ago-18	dic-20	07/09/2021	SSN
	MEPSEVII Vestronidasi Alfa	giu-17	giu-18	ago-18	dic-20	07/09/2021	SSN

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Apparato gastrointestinale e metabolismo	MYALEPTA Metreleptin	feb-17	mag-18	lug-18	nov-18	19/03/2020	SSN
	PALYNZIQ Pegvaliase	apr-18	feb-19	mag-19	nov-19	09/01/2021	26/10/2020 SSN
	XYNDARI Glutamine	mar-18	mag-19	set-19			
	FINTEPLA Fenfluramine	mar-19	ott-20	dic-20	set-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	04/04/2022	
	SIBNAYAL Potassium citrate/potassium hydrogen carbonate	dic-19	dic-20	apr-21	ott-23		
	IMCIVREE Setmelanotide	ago-20	mag-21	lug-21	nov-21	27/08/2022	
	NEXVIADYME Avalglucosidase alfa U.C.	ott-20	lug-21	giu-22	dic-22	24/01/2024	SSN
	LIVMARLI Maralixibat U.C.	ott-21	ott-22	dic-22	feb-23	04/12/2023	SSN
	BYLVAY Odevixibat U.C.	dic-20	mag-21	lug-21	ott-21	27/08/2022	
	KINPEYGO Budesonide	giu-21	mag-22	lug-22	set-23		
	POMBILITI Cipaglucosidase	dic-21	dic-22	mar-23	dic-23		

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO		INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Apparato gastrointestinale e metabolismo	NULIBRY Fosdenopterin		dic-21	lug-22	set-22			
	XENPOZYME Olipudase	U.C.	dic-21	mag-22	giu-22	set-22	24/11/2023	SSN
	ELFABRIO Pegunigalsidase Alfa	U.C.	mar-22	feb-23	mag-23	nov-23	20/07/2024	SSN
	LOARGYS Pegzilarginase		set-22	ott-23	dic-23	giu-24		
	IQIRVO Elafibranor		nov-23	lug-24	set-24			
	Govorestat		gen-24					
	Seladeldar		mar-24					
	Sepiapterin		giu-24					
Organi di senso	CYSTADROPS Mercaptamina Cloridrato		ott-14	ott-16	gen-17	ott-17	08/03/2019	SSN
	LUXTURNA Voretigene Neparvovec		set-17	set-18	nov-18	apr-19	09/01/2021	SSN
	VERKAZIA Ciclosporina		feb-17	lug-17	lug-18	feb-19	16/07/2020	SSN
	Lenadogene Nolparvovec		nov-20	WITHDRAWN				
	AKANTIOR Polihexanide		mag-22	mag-24	ago-24			

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Sangue ed organi emopoietici	CABLIVI Caplacizumab	mar-17	giu-18	ago-18	feb-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	16/07/2020	SSN
	JIVI Damoctocog Alfa Pegol	ott-17	set-18	nov-18	dic-18	27/01/2020	
	TAKHZYRO Lanadelumab	apr-18	ott-18	nov-18	ott-19	10/04/2020	SSN
	TREPULMIX Treprostinil	mar-19	gen-20	apr-20	giu-21	23/05/2022	SSN
	VEYVONDI Vonicog Alfa	lug-17	giu-18	ago-18	gen-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		
	ADAKVEO Crizanlizumab	lug-19	lug-20	ott-20	gen-21	07/01/2022	SSN
	REBLOZYL Luspatercept	giu-19	apr-20	giu-20	dic-20	09/12/2021	SSN
	ORLADEYO Berotralstat U.C.	apr-20	feb-21	apr-21	lug-23	24/01/2024	SSN
	OXBRYTA Voxelotor	feb-21	dic-21	feb-22	set-24		18/03/2024
	PYRUKYND Mitapivat	ago-21	set-22	nov-22			

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Sangue ed organi emopoietici	ROCTAVIAN Valoctogene Roxaparvovec	ago-21	giu-22	ago-22	feb-23	22/01/2024	SSN
	HEMGENIX Etranacogene Dezaparvovec	apr-22	dic-22	feb-23	apr-23		15/03/2024 SSN
	CASGEVY Exagamglogene Autotemcel	feb-23	dic-23	feb-24	set-24		
	Apadamtase Alfa/Cinaxadamtase Alfa	giu-23					
	ALTUVOCT Efanesoctocog Alfa	giu-23	apr-24	giu-24			
	Fidanacogene Elaparvovec	giu-23					
	Amino Acids	ott-23					
	HYMPAVZI Marstacimab	nov-23	set-24				
	Garadacimab	dic-23					
	Mozafancogene Autotemcel	apr-24					
	Dorocubicel / Allogeneic umbilical cord-derived CD34- cells, non-expanded	lug-24					
	Sebetralstat	ago-24					
	Rilzabrutinib	ott-24 NEWS					

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Sistema nervoso centrale	EPIDYOLEX Cannabidiol	feb-18	lug-19	set-19	gen-20	24/06/2021		SSN
	ONPATTRO Patisiran (sodio)	feb-18	lug-18	ago-18	nov-18	30/01/2020		SSN
	TEGSEDI Inotersen (sodio)	dic-17	mag-18	lug-18	apr-19	27/05/2020		SSN
	LIBMELDY Cellule CD34+ autologhe	dic-19	ott-20	dic-20	mar-21	07/04/2022	05/07/2021	SSN
	UPSTAZA Eladocagene exuparvovec	feb-20	mag-22	lug-22	mar-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	18/08/2023		SSN
	ZTALMY Ganaxolone	nov-21	mag-23					
	ALBRIOZA Sodium Phenylbutyrate Ursodoxicoltaurine	mar-22	giu-23					
	Leriglitazone	set-22	gen-24					
	L-Acetylleucine	lug-24						

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE		
Sistema nervoso centrale	QALSODY Tofersen	dic-22	feb-24	mag-24	set-24			
	SKYCLARYS Omaveloxolone	gen-23	dic-23	feb-24	apr-24			
	WAINZUA Eplontersen	nov-23	ott-24 NEWS					
	Troriluzole	nov-23						
	Diflunisal	feb-24						
	Pridopidine	ago-24						
Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali	NATPAR Ormone Paratiroideo	dic-14	feb-17	apr-17	dic-17	26/05/2020		SSN
	ISTURISA Osilodrostat	dic-18	nov-19	gen-20	feb-21	04/01/2023	11/06/2020 €	SSN
	SOGROYA Somapacitan	ott-19	gen-21	mar-21	feb-22	06/05/2022		SSN
	EFMODY Hydrocortisone	apr-20	mar-21	mag-21	gen-22	26/08/2022		SSN
	LONAPEGSOMATROPIN ASCENDIS PHARMA Lonapegsomatropin	nov-20	nov-21	gen-22				
	NGENLA Somatrogon	mar-21	dic-21	feb-22	mag-22	28/03/2023	02/01/2023 €	SSN

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Sistema nervoso centrale	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	05/09/2019	SSN
	EXONDYS Eteplirsen	gen-17	mag-18 ⊘	dic-18 ⊘			
	ZOLGENSMA Onasemnogene Abeparvovec	set-17	mar-20	mag-20	lug-20	13/03/2021	26/07/2021 € SSN
	EVRYSDI Risdiplam	set-20	feb-21	mar-21	mag-21	07/02/2022	SSN
	VOXZOGO Vosoritide	set-20	giu-21	ago-21	gen-22	12/09/2022	SSN
	SOHONOS Palovarotene	giu-21	gen-23 ⊘				
	AGAMREE Vamorolone	ott-22	ott-23	dic-23			
	Givinostat	set-23					
	Delandistrogene Moxeparvovec	lug-24					

AMBITO DELLA PATOLOGIA*	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Sistema cardiovascolare	NAMUSCLA Mexiletine hcl	set-17	ott-18	dic-18	lug-20	04/08/2021	SSN
	WAYLIVRA Volanesorsen (sodio)	set-17	feb-19	mag-19	mar-20	20/02/2021	SSN
	WINREVAIR Sotatercept	nov-23	giu-24	ago-24			
	Acoramidis	feb-24					
Antimicrobici generali per uso sistemico	PREVYMIS Letermovir	mag-17	nov-17	gen-18	feb-18	17/09/2018	SSN
	ARIKAYCE LIPOSOMAL Amikacin	ago-19	lug-20	ott-20	dic-20	07/02/2023	02/05/2022 SSN
	HEPCLUDEX Bulevirtide	nov-19	mag-20	lug-20	giu-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	04/01/2022	SSN
	LIVTENCITY Maribavir	giu-21	set-22	nov-22	gen-23	22/06/2023	SSN
	REZZAYO Rezafungin U.C.	set-22	ott-23	dic-23	set-24		26/08/2024

AMBITO DELLA PATOLOGIA	FARMACO	INIZIO ITER REGISTRATIVO	OPINIONE CHMP	REGISTRAZIONE EUROPEA	START CTS/CSE	GAZZETTA UFFICIALE	
Sistema respiratorio	SYMKEVI Tezacaftor/Ivacaftor	set-17	lug-18	ott-18	mag-19	05/07/2021	05/04/2019 € SSN
	KAFTRIO Elexafactor/Tezacaftor/Ivacaftor	nov-19	giu-20	ago-20	dic-20	05/07/2021	15/03/2021 € SSN
	Deutivacaftor/Tezacaftor/Vanzacaftor	giu-24					
Apparato tegumentario e pelle	FILSUVEZ Birch Bark Estract	mar-21	apr-22	giu-22	feb-23	15/03/2024	SSN
	Beremagene Geperpavec	dic-21					
Prodotti antiparassitari, insetticidi e repellenti	Artesunate	nov-20	set-21	nov-21			
Vari	LUTATHERA 177 Lutezio-dotatato	giu-16	lug-17	set-17	mar-18	29/03/2019	SSN
	SOMAKIT TOC Edotreotide	nov-15	ott-16	dic-16	set-21	20/09/2022	08/08/2017 € SSN
	VORAXAZE Glucarpidase	set-20	nov-21	gen-22	gen-23	01/12/2023	13/09/2022 € SSN

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

LEGENDA

Opinione negativa da parte del CHMP
Farmaco in commercio non ancora rimborsato, a carico del cittadino
SSN Farmaco rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (classe A/H)
SSN Farmaco non rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale (classe C)
NEWS Farmaci aggiornati nell'ultimo mese
648 Farmaci presenti in elenco 648/1996
U.C. Farmaci a uso compassionevole
WITHDRAWN Farmaci ritirati dall'azienda

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

NEL MESE DI **OTTOBRE 2024**

A livello **ITALIANO**:

Aifa ha autorizzato i seguenti medicinali:
JAYPIRCA (pirtobrutinib). **SPEXOTRAS** (trametinib), **FINLEE** (dabrafenib), **ENJAYMO** (sutinlimab)

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