



Unità Coordinamento Segreterie Organismi Collegiali

• OdG 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.
- 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.
- 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

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.
- 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.
- 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.

- 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.
- 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).

C) Legge 648/96: richieste di inserimento

- 1 Inserimento del farmaco **enzalutamide (Xtandi)** per il trattamento dei pazienti mCRPC senza una valida alternativa terapeutica
- 2 Inserimento del farmaco **budesonide** ad uso topico per il trattamento dell'esofagite eosinofila.
- 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.
- 4 Proposta di aggiornamento della prescrizione di farmaci sottoposti a monitoraggio per l'amiloidosi AL (approfondimento per **pomalidomide**).

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).
- 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.
- 3 Richiesta di informazioni in merito alla stesura di un elenco di farmaci *off label* di utilizzo consolidato nell'ambito delle **cure palliative**.
- 4 Programma di uso compassionevole di **nintedanib** nel trattamento della fibrosi polmonare idiopatica.
- 5 Proposta di Programma di accesso Pre-Approvazione (PAA-PRE Approval Access) a Cobimetinib (GDC-0973).
- 6 Aggiornamento dell'allegato n. 1 "Oncologia adulti" e dell'allegato n. 3 "Ematologici" della **lista dei farmaci per uso consolidato**