

Orizzonte Farmaci

scenario dei medicinali in arrivo

01 / 2019



AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Orizzonte Farmaci

scenario dei medicinali in arrivo

01 / 2019

Maggio, 2019

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Direttore Generale: *L. Li Bassi*

Gruppo di lavoro AIFA del presente rapporto:

Coordinamento:

M. Marangi

UFFICIO ATTIVITÀ ANALISI E PREVISIONE

G. Capone, M. Ettorre, J. Ivanovic, A. Marra, V. Pantò, L. Raffaelli

UFFICIO STAMPA E DELLA COMUNICAZIONE

Grafica:

I. Comessatti

Editing testi:

F. Mazzeo, F. Pomponi, S. Vasta

Citare il presente Rapporto come segue:

Orizzonte Farmaci. Rapporto n° 1, anno 2019.

Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2019.

Medicines on the Horizon. Report n° 1, year 2019.

Rome: Italian Medicines Agency, 2019.

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web

www.aifa.gov.it

INTRODUZIONE	5
SINTESI	9
PARTE I	
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL PERIODO OTTOBRE 2018-MARZO 2019	12
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	14
Medicinali biosimilari	18
Medicinali equivalenti	19
Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati	21
PARTE II	
MEDICINALI IN VALUTAZIONE NEL PERIODO APRILE 2019-MARZO 2020	30
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	32
Medicinali biosimilari	36
Medicinali equivalenti	37
PARTE III	
MEDICINALI AMMESSI AL PROGRAMMA PRIME	39
APPENDICE	46
ATC legenda	47
Glossario	48

Introduzione

Il rapporto “Orizzonte farmaci” ha lo scopo di fornire ai pazienti e agli operatori sanitari informazioni su nuovi farmaci e su nuove terapie promettenti, che potrebbero essere autorizzati nell’Unione Europea (UE) in un orizzonte temporale di 12 mesi.

Il rapporto rientra tra le attività di Horizon Scanning dell’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), che permettono di identificare e valutare precocemente nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già in commercio che potranno ampliare le opzioni di trattamento a disposizione dei medici e dei pazienti e colmare esigenze di salute non ancora soddisfatte. Si tratta, in alcuni casi di terapie che potrebbero avere un impatto significativo sul Servizio Sanitario Nazionale (SSN), impegnando, nello stesso tempo, l’Agenzia nella definizione delle strategie più idonee a garantire ai cittadini accesso a cure innovative e personalizzate.

In quest’analisi vengono, quindi, considerati i medicinali soggetti a procedura centralizzata, per i quali le aziende farmaceutiche presentano all’Agenzia Europea dei medicinali (EMA) una domanda di autorizzazione all’immissione in commercio (AIC) valida in tutti gli Stati membri dell’Unione Europea e nei paesi dello Spazio Economico Europeo (Islanda, Liechtenstein e Norvegia).

Il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP-*Committee for Medicinal Products for Human Use*) dell’EMA effettua una valutazione scientifica della domanda e formula un parere relativo alla concessione o non concessione dell’autorizzazione all’immissione in commercio.

Il parere dell’EMA viene esaminato e convalidato dalla Commissione Europea (http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm); tale decisione viene successivamente pubblicata nella Gazzetta Ufficiale Europea (GUUE). Una volta ottenuta l’AIC, il medicinale potrà essere messo a disposizione dei pazienti in tutta l’Unione Europea.

Prima della commercializzazione del medicinale in Italia, AIFA stabilisce il regime di fornitura, le condizioni di rimborsabilità e il prezzo, avvalendosi della Commissione Tecnico Scientifica (CTS) e del Comitato Prezzi e Rimborso (CPR). In particolare, entro sessanta giorni dalla data di pubblicazione nella GUUE della decisione della Commissione

europea sulla domanda di AIC, l'AIFA pubblica nella Gazzetta Ufficiale un provvedimento recante l'inserimento del medicinale in un'apposita sezione denominata Classe Cnn (Classe C non negoziata) e il suo regime di fornitura

(<http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/adempimenti-relativi-ai-farmaci-approvati-con-procedura-centralizzata-successivamente-all%E2%80%99en>).

Il titolare dell'AIC è tenuto a comunicare all'AIFA il prezzo del medicinale prima dell'inizio della commercializzazione. Successivamente, al fine dell'erogazione del medicinale a carico del SSN e, dopo la presentazione di un'apposita richiesta da parte dell'Azienda titolare dell'AIC, l'AIFA definirà le condizioni di rimborsabilità e il prezzo.

(<http://www.agenziafarmaco.gov.it/content/negoziazione-e-rimborsabilit%C3%A0>)

Il presente rapporto è organizzato in due parti. La prima parte fornisce informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche che hanno ricevuto negli ultimi sei mesi un parere positivo all'AIC da parte del CHMP dell'EMA.

La seconda parte riguarda nuovi medicinali in valutazione, che potrebbero essere autorizzati nei prossimi 12 mesi.

I periodi di riferimento del presente rapporto sono, per la prima parte, ottobre 2018-marzo 2019 e, per la seconda, aprile 2019-marzo 2020.

Per ciascun periodo sono riportati dati cumulativi e di dettaglio così suddivisi:

- medicinali contenenti nuove sostanze attive;
- medicinali biosimilari;
- medicinali equivalenti;
- nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati (solo per il periodo ottobre 2018-marzo 2019).

Per ciascuna di queste categorie i dati sono presentati sia sotto forma di grafici, in base al sistema di classificazione Anatomical Therapeutic Chemical (ATC) (nella prima parte del rapporto) o all'area terapeutica secondo le informazioni EMA (nella seconda parte), sia in tabelle con informazioni aggiuntive. Per i nuovi medicinali e per le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto il parere positivo di EMA, si

riportano le seguenti informazioni: ATC, nome commerciale, principio attivo, data parere EMA, eventuale designazione di “medicinale orfano”, indicazione terapeutica approvata e, nel caso di medicinali biosimilari e medicinali equivalenti, anche il medicinale di riferimento (il c.d. ‘*originator*’). Si specifica che nelle legende dei grafici la sezione “Altro” include 2 o più ATC relativi a medicinali le cui informazioni di dettaglio sono poi riportate nelle tabelle di riferimento.

Per i medicinali in valutazione e che potrebbero essere autorizzati nei prossimi 12 mesi, le informazioni riportate in tabella sono: area terapeutica, principio attivo, eventuale designazione di “medicinale orfano” e malattia/condizione clinica.

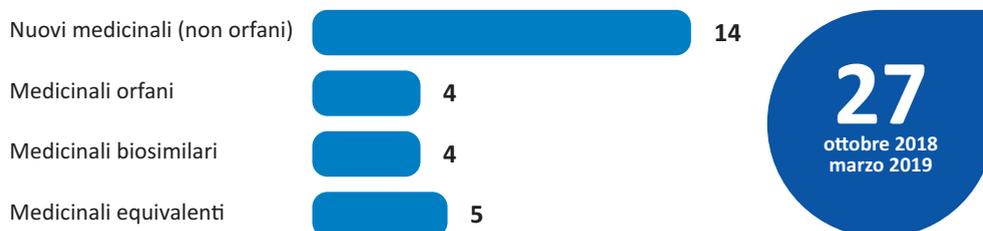
Il rapporto si conclude con una panoramica sui medicinali ammessi a partecipare al programma PRIME (Priority Medicines) dell’EMA per medicinali ad elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell’innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze mediche insoddisfatte.

Fonti di informazione

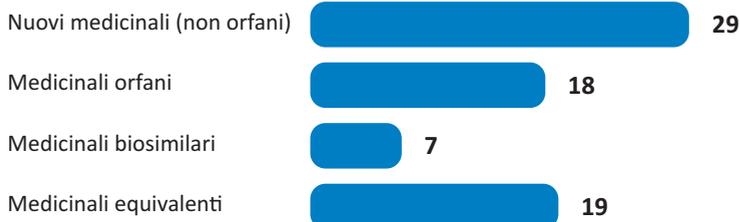
- [European public assessment report](#)
- [CHMP: Agendas, minutes and highlights](#)
- [Community Register](#)
- [PRIME: priority medicine](#)

Sintesi

Nel periodo ottobre 2018-marzo 2019 sono stati autorizzati a livello europeo 27 medicinali: 18 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 4 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 14 medicinali non orfani), 4 medicinali biosimilari e 5 medicinali equivalenti. Tra i medicinali autorizzati, 6 su 27 sono oncologici mirati per lo più al trattamento di alcuni tumori del polmone, della mammella e della prostata. Una percentuale rilevante riguarda inoltre i medicinali per l'apparato gastrointestinale e il metabolismo, antifettivi ad uso sistemico e medicinali per patologie del sangue. In particolare, tra questi ultimi, ha ricevuto parere positivo dal CHMP una nuova terapia genica indicata per il trattamento di pazienti di età pari o superiore ai 12 anni affetti da beta talassemia trasfusione-dipendente (TDT) (Zynteglo, lentiglobin BB305).



Nel periodo aprile 2019-marzo 2020 è previsto un parere da parte dell'EMA per 73 medicinali: 47 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 18 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 29 medicinali non orfani), 7 medicinali biosimilari e 19 medicinali equivalenti. Poiché è possibile che non tutti i medicinali ricevano un parere positivo da parte dell'EMA, il numero dei medicinali autorizzati alla fine del 2019 potrebbe risultare inferiore a 73. Nonostante la maggior parte dei medicinali in valutazione appartengano all'area terapeutica oncologica, risulta rilevante anche la quota di medicinali in valutazione appartenenti ad altre aree terapeutiche, con particolare riferimento agli antibatterici ad uso sistemico e ai medicinali per le malattie autoimmuni. Infine, sono attualmente in valutazione 2 medicinali per terapie avanzate, rispettivamente per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (AMS) e dei tumori e malattie ereditarie del sangue.

**73**aprile 2019
marzo 2020

NOTA PER LA LETTURA

Lo scenario dei medicinali in arrivo è basato sulle informazioni disponibili al momento della stesura del rapporto, le quali potrebbero necessitare di aggiornamenti nei rapporti successivi.

In questo rapporto, vengono considerati solo i medicinali che hanno ottenuto un parere positivo del CHMP dell'EMA, mentre, restano esclusi i medicinali con parere negativo. Per tali medicinali vengono riportate le indicazioni terapeutiche autorizzate.

Tutte le informazioni relative ai medicinali in corso di valutazione sono da considerarsi indicative e suscettibili di variazioni nel corso della procedura autorizzativa.

Poiché le indicazioni terapeutiche in valutazione di questi medicinali hanno natura confidenziale, vengono riportate nel rapporto solo informazioni più generali relative alla malattia/condizione clinica. Le indicazioni terapeutiche dettagliate, nonché le effettive date di parere del CHMP dell'EMA, saranno disponibili nei successivi rapporti qualora il medicinale dovesse nel frattempo avere ottenuto un parere positivo.

Parte I

Medicinali
autorizzati
nel periodo
ottobre 2018
marzo 2019

Nel periodo ottobre 2018- marzo 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all' AIC per un totale di 27 nuovi medicinali (di cui 18 medicinali contenenti nuove sostanze attive, 4 medicinali biosimilari, 5 medicinali equivalenti) e 34 estensioni di indicazione terapeutica di medicinali precedentemente autorizzati.

Figura 1.1 Medicinali che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018- marzo 2019.

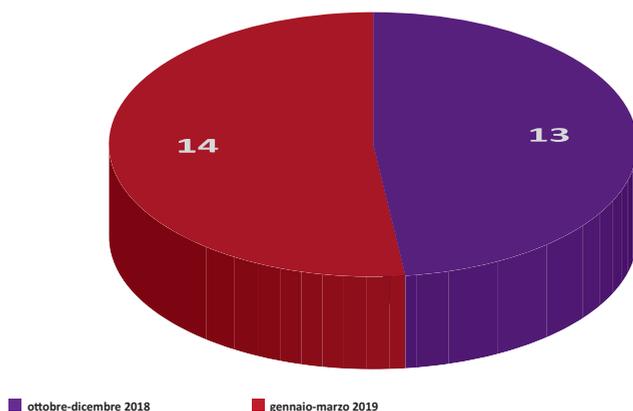
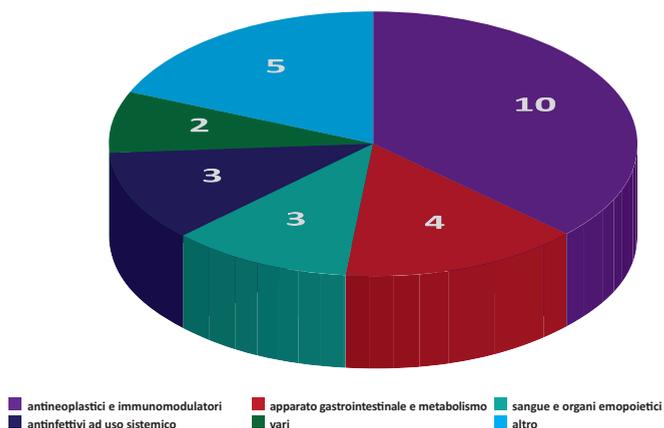
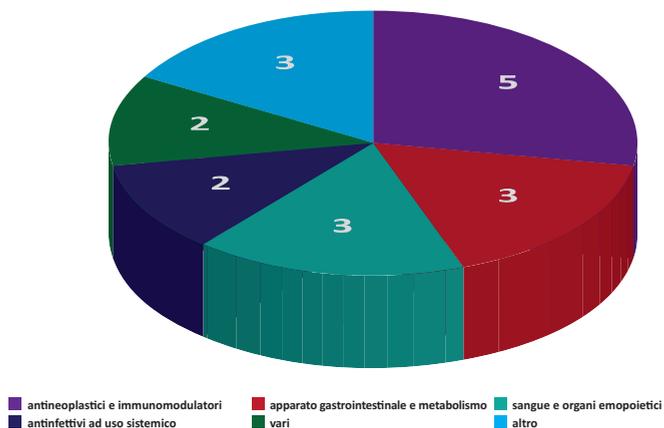


Figura 1.2 Medicinali che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018- marzo 2019, divisi per ATC.



Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Figura 1.3 Nuove sostanze attive che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018- marzo 2019, divise per ATC.



Dei 18 medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell'EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, 4 sono medicinali orfani (Besremi, Palyzinq, Zynteglo e Waylivra), di cui uno è anche un medicinale di terapia avanzata (Zynteglo).

Tabella 1. Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, divise per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Palyzinq	pegvaliase	28/02/2019	SI
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti di età pari o superiore a 16 anni con fenilchetonuria (PKU) che hanno un controllo inadeguato della fenilalanina nel sangue (livelli superiori a 600 µmol/L) nonostante la precedente adozione dei trattamenti disponibili.		
Rizmoic	naldemedina	13/12/2018	NO
	Indicazione terapeutica: trattamento della stipsi indotta da oppioidi (Opioid-Induced Constipation, OIC) nei pazienti adulti che sono stati trattati in precedenza con un lassativo.		
Zynquista	sotagliflozin	28/02/2019	NO
	Indicazione terapeutica: in aggiunta alla terapia insulinica per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 1 con indice di massa corporea (BMI) ≥ 27 kg/m ² , che non hanno raggiunto un adeguato controllo glicemico nonostante la terapia insulinica ottimale.		
B-Sangue e organi emopoietici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Lusutrombopag Shionogi	lusutrombopag	13/12/2018	NO
	Indicazione terapeutica: trattamento della trombocitopenia severa in pazienti adulti affetti da malattia epatica cronica sottoposti a procedure invasive.		
Takhzyro	lanadelumab	18/10/2018	NO
	Indicazione terapeutica: prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario in pazienti di età pari o superiore a 12 anni.		
Zynteglo	autologous CD34+ cell enriched population that contains hematopoietic stem cells transduced with LentiGlobin BB305 lentiviral vector encoding the beta-A-T87Q-globin gene	28/03/2019	SI
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti di età pari o superiore ai 12		

anni affetti da beta talassemia trasfusione-dipendente (TDT) che non hanno un genotipo $\beta 0/\beta 0$, per i quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (haematopoietic stem cells, HSC) sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC antigene leucocitario umano (human leukocyte antigen, HLA)-compatibili.			
J-Antinfettivi ad uso sistemico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Dengvaxia	vaccino dengue tetravalente (vivo, attenuato)	18/10/2018	NO
Indicazione terapeutica: prevenzione della malattia dengue provocata dai sierotipi 1, 2, 3 e 4 del virus dengue in soggetti di età compresa tra 9 e 45 anni precedentemente infettati dal virus dengue e residenti in aree endemiche. L'uso di Dengvaxia deve essere conforme alle raccomandazioni ufficiali.			
Flucelvax Tetra	vaccino antinfluenzale (antigene di superficie, inattivato, prodotto in colture cellulari)	18/10/2018	NO
Indicazione terapeutica: profilassi dell'influenza negli adulti e nei bambini a partire dall'età di 9 anni. Flucelvax Tetra deve essere usato in conformità con le raccomandazioni ufficiali.			
L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Besremi	ropeginterferon alfa-2b	13/12/2018	SI
Indicazione terapeutica: monoterapia negli adulti per il trattamento della policitemia vera senza splenomegalia sintomatica.			
Erleada	apalutamide	15/11/2018	NO
Indicazione terapeutica: negli uomini adulti per il trattamento del carcinoma prostatico resistente alla castrazione non metastatico (NM-CRPC) che sono ad alto rischio di sviluppare malattia metastatica.			
Lorviqua	lorlatinib	28/02/2019	NO
Indicazione terapeutica: in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancro del polmone non a piccole cellule (Non-Small Cell Lung Cancer, NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK) la cui malattia è progredita dopo: <ul style="list-style-type: none"> • alectinib o ceritinib come terapia di prima linea con un inibitore della tirosin chinasi (TKI) ALK; oppure • crizotinib e almeno un altro TKI ALK. 			
Skyrizi	risankizumab	28/02/2019	NO
Indicazione terapeutica: Trattamento della psoriasi a placche da moderata a			

	grave in pazienti adulti candidati alla terapia sistemica.		
Vizimpro	dacomitinib	31/01/2019	NO
	Indicazione terapeutica: trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (Non-small Cell Lung Cancer, NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazioni attivanti il recettore del fattore di crescita dell'epidermide (Epidermal Growth Factor Receptor, EGFR).		
N-Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Ajovy	fremanezumab	31/01/2019	NO
	Indicazione terapeutica: profilassi dell'emicrania in adulti che presentano almeno 4 giorni di emicrania al mese.		
P-Farmaci antiparassitari, insetticidi e repellenti			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Fexinidazole Winthrop	fexinidazolo	15/11/2018	NO
	Indicazione terapeutica: trattamento del primo stadio (haemo-linfatico) e del secondo stadio (meningoencefalitico) della tripanosomiasi africana umana (HAT) causato dal Trypanosoma brucei gambiense negli adulti e nei bambini di età ≥ 6 anni e di peso ≥ 20 kg. Il fexinidazolo deve essere usato in linea con le raccomandazioni ufficiali.		
V-Vari			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Macimorelin Aeterna Zentaris	macimorelina	15/11/2018	NO
	Indicazione terapeutica: medicinale solo per uso diagnostico. Macimorelin Aeterna Zentaris è indicato per la diagnosi di deficit di ormone somatotropo (GHD) negli adulti.		
Ondexxya	andexanet alfa	28/02/2019	NO
	Indicazione terapeutica: per pazienti adulti trattati con un inibitore diretto del fattore Xa, FXa (apixaban o rivaroxaban), quando è richiesta l'inversione della terapia anticoagulante a causa di emorragie potenzialmente fatali o incontrollate.		
ATC in attesa di assegnazione			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Waylivra	volanesorsen	28/02/2019	SI
	Indicazione terapeutica: coadiuvante della dieta in pazienti adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS) confermata geneticamente e ad alto rischio di pancreatite, in cui la risposta alla dieta e alla terapia di riduzione dei trigliceridi è stata inadeguata.		

Medicinali biosimilari

Nel periodo ottobre 2018-marzo 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 4 medicinali biosimilari: Idacio, Kromeia, Ogivri e Zirabev.

Tabella 2. Elenco dei medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, divisi per ATC.

L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Idacio	adalimumab	31/01/2019	NO	Biosimilare di Humira
	Indicazione terapeutica: artrite reumatoide, artrite giovanile poliarticolare idiopatica, artrite correlata all'enthesite, spondilite anchilosante (AS), spondilite assiale senza evidenza radiografica di AS, artrite psoriasica, psoriasi, psoriasi a placche pediatrica, Hidradenitis suppurativa (HS), morbo di Crohn, morbo di Crohn pediatrico, colite ulcerosa, uveite, uveite pediatrica, hidradenitis suppurativa adolescente.			
Kromeia	adalimumab	31/01/2019	NO	Biosimilare di Humira
	Indicazione terapeutica: artrite reumatoide, artrite giovanile poliarticolare idiopatica, artrite correlata all'enthesite, spondilite anchilosante (AS), spondilite assiale senza evidenza radiografica di AS, artrite psoriasica, psoriasi, psoriasi a placche pediatrica, Malattia di Crohn, malattia di Crohn pediatrico, colite ulcerosa, uveite, uveite pediatrica.			
Ogivri	trastuzumab	18/10/2018	NO	Biosimilare di Herceptin
	Indicazione terapeutica: carcinoma mammario metastatico, Carcinoma mammario in fase iniziale, Carcinoma gastrico metastatico.			
Zirabev	bevacizumab	13/12/2018	NO	Biosimilare di Avastin
	Indicazione terapeutica: in associazione con chemioterapia a base di fluoropirimidine è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma metastatico del colon e del retto. Zirabev in associazione con paclitaxel è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma mammario metastatico. Per ulteriori informazioni relative allo stato del recettore 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2). Zirabev, in aggiunta a chemioterapia a base di platino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule, non resecabile, avanzato, metastatico o ricorrente, con istologia a predominanza non squamocellulare. Zirabev in associazione con interferone alfa-2a è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma renale avanzato e/o metastatico. Zirabev, in associazione con paclitaxel e cisplatino o, in alternativa, a paclitaxel e topotecan in donne che non possono essere sottoposte a terapia a base di platino, è indicato per il trattamento di pazienti adulte affette da carcinoma della cervice persistente, ricorrente o metastatico.			

Medicinali equivalenti

Nel periodo ottobre 2018-marzo 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 5 medicinali equivalenti: Miglustat Dipharma, Silodosin Recordati, Atazanavir Krka, Pazenir e Febuxostat Krka.

Tabella 3. Elenco dei medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, divisi per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Miglustat Dipharma	miglustat	13/12/2018	NO	Equivalente di Zavesca
Indicazione terapeutica: trattamento orale della malattia di Gaucher di tipo 1 in pazienti adulti con sintomatologia da lieve a moderata. Miglustat Dipharma può essere utilizzato solo per il trattamento di pazienti per i quali la terapia di sostituzione enzimatica non è appropriata.				
G-Sistema genito-urinario e ormoni sessuali				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Silodosin Recordati	silodosin	15/11/2018	NO	Equivalente di Urorec.
Indicazione terapeutica: trattamento dei segni e sintomi dell'iperplasia prostatica benigna (IPB) nell'uomo adulto.				
J-Antinfettivi ad uso sistemico				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Atazanavir Krka	atazanavir	31/01/2019	NO	Equivalente di Reyataz
Indicazione terapeutica: somministrato in associazione con ritonavir a basso dosaggio, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con infezione da HIV-1 e di pazienti pediatriche di età pari o superiore a 6 anni in associazione con altri antiretrovirali. Sulla base dei dati virologici e clinici a disposizione da pazienti adulti, non è atteso alcun beneficio in pazienti con ceppi resistenti a diversi inibitori delle proteasi (≥ 4 mutazioni da PI). La scelta di Atazanavir Krka in pazienti adulti e pediatriche sottoposti a precedente trattamento deve essere basata sui test di resistenza virale individuale e sulla storia dei precedenti trattamenti del paziente.				
L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Pazenir	paclitaxel	28/02/2019	NO	Equivalente di Abraxane
Indicazione terapeutica: in monoterapia è indicato per il trattamento del carcinoma mammario metastatico in pazienti adulti che non hanno superato il trattamento di prima linea per la malattia metastatica e per i quali non è				

indicata la terapia standard contenente antraciclina. Pazenir in combinazione con carboplatino è indicato per il trattamento di prima linea del cancro non a piccole cellule del polmone in pazienti adulti che non sono candidati a interventi chirurgici potenzialmente curativi e/ o radioterapia.

M-Sistema muscolo-scheletrico

NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Febuxostat Krka	febuxostat	31/01/2019	NO	Equivalente di Adenuric
<p>Indicazione terapeutica: trattamento dell'iperuricemia cronica con deposito di urato (compresa l'anamnesi, o la presenza, di tofi e/o di artrite gottosa). Febuxostat Krka è indicato per la prevenzione e il trattamento dell'iperuricemia in pazienti adulti sottoposti a chemioterapia per neoplasie ematologiche maligne con rischio di Sindrome da Lisi Tumorale (TLS) da intermedio ad alto. Febuxostat Krka è indicato negli adulti.</p>				

Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

Figura 1.4 Nuove indicazioni terapeutiche che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019.

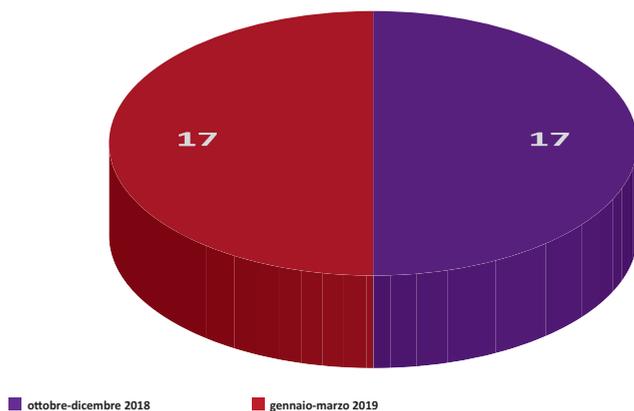
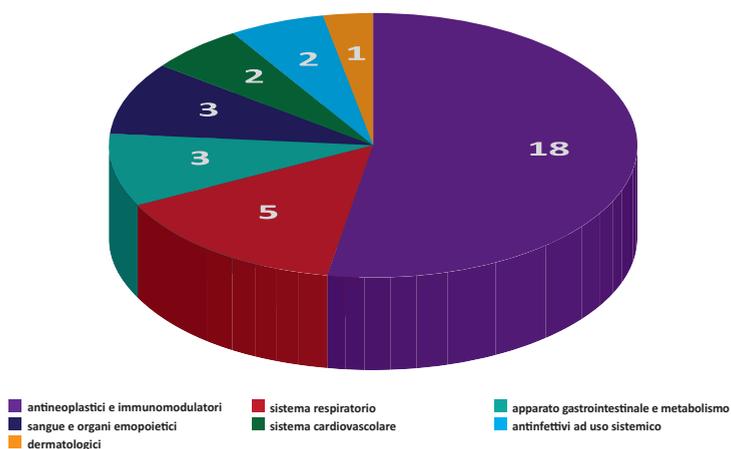


Figura 1.5 Nuove indicazioni terapeutiche che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, divisi per ATC.



Nella tabella seguente sono riportate, con le relative informazioni di dettaglio (ATC, nome commerciale, principio attivo, data parere EMA, indicazione terapeutica approvata), le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che, nel periodo di riferimento ottobre 2018-marzo 2019, hanno ottenuto parere positivo da parte di EMA.

Tabella 4. Elenco delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto il parere EMA nel periodo ottobre 2018-marzo 2019, divise per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Edistride	dapagliflozin	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Edistride è indicato in pazienti adulti, non adeguatamente controllati per il trattamento del:</p> <ul style="list-style-type: none"> • diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio, per migliorare il controllo glicemico, • in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza. • in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2. • diabete mellito di tipo 1 in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI \geq 27 kg/m², quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica. 	
Forxiga	dapagliflozin	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Forxiga è indicato in pazienti adulti, non adeguatamente controllati per il trattamento del:</p> <ul style="list-style-type: none"> • diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio, per migliorare il controllo glicemico, • in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza. • in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2. • diabete mellito di tipo 1 in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI \geq 27 kg/m², quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica. 	
Ravicti	glicerolo fenilbutirato	15/11/2018
	<p>Indicazione terapeutica: terapia aggiuntiva per il trattamento cronico di pazienti con disturbi del ciclo dell'urea (UCD) incluse le carenze di carbamoil fosfato sintetasi-I (CPS), ornitina carbamiltransferasi (OTC), argininosuccinato sintetasi (ASS), argininosuccinato liasi (ASL), arginasi I (ARG) e carenza di ornitina translocasi (sindrome iperornitinaemia-iperammoniaemia-omocitrullinuria [hyperornithinaemia-hyperammonaemia homocitrullinuria, HHH]), che non possono essere gestiti soltanto con la restrizione proteica e/o con l'integrazione di aminoacidi nella dieta. RAVICTI deve essere usato in associazione a un regime dietetico ipoproteico e, in alcuni casi, a integratori</p>	

alimentari (per esempio, integratori di aminoacidi essenziali, arginina, citrullina e integratori calorici privi di proteine).		
B-Sangue e organi emopoietici		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Hemlibra	emicizumab	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Hemlibra è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da</p> <ul style="list-style-type: none"> • emofilia A (deficit congenito di fattore VIII) con inibitori del fattore VIII • emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII. <p>Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età.</p>	
Novoseven	eptacog alfa (attivato)	18/10/2018
	<p>Indicazione terapeutica: trattamento di episodi emorragici e nella prevenzione di sanguinamenti durante gli interventi chirurgici a cui ci si sta sottoponendo o procedure invasive nei seguenti gruppi di pazienti</p> <ul style="list-style-type: none"> • in pazienti con emofilia congenita con inibitori verso i fattori VIII o IX della coagulazione > 5 Unità Bethesda (UB) • in pazienti con emofilia congenita che si prevede possano avere una risposta anamnestica intensa alla somministrazione di fattore VIII o fattore IX 3 • in pazienti con emofilia acquisita • in pazienti con deficit del fattore VII congenito • in pazienti con tromboastenia di Glanzmann con refrattarietà alla trasfusione piastrinica presente o passata o dove le piastrine non sono prontamente disponibili. 	
Revolade	eltrombopag / eltrombopag olamina	13/12/2018
	<p>Indicazione terapeutica: in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) della durata di almeno 6 mesi dalla diagnosi e che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline).</p>	
C-Sistema cardiovascolare		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Praluent	alirocumab	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica:</p> <p>Malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata. Praluent è indicato negli adulti con malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata per ridurre il rischio cardiovascolare riducendo i livelli di C-LDL, in aggiunta alla correzione di altri fattori di rischio:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in associazione alla dose massima tollerata di statina con o senza altre terapie ipolipemizzanti oppure, • in monoterapia o in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti in pazienti intolleranti alle statine o per i quali l'uso delle statine è controindicato. 	
Rapiscan	regadenoson	13/12/2018
	<p>Indicazione terapeutica: medicinale solo per uso diagnostico. Rapiscan è un vasodilatatore coronarico selettivo da utilizzarsi negli adulti come agente per stress farmacologico per:</p> <ul style="list-style-type: none"> • l'imaging di perfusione miocardica (myocardial perfusion imaging, MPI) con 	

	radionuclidi in pazienti incapaci di sottoporsi a un adeguato sforzo fisico. <ul style="list-style-type: none"> la misurazione della riserva frazionale di flusso (FFR) di una singola stenosi dell'arteria coronaria durante l'angiografia coronarica invasiva, quando non sono previste misurazioni ripetute dell'FFR. 	
D-Dermatologici		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Dupixent	dupilumab	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: Asma Dupixent è indicato negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni come trattamento aggiuntivo di mantenimento per l'asma severa con infiammazione di tipo 2, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici e/o del FeNO, non adeguatamente controllati con ICS (corticosteroidi per via inalatoria) a dosaggio alto e un altro prodotto medicinale per il trattamento di mantenimento.	
J-Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Maviret	glecaprevir / pibrentasvir	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti e negli adolescenti di età compresa tra 12 e < 18 anni	
Viread	tenofovir disoproxil	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: Infezione da HIV-1 Viread 123 mg, 163 mg e 204 mg compresse rivestite con film è indicato, in associazione con altri medicinali antiretrovirali, per il trattamento di pazienti pediatriche di età compresa tra 6 e < 12 anni e peso corporeo compreso tra 17 kg e meno di 35 kg, infetti da HIV-1, resistenti agli NRTI o nei quali i medicinali di prima linea esercitano effetti tossici. La scelta di utilizzare Viread per trattare pazienti infetti da HIV-1 con precedenti esperienze di trattamento con antiretrovirali si deve basare sui risultati di test individuali di resistenza virale e/o sulle terapie pregresse.	
	Infezione da epatite B Viread 123 mg, 163 mg e 204 mg compresse rivestite con film è indicato per il trattamento dell'epatite B cronica nei pazienti pediatriche di età compresa tra 6 e < 12 anni e peso corporeo compreso tra 17 kg e meno di 35 kg, con: <ul style="list-style-type: none"> malattia epatica compensata ed evidenza di malattia immunitaria attiva, cioè con replicazione virale attiva e livelli sierici di ALT persistentemente elevati, oppure evidenza istologica d'infiammazione da moderata a grave e/o di fibrosi. Per quanto concerne la decisione di iniziare il trattamento nei pazienti pediatriche.	
	Infezione da HIV-1 Viread 33 mg/g granulato è indicato, in associazione con altri medicinali	

antiretrovirali, per il trattamento di pazienti pediatriche di età compresa tra 2 e < 6 anni e di età superiore a 6 anni, per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata, infetti da HIV-1, resistenti agli NRTI o nei quali i medicinali di prima linea esercitano effetti tossici.

Viread 33 mg/g granulato è indicato anche in associazione con altri medicinali antiretrovirali in adulti infetti da HIV-1 per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata.

Negli adulti, la dimostrazione dei benefici di Viread nell'infezione da HIV-1 è fondata sui risultati di uno studio in pazienti non pretrattati, che ha incluso pazienti con un'alta carica virale (> 100.000 copie/mL) e studi in cui Viread è stato aggiunto alla terapia di base ottimizzata (principalmente triplice terapia) in pazienti precedentemente trattati con medicinali antiretrovirali che avevano dimostrato insufficiente risposta virologica precoce (< 10.000 copie/mL; la maggior parte dei pazienti aveva < 5.000 copie/mL).

La scelta di utilizzare Viread per trattare pazienti infetti da HIV-1 con precedenti esperienze di trattamento con antiretrovirali si deve basare sui risultati di test individuali di resistenza virale e/o sulle terapie pregresse.

Infezione da epatite B

Viread 33 mg/g granulato è indicato per il trattamento dell'epatite B cronica in adulti per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata, con:

- malattia epatica compensata, con evidenza di replicazione virale attiva, livelli sierici di alanina aminotransferasi (ALT) persistentemente elevati ed evidenza istologica d'infiammazione attiva e/o di fibrosi
- evidenza di virus dell'epatite B resistente alla lamivudina
- malattia epatica scompensata.

Viread 33 mg/g granulato è indicato anche nel trattamento dell'epatite B cronica nei pazienti pediatriche di età compresa tra 2 e < 18 anni per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata, con:

- malattia epatica compensata ed evidenza di malattia immunitaria attiva, ovvero replicazione virale attiva e livelli sierici di ALT persistentemente elevati, oppure evidenza istologica d'infiammazione da moderata a grave e/o di fibrosi. Per quanto concerne la decisione di iniziare il trattamento nei pazienti pediatriche.

L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori

NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Adcetris	brentuximab vedotin	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: indicato in combinazione con doxorubicina, vinblastina e dacarbazina (AVD) per pazienti adulti non precedentemente trattati affetti da linfoma di Hodgkin (HL) CD30+ in Stadio IV. ADCETRIS è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da HL CD30+ ad aumentato rischio di recidiva o progressione in seguito a trapianto di cellule staminali autologhe (ASCT).	
Blinicyto	blinatumomab	15/11/2018
	Indicazione terapeutica: in monoterapia per il trattamento di adulti con LLA da precursori delle cellule B negativa per il cromosoma Philadelphia, positiva per il CD19, in prima o seconda remissione completa con malattia minima residua	

	(MRD), superiore o uguale allo 0,1%.	
Imnovid	pomalidomide	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: Imnovid, in associazione con bortezomib e desametasone, è indicato nel trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente terapia comprendente lenalidomide.	
Keytruda	pembrolizumab	18/10/2018
	Indicazione terapeutica: in monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante di adulti con melanoma di stadio III e coinvolgimento linfonodale sottoposti a resezione completa.	
Keytruda	pembrolizumab	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: in associazione a carboplatino e paclitaxel o nab-paclitaxel, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico squamoso negli adulti.	
Kisqali	ribociclib	15/11/2018
	Indicazione terapeutica: in associazione a un inibitore dell'aromatasi o a fulvestrant, è indicato nelle donne con carcinoma mammario in stadio localmente avanzato o metastatico positivo per il recettore ormonale (HR) e negativo per il recettore 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2), come terapia iniziale a base endocrina o in donne che hanno in precedenza ricevuto una terapia endocrina. In donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).	
Lynparza	olaparib	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: Lynparza è indicato, in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella, localmente avanzato o metastatico, HER2 negativo, e con mutazioni della linea germinale BRCA1/2. I pazienti devono essere stati precedentemente trattati con un'antraciclina e un taxano nel setting (neo)adiuvante o metastatico, a meno che i pazienti non fossero stati eleggibili per questi trattamenti. I pazienti con cancro della mammella e recettore ormonale (HR)-positivo, devono inoltre aver progredito durante o dopo una precedente terapia endocrina o devono essere considerati non eleggibili per la terapia endocrina.	
Mabthera	rituximab	15/11/2018
	Indicazione terapeutica: granulomatosi con poliangite e poliangite microscopica. MabThera in associazione con glucocorticoidi è indicato per il trattamento di pazienti adulti con granulomatosi con poliangite (GPA o di Wegener) e poliangite microscopica (MPA) attiva di grado severo.	
Mabthera	rituximab	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: Pemfigo volgare MabThera è indicato per il trattamento di pazienti con pemfigo volgare (PV) da moderato a grave.	
Mozobil	plerixafor	28/03/2019

	<p>Indicazione terapeutica: Pazienti pediatrici (età compresa tra 1 e meno di 18 anni). Mozobil è indicato in combinazione con il G-CSF per incrementare la mobilizzazione delle cellule staminali ematopoietiche nel sangue periferico per la raccolta e il conseguente trapianto autologo in bambini con linfoma o tumori maligni solidi:</p> <ul style="list-style-type: none"> • preventivamente, quando ci si attende che nel giorno previsto per la raccolta, dopo un'adeguata mobilizzazione mediante il G-CSF (con o senza chemioterapia), il conteggio delle cellule staminali circolanti sia insufficiente in riferimento alla resa desiderata di cellule staminali ematopoietiche, o • nel caso in cui in precedenza non si sia riusciti a raccogliere sufficienti cellule staminali ematopoietiche. 	
Opdivo	nivolumab	15/11/2018
	<p>Indicazione terapeutica: in associazione ad ipilimumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule renali avanzato a rischio intermedio/sfavorevole.</p>	
Orencia	abatacept	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Per le soluzioni per iniezione in siringa preriempita da 50, 87.5 and 125 mg</p> <p>Artrite idiopatica giovanile poliarticolare ORENCIA in combinazione con metotrexato è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare (pJIA) attiva da moderata a severa in pazienti pediatrici di età pari o superiore ai 2 anni che hanno avuto una risposta inadeguata a una precedente terapia con DMARD. ORENCIA può essere dato come monoterapia in caso di intolleranza a metotrexato o quando il trattamento con metotrexato non è appropriato.</p> <p>Per il concentrato per soluzione per infusione da 250 mg :</p> <p>Artrite idiopatica giovanile poliarticolare ORENCIA in combinazione con metotrexato è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare (pJIA) attiva da moderata a severa in pazienti pediatrici di età pari o superiore ai 6 anni che hanno avuto una risposta inadeguata a una precedente terapia con DMARD. ORENCIA può essere dato come monoterapia in caso di intolleranza a metotrexato o quando il trattamento con metotrexato non è appropriato.</p>	
Revlimid	lenalidomide	28/03/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Mieloma multiplo Revlimid come monoterapia è indicato per la terapia di mantenimento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali. Revlimid in regime terapeutico di associazione con desametasone, o bortezomib e desametasone, o melfalan e prednisone è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo non precedentemente trattato che non sono eleggibili al trapianto. Revlimid, in associazione con desametasone, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente</p>	

	terapia.	
Rubraca	rucaparib	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: monoterapia per il trattamento di mantenimento di pazienti adulte con recidiva platino sensibile di carcinoma ovarico epiteliale ad alto grado, delle tube di Falloppio o peritoneale primario, in risposta (risposta completa o parziale) dopo chemioterapia a base di platino.	
Simponi	golimumab	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: in associazione con metotrexato (MTX) è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare in bambini di età pari o superiore ai 2 anni, che hanno risposto in modo inadeguato ad una precedente terapia con MTX.	
Sprycel	dasatinib	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta (LLA) con cromosoma Philadelphia positivo (Ph+) di nuova diagnosi in combinazione con chemioterapia.	
Tecentriq	atezolizumab	31/01/2019
	<p>Indicazione terapeutica: Tecentriq in monoterapia è indicato nel trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (CU) localmente avanzato o metastatico:</p> <ul style="list-style-type: none"> • dopo una precedente chemioterapia contenente platino o • che sono considerati non eleggibili al cisplatino ed il cui tumore presenta un'espressione di PDL1 \geq 5%. <p>Tecentriq, in combinazione con bevacizumab, paclitaxel e carboplatino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non small cell lung cancer, NSCLC) non squamoso metastatico. Nei pazienti affetti da NSCLC con mutazioni del recettore del fattore di crescita dell'epidermide (epidermal growth factor receptor, EGFR) o positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (anaplastic lymphoma kinase, ALK), Tecentriq, in combinazione con bevacizumab, paclitaxel e carboplatino, è indicato solo dopo il fallimento di adeguate terapie a bersaglio molecolare.</p> <p>Tecentriq in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da NSCLC localmente avanzato o metastatico precedentemente sottoposti a chemioterapia. Prima di essere trattati con Tecentriq, i pazienti affetti da NSCLC con mutazioni di EGFR o ALK-positivo devono essere stati sottoposti anche a terapie a bersaglio molecolare.</p>	
Yervoy	ipilimumab	15/11/2018
	Indicazione terapeutica: carcinoma a cellule renali (RCC) YERVOY in associazione con nivolumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule renali avanzato a rischio intermedio/sfavorevole.	
R-Sistema respiratorio		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Kalydeco	ivacaftor	18/10/2018
	Indicazione terapeutica: in granulo è indicato per il trattamento di bambini affetti da fibrosi cistica (FC), di età pari e superiore a 12 mesi e con peso	

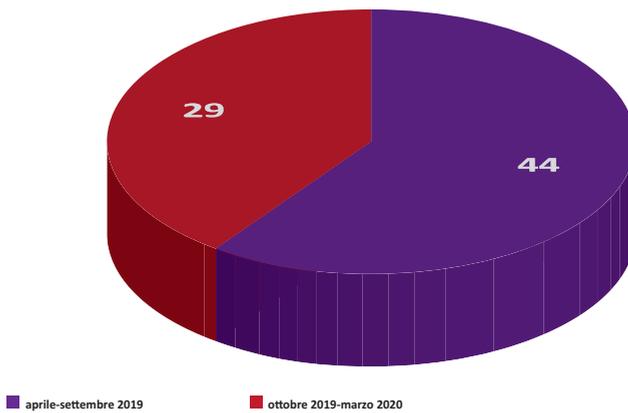
	corporeo da 7 kg a meno di 25 kg, che hanno una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene <i>CFTR</i> : <i>G551D</i> , <i>G1244E</i> , <i>G1349D</i> , <i>G178R</i> , <i>G551S</i> , <i>S1251N</i> , <i>S1255P</i> , <i>S549N</i> o <i>S549R</i> .	
Orkambi	lumacaftor / ivacaftor	15/11/2018
	Indicazione terapeutica: in granulato è indicato per il trattamento della fibrosi cistica (FC), in bambini di età pari o superiore a 2 anni omozigoti per la mutazione <i>F508del</i> nel gene <i>CFTR</i> .	
Riarify	beclometasone dipropionato / formoterolo fumarato diidrato / glicopirronio	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: terapia di mantenimento in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) da moderata a severa per i quali l'associazione di un corticosteroide inalatorio e un beta2-agonista a lunga durata d'azione o l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione non costituiscono un trattamento adeguato.	
Trimbow	beclometasone dipropionato / formoterolo fumarato diidrato / glicopirronio	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: terapia di mantenimento in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) da moderata a severa per i quali l'associazione di un corticosteroide inalatorio e un beta2-agonista a lunga durata d'azione o l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione non costituiscono un trattamento adeguato.	
Trydonis	beclometasone / formoterolo / glicopirronio bromide	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: terapia di mantenimento in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) da moderata a severa per i quali l'associazione di un corticosteroide inalatorio e un beta2-agonista a lunga durata d'azione o l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione non costituiscono un trattamento adeguato.	

Parte II

Medicinali
in valutazione
nel periodo
aprile 2019
marzo 2020

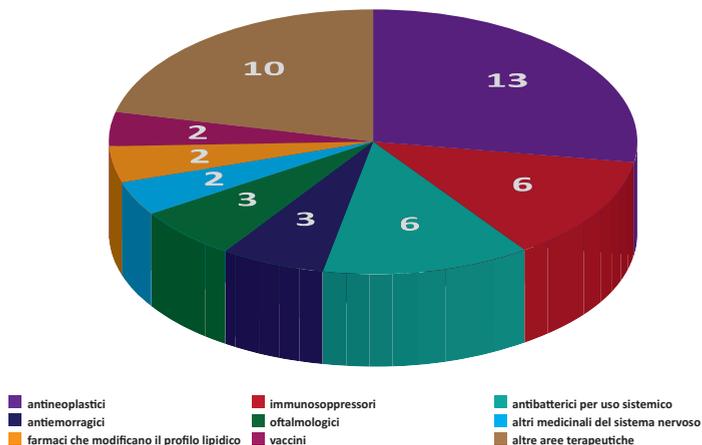
Attualmente sono in valutazione presso il CHMP dell'EMA 73 medicinali, di cui 47 medicinali contenenti nuove sostanze attive, 7 medicinali biosimilari, 19 medicinali equivalenti.

Figura 2.1 Medicinali in valutazione con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020.



Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Figura 2.2 Medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.



Dei 47 medicinali contenenti nuove sostanze attive per i quali è previsto un parere del CHMP dell'EMA in questo periodo, 18 sono medicinali designati orfani, mentre 2 sono medicinali per terapie avanzate.

Figura 2.3 Nuove sostanze attive designate orfane in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.

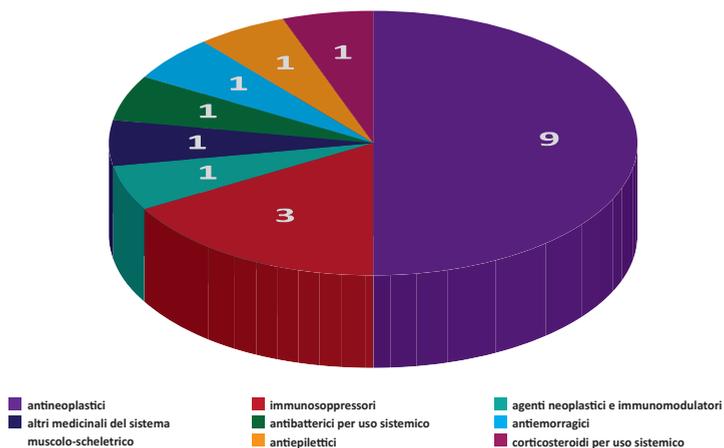


Tabella 5. Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divise per area terapeutica.

Agenti antineoplastici e immunomodulatori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cellule T vitali	SI	Tumori e malattie ereditarie del sangue
Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Alpelisib	NO	Carcinoma mammario
Cemiplimab	NO	Carcinoma cutaneo
Enasidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Entrectinib	NO	Tumori solidi
Gilteritinib (fumarato)	SI	Leucemia mieloide acuta
Ivosidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Larotrectinib	SI	Tumori solidi
Pexidartinib (idrocloreuro)	SI	Tumore tenosinoviale a cellule giganti
Polatuzumab vedotin	SI	Linfoma a cellule B mature
Quizartinib	SI	Leucemia mieloide acuta
Selinexor	SI	Mieloma multiplo
Tagraxofusp	SI	Neoplasia delle cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche
Talazoparib	NO	Carcinoma mammario
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Emapalumab	SI	Linfoistocitosi emofagocitica
Imlifidase	SI	Rischio rigetto nel trapianto del rene
Ozanimod (idrocloreuro)	NO	Sclerosi multipla
Ravulizumab	SI	Emoglobinuria parossistica notturna
Siponimod	NO	Sclerosi multipla
Upadacitinib (emiidrato)	NO	Artrite reumatoide
Medicinali per terapia endocrina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Darolutamide	NO	Tumore della prostata resistente alla castrazione

Corticosteroidi per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Osilodrostat	SI	Sindrome di Cushing
Altri medicinali del sistema nervoso		
Principio attivo	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Edaravone	NO	Sclerosi laterale amiotrofica
Solriamfetol	NO	Narcolessia o apnea ostruttiva del sonno
Antiepilettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cannabidiolo	SI	Convulsioni associate alla Sindrome di Dravet e alla Sindrome di Lennox-Gastaut
Altri medicinali del sistema muscolo-scheletrico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Onasemnogene abeparvovec	SI	Atrofia muscolare spinale
Miorilassanti		
PRINCIPIO ATTIVO	PRINCIPIO ATTIVO	PRINCIPIO ATTIVO
Tossina botulinica tipo A	tossina botulinica tipo A	tossina botulinica tipo A
Medicinali per la malattia delle ossa		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Romosozumab	NO	Osteoporosi
Antibatterici per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cefiderocol (solfato tosilato)	NO	Infezioni batteriche da gram-negativi aerobici
Delafloxacin	NO	Infezioni batteriche della pelle e dei tessuti molli
Imipenem / cilastatina / relebactam	NO	Infezioni batteriche da gram-negativi
Omadaciclina tosilato	NO	Polmoniti e infezioni batteriche della pelle e dei tessuti molli
Plazomicina	NO	Infezioni del tratto urinario; infezioni del sangue; infezioni batteriche da Enterobacteriaceae
Pretomanid	SI	Tubercolosi
Antivirali per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA

Ibalizumab	NO	HIV farmaco-resistente
Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Vaccino per Colera (orale, vivo)	NO	Profilassi del colera
Vaccino ricombinante da virus della stomatite vescicolare per Ebola ceppo Zaire (vivo)	NO	Profilassi dell'ebola
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Brolucizumab	NO	Degenerazione maculare
Lifitegrast	NO	Sindrome dell'occhio secco
Netarsudil	NO	Glaucoma ad angolo aperto e ipertensione oculare
Altri medicinali dermatologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Crisaborolo	NO	Dermatite atopica
Farmaci che modificano il profilo lipidico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Acido bempedoico	NO	Dislipidemia
Acido bempedoico/ ezetimibe	NO	Dislipidemia
Medicinali che agiscono sul sistema renina-angiotensina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Angiotensina II	NO	Ipotensione nello shock vasocircolatorio
Antiemorragici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Avatrombopag	NO	Trombocitopenia
Fostamatinib	NO	Trombocitopenia
Turoctocog alfa pegol	SI	Sanguinamento nell'emofilia A

Medicinali biosimilari

Figura 2.4 Medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.

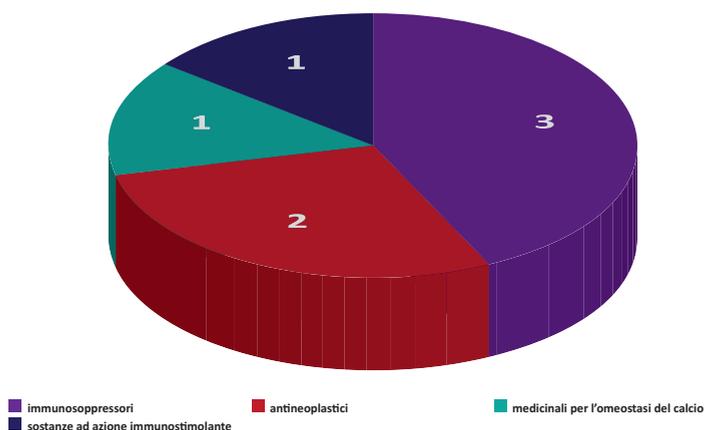


Tabella 6. Elenco dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.

Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Adalimumab	NO	1
Etanercept	NO	1
Infliximab	NO	1
Sostanze ad azione immunostimolante		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Pegfilgrastim	NO	1
Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Rituximab	NO	2
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Teriparatide	NO	1

Medicinali equivalenti

Figura 2.4 Medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.

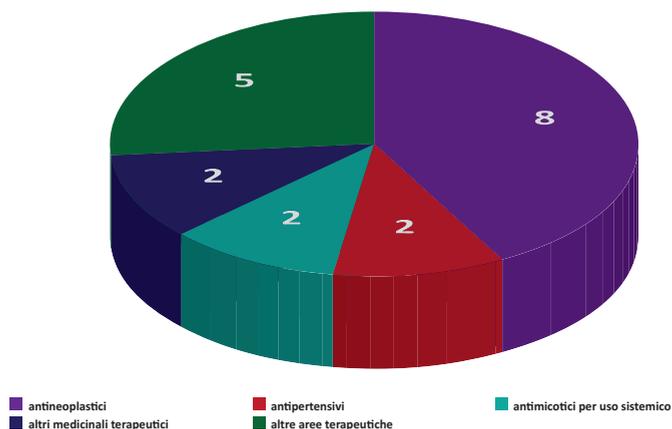


Tabella 7. Elenco medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA previsto nel periodo aprile 2019-marzo 2020, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Azacitidina	NO	3
Bortezomib	NO	1
Clofarabina	NO	1
Erlotinib	NO	1
Triossido di arsenico	NO	2
Antipertensivi		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ambrisentan	NO	2

Medicinali antitrombotici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Clopidogrel / acido acetilsalicilico	NO	1
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Cinacalcet	NO	1
Psicolettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dexmedetomidina	NO	1
Antibatterici per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Tigeciclina	NO	1
Antimicotici per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Posaconazolo	NO	2
Radiofarmaci diagnostici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ioflupane (123i)	NO	1
Altri medicinali terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Deferasirox	NO	2

Parte III

Medicinali
ammessi al
programma
PRIME

I medicinali ammessi al programma PRIME sono medicinali ad elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte. In questo contesto EMA offre alle aziende farmaceutiche un supporto precoce allo sviluppo di tali medicinali, al fine di facilitare e accelerare il relativo iter autorizzativo.

I dati sono organizzati in tabelle, con informazioni sui singoli medicinali (area terapeutica, principio attivo, tipologia di principio attivo, indicazione terapeutica, data di ammissione al programma).

Tre medicinali dei 52 ammessi al programma PRIME, KTE-C19 (YESCARTA) , CTL019 (Kymriah) e Lentiglobin (Zynteglo) hanno ricevuto l'opinione positiva dal CHMP; altri 6 medicinali (AVXS-101, HMED-Ides, Emapalumab, Polatuzumab vedotin, RXDX-101 eV920) sono attualmente in valutazione, mentre 1 medicinale è stato ritirato dopo aver presentato la richiesta di AIC (CCX168) ed 1 medicinale (JCAR015) è stato escluso dal programma su istanza del richiedente l'AIC.

Tabella 8. Elenco dei medicinali ammessi al programma PRIME

Dermatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
EDI200	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della displasia ectodermica ipoidrotica legata all'X.	
KB103	Terapia avanzata	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'epidermolisi bollosa distrofica.	
Disturbo neuromuscolare		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
AT132	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della miopatia miotubulare legata all'X.	
Endocrinologia-Ginecologia-Fertilità-Metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Deossicitidina (dC)	Chimico	28/06/2018

Deossitimidina (dT)		
	Indicazione terapeutica: trattamento della carenza di timidina chinasi 2.	
Givosiran	Chimico	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: prevenzione di attacchi acuti di porfiria epatica.	
Olipudase alfa	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di manifestazioni non neurologiche di deficit di sfingomielinasi acida.	
Setmelanotide	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'obesità e controllo della fame associati ai disturbi da carenza della via del recettore MC4R.	
Gastroenterologia-Epatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
A4250	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colestasi intraviatale familiare progressiva.	
MBX-8025	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primaria.	
Ematologia - Emostasiologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
BMN 270	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	
PF-06838435/SPK-9001	Terapia avanzata	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B.	
AMT-060	Terapia avanzata	21/04/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B severa.	
ATA129	Terapia avanzata	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti con disturbo linfoproliferativo post trapianto del virus di Epstein-Barr nel trapianto di cellule ematopoietiche allogeniche che hanno fallito il rituximab.	
LentiGlobin	Terapia avanzata	20/09/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della β -talassemia trasfusione dipendente.	

LentiGlobin	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente (popolazione non- β_0/β_0).	
GBT440	Chimico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della anemiafalciforme.	
Emapalumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della linfoistocitosi emofagocitica primaria.	
Immunologia-Reumatologia-trapianto		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
NLA101	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	
CCX168	Chimico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con vasculite ANCA associata (inclusa granulomatosi con poliangioite e poliangite microscopica).	
HMED-Ides	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: per la desensibilizzazione di pazienti altamente sensibilizzati per renderli idonei al trapianto mediante inattivazione di IgG anti-HLA.	
Malattie infettive		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Lonafarnib	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione da epatite D .	
LR12	Chimico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dello shock settico.	
MEDI 8897	Biologico	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: prevenzione dell'infezione del tratto respiratorio inferiore causata dal virus respiratorio sinciziale.	
Myrcludex B	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione cronica da epatite D.	
Muscoloscheletrico		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
BPS-804	Biologico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'osteogenesi imperfetta tipi I, III e IV.	
Neurologia		
Aducanumab	Biologico	26/05/2016

	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Alzheimer.	
AVXS-101	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con diagnosi di atrofia muscolare spinale di tipo 1.	
Lenti-D CALD	Terapia avanzata	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di adrenoleucodistrofia cerebrale (CALD).	
oligonucleotid e antisense per RNA messaggero del HTT umano	Chimico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Huntington (HTT).	
RO7034067	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q.	
Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
KTE-C19	Terapia avanzata	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B che non hanno risposto alla terapia precedente o hanno avuto progressione della malattia dopo trapianto autologo di cellule staminali.	
CTL019	Terapia avanzata	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con leucemia linfoblastica acuta recidivante o refrattaria a cellule B.	
DNX-2401	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma ricorrente in pazienti per i quali non è possibile o consigliabile una resezione totale lorda o per coloro che rifiutano un ulteriore intervento chirurgico.	
NY-ESO-1c259T	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti alleli positivi HLA-A * 0201, HLA-A * 0205 o HLA-A * 0206 con sarcoma sinoviale non operabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e il cui tumore esprime l'antigene del tumore NY-ESO-1.	
JCAR015	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta B-cellulare recidivante / refrattaria.	
JCAR017	Terapia avanzata	15/12/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B diffuso / refrattario.	
JNJ-68284529	Terapia avanzata	28/03/2019

	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, i cui regimi precedenti comprendevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38 e che presentavano una progressione della malattia dall'ultimo regime.	
Anti-BCMA CAR-T cell	Terapia avanzata	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante e refrattario.	
KTE-C19	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule del mantello recidivante o refrattario.	
Asunercept	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma.	
RXDX-101	Chimico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di tumori solidi da fusione, positivi, localmente avanzati o metastatici NTRK in pazienti adulti e pediatrici che hanno progredito in seguito a precedenti terapie o che non hanno una terapia standard accettabile.	
GSK2857916	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo.	
Polatuzumab vedotin	Biologico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti recidivi e refrattari con linfoma diffuso a grandi cellule B.	
Vocimagene amiretrorepve c	Terapia avanzata	20/07/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di glioma di alto grado.	
Oftalmologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
AAV - CNGB3	Terapia avanzata	22/02/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
Psichiatria		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
SAGE-547	Chimico	10/11/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della depressione postpartum.	
Rapastinel	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento aggiuntivo del disturbo depressivo maggiore.	
Urologia		

PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Lumasiran	Chimico	22/03/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di iperossaluria primaria di tipo 1.	
Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Mycobacterium tuberculosis	Immunologico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva contro la malattia da tubercolosi nei neonati (obiettivo primario) e adolescenti e adulti (obiettivo secondario).	
MV-CHIK vaccino	Biologico	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: prevenzione della febbre di Chikungunya.	
TAK-426	Immunologico	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione delle malattie causate dal virus Zika.	
V920	Immunologico	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: vaccinazione contro l'Ebola (ceppo Zaire).	

Legenda: in verde medicinali che hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA all'AIC; in arancione medicinali che sono in valutazione da parte del CHMP dell'EMA; in rosso medicinali che sono stati ritirati oppure esclusi dal programma PRIME.

Appendice

ATC

AREA TERAPEUTICA

A	Apparato gastrointestinale e metabolismo
B	Sangue e organi emopoietici
C	Sistema cardiovascolare
D	Dermatologici
G	Sistema genito-urinario e ormoni sessuali
H	Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali
J	Antinfettivi ad uso sistemico
L	Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori
M	Sistema muscolo-scheletrico
N	Sistema nervoso
P	Farmaci antiparassitari, insetticidi e repellenti
R	Sistema respiratorio
S	Organi di senso
V	Vari

MEDICINALE BIOSIMILARE

Un medicinale biosimilare è un medicinale sviluppato in modo da essere simile per qualità, efficacia e sicurezza a un medicinale biologico esistente, ossia a un medicinale già approvato e utilizzato nell'UE (il cosiddetto "biologico di riferimento") e per il quale sia scaduta la copertura brevettuale. Un biosimilare e il suo prodotto di riferimento, pur essendo di fatto la stessa sostanza biologica, possono presentare differenze minori dovute a un certo grado di variabilità naturale, alla loro natura complessa e alle tecniche di produzione. Una volta che il medicinale biologico di riferimento ha perso la copertura brevettuale e il suo periodo di esclusività di mercato è terminato, il medicinale biosimilare può essere commercializzato.

MEDICINALE EQUIVALENTE

È un medicinale che contiene lo stesso principio attivo e nella stessa concentrazione di un farmaco di marca non più coperto da brevetto (definito medicinale di riferimento o originator). I medicinali equivalenti hanno, inoltre, la stessa forma farmaceutica e le stesse indicazioni del farmaco di riferimento. Sono dunque, dal punto di vista terapeutico, equivalenti al prodotto da cui hanno origine e possono quindi essere utilizzati in sua sostituzione. Per valutare la stretta somiglianza tra medicinale equivalente e medicinale di riferimento vengono realizzati studi che analizzano la biodisponibilità del medicinale, un parametro che indica a che velocità e in che quantità il principio attivo si distribuisce (e viene quindi reso disponibile) nell'organismo. Se la biodisponibilità del medicinale equivalente ha gli stessi valori del medicinale di riferimento, si può affermare che i due medicinali sono bioequivalenti.

ATC

Il sistema ATC (Anatomical Therapeutic Chemical classification system) è un sistema di classificazione anatomico, terapeutico e chimico usato per la classificazione sistematica dei farmaci. È un sistema di tipo alfanumerico che suddivide i farmaci in base a uno schema costituito da 5 livelli gerarchici, controllato dall'Organizzazione mondiale della sanità. Il primo livello contiene il gruppo anatomico principale, contraddistinto da 14 lettere A, B, C, D, G, H, J, L, M, N, P, R, S, V (vedi legenda). In particolare con la lettera V vengono identificate varie tipologie di principi attivi non rientranti nelle

altre categorie, tra cui allergeni, antidoti, diagnostici, mezzi di contrasto e radiofarmaci.

AREA TERAPEUTICA

Raggruppamento di medicinali indicati per aree specialistiche.

PARERE EMA

Si intende il parere rilasciato dal Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP-Committee for Medicinal Products for Human Use) dell'EMA (Agenzia Europea dei medicinali), in merito all'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale o di una nuova indicazione terapeutica di un medicinale già autorizzato.

PROCEDURA CENTRALIZZATA

La procedura centralizzata è un procedura di autorizzazione all'immissione in commercio obbligatoria per medicinali derivati da procedimenti biotecnologici, medicinali per terapie avanzate, medicinali orfani, medicinali per il trattamento della sindrome da immunodeficienza acquisita, del cancro, dei disordini neurodegenerativi, del diabete, per i medicinali per malattie autoimmuni e altre disfunzioni immunitarie e per le malattie virali. Inoltre, è previsto un accesso facoltativo alla procedura centralizzata anche per medicinali che non rientrano nelle classi menzionate ma che siano giudicati innovativi sul piano terapeutico, scientifico o tecnologico o la cui autorizzazione comunitaria sia ritenuta utile per i pazienti.

PRIME

Il PRIME (PRiority MEDicines scheme) è un programma previsto dall'EMA che sostiene e ottimizza lo sviluppo dei medicinali in aree terapeutiche con i più urgenti bisogni di salute insoddisfatti. Il PRIME si basa sul contesto regolatorio esistente nonchè su strumenti già disponibili come la consulenza scientifica e la valutazione accelerata.

MEDICINALE ORFANO

Nell'Unione Europea la qualifica di "medicinale orfano" viene attribuita dal Comitato per i Medicinali Orfani (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) dell'EMA a un medicinale che risponde ai seguenti criteri:

- 1) deve essere indicato per una patologia che mette in pericolo la vita, o per un'affezione seriamente debilitante o un'affezione grave e cronica;

- 2) deve essere indicato per una condizione clinica rara, definita da una prevalenza di non più di 5 soggetti ogni 10 mila individui, calcolata a livello della Unione Europea;
- 3) non devono essere disponibili trattamenti validi o, se sono già disponibili dei trattamenti, il nuovo farmaco deve rappresentare un beneficio clinico significativo.

MEDICINALI PER TERAPIE AVANZATE

I medicinali per terapie avanzate (Advanced Therapeutic Medicinal Products-ATMPs), rientrano nella definizione di “medicinale biologico”, ovvero un prodotto il cui principio attivo è una sostanza biologica. Una sostanza biologica è una sostanza prodotta, o estratta, da una fonte biologica e che richiede per la sua caratterizzazione e per la determinazione della sua qualità una serie di esami fisico-chimico-biologici, nonché le indicazioni sul processo di produzione e il suo controllo. I medicinali per terapie avanzate possono essere classificati in quattro gruppi principali:

- **Medicinali di terapia genica:** contengono geni che portano ad un effetto terapeutico, profilattico o diagnostico. Funzionano attraverso l'utilizzo di DNA "ricombinante", di solito per il trattamento di una varietà di malattie, tra cui malattie genetiche, cancro o malattie a lunga prognosi. Un gene ricombinante è un tratto di DNA che viene creato in laboratorio, riunendo DNA da fonti diverse;
- **Medicinali di terapia cellulare somatica:** contengono cellule o tessuti che sono stati manipolati per cambiare le loro caratteristiche biologiche ovvero cellule o tessuti non destinati ad essere utilizzati per le stesse funzioni essenziali originali. Possono essere utilizzati per curare, diagnosticare o prevenire le malattie;
- **Medicinali di ingegneria tessutale:** contengono cellule o tessuti che sono stati modificati in modo da poter essere utilizzati per riparare, rigenerare o sostituire tessuti umani;
- **Medicinali di terapia avanzata combinati:** contengono uno o più dispositivi medici come parte integrante del medicinale. Un esempio sono le cellule fatte crescere su matrici biodegradabili o supporti sintetici.

CLASSIFICAZIONE AI FINI DEL REGIME DI FORNITURA

Modalità in cui un farmaco può essere dispensato al pubblico (in farmacia, al supermercato

o in ospedale, con ricetta del medico o senza). I medicinali sono classificati in una o più delle seguenti categorie:

- a) medicinali soggetti a prescrizione medica (RR);
- b) medicinali soggetti a prescrizione medica da rinnovare volta per volta (RNR);
- c) medicinali soggetti a prescrizione medica speciale o a ricalco (RMR o RMS);
- d) medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, comprendenti:
 - medicinali vendibili al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti (RRL);
 - medicinali utilizzabili esclusivamente in ambiente ospedaliero o in ambiente ad esso assimilabile (OSP);
- e) medicinali non soggetti a prescrizione medica comprendenti:
 - medicinali da banco o di automedicazione (SOP e OTC);

CLASSIFICAZIONE AI FINI DELLA RIMBORSABILITÀ

Tutti i farmaci, ai fini dell'attribuzione della classe di rimborsabilità, sono classificati in:

CLASSE A/H: rimborsati totalmente dal Servizio Sanitario Nazionale;

CLASSE C: non rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale; il prezzo è liberamente fissato dall'Azienda farmaceutica e può essere aumentato solo negli anni dispari.

I farmaci prescrivibili senza obbligo di ricetta, fascia C-bis (SOP e OTC), possono essere acquistati, oltre che in farmacia, anche nelle parafarmacie e nei cosiddetti “corner” della grande distribuzione.