



Unità Coordinamento Segreterie Organismi Collegiali

• Esiti Ufficio Ricerca e Sperimentazioni Cliniche CTS 16, 17 e 18 febbraio 2015

A) Sperimentazioni cliniche ed emendamenti sostanziali con ATIMP

- 1 Vaccinazione complementare con cellule dendritiche pulsate con lisato tumorale autologo in pazienti con melanoma stadio III e IV resecato: studio di fase II randomizzato (ACDC studio adiuvante) – EudraCT Number: 2014-005123-27.
Parere CTS: studio non approvabile nell'attuale versione
- 2 Vaccinazione con cellule dendritiche autologhe caricate con lisato od omogenato tumorale autologo associata a radioterapia immunomodulante e/o IFN-alfa preleucaferesi in pazienti con melanoma metastatico: studio di fase II randomizzato "proof-of-principle". – EudraCT Number: 2012-001410-41.
Parere CTS: favorevole
- 3 Studio multicentrico, in aperto, ad accesso allargato con blinatumomab per il trattamento di soggetti pediatrici e adolescenti affetti da leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B recidiva e/o refrattaria (studio Rialto) - EudraCT Number: 2014-001700-21
Parere CTS: favorevole

B) Richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%

- 1 Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)** compresse da 150 mg per il trattamento di **quindici pazienti** affetti da fibrosi cistica con mutazioni del gene CFTR di tipo gating.
Parere CTS: la CTS suggerisce ricorso al programma di uso compassionevole che risulta ancora in corso
- 2 Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)** compresse da 150 mg per il trattamento di **otto pazienti** affetti da fibrosi cistica con mutazioni del gene CFTR di tipo gating G1244E.

Parere CTS: la CTS suggerisce ricorso al programma di uso compassionevole che risulta ancora in corso

- 3 Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)** compresse da 150 mg per il trattamento di **un paziente** affetto da fibrosi cistica con mutazioni del gene CFTR di tipo gating.

Parere CTS: la CTS suggerisce ricorso al programma di uso compassionevole che risulta ancora in corso

- 4 Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale ivacaftor (Kalydeco) compresse da 150 mg per il trattamento di **un paziente** affetto da fibrosi cistica con mutazioni del gene CFTR di tipo gating.

Parere CTS: la CTS suggerisce ricorso al programma di uso compassionevole che risulta ancora in corso

- 5 Rivalutazione del parere espresso sulla richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)** compresse da 150 mg per il trattamento di un paziente affetto da fibrosi cistica con mutazioni del gene CFTR di tipo gating **F508del e G1244E** in eterozigosi composta (Parere CTS 10-11-12 dicembre 2014).

Parere CTS: la CTS suggerisce ricorso al programma di uso compassionevole che risulta ancora in corso

C) Legge 648/96: richieste di inserimento

- 1 Inserimento del farmaco **enzalutamide (Xtandi)** per il trattamento dei pazienti affetti da mCRPC senza una valida alternativa terapeutica

Parere CTS: acquisire parere esperto oncologo

- 2 Inserimento del farmaco **budesonide** ad uso topico per il trattamento dell'esofagite eosinofila.

Parere CTS: negativo

- 3 Reiterazione della richiesta di inserimento del farmaco **olaparib** quale trattamento di mantenimento dopo risposta completa o parziale in pazienti con carcinoma ovarico avanzato recidivante con mutazione BRCA1 e BRCA2.

Parere CTS: negativo. Mandato all'Ufficio per accertamento sullo stato di avanzamento dello studio Fase III

- 4 Proposta di aggiornamento della prescrizione di farmaci sottoposti a monitoraggio per l'amiloidosi AL (approfondimento per **pomalidomide**).

Parere CTS: negativo

D) Varie ed eventuali

- 1 Richiesta di modifica dell'Allegato 1 della determinazione di inserimento nell'elenco di cui alla legge 648/96 (lista classica) del medicinale **desametasone (Ozurdex)** per il trattamento dei pazienti affetti da edema maculare diabetico, resistenti o intolleranti al trattamento con il farmaco Lucentis (ranibizumab).

Parere CTS: mandato all'Ufficio per verifica delle osservazioni sollevate

- 2 Autorizzazione all'importazione per del medicinale **cisteamina cloridrato (Cystadrops)** per la prevenzione e la rimozione dei depositi corneali di cristalli di cistina nella cistinosi nefropatica.
Parere CTS: suggerimento di eventuale attivazione di specifico programma compassionevole. Approfondimento Ufficio Legale per problematica importazioni parallele
- 3 Richiesta di informazioni in merito alla stesura di un elenco di farmaci *off label* di utilizzo consolidato nell'ambito delle **cure palliative**.
Parere CTS: rinnovo richiesta Ministero Salute
- 4 Proposta di Programma di accesso Pre-Approvazione (PAA-PRE Approval Access) a Cobimetinib (GDC-0973).
Parere CTS: richiesta di adesione della ditta ad analoghe condizioni di fornitura dei farmaci, così come già contrattata con l'associazione alternativa.
- 5 Aggiornamento dell'allegato n. 1 "Oncologia adulti" e dell'allegato n. 3 "Ematologici" della **lista dei farmaci per uso consolidato**
Parere CTS: conferma inserimento di tutte le EBPM nella lista "Oncologia adulti" nell'indicazione profilassi e non soltanto la nadroparina