

Orizzonte Farmaci

scenario dei medicinali in arrivo

Rapporto 2021



AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Citare il presente Rapporto come segue:

Orizzonte Farmaci. Rapporto Anno 2021.
Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2021.

Medicines on the Horizon. Report Year 2021.
Rome: Italian Medicines Agency, 2021.

ISBN 979-12-80335-06-7

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web
www.aifa.gov.it

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Direttore Generale: *Nicola Magrini*

Gruppo di lavoro AIFA del presente rapporto:

Coordinamento:

M. Marangi

UFFICIO ATTIVITÀ ANALISI E PREVISIONE

*G. Capone, S. D'Agostino, J. Ivanovic,
A. Palma, V. Pantò, L. Raffaelli*

Per le revisioni linguistiche:

M.G. Toma

UFFICIO STAMPA E DELLA COMUNICAZIONE

LAYOUT E GRAPHIC DESIGN

I. Comessatti

EDITING:

*C. D'Ambrosio, B. Galante,
E. Iorio, F. Pomponi*

INTRODUZIONE	7
SINTESI	13
PARTE I	
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL 2020	19
Nuovi medicinali	22
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	24
Medicinali biosimilari	37
Medicinali equivalenti	42
Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati	47
PARTE II	
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL TRIENNIO 2018-2020	63
Analisi dei medicinali autorizzati nel triennio 2018-2020	65
Nuovi medicinali	65
Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati	69
PARTE III	
MEDICINALI IN VALUTAZIONE NEL 2021	71
Nuovi medicinali	73
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	75
Analisi delle indicazioni terapeutiche	84
Medicinali biosimilari	87
Medicinali equivalenti	89
PARTE IV	
MEDICINALI AMMESSI AL PROGRAMMA PRIME	91
APPENDICE	105
ATC legenda	107
Glossario	108

Introduzione

Il Rapporto Orizzonte farmaci ha lo scopo di fornire informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove terapie più promettenti, che hanno avuto un parere positivo dell'Agenzia Europea dei Medicinali (EMA) nel 2020 o che potrebbero averlo negli anni successivi.

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 autorizzati che potranno ampliare le opzioni di trattamento a disposizione dei medici e dei pazienti, colmando le esigenze di salute non ancora soddisfatte. In alcuni casi si tratta di terapie che potrebbero avere un impatto significativo sul Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e che, di conseguenza, richiederebbero un impegno da parte dell'Agenzia nella definizione di strategie idonee a garantire ai cittadini l'accesso a cure innovative e personalizzate.

In quest'analisi vengono considerati i medicinali sottoposti a procedura centralizzata, per i quali le aziende farmaceutiche presentano all'EMA una domanda di Autorizzazione all'immissione in commercio (AIC) valida in tutti gli Stati Membri dell'Unione Europea (UE) 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 dell'AIC.

Il parere dell'EMA viene esaminato e convalidato dalla Commissione Europea¹ e tale decisione viene successivamente pubblicata nella Gazzetta ufficiale dell'Unione Europea (GUUE). Una volta ottenuta l'AIC, il medicinale potrà essere messo a disposizione dei pazienti in tutta l'UE.

Prima della commercializzazione del medicinale in Italia, è compito dell'AIFA stabilire 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

¹ http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm

della Repubblica Italiana un provvedimento recante l'inserimento del medicinale in un'apposita sezione denominata Classe Cnn (Classe C non negoziata), dedicata ai farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità, e definisce il regime di fornitura del medicinale in questione. Tale provvedimento viene emanato in attesa della presentazione, da parte dell'azienda interessata, di un'eventuale domanda di diversa classificazione ai fini della rimborsabilità e di negoziazione del prezzo di rimborso, necessaria per l'erogazione del medicinale a carico del SSN².

Per commercializzare un farmaco che non sia a carico del SSN, il titolare AIC deve preventivamente comunicarne all'AIFA il prezzo e la data di inizio della commercializzazione nonché, ove previsto, ottemperare alle condizioni o alle limitazioni relative all'uso sicuro ed efficace del medicinale.

Il Rapporto Orizzonte farmaci è organizzato in quattro parti. La prima parte fornisce informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto nel corso del 2020 un parere positivo all'AIC da parte del CHMP dell'EMA. La seconda parte fornisce un quadro complessivo sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati nel corso dell'ultimo triennio 2018-2020. La terza parte riguarda i nuovi medicinali in valutazione, che potrebbero ricevere un parere da parte del CHMP dell'EMA nel corso del 2021.

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

- medicinali contenenti nuove sostanze attive (medicinali orfani, medicinali non orfani, medicinali per terapie avanzate);
- medicinali biosimilari;
- medicinali equivalenti;
- nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati (escluso per l'anno 2021).

Per ciascuna di queste categorie i dati sono presentati sia sotto forma di grafici, in base al sistema di classificazione ATC ossia anatomico, terapeutico e chimico (nella prima e

² <https://www.aifa.gov.it/procedura-di-autorizzazione-centralizzata>
<https://www.aifa.gov.it/negoziazione-e-rimborsabilita>

nella seconda parte del Rapporto) o all'area terapeutica secondo le informazioni EMA (nella terza 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 dell'EMA, si riportano le seguenti informazioni: ATC, nome commerciale, principio attivo, data del parere EMA, *status* di medicinale orfano (solo per i nuovi medicinali), indicazione terapeutica approvata e, nel caso dei medicinali biosimilari e dei medicinali equivalenti, anche il medicinale di riferimento.

Per i medicinali in valutazione e che potrebbero ricevere un parere di EMA nel corso del 2021, le informazioni riportate in tabella sono: area terapeutica, principio attivo, eventuale designazione di "medicinale orfano" e malattia/condizione clinica.

La quarta parte del Rapporto rappresenta una panoramica sui medicinali ammessi al programma PRIME (Priority Medicines) dell'EMA. Si tratta di medicinali a elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte.

Fonti di informazione

- [CHMP: Agendas, minutes and highlights](#)³
- [Community Register](#)⁴
- [European Public Assessment Report](#)⁵
- [Medicines under evaluation](#)⁶
- [PRIME: priority medicine](#)⁷

³ <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-medicinal-products-human-use-chmp>

⁴ <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alfregister.htm>

⁵ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

⁶ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation>

⁷ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Sintesi

Nel corso del 2020 sono stati autorizzati a livello europeo 72 nuovi medicinali: 45 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 20 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 25 medicinali non orfani), 12 medicinali biosimilari e 15 medicinali equivalenti. Tra i farmaci autorizzati, circa il 50% è rappresentato dai medicinali antineoplastici e immunomodulatori destinati al trattamento di alcuni tipi di tumori solidi (quali il tumore del polmone, della mammella e dell'ovaio) e del sangue (quali linfoma, leucemia e mieloma). Una percentuale rilevante riguarda i medicinali antinfettivi a uso sistemico (~20%), mentre percentuali inferiori riguardano farmaci dell'apparato gastrointestinale e del metabolismo e medicinali delle patologie del sangue. Tra i medicinali orfani che hanno ricevuto il parere positivo dell'EMA, 3 sono medicinali per terapie avanzate e, in particolare, si tratta di terapie geniche: Zolgensma per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale, Tecartus per il trattamento del linfoma a cellule mantellari e Libmeldy per il trattamento della leucodistrofia metacromatica).



Al momento della stesura del Rapporto, sulla base delle richieste di AIC pervenute all'EMA, è atteso nel 2021 un parere per 83 nuovi medicinali: 57 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 29 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 28 medicinali non orfani), 11 medicinali biosimilari e 15 medicinali equivalenti. Nonostante la maggior parte dei medicinali siano antineoplastici (~25%), risulta rilevante anche la quota in valutazione per altre aree terapeutiche, con particolare riferimento ai medicinali immunosoppressori (~10%) e, in minor misura, ai medicinali per il sistema nervoso. Infine, tra i 29 medicinali orfani attualmente in valutazione, 6 sono per terapie avanzate: Sitoiganap (ERC-1671), Idecabtagene vicleucel, Lisocabtagene maraleucel, Eladocagene exuparvovec, Elivaldogene autotemcel, Lenadogene nolparvovec, rispettivamente per il trattamento di

glioma, mieloma multiplo, linfoma a cellule B, deficit di decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici, mutazione genetica ABCD1 e adrenoleucodistrofia cerebrale, perdita della vista.

Medicinali non orfani		28
Medicinali orfani		29
Medicinali per terapie avanzate		6
Medicinali biosimilari		11
Medicinali equivalenti		15

83gennaio
dicembre
2021

NOTA PER LA LETTURA

Lo scenario dei medicinali in arrivo è basato sulle informazioni disponibili al momento della stesura del Rapporto (6 gennaio 2021).

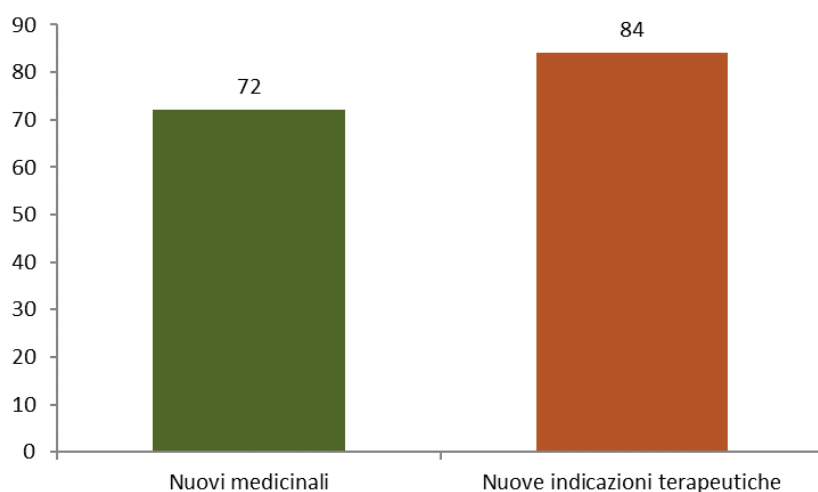
Nella sezione relativa ai medicinali autorizzati, vengono considerati i nuovi medicinali (solo quelli contenenti nuove sostanze attive, medicinali biosimilari, medicinali equivalenti) e le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto un parere positivo del CHMP dell'EMA. Restano, invece, escluse le domande di AIC per le quali è stato emesso un parere negativo, ovvero quelle che sono state ritirate su richiesta dell'azienda farmaceutica. Le modifiche alle indicazioni terapeutiche già autorizzate sono evidenziate in grassetto e/o con testo barrato. Tutte le informazioni sui medicinali in corso di valutazione sono da considerarsi indicative e suscettibili di variazioni nel corso della procedura autorizzativa. In particolare, il numero dei medicinali autorizzati alla fine del 2021 potrebbe essere diverso da quello stimato, a causa del ritiro da parte del richiedente o del diniego da parte del CHMP dell'EMA della richiesta di AIC, delle tempistiche autorizzative o dell'autorizzazione di nuovi medicinali che potrebbero essere oggetto di richiesta di valutazione nel corso del 2021. Poiché le indicazioni terapeutiche in valutazione 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, se il medicinale dovesse nel frattempo ottenere un parere positivo. In considerazione dell'emergenza di salute pubblica determinata dall'attuale pandemia, le terapie e i vaccini per curare e prevenire la malattia da Coronavirus (COVID-19), causata da SARS-CoV-2, potrebbero essere sottoposti a un processo autorizzativo abbreviato basato sulla revisione continua (*rolling review*) dei dati. Di conseguenza, il relativo scenario dei trattamenti in arrivo potrebbe essere suscettibile di rapide modifiche.

Parte I

Medicinali autorizzati nel 2020

A esclusione dei medicinali contenenti sostanze attive note, in combinazione fissa, nonché dei medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione ibrida o di consenso informato, il CHMP dell'EMA ha espresso un parere positivo all'AIC per 72 nuovi medicinali e 84 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali precedentemente autorizzati (figura 1.1).

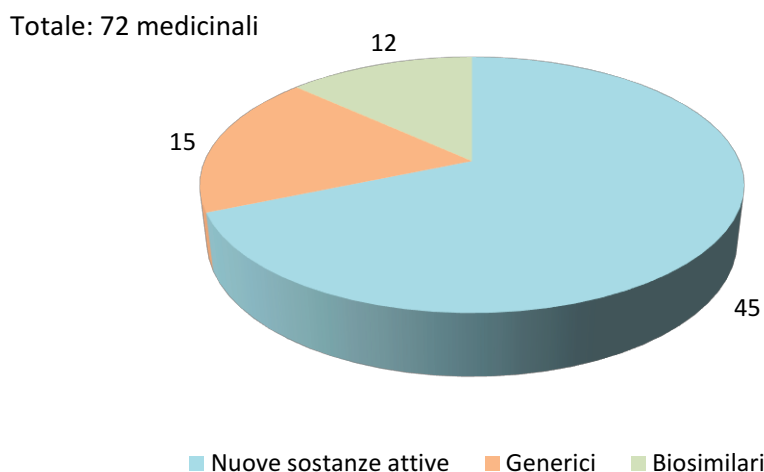
Figura 1.1 Nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche con parere positivo di EMA nel 2020.



Nuovi medicinali

Dei 72 nuovi medicinali che hanno ottenuto il parere positivo di EMA nel 2020, 45 sono medicinali contenenti nuove sostanze attive (62,5%), 12 sono medicinali biosimilari (16,7%) e 15 sono medicinali equivalenti (20,8%) (figura 1.2).

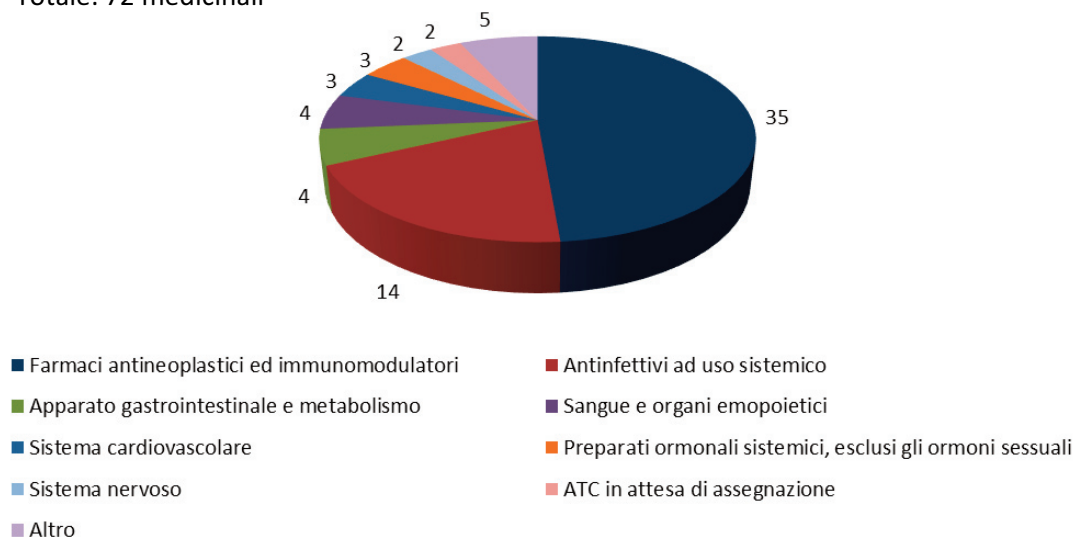
Figura 1.2 Nuovi medicinali con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per tipologia.



Nella figura 1.3 è illustrata la categorizzazione dei nuovi medicinali approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC. Il maggior numero di nuovi farmaci è rappresentato da antineoplastici e immunomodulatori appartenenti alla categoria ATC L, pari al 48,6% del totale dei nuovi medicinali autorizzati nel 2020 (n=35). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali della categoria ATC J (antinfettivi a uso sistemico) pari al 19,4% del totale (n=14), i medicinali con ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e con ATC B (sangue e sistema emopoietico) pari al 5,5% del totale (n=4, per ciascuna categoria) e i medicinali delle categorie ATC C (apparato cardiovascolare) e H (preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali) con il 4,2% del totale (n=3, per ciascuna categoria). Meno numerosi sono, invece, i nuovi medicinali appartenenti ad altre categorie ATC o con ATC in attesa di assegnazione.

Figura 1.3 Nuovi medicinali con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per ATC.

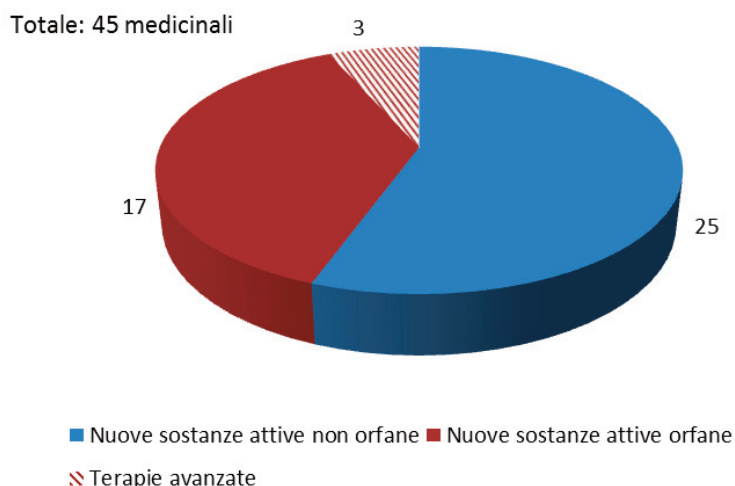
Totale: 72 medicinali



Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 45 farmaci contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell'EMA nel 2020 (figura 1.4), 25 sono medicinali non orfani (55,6%), mentre 20 sono medicinali orfani (44,4%). Di questi ultimi, 3 (Zolgensma, Libmeldy, Tecartus) sono anche medicinali per terapie avanzate (pari al 15% dei medicinali orfani).

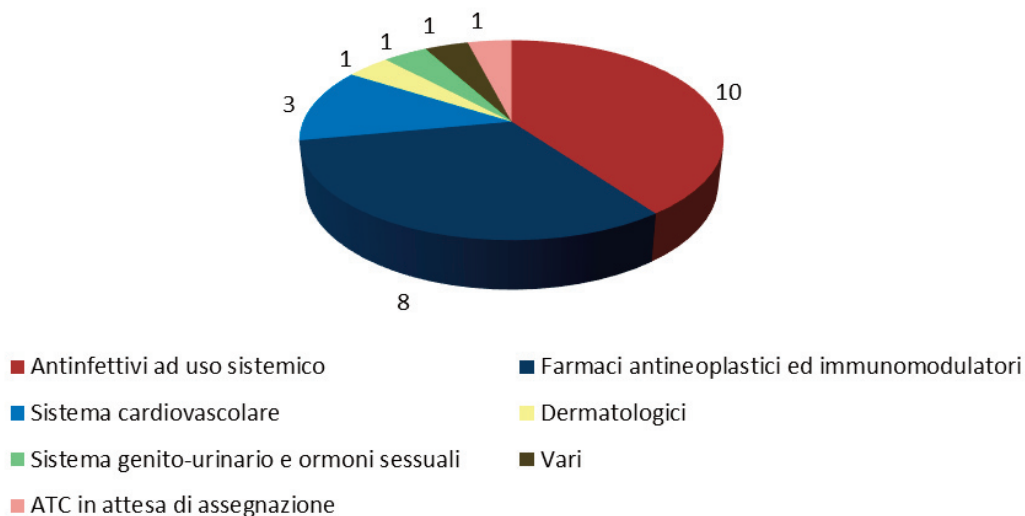
Figura 1.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per tipologia.



Nella figura 1.5 è illustrata la categorizzazione dei medicinali non orfani approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui si evince che il maggior numero di medicinali non orfani appartiene alla categoria ATC J, antinfettivi a uso sistemico, che rappresenta il 40% del totale dei medicinali non orfani autorizzati nel 2020 (n=8). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali delle categorie ATC L (farmaci antineoplastici e immunomodulatori) e C (apparato cardiovascolare), pari rispettivamente al 32% (n=8) e al 12% (n=3) del totale dei medicinali non orfani. Le restanti ATC sono rappresentate da un solo medicinale non orfano, mentre un medicinale non orfano è in attesa di assegnazione dell'ATC. L'elenco completo dei medicinali non orfani è riportato nella tabella 1.1.

Figura 1.5 Medicinali non orfani con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per ATC

Totale: 25 medicinali

**Tabella 1.1** Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive non orfane che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divise per ATC.

C- Sistema cardiovascolare			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Leqvio	inclisiran	15/10/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Leqvio è indicato in adulti con ipercolesterolemia primaria (eterozigote familiare e non familiare) o dislipidemia mista, in aggiunta alla dieta: - in associazione a una statina o una statina con altre terapie ipolipemizzanti in pazienti non in grado di raggiungere gli obiettivi per l'LDL-C con la dose massima tollerata di una statina, oppure - in monoterapia o in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti in pazienti intolleranti alle statine o per i quali una statina è controindicata.		
Nilemdo	acido bempedoico	30/01/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Nilemdo è indicato negli adulti affetti da ipercolesterolemia primaria (familiare eterozigote e non familiare) o dislipidemia mista, in aggiunta alla dieta:		

	- in associazione a una statina o con una statina in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti nei pazienti non in grado di raggiungere gli obiettivi di LDL-C con la dose massima tollerata di una statina oppure, - in monoterapia o in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti in pazienti intolleranti alle statine o nei quali ne è controindicato l'uso.		
Nustendi	acido bempedoico/ezetimibe	30/01/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Nustendi è indicato negli adulti affetti da ipercolesterolemia primaria (familiare eterozigote e non familiare) o dislipidemia mista, in aggiunta alla dieta: - in combinazione con una statina nei pazienti non in grado di raggiungere gli obiettivi di colesterolo-lipoproteina a bassa densità (low density lipoprotein-cholesterol, LDL-C) con la dose massima tollerata di una statina oltre a ezetimibe, - in monoterapia in pazienti intolleranti alle statine o nei quali ne è controindicato l'uso, e che non sono in grado di raggiungere gli obiettivi di LDL-C solo con ezetimibe, - nei pazienti già in trattamento con l'associazione di acido bempedoico ed ezetimibe sotto forma di compresse distinte con o senza statina.		
D-Dermatologici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Staquis	crisaborolo	30/01/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Staquis è indicato per il trattamento della dermatite atopica da lieve a moderata nei pazienti adulti e pediatrici a partire dai 2 anni di età con ≤ 40% di superficie corporea (Body Surface Area, BSA) interessata.		
G-Sistema genito-urinario e ormoni sessuali			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Dapivirina anello vaginale	dapivirina	23/07/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Riduzione del rischio di infezione da HIV-1 tramite rapporto sessuale vaginale in donne non infette da HIV di età pari o superiore a 18 anni, in associazione a pratiche sessuali sicure, quando la profilassi pre-esposizione orale non è/non può essere usata o non è disponibile.		
J-Antinfettivi a uso sistemico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Comirnaty	Vaccino mRNA COVID-19	21/12/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Comirnaty è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 16 anni. L'uso di questo vaccino deve essere in accordo con le raccomandazioni ufficiali.		
Fetroja	cefiderocol	27/02/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Fetroja è indicato per il trattamento delle infezioni dovute a organismi aerobi gram-negativi negli adulti con opzioni terapeutiche limitate. Devono essere considerate le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.		

Mvabea	Vaccino Ebola	28/05/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Mvabea, come parte del regime vaccinale Zabdeno, Mvabea è indicato per l'immunizzazione attiva di soggetti di età pari o superiore a 1 anno per la prevenzione della malattia da virus Ebola (specie Zaire ebolavirus). L'uso del regime vaccinale deve essere in accordo alle raccomandazioni ufficiali.		
Rukobia	fostemsavir	10/12/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Rukobia, in associazione con altri antiretrovirali, è indicato per il trattamento di adulti con infezione da HIV-1 resistente a molti farmaci, per i quali non è altrimenti possibile stabilire un regime antivirale soppressivo.		
Supemtek	Vaccino quadrivalente influenza (rDNA)	17/09/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Supemtek è indicato per l'immunizzazione attiva in soggetti adulti per la prevenzione della malattia influenzale. Supemtek deve essere utilizzato in conformità alle raccomandazioni ufficiali.		
Vaxchora	Vaccino colera	30/01/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Vaxchora è indicato per l'immunizzazione attiva contro la malattia causata dal <i>Vibrio cholerae</i> sierogruppo O1 in adulti e bambini di età pari o superiore a 6 anni. Questo vaccino deve essere utilizzato secondo le raccomandazioni ufficiali.		
Vocabria	cabotegravir	15/10/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Vocabria iniettabile è indicato, in associazione con rilpivirina iniettabile, per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di tipo 1 (HIV-1) negli adulti in soppressione virologica (HIV-1 RNA <50 copie/mL) con un regime antiretrovirale stabile, senza evidenza presente o passata di resistenza virale e di precedente fallimento virologico, agli agenti della classe degli NNRTI e degli INI.		
Xenleta	lefamulin	28/05/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Xenleta è indicato per il trattamento della polmonite comunitaria (CAP) negli adulti quando non sia considerato opportuno l'impiego di agenti antibatterici comunemente raccomandati per il trattamento iniziale della CAP o quando gli stessi non si siano dimostrati efficaci. Si devono considerare le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.		
Xofluza	baloxavir marboxil	12/11/2020	NO
	Indicazione terapeutica: <u>Trattamento dell'influenza</u> Xofluza è indicato per il trattamento dell'influenza non complicata in pazienti di età pari o superiore a 12 anni. <u>Profilassi dell'influenza post-esposizione</u> Xofluza è indicato per la profilassi dell'influenza post-esposizione in pazienti di età pari o superiore a 12 anni.		
Zabdeno	Vaccino Ebola	28/05/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Zabdeno, come parte del regime vaccinale Zabdeno, Mvabea, è indicato per l'immunizzazione attiva di soggetti di età pari o superiore a 1 anno per la prevenzione della malattia da virus Ebola (specie Zaire ebolavirus). L'uso del regime vaccinale deve essere in accordo alle raccomandazioni ufficiali.		

L-Farmaci antineoplastici e immunomodulatori			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Enhertu	trastuzumab deruxtecan	10/12/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Enhertu in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella HER2 positivo non resecabile o metastatico, che hanno ricevuto due o più precedenti regimi a base di anti HER2.		
Jyseleca	filgotinib	23/07/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Jyseleca è indicato per il trattamento dell'artrite reumatoide in fase attiva da moderata a severa in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o che sono intolleranti a uno o più farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARD). Jyseleca può essere usato in monoterapia o in associazione a metotrexato (MTX).		
Nubeqa	darolutamide	30/01/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Nubeqa è indicato per il trattamento degli uomini adulti con carcinoma prostatico non metastatico resistente alla castrazione (nmCRPC) che sono ad alto rischio di sviluppare malattia metastatica.		
Piqray	alpelisib	28/05/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Piqray è indicato in associazione a fulvestrant per il trattamento delle donne in post-menopausa, e degli uomini affetti da carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo ai recettori ormonali (HR), negativo al recettore del fattore umano di crescita epidermico di tipo 2 (HER2), con mutazione di PIK3CA, dopo progressione di malattia successiva a terapia endocrina come monoterapia.		
Retsevmo	selpercatinib	10/12/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Retsevmo come monoterapia è indicato nel trattamento di adulti con: - cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC) avanzato positivo alla fusione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con immunoterapia e/o chemioterapia a base di platino; - carcinoma della tiroide avanzato positivo alla fusione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con sorafenib e/o lenvatinib. Retsevmo come monoterapia è indicato per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con carcinoma midollare della tiroide (MTC) avanzato con mutazione RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con cabozantinib e/o vandetanib.		
Rozlytrek	entrectinib	28/05/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Rozlytrek in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con tumori solidi che esprimono una fusione dei geni del recettore tirosinchinasico neurotrofico (NTRK), - che sono affetti da malattia localmente avanzata, metastatica o la cui resezione chirurgica potrebbe comportare una severa morbidità, e - che non sono stati trattati in precedenza con un inibitore di NTRK - che non dispongono di opzioni terapeutiche soddisfacenti. Rozlytrek in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato ROS1-positivo non precedentemente trattati con inibitori di ROS1.		

Tukysa	tucatinib	10/12/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Tukysa è indicato in associazione a trastuzumab e capecitabina per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancro della mammella localmente avanzato o metastatico HER2-positivo che abbiano ricevuto almeno 2 precedenti regimi di trattamento anti-HER2.		
Zeposia	ozanimod	26/03/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Zeposia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con sclerosi multipla recidivante-remittente (SMRR) con malattia in fase attiva, come definito da caratteristiche cliniche o di imaging.		
V-Vari			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Palforzia	Allergeni arachis hypogaea	15/10/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Palforzia è indicato per il trattamento di pazienti di età compresa tra 4 e 17 anni con diagnosi confermata di allergia alle arachidi. La terapia con PALFORZIA può proseguire nei pazienti di età pari o superiore a 18 anni.		
ATC in attesa di assegnazione			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Veklury	remdesivir	25/06/2020	NO
	Indicazione terapeutica: Veklury è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni e peso pari ad almeno 40 kg) con polmonite che richiede ossigenoterapia supplementare (ossigeno a basso o alto flusso o altro tipo di ventilazione non invasiva all’inizio del trattamento).		

Nella figura 1.6 è riportata la categorizzazione dei medicinali orfani approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che il maggior numero di medicinali orfani appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 45% del totale dei medicinali orfani autorizzati nel 2020 (n=9). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali della categoria ATC J (antinfettivi a uso sistemico) pari al 15% del totale (n=3) e delle categorie ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e B (sangue e organi emopoietici) pari al 10% del totale dei medicinali orfani (n=2, per ciascuna categoria). Le restanti ATC sono rappresentate da un solo medicinale orfano, mentre un medicinale orfano è in attesa di assegnazione dell'ATC. L'elenco completo dei medicinali orfani è riportato nella tabella 1.2.

Figura 1.6 Medicinali orfani con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per ATC.

Totale: 20 medicinali

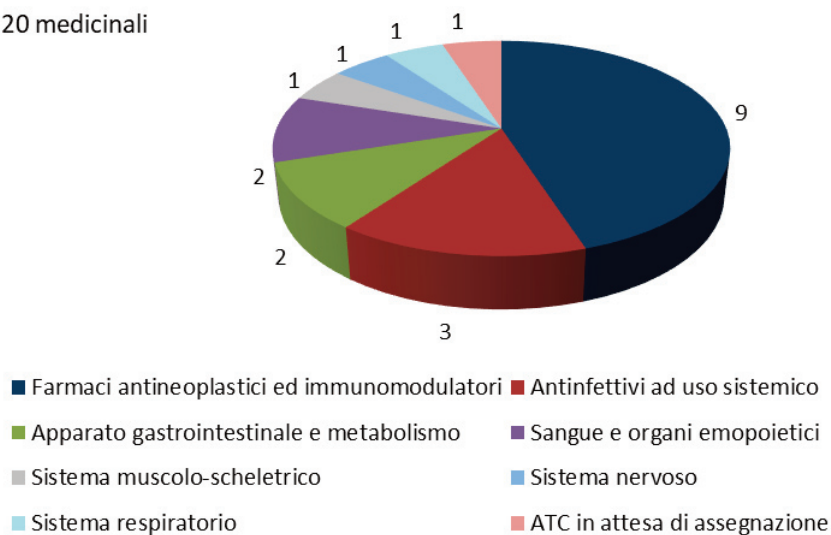


Tabella 1.2 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive orfane che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divise per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Givlaari	givosiran	30/01/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Givlaari è indicato per il trattamento della porfiria epatica acuta (Acute hepatic porphyria, AHP) in adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni.		
Oxlumo	lumasiran	15/10/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Oxlumo è indicato per il trattamento dell'iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età.		
B-Sangue e organi emopoietici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Adakveo	crizanlizumab	23/07/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Adakveo è indicato per la prevenzione delle crisi vaso-occlusive (vaso occlusive crises – VOC) ricorrenti nei pazienti con malattia a cellule falciformi di età uguale e superiore a 16 anni. Può essere somministrato come terapia aggiuntiva a idrossiurea/idrossicarbamide (HU/HC) o come monoterapia in pazienti per i quali il trattamento con HU/HC è inappropriato o inadeguato.		
Reblozyl	luspatercept	30/04/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Reblozyl è indicato per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusedipendente dovuta a sindrome mielodisplastica (SMD) a rischio molto basso, basso e intermedio, che presentano sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente o non idonei a terapia basata su eritropoietina. Reblozyl è indicato per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusedipendente, associata a beta-talassemia.		
J-Antinfettivi a uso sistemico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Hepcludex	bulevirtide	28/05/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Hepcludex è indicato per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite delta (HDV) cronica in pazienti adulti positivi a HDV-RNA plasmatico (o sierico) con malattia epatica compensata.		
Obiltoxaximab SFL	obiltoxaximab	17/09/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Obiltoxaximab SFL è indicato in associazione a farmaci antibatterici appropriati in tutte le fasce di età per il trattamento dell'antrace inalatorio causato dal Bacillus anthracis. Obiltoxaximab SFL è indicato in tutte le fasce di età per la profilassi post-esposizione dell'antrace inalatorio quando le terapie alternative non sono appropriate o non sono disponibili.		
Pretomanid FGK	pretomanid	26/03/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Pretomanid FGK è indicato in associazione a bedaquilina e linezolid, negli adulti, per il trattamento della tubercolosi (TB) polmonare a estesa farmacoresistenza (extensively drug resistant,		

	XDR) o intollerante al trattamento o multifarmacoresistente (multidrug-resistant, MDR) non reattiva.		
L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Ayvakyt	avapritinib	23/07/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Ayvakyt è indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con tumori stromali gastrointestinali (GIST) non resecabili o metastatici che presentano la mutazione del recettore alfa del fattore di crescita derivato dalle piastrine (PDGFRA) D842V.		
Blenrep	belantamab mafodotin	23/07/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Blenrep è indicato in monoterapia per il trattamento del mieloma multiplo nei pazienti adulti che hanno ricevuto almeno quattro terapie precedenti e la cui malattia risulta refrattaria ad almeno un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale anti-CD38, e che hanno mostrato progressione di malattia all’ultima terapia.		
Calquence	acalabrutinib	23/07/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Calquence in monoterapia o in associazione a obinutuzumab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfocitica cronica (LLC) non trattata in precedenza. Calquence in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfocitica cronica (LLC) che hanno ricevuto almeno una precedente terapia.		
Daurismo	glasdegib	30/04/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Daurismo è indicato, in associazione a citarabina a basse dosi, per il trattamento della leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi de novo oppure secondaria, in pazienti adulti non candidabili alla chemioterapia di induzione standard.		
Elzonris	tagraxofusp	12/11/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Elzonris è indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN)		
Idefirix	imlifidase	25/06/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Idefirix è indicato per il trattamento di desensibilizzazione di pazienti adulti altamente sensibilizzati che necessitano di trapianto di rene con un crossmatch positivo contro un donatore deceduto disponibile. L’uso di Idefirix deve essere riservato ai pazienti che hanno poche probabilità di essere sottoposti a trapianto nell’ambito del sistema di allocazione dei reni disponibili, compresi i programmi di assegnazione di priorità per i pazienti altamente sensibilizzati.		
Inrebic	fedratinib	10/12/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Inrebic è indicato per il trattamento della splenomegalia correlata alla malattia o dei relativi sintomi in pazienti adulti con mielofibrosi primaria, mielofibrosi post–policitemia vera o mielofibrosi post–trombocitemia essenziale che sono naïve agli		

	inibitori della chinasi Janus-associata (JAK) o che sono stati trattati con ruxolitinib.		
Lumoxiti	moxetumomab pasudotox	10/12/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Lumoxiti in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia a cellule capellute (LCC) recidivante o refrattaria che abbiano ricevuto almeno due precedenti terapie sistemiche, incluso un trattamento con un analogo nucleosidico purinico (Purine Nucleoside Analogue, PNA).		
Sarclisa	isatuximab	26/03/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Sarclisa è indicato, in associazione a pomalidomide e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo (MM) recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno due terapie precedenti, tra cui lenalidomide e un inibitore del proteasoma (PI), e con progressione della malattia durante l'ultima terapia.		
M-Sistema muscolo-scheletrico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Zolgensma	onasemnogene abeparvovec	26/03/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Zolgensma è indicato per il trattamento di: - pazienti con atrofia muscolare spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2.		
N-Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Libmeldy	popolazione arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule staminali e progenitrici ematopoietiche (HSPC) trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale che codifica per il gene umano arilsulfatasi A (ARSA)	15/10/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Libmeldy è indicato per il trattamento della leucodistrofia metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: - nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia;		

	- nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo.		
R-Sistema respiratorio			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Kaftrio	elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor	25/06/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Kaftrio è indicato in un regime di associazione con ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età pari e superiore a 12 anni, che sono omozigoti per la mutazione F508del nel gene per il regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR) o eterozigoti per F508del nel gene CFTR con una mutazione a funzione minima (MF).		
ATC in attesa di assegnazione			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Tecartus	cellule CD3 + autologhe trasdotte anti-CD19	15/10/2020	SI
	Indicazione terapeutica: Tecartus è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari (mantle cell lymphoma, MCL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica che includano un inibitore della tirosin chinasi di Bruton (Bruton's tyrosine kinase, BTK).		

Nella figura 1.7 è riportata la categorizzazione dei medicinali per terapie avanzate approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC. I medicinali in questione appartengono alle categorie ATC M (sistema muscolo-scheletrico) e N (sistema nervoso) (n=1, per ciascuna categoria), mentre un medicinale è in attesa di assegnazione dell'ATC. L'elenco completo dei medicinali per terapie avanzate è riportato nella tabella 1.3.

Figura 1.7 Medicinali per terapie avanzate con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per ATC.

Totale: 3 medicinali

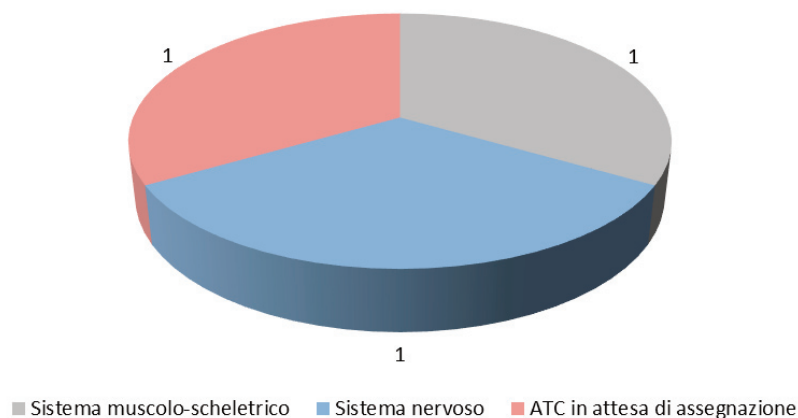


Tabella 1.3 Elenco dei medicinali per terapie avanzate che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divise per ATC.

M-Sistema muscolo-scheletrico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Zolgensma	onasemnogene abeparvovec	26/03/2020	SI
Indicazione terapeutica: Zolgensma è indicato per il trattamento di: - pazienti con atrofia muscolare spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2.			
N-Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Libmeldy	popolazione arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule staminali e progenitrici ematopoietiche (HSPC) trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale che codifica per il gene umano arilsulfatasi A (ARSA)	15/10/2020	SI
Indicazione terapeutica: Libmeldy è indicato per il trattamento della leucodistrofia metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: -nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia, -nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo.			
ATC in attesa di assegnazione			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Tecartus	cellule CD3 + autologhe trasdotte anti-CD19	15/10/2020	SI
Indicazione terapeutica: Tecartus è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari (mantle cell lymphoma, MCL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica che includano un inibitore della tirosin chinasi di Bruton (Bruton's tyrosine kinase, BTK).			

Medicinali biosimilari

Nel 2020 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 12 medicinali biosimilari. Nella figura 1.8 è riportata la categorizzazione dei medicinali biosimilari approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che il maggior numero di medicinali biosimilari appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 66,6% del totale dei medicinali biosimilari autorizzati nel 2020 (n=8). Le altre categorie ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e H (preparati ormonali sistemici, escluso gli ormoni sessuali) sono rappresentate da 2 medicinali biosimilari, pari al 16,7% del totale. L'elenco completo dei medicinali biosimilari è riportato nella tabella 1.4.

Figura 1.8 Medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divisi per ATC.

Totale: 12 medicinali

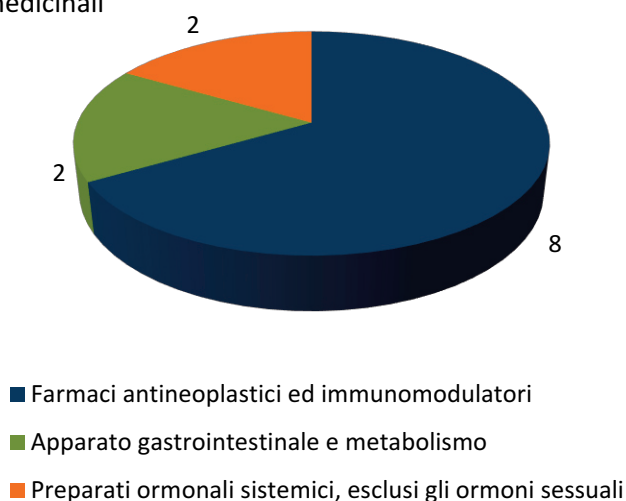


Tabella 1.4 Elenco dei medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divisi per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Insulina aspart Sanofi	insulina aspart	30/04/2020	NO	Biosimilare di NovoRapid
	Indicazione terapeutica: Insulina aspart Sanofi è indicata per il trattamento del diabete mellito in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 1 anno.			
Kixelle	insulin aspart	10/12/2020	NO	Biosimilare di NovoRapid
	Indicazione terapeutica: Kixelle è indicata per il trattamento del diabete mellito in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 1 anno.			
H-preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Livogiva	teriparatide	25/06/2020	NO	Biosimilare di Fortseo
	Indicazione terapeutica: Livogiva è indicato negli adulti per il trattamento dell'osteoporosi nelle donne in postmenopausa e negli uomini ad aumentato rischio di frattura. Nelle donne in postmenopausa è stata dimostrata una riduzione significativa nell'incidenza delle fratture vertebrali e non vertebrali, ma non delle fratture femorali. Trattamento dell'osteoporosi indotta da una prolungata terapia con glucocorticoidi per via sistemica nelle donne e negli uomini ad aumentato rischio di frattura.			
Qutavina	teriparatide	25/06/2020	NO	Duplicato di Livogiva
	Indicazione terapeutica: Trattamento dell'osteoporosi nelle donne in postmenopausa e negli uomini ad aumentato rischio di frattura. Nelle donne in postmenopausa è stata dimostrata una riduzione significativa nell'incidenza di fratture vertebrali e non vertebrali, ma non delle fratture femorali.			
L-Farmaci antineoplastici e immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Aybintio	bevacizumab	25/06/2020	NO	Biosimilare di Avastin
	Indicazione terapeutica*: - in pazienti adulti con carcinoma metastatico del colon e del retto; - in prima linea in pazienti adulti con cancro della mammella metastatico; - in prima linea in pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule; - in prima linea in pazienti adulti con cancro a cellule renali avanzato e/o metastatico; - in prima linea del cancro epiteliale dell'ovaio, del cancro della tuba di Falloppio o del cancro peritoneale primario in stadio avanzato (stadio III B,			

	III C e IV, secondo la Federazione Internazionale di Ginecologia e Ostetricia, FIGO) in pazienti adulte; - in pazienti adulte con prima recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-sensibili che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte con recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-resistenti che hanno ricevuto non più di due precedenti regimi chemioterapici e che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte affette da carcinoma della cervice persistente, ricorrente o metastatico. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Equidacent	bevacizumab	23/07/2020	NO	Biosimilare di Avastin
	Indicazione terapeutica*: - in pazienti adulti con carcinoma metastatico del colon e del retto; - in prima linea in pazienti adulti con cancro della mammella metastatico; - in prima linea in pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule; - in prima linea in pazienti adulti con cancro a cellule renali avanzato e/o metastatico; - in prima linea del cancro epiteliale dell'ovaio, del cancro della tuba di Falloppio o del cancro peritoneale primario in stadio avanzato (stadio III B, III C e IV, secondo la Federazione Internazionale di Ginecologia e Ostetricia, FIGO) in pazienti adulte; - in pazienti adulte con prima recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-sensibili che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte con recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-resistenti che hanno ricevuto non più di due precedenti regimi chemioterapici e che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte affette da carcinoma della cervice persistente, ricorrente o metastatico. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Nepexto	etanercept	26/03/2020	NO	Biosimilare di Enbrel
	Indicazione terapeutica*: artrite reumatoide, artrite idiopatica giovanile, artrite psoriasica, spondiloartrite assiale, spondilite anchilosante,			

	spondiloartrite assiale non radiologica, psoriasi a placche, psoriasi a placche pediatrica. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Nyvepria	pegfilgrastim	17/09/2020	NO	Biosimilare di Neulasta
	Indicazione terapeutica: Riduzione della durata della neutropenia e dell'incidenza di neutropenia febbrile in pazienti adulti trattati con chemioterapia citotossica per neoplasie (con l'eccezione della leucemia mieloide cronica e delle sindromi mielodisplastiche).			
Onbevzi	bevacizumab	12/11/2020	NO	Biosimilare di Avastin
	Indicazione terapeutica*: - in pazienti adulti con carcinoma metastatico del colon e del retto; - in prima linea in pazienti adulti con cancro della mammella metastatico; - in prima linea in pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule; - in prima linea in pazienti adulti con cancro a cellule renali avanzato e/o metastatico; - in prima linea del cancro epiteliale dell'ovaio, del cancro della tuba di Falloppio o del cancro peritoneale primario in stadio avanzato (stadio III B, III C e IV, secondo la Federazione Internazionale di Ginecologia e Ostetricia, FIGO) in pazienti adulte; - in pazienti adulte con prima recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-sensibili che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte con recidiva di cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primario platino-resistenti che hanno ricevuto non più di due precedenti regimi chemioterapici e che non hanno ricevuto una precedente terapia con bevacizumab o altri inibitori del fattore di crescita dell'endotelio vascolare (vascular endothelial growth factor, VEGF) o altri agenti mirati al recettore VEGF; - in pazienti adulte affette da carcinoma della cervice persistente, ricorrente o metastatico. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Ruxience	rituximab	30/01/2020	NO	Biosimilare di Mabthera
	Indicazione terapeutica*: linfoma non-Hodgkin (LNH), leucemia linfatica cronica (LLC), artrite reumatoide, granulomatosi con poliangite e poliangite microscopica, pemfigo volgare. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Yuflima	adalimumab	10/12/2020	NO	Biosimilare di Humira
	Indicazione terapeutica*: artrite reumatoide, artrite idiopatica giovanile, artrite psoriasica, spondiloartrite assiale, spondilite anchilosante,			

	spondiloartrite assiale non radiologica, psoriasi a placche, psoriasi a placche pediatrica, morbo di Crohn, morbo di Crohn pediatrico, rettocolite ulcerosa, idrosadenite suppurativa, uveite, uveite pediatrica. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Zercepac	trastuzumab	28/05/2020	NO	Biosimilare di Herceptin
	Indicazione terapeutica*: carcinoma mammario, carcinoma mammario metastatico, carcinoma mammario in fase iniziale, carcinoma gastrico metastatico. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			

Medicinali equivalenti

Nel 2020 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 15 medicinali equivalenti. Nella figura 1.9 è riportata la categorizzazione dei medicinali equivalenti approvati nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che il maggior numero di medicinali equivalenti appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 66,6% del totale dei medicinali equivalenti autorizzati nel 2020 (n=10). Le altre categorie ATC sono rappresentate da un minimo di 1 a un massimo di 2 medicinali equivalenti, rispettivamente pari al 6,7% e al 13,3% del totale. L'elenco completo dei medicinali equivalenti è riportato nella tabella 1.5.

Figura 1.9 Medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divisi per ATC.

Totale: 15 medicinali

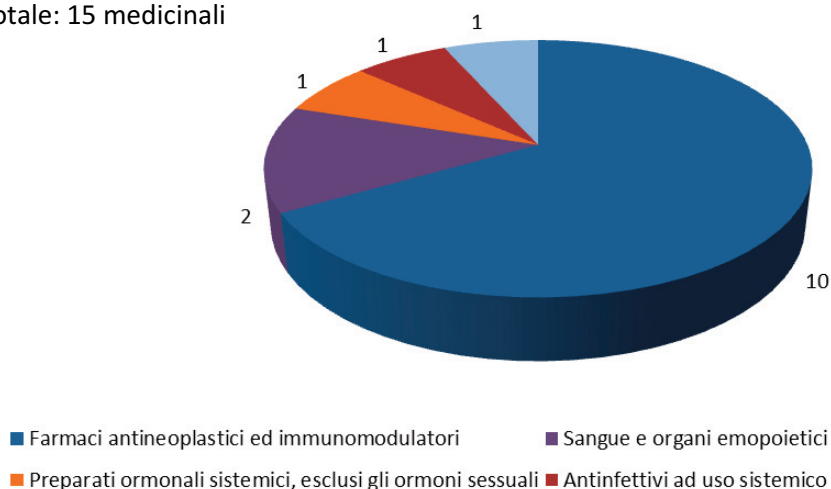


Tabella 1.5 Elenco dei medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divisi per ATC.

B - Sangue e organi emopoietici				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Apixaban Accord	apixaban	28/05/2020	NO	Equivalente di Eliquis
Indicazione terapeutica: Prevenzione degli eventi tromboembolici venosi (TEV) nei pazienti adulti sottoposti a intervento chirurgico elettivo di sostituzione dell'anca o del ginocchio. Prevenzione dell'ictus e dell'embolia sistemica nei pazienti adulti affetti da fibrillazione atriale non valvolare (NVAF), con uno o più fattori di rischio, quali un precedente ictus o attacco ischemico transitorio (TIA), età ≥ 75 anni, ipertensione, diabete mellito, insufficienza cardiaca sintomatica (Classe NYHA $\geq$ II). Trattamento negli adulti della trombosi venosa profonda (TVP) e dell'embolia polmonare (EP) e prevenzione delle recidive di TVP ed EP.				
Rivaroxaban Accord	rivaroxaban	17/09/2020	NO	Equivalente di Xarelto
Indicazione terapeutica: Rivaroxaban Accord, somministrato insieme con il solo acido acetilsalicilico (acetylsalicylic acid, ASA) o con ASA e clopidogrel o ticlopidina, è indicato per la prevenzione di eventi aterotrombotici in pazienti adulti dopo una sindrome coronarica acuta (SCA) con biomarcatori cardiaci elevati (2,5 mg). Rivaroxaban Accord, somministrato insieme con acido acetilsalicilico (ASA), è indicato per la prevenzione di eventi aterotrombotici in pazienti adulti, ad alto rischio di eventi ischemici, che presentano coronaropatia (coronary artery disease, CAD) o arteriopatia periferica (peripheral artery disease, PAD) sintomatica (2,5 mg). Prevenzione del tromboembolismo venoso (TEV) nei pazienti adulti sottoposti a interventi di sostituzione elettiva di anca o di ginocchio (10 mg). Trattamento della trombosi venosa profonda (TVP) e dell'embolia polmonare (EP) e prevenzione delle recidive di TVP ed EP nell'adulto (10, 15 e 20 mg). Prevenzione dell'ictus e dell'embolia sistemica nei pazienti adulti affetti da fibrillazione atriale non valvolare con uno o più fattori di rischio, come insufficienza cardiaca congestizia, ipertensione, età ≥ 75 anni, diabete mellito, pregresso ictus o attacco ischemico transitori (15 e 20 mg).				
H-preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Cinacalcet Accordpharma	cinacalcet	30/01/2020	NO	Equivalente di Mimpara
Indicazione terapeutica*: iperparatiroidismo secondario, carcinoma paratiroideo e iperparatiroidismo primario negli adulti. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>				

J-Antinfettivi a uso sistemico				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Tigeciclina Accord	tigeciclina	27/02/2020	NO	Equivalente di Tygacil
	Indicazione terapeutica: Tigeciclina Accord è indicato negli adulti e nei bambini a partire dagli otto anni di età per il trattamento delle seguenti infezioni: - infezioni complicate della cute e dei tessuti molli (cSSTI), escluse le infezioni del piede diabetico; - infezioni complicate intra-addominali (cIAI). Tigeciclina Accord deve essere utilizzato soltanto nei casi in cui altri antibiotici alternativi non siano adeguati.			
L-Farmaci antineoplastici e immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Triossido di Arsenico Medac	triossido di arsenico	23/07/2020	NO	Equivalente di Trisenox
	Indicazione terapeutica: Triossido di arsenico medac è indicato per l'induzione della remissione e come terapia di consolidamento in pazienti adulti affetti da: leucemia promielocitica acuta (LPA) di nuova diagnosi a rischio basso/intermedio (conta leucocitaria $\leq 10 \times 10^3/\mu\text{l}$) in associazione ad acido all-trans retinoico (ATRA), LPA recidivata/refrattaria (il trattamento precedente deve aver incluso un retinoide e chemioterapia), caratterizzata dalla presenza della traslocazione t (15;17) e/o dalla presenza del gene leucemia promielocitica/recettore alfa dell'acido retinoico (PML/RAR α). Il tasso di risposta a triossido di arsenico di altri sottotipi di leucemia mieloide acuta non è stato esaminato.			
Triossido di Arsenico Mylan	triossido di arsenico	30/01/2020	NO	Equivalente di Trisenox
	Indicazione terapeutica: Arsenico triossido Mylan è indicato per l'induzione della remissione e come terapia di consolidamento in pazienti adulti affetti da: - leucemia promielocitica acuta (LPA) di nuova diagnosi a rischio basso/intermedio (conta leucocitaria $\leq 10 \times 10^3/\mu\text{L}$) in combinazione con acido all-trans retinoico (ATRA); - leucemia promielocitica acuta (LPA) recidivata/refrattaria (il trattamento precedente deve aver incluso un retinoide e chemioterapia caratterizzata dalla presenza della traslocazione t(15;17) e/o dalla presenza del gene leucemia promielocitica/recettore alfa dell'acido retinoico (PML/RAR-alfa). Il tasso di risposta al triossido di arsenico di altri sottotipi di leucemia mieloide acuta non è stato esaminato.			
Azacitidina Betapharm	azacitidina	30/01/2020	NO	Equivalente di Vidaza
	Indicazione terapeutica: Azacitidina betapharm è indicato per il trattamento di pazienti adulti non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) con:			

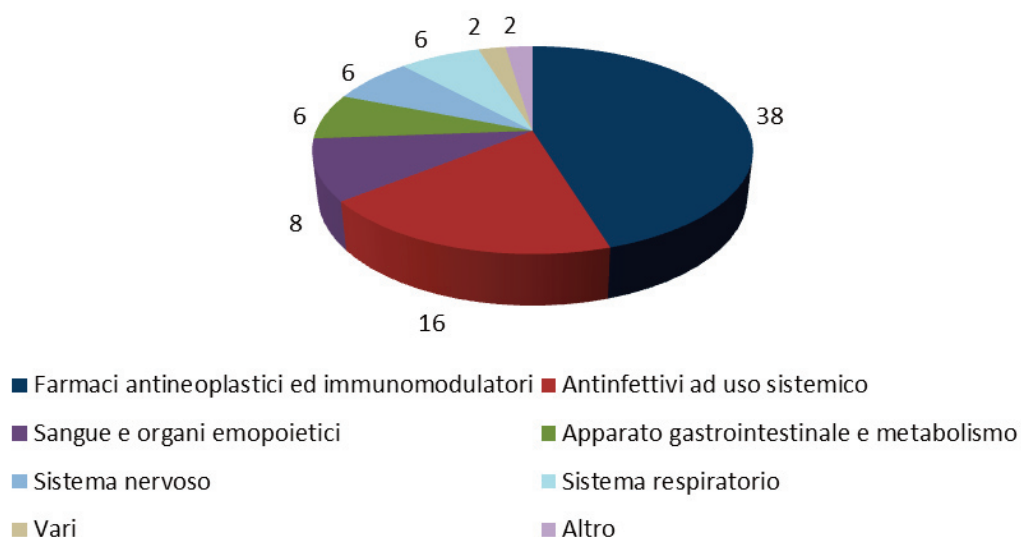
	- sindromi mielodisplastiche (SMD) a rischio intermedio 2 e alto secondo l'International; - Prognostic Scoring System (IPSS); - leucemia mielomonocitica cronica (LMMC) con blasti midollari tra il 10 % e il 29 % senza disordine mieloproliferativo; - leucemia mieloide acuta (LMA) con blasti dal 20 % al 30 % e displasia multilineare, secondo la classificazione dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS); - LMA con blasti midollari > 30 % secondo la classificazione dell'OMS.			
Azacitidina Mylan	azacitidina	30/01/2020	NO	Equivalente di Vidaza
	Indicazione terapeutica: Azacitidina Mylan è indicato per il trattamento di pazienti adulti non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) con: - sindromi mielodisplastiche (SMD) a rischio intermedio 2 e alto secondo l'International Prognostic Scoring System (IPSS); - leucemia mielomonocitica cronica (LMMC) con il 10-29% di blasti midollari senza disordine mieloproliferativo; - leucemia mieloide acuta (LMA) con 20-30% di blasti e displasia multilineare, secondo la classificazione dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS); - LMA con blasti midollari >30% secondo la classificazione dell'OMS.			
Fingolimod Accord	fingolimod	30/04/2020	NO	Equivalente di Gilenya
	Indicazione terapeutica: Fingolimod Accord è indicato in monoterapia, come farmaco modificante la malattia, nella sclerosi multipla recidivante-remittente ad elevata attività nei seguenti gruppi di pazienti adulti e di pazienti pediatriche di 10 anni di età e oltre: - pazienti con malattia ad elevata attività nonostante un ciclo terapeutico completo e adeguato con almeno una terapia modificante la malattia, oppure - pazienti con sclerosi multipla recidivante-remittente severa ad evoluzione rapida, definita da due o più recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o più lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto a una precedente RM effettuata di recente.			
Lenalidomide Krka	lenalidomide	10/12/2020	NO	Equivalente di Revlimid
	Indicazione terapeutica*: mieloma multiplo, linfoma follicolare. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Lenalidomide Krka d.d.	lenalidomide	10/12/2020	NO	Equivalente di Revlimid
	Indicazione terapeutica*: mieloma multiplo, linfoma follicolare, sindromi mielodisplastiche. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Lenalidomide Krka d.d. Novo mesto	lenalidomide	10/12/2020	NO	Equivalente di Revlimid
	Indicazione terapeutica*: mieloma multiplo, linfoma follicolare, linfoma a cellule mantellari, sindromi mielodisplastiche. <i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			

Lenalidomide Mylan	lenalidomide	15/10/2020	NO	Equivalente di Revlimid
	Indicazione terapeutica*: mieloma multiplo, linfoma follicolare.			
	<i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
Sunitinib Accord	sunitinib	10/12/2020	NO	Equivalente di Sutent
	Indicazione terapeutica*: tumore stromale del tratto gastrointestinale (GIST) (GIST), carcinoma renale metastatico (MRCC), tumori neuroendocrini pancreatici (pNET).			
	<i>*L'indicazione terapeutica riportata è stata abbreviata, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR.</i>			
N-Sistema nervoso				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Fampridina Accord	fampridina	23/07/2020	NO	Equivalente di Fampyra
	Indicazione terapeutica: Fampridina Accord è indicato per il miglioramento della deambulazione nei pazienti adulti affetti da sclerosi multipla con disabilità della deambulazione (EDSS 4-7).			

Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

Figura 1.10 Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati con parere positivo di EMA nel 2020, divisi per ATC.

Totale: 84 nuove indicazioni



Nella figura 1.10 è illustrata la categorizzazione delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati approvate nel 2020 secondo il sistema di classificazione ATC. Il maggior numero di nuove indicazioni terapeutiche appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 45,2% del totale delle nuove indicazioni terapeutiche autorizzate nel 2020 (n=38). Seguono, in ordine decrescente, le nuove indicazioni terapeutiche appartenenti alle categorie ATC J (antinfettivi a uso sistemico) e B (sangue e organi emopoietici), pari rispettivamente al 19% (n=16) e al 9,5% (n=8) del totale. Le categorie ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo), N (sistema nervoso) e R (sistema respiratorio) sono rappresentate da 6 nuove indicazioni terapeutiche per ciascuna categoria, pari al 7,1% del totale per la singola categoria ATC. Meno numerose sono, invece, le nuove indicazioni terapeutiche appartenenti ad altre categorie ATC. L'elenco completo delle nuove indicazioni terapeutiche è riportato nella tabella 1.6.

Tabella 1.6 Elenco delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2020, divise per ATC (le modifiche alle indicazioni terapeutiche già autorizzate sono evidenziate in grassetto e/o con testo barrato).

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Edistride	dapagliflozin	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Edistride è indicato negli adulti per il trattamento dell'insufficienza cardiaca cronica sintomatica con frazione di eiezione ridotta.	
Forxiga	dapagliflozin	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Forxiga è indicato negli adulti per il trattamento dell'insufficienza cardiaca cronica sintomatica con frazione di eiezione ridotta.	
Invokana	canagliflozin	28/05/2020
	Indicazione terapeutica: Invokana è indicato per il trattamento di pazienti adulti con diabete mellito di tipo 2 non sufficientemente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico: - come monoterapia quando la metformina è considerata inappropriata a causa di intolleranza o controindicazioni; - in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete. Per i risultati degli studi relativi all'associazione di terapie, agli effetti sul controllo glicemico, agli eventi cardiovascolari e renali e alle popolazioni studiate.	
Jorveza	budesonide	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: mantenimento della remissione dell'esofagite eosinofila (EE) negli adulti.	
Orfadin	nitisinone	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Orfadin è indicato per il trattamento di pazienti adulti con alcaptonuria (AKU).	
Suliqua	insulin glargine/lixisenatide	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: Suliqua è indicato per il trattamento degli adulti affetti da diabete mellito di tipo 2 non adeguatamente controllato per migliorare il controllo glicemico in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico, in associazione con metformina con o senza inibitori del SGLT-2.	
B-Sangue e organi emopoietici		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Doptelet	avatrombopag	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: Doptelet è indicato per il trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline).	
Iscover	clopidogrel	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: In pazienti con attacco ischemico transitorio (TIA) a rischio da moderato ad alto o ictus ischemico minore (IS)	

	Clopidogrel in associazione con ASA è indicato in: - Pazienti adulti con TIA a rischio da moderato ad alto (punteggio ABCD2 ≥ 4) o IS minore (NIHSS ≤ 3) entro 24 ore dall'evento TIA o IS.	
NovoThirteen	catridecacog	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: profilassi a lungo termine delle emorragie in pazienti con deficit congenito della subunità A del fattore XIII. Trattamento di episodi emorragici intercorrenti durante la profilassi regolare. NovoThirteen può essere usato in pazienti di tutte le età.	
Nplate	romiplostim	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: Adulti: Nplate è indicato per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) in pazienti adulti che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline). Pazienti pediatrici: Nplate è indicato per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) cronica in pazienti pediatrici, a partire da un anno di età, che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	
Plavix	clopidogrel	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: In pazienti con attacco ischemico transitorio (TIA) a rischio da moderato ad alto o ictus ischemico minore (IS) Clopidogrel in associazione con ASA è indicato in: - Pazienti adulti con TIA a rischio da moderato ad alto (punteggio ABCD2 ≥ 4) o IS minore (NIHSS ≤ 3) entro 24 ore dall'evento TIA o IS.	
Pradaxa	dabigatran etexilate	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento di episodi tromboembolici venosi (TEV) e prevenzione di TEV ricorrente in pazienti pediatrici dalla nascita a meno di 18 anni di età.	
Ruconest	conestat alfa	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: Ruconest è indicato nel trattamento degli attacchi acuti di angioedema in adulti, adolescenti e bambini (di età pari o superiore a 2 anni) con angioedema ereditario (HAE) secondario a deficienza dell'inibitore dell'esterasi C1.	
Xarelto	rivaroxaban	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento del tromboembolismo venoso (TEV) e prevenzione delle recidive di TEV nei neonati a termine, lattanti, bambini e adolescenti di età inferiore a 18 anni dopo almeno 5 giorni di trattamento anticoagulante parenterale iniziale. Trattamento del tromboembolismo venoso (TEV) e prevenzione delle recidive di TEV nei bambini e negli adolescenti di età inferiore a 18 anni e peso compreso tra 30 kg e 50 kg dopo almeno 5 giorni di trattamento anticoagulante parenterale iniziale.	

D-Dermatologici		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Dupixent	dupilumab	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Dermatite atopica</u> Adulti e adolescenti Dupixent è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a grave, negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni eleggibili per la terapia sistemica. Bambini di età compresa tra 6 e 11 anni Dupixent è indicato per il trattamento della dermatite atopica grave nei bambini di età compresa tra 6 e 11 anni eleggibili per la terapia sistemica.	
J-Antinfettivi a uso sistemico		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Deltyba	delamanid	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Deltyba è indicato per l'uso nell'ambito di un'opportuna terapia di associazione per la tubercolosi polmonare multi-resistente ai farmaci (MDR-TB) nei pazienti in adulti, adolescenti e bambini con peso corporeo di almeno 30 kg , quando non è altrimenti possibile istituire un regime terapeutico efficace per ragioni di resistenza o di tollerabilità.	
Ecalta	anidulafungin	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento delle candidiasi invasive in pazienti adulti e pediatrici di età compresa tra 1 mese e < 18 anni .	
Epclusa	sofosbuvir/velpatasvir	25/06/2020
	Indicazione terapeutica: Epclusa è indicato per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite C cronica (<i>hepatitis C virus</i> , HCV) nei pazienti adulti di età pari o superiore a 6 anni e con un peso di almeno 17 kg .	
Flucelvax Tetra	Vaccino antinfluenzale (antigene di superficie, inattivato, prodotto in colture cellulari)	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Profilassi dell'influenza negli adulti e nei bambini a partire dall'età di 9 2 anni.	
Harvoni	sofosbuvir	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Harvoni è indicato per il trattamento dell'epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) in pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 3 anni .	
HyQvia	Immunoglobulina umana normale	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: HyQvia è indicato per la terapia sostitutiva negli adulti, nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 0 e 18 anni per il trattamento di: • Sindromi da immunodeficienza primaria con compromissione della produzione di anticorpi.	

	• Immunodeficienze secondarie (SID) in pazienti con infezioni severe o ricorrenti, trattamento antimicrobico inefficace e documentato difetto di anticorpi specifici (PSAF, proven specific antibody failure)* o livello sierico di IgG < 4 g/l. *PSAF = mancato aumento di almeno 2 volte del titolo anticorpale IgG in risposta ai vaccini con antigeni polisaccaridici e polipeptidici di pneumococco.	
Intelence	etravirine	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: Intelence in associazione a un Inibitore della Proteasi potenziato e ad altri antiretrovirali, è indicato nel trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di Tipo 1 (HIV-1), in pazienti adulti precedentemente trattati con antiretrovirali e in pazienti pediatrici dai 6-2 anni di età precedentemente trattati con antiretrovirali.	
Prezista	darunavir	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Prezista, co-somministrato con cobicistat, è indicato in associazione con altre terapie antiretrovirali per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana (HIV-1) in adulti e adolescenti (di almeno 12 anni di età, di peso corporeo pari o superiore a 40 kg).	
Recarbrio	imipenem/cilastatin /relebactam	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Recarbrio è indicato per: - Trattamento della polmonite acquisita in ospedale (HAP), compresa polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP), negli adulti. - Trattamento della batteriemia che si manifesta in associazione o che si sospetta sia associata a HAP o VAP, negli adulti.	
Rezolsta	darunavir/cobicistat	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: Rezolsta è indicato in associazione con altri farmaci antiretrovirali per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana-1 (HIV-1) in adulti e adolescenti (di almeno 12 anni di età, con peso pari o superiore a 40 kg). L'analisi del genotipo deve essere una guida per l'utilizzo di REZOLSTA.	
Shingrix	Vaccino per l'herpes zoster (ricombinante, adiuvato)	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Shingrix è indicato per la prevenzione dell'herpes zoster (HZ) e della nevralgia post-erpetica (PHN), in: -adulti di età pari o superiore a 50 anni -adulti di età pari o superiore a 18 anni ad aumentato rischio di HZ.	
Sivextro	tedizolid fosfato	30/05/2020
	Indicazione terapeutica: Sivextro è indicato per il trattamento di infezioni batteriche acute della pelle e della struttura cutanea (ABSSSI) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni.	
Sovaldi	ledipasvir/sofosbuvir	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Sovaldi è indicato in associazione ad altri medicinali per il trattamento dell'epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) negli adulti e nei pazienti pediatrici di età pari o superiore a 3 anni.	

Tivicay	dolutegravir	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: Tivicay è indicato in associazione con altri medicinali antiretrovirali per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana (HIV) negli adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 4 settimane e di peso corporeo di almeno 3 kg.	
Zavicefta	ceftazidime/avibactam	25/06/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento dei pazienti con batteriemia che si verifica o che si sospetta si verifichi in associazione a qualsiasi delle infezioni sopraelencate.	
Zavicefta	ceftazidime/avibactam	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Zavicefta è indicato negli adulti, nei pazienti pediatrici di età pari o superiore a 3 mesi per il trattamento delle seguenti infezioni: - infezione intra-addominale complicata (cIAI) - infezione complicata del tratto urinario (cUTI), inclusa pielonefrite - polmonite acquisita in ospedale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP). Trattamento dei pazienti con batteriemia che si verifica o che si sospetta si verifichi in associazione a qualsiasi delle infezioni sopraelencate. Zavicefta è inoltre indicato per il trattamento di infezioni causate da microrganismi Gram-negativi aerobi in adulti e nei pazienti pediatrici di età pari o superiore a 3 mesi nei quali vi siano opzioni terapeutiche limitate.	
L-Farmaci antineoplastici e immunomodulatori		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Adcetris	brentuximab vedotin	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: Adcetris è indicato in combinazione con ciclofosfamide, doxorubicina e prednisone (CHP) per pazienti adulti non precedentemente trattati affetti da linfoma anaplastico a grandi cellule sistemico (sALCL).	
Alunbrig	brigatinib	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: Alunbrig è indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (<i>non-small cell lung cancer</i> , NSCLC) positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (<i>anaplastic lymphoma kinase</i> , ALK) in stadio avanzato, precedentemente non trattati con un inibitore di ALK.	
Ameluz	acido 5-aminolevulinico	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento della cheratosi attinica di severità da lieve a moderata su viso e cuoio capelluto (grado Olsen da 1 a 2) e della cancerizzazione di campo negli adulti. Trattamento del carcinoma basocellulare superficiale e/o nodulare non adatto al trattamento chirurgico a causa di possibile morbidità correlata al trattamento e/o a un insoddisfacente risultato cosmetico negli adulti.	
Bavencio	avelumab	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: Bavencio è indicato in monoterapia per il trattamento di mantenimento di prima linea di pazienti adulti affetti da	

	carcinoma uroteliale (urothelial carcinoma, UC) localmente avanzato o metastatico senza progressione dopo chemioterapia a base di platino.	
Blinicyto	blinatumomab	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Blincyto è indicato in monoterapia per il trattamento di adulti con leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B, recidivante o refrattaria, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia . I pazienti con LLA da precursori delle cellule B positiva per il cromosoma Philadelphia devono non aver risposto al trattamento con almeno 2 inibitori della tirosin chinasi (TKI) e non devono avere opzioni di trattamento alternative.	
Braftovi	encorafenib	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Encorafenib è indicato: -in associazione con cetuximab per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma metastatico del colon retto (CRC) positivo alla mutazione BRAF V600E, che hanno ricevuto precedente terapia sistemica.	
Carmustine Obvius	carmustina	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: - come trattamento di condizionamento precedente a trapianto di cellule progenitrici ematopoietiche autologhe (HPTC) in patologie ematologiche maligne (malattia di Hodgkin / linfoma non Hodgkin).	
Cosentyx	secukinumab	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Spondiloartrite assiale non radiografica (nr-axSpA)</u> Cosentyx è indicato per il trattamento della spondiloartrite assiale non radiografica attiva con segni oggettivi di infiammazione come indicato da elevati livelli di proteina C reattiva (CRP) e / o da immagini di risonanza magnetica (MRI) in adulti con risposta inadeguata a farmaci antiinfiammatori non steroidei (FANS).	
Cosentyx	secukinumab	25/06/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Psoriasi a placche in pazienti pediatrici</u> Cosentyx è indicato per il trattamento della psoriasi a placche di grado da moderato a severo in bambini e adolescenti a partire dai 6 anni di età che sono candidati alla terapia sistemica.	
Humira	adalimumab	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Colite ulcerosa pediatrica</u> Humira è indicato per il trattamento della colite ulcerosa attiva di grado da moderato a severo nei pazienti pediatrici (dai 6 anni di età) che hanno avuto una risposta inadeguata alla terapia convenzionale, inclusi corticosteroidi e/o 6-mercaptopurina (6-MP) o azatioprina (AZA), o che sono intolleranti o hanno controindicazioni mediche per tali terapie.	
Imbruvica	ibrutinib	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Imbruvica in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma mantellare (MCL) recidivato o refrattario. Imbruvica in monoterapia o in combinazione con rituximab oppure obinutuzumab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfocitica cronica (CLL) precedentemente non trattata.	

	Imbruvica in monoterapia o in associazione a bendamustina e rituximab (BR) è indicato per il trattamento di pazienti adulti con CLL che hanno ricevuto almeno una precedente terapia. Imbruvica in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con macroglobulinemia di Waldenström (WM) che hanno ricevuto almeno una precedente terapia, o in prima linea per i pazienti per i quali una chemio-immunoterapia non è appropriata. Imbruvica in combinazione con rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con WM.	
Imfinzi	durvalumab	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Imfinzi in combinazione con etoposide e carboplatino o cisplatino è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC).	
Keytruda	pembrolizumab	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma metastatico del colon retto con elevata instabilità dei microsatelliti (MSI H, microsatellite instability high) o con deficit di riparazione del mismatch (dMMR, mismatch repair deficient) negli adulti.	
Kineret	anakinra	26/03/2020
	Indicazione terapeutica: Febbre mediterranea familiare (FMF) Kineret è indicato per il trattamento della febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Kineret deve essere somministrato in associazione con colchicina.	
Kyprolis	carfilzomib	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: Kyprolis in associazione e con daratumumab e desametasone, con lenalidomide e desametasone o con solo desametasone è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo già sottoposti ad almeno una precedente terapia.	
Lynparza	olaparib	28/05/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Adenocarcinoma del pancreas</u> Lynparza è indicato in monoterapia per il trattamento di mantenimento di pazienti adulti con adenocarcinoma metastatico del pancreas e con mutazioni nella linea germinale di BRCA1/2 che non hanno avuto una progressione di malattia dopo un minimo di 16 settimane di trattamento a base di platino in un regime chemioterapico di prima linea.	
Lynparza	olaparib	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Lynparza in associazione con bevacizumab è indicato per il trattamento di mantenimento di pazienti adulte con cancro epiteliale dell'ovaio di alto grado avanzato (stadi III e IV secondo FIGO), cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo, in risposta (completa o parziale) dopo completamento della chemioterapia di prima linea a base di platino in associazione con bevacizumab e il cui tumore presenti un deficit di ricombinazione omologa (homologous	

	recombination deficiency, HRD), definito dalla presenza di una mutazione BRCA1/2 e/o di instabilità genomica.	
Lynparza	olaparib	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Cancro della prostata Lynparza è indicato, in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con cancro della prostata metastatico resistente alla castrazione e con mutazioni nei geni BRCA1/2 (mutazione nella linea germinale e/o mutazione somatica), in progressione dopo precedente trattamento che includeva un nuovo agente ormonale.	
MabThera	rituximab	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: MabThera in associazione con glucocorticoidi è indicato per l'induzione della remissione in pazienti pediatrici (di età ≥ 2 e < 18 anni) con GPA (di Wegener) e MPA attiva di grado grave.	
MabThera	rituximab	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: MabThera in associazione a chemioterapia è indicato per il trattamento di pazienti pediatrici (di età compresa tra ≥ 6 mesi e < 18 anni) con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) CD20 positivo, linfoma di Burkitt (BL)/leucemia di Burkitt (leucemia acuta a cellule B mature; BAL) o linfoma similBurkitt (BLL) in stadio avanzato precedentemente non trattato.	
Nordimet	methotrexate	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: induzione della remissione nella malattia di Crohn moderata, steroide-dipendente, nei pazienti adulti, in combinazione con corticosteroidi e per il mantenimento della remissione, come monoterapia, nei pazienti che hanno risposto al metotrexato.	
Ofev	nintedanib	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: Ofev è indicato negli adulti per il trattamento della malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD).	
Ofev	nintedanib	28/05/2020
	Indicazione terapeutica: Ofev è inoltre indicato negli adulti per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo.	
Olumiant	baricitinib	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Dermatite Atopica</u> Olumiant è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a severa in pazienti adulti che sono candidati a una terapia sistemica.	
Opdivo	nivolumab	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Opdivo in associazione ad ipilimumab e 2 cicli di chemioterapia a base di platino è indicato per il trattamento in prima linea del carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico negli adulti il cui tumore non esprime mutazioni per EGFR o traslocazioni di ALK.	

Opdivo	nivolumab	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Carcinoma dell'esofago istotipo squamoso (OSCC)</u> Opdivo è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma dell'esofago istotipo squamoso, avanzato non resecabile, ricorrente o metastatico dopo precedente chemioterapia di combinazione a base di fluoropirimidina e platino.	
Otezla	apremilast	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Malattia di Behçet</u> Otezla è indicato per il trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate alla malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica.	
Remsima	infliximab	25/06/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Malattia di Crohn negli adulti</u> Remsima è indicato per: - il trattamento della malattia di Crohn in fase attiva, di grado da moderato a severo, in pazienti adulti che non abbiano risposto nonostante un trattamento completo e adeguato con corticosteroidi e/o immunosoppressori; o in pazienti che non tollerano o che presentano controindicazioni mediche per le suddette terapie. - il trattamento della malattia di Crohn fistolizzante in fase attiva, in pazienti adulti che non abbiano risposto nonostante un ciclo di terapia completo e adeguato con trattamento convenzionale (inclusi antibiotici, drenaggio e terapia immunosoppressiva). <u>Colite ulcerosa</u> Remsima è indicato per il trattamento della colite ulcerosa in fase attiva, di grado da moderato a severo, in pazienti adulti che non hanno risposto in modo adeguato alla terapia convenzionale inclusi corticosteroidi e 6-mercaptopurina (6-MP) o azatioprina (AZA), o che risultano intolleranti o presentano una controindicazione medica a queste terapie. <u>Spondilite anchilosante</u> Remsima è indicato per il trattamento della spondilite anchilosante severo in fase attiva in pazienti adulti che non hanno risposto in modo adeguato alle terapie convenzionali. <u>Artrite psoriasica</u> Remsima è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica attiva e progressiva in pazienti adulti qualora la risposta a precedenti trattamenti con DMARD sia stata inadeguata. Remsima deve essere somministrato: - in associazione con metotrexato - o singolarmente in pazienti che risultano intolleranti al metotrexato o per i quali esso sia controindicato. Infliximab ha mostrato di migliorare la funzione fisica in pazienti con artrite psoriasica e di ridurre il tasso di progressione del danno alle articolazioni periferiche, misurato con i raggi X in pazienti con sottotipi simmetrici poliarticolari della malattia. <u>Psoriasi</u> Remsima è indicato per il trattamento della psoriasi a placche di grado da moderato a severo nei pazienti adulti che non hanno risposto o per i	

	quali siano controindicati o sono risultati intolleranti ad altri trattamenti sistemici inclusi la ciclosporina, il metotrexato o lo psoralene ultravioletto A (PUVA).	
Rinvoq	upadacitinib	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Artrite psoriasica</u> Rinvoq è indicato nel trattamento dell'artrite psoriasica attiva nei pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o che sono intolleranti a uno o più DMARD. Rinvoq può essere somministrato in monoterapia o in associazione con metotrexato.	
Rinvoq	upadacitinib	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Spondilite anchilosante</u> RINVOQ è indicato nel trattamento della spondilite anchilosante attiva nei pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata alla terapia convenzionale.	
Taltz	ixekizumab	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Spondiloartrite assiale</u> Spondilite anchilosante (spondiloartrite assiale radiografica) Taltz è indicato per il trattamento della spondilite anchilosante attiva in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata alla terapia convenzionale. <u>Spondiloartrite assiale non radiografica</u> Taltz è indicato per il trattamento della spondiloartrite assiale non radiografica attiva, con segni obiettivi di infiammazione come indicato da valori elevati di proteina C reattiva (PCR) e/o evidenza alla risonanza magnetica (RM), in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata ai farmaci anti-infiammatori non steroidei (FANS).	
Taltz	ixekizumab	28/05/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Psoriasi a placche pediatrica</u> Taltz è indicato per il trattamento della psoriasi a placche di grado da moderato a severo in bambini a partire da 6 anni di età e con un peso corporeo di almeno 25 kg e in adolescenti che sono candidati a una terapia sistemica.	
Tecentriq	atezolizumab	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Carcinoma epatocellulare</u> Tecentriq, in associazione a bevacizumab, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma epatocellulare (<i>hepatocellular carcinoma</i> , HCC) avanzato o non resecabile non sottoposti a precedente terapia sistemica.	
Tremfya	guselkumab	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Artrite psoriasica</u> Tremfya, da solo o in associazione a metotrexato (MTX), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica attiva in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o che hanno mostrato intolleranza a una precedente terapia con farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARD).	

Ultomiris	ravulizumab	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Ultomiris è indicato nel trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno 3 mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab.	
Venclyxto	venetoclax	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: Venclyxto in combinazione con obinutuzumab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfatica cronica (CLL – chronic lymphocytic leukaemia) non trattati in precedenza.	
Yervoy	ipilimumab	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Yervoy in associazione a nivolumab e due cicli di chemioterapia a base di platino è indicato per il trattamento in prima linea del carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico negli adulti il cui tumore non esprime mutazione per EGFR o traslocazioni di ALK.	
Zejula	niraparib	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Zejula è indicato come monoterapia per il trattamento di mantenimento di pazienti adulte con carcinoma ovarico epiteliale avanzato (stadio FIGO III e IV), carcinoma delle tube di Falloppio o carcinoma peritoneale primario, di grado elevato, che stiano rispondendo (risposta completa o parziale) alla chemioterapia di prima linea a base di platino.	
M-Sistema muscolo-scheletrico		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Crysvita	burosumab	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Crysvita è indicato per il trattamento dell’ipofosfatemia X-linked (XLH) nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 1 e 17 anni con evidenza radiografica di malattia ossea, e negli adulti .	
N-Sistema nervoso		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Fycompa	perampanel	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Fycompa (perampanel) è indicato per il trattamento aggiuntivo di: - crisi epilettiche parziali (partial-onset seizures, POS) con o senza generalizzazione secondaria, in pazienti con età pari o superiore a 4 anni; - crisi tonico-cloniche generalizzate primarie (primary generalised tonic-clonic, PGTC), in pazienti di età pari o superiore a 7 anni affetti da epilessia generalizzata idiopatica (idiopathic generalised epilepsy, IGE).	

Lacosamide UCB	lacosamide	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Lacosamide UCB è indicato come terapia aggiuntiva: - nel trattamento delle crisi ad esordio parziale con o senza generalizzazione secondaria in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 4 anni di età con epilessia; - nel trattamento delle crisi tonico-cloniche generalizzate primarie (PGTCS) in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 4 anni di età con epilessia generalizzata idiopatica.	
Latuda	lurasidone	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Latuda è indicato per il trattamento della schizofrenia negli adulti e negli adolescenti a partire dai 13 anni di età.	
Spravato	esketamine	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: Spravato, in combinazione con una terapia antidepressiva orale, è indicato negli adulti con un episodio da moderato a grave di disturbo depressivo maggiore, come trattamento acuto di breve termine, per la rapida riduzione dei sintomi depressivi, che in base al giudizio clinico costituiscono una emergenza psichiatrica.	
Vimpat	lacosamide	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: Vimpat è indicato come terapia aggiuntiva: - nel trattamento delle crisi ad esordio parziale con o senza generalizzazione secondaria in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 4 anni di età con epilessia; - nel trattamento delle crisi tonico-cloniche generalizzate primarie (PGTCS) in adulti, adolescenti e bambini a partire dai 4 anni di età con epilessia generalizzata idiopatica.	
Xyrem	sodio oxibato	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: Trattamento della narcolessia con cataplessia in pazienti adulti, adolescenti e bambini a partire dall'età di 7 anni.	
R-Sistema respiratorio		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Kalydeco	ivacaftor	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: Kalydeco compresse è indicato: -In monoterapia per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 anni e di peso pari o superiore a 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene per il regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R. -In un regime di associazione con tezacaftor 100 mg/ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del o eterozigoti per la mutazione F508del e che presentano una delle seguenti mutazioni nel gene CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G e 3849+10kbC→T.	

	Kalydeco granulato è indicato per il trattamento di bambini di almeno 6 mesi di età e con peso corporeo da 5 kg a meno di 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.	
Kalydeco	ivacaftor	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: Kalydeco compresse è indicato: - In monoterapia per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 anni e di peso pari o superiore a 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene per il regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R. - In un regime di associazione con tezacaftor 100 mg/ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del o eterozigoti per la mutazione F508del e che presentano una delle seguenti mutazioni nel gene CFTR: P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G e 3849+10kbC→T. - In un regime di associazione con ivacaftor 75 mg/tezacaftor 50 mg/elexacaftor 100 mg compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica (FC), omozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR o eterozigoti per la mutazione F508del nel gene CFTR con una mutazione a funzione minima (MF).	
Kalydeco	ivacaftor	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Kalydeco granulato è indicato per il trattamento di bambini di almeno 6 mesi 4 mesi di età e con peso corporeo da 5 kg a meno di 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.	
Symkevi	tezacaftor/ivacaftor	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Symkevi è indicato in un regime di associazione con ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento di pazienti affetti da fibrosi cistica (FC) di età pari e superiore a 6 12 anni, omozigoti per la mutazione F508del o eterozigoti per la mutazione F508del e che presentano una delle seguenti mutazioni nel gene per il regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR): P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G e 3849+10kbC→T.	
Trimbow	beclometasone dipropionato/formoterolo fumarato diidrato /glicopirronio	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: <u>Asma</u> Terapia di mantenimento dell'asma in pazienti adulti per i quali l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e una dose	

	media di corticosteroidi inalatori non consenta un controllo adeguato, e che abbiano manifestato una o più esacerbazioni dell'asma nell'anno precedente.	
Xolair	omalizumab	25/06/2020
	Indicazione terapeutica: Rinosinusite cronica con polipi nasali (CRSwNP) Xolair è indicato come terapia aggiuntiva ai corticosteroidi intranasali per il trattamento di adulti (età pari o superiore a 18 anni) con CRSwNP grave per i quali la terapia con i corticosteroidi intranasali non fornisce un controllo adeguato della malattia.	
V-Vari		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Tybost	cobicistat	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: Tybost è indicato come potenziatore farmacocinetico di atazanavir 300 mg una volta al giorno o darunavir 800 mg una volta al giorno come parte integrante di una terapia antiretrovirale di associazione in adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni affetti da virus dell'immunodeficienza umana 1 (HIV-1): • di almeno 35 kg di peso trattati in concomitanza con atazanavir o • di almeno 40 kg di peso trattati in concomitanza con darunavir.	
Velphoro	ferro	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: Velphoro è indicato per il controllo dei livelli ematici di fosforo in pazienti pediatrici di età pari o superiore ai 2 anni affetti da malattia renale cronica (MRC), allo stadio 4-5 (definita da un tasso di filtrazione glomerulare <30 mL/min/1,73 m²) o con MRC che si sottopongono a emodialisi.	

Parte II

Medicinali autorizzati nel triennio 2018-2020

Analisi dei medicinali autorizzati nel triennio 2018-2020

Nuovi medicinali

Nel corso del triennio 2018-2020, 192 nuovi medicinali hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA (sono esclusi i farmaci contenenti sostanze attive note, medicinali contenenti combinazioni a dose fissa di sostanze attive note, farmaci ibridi e medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione di consenso informato). La figura 2.1 mostra il numero di nuovi medicinali autorizzati per anno (69 nel 2018, 51 nel 2019, 72 nel 2020), riconducibili alle seguenti tipologie: medicinali orfani, medicinali non orfani, medicinali biosimilari, medicinali equivalenti, medicinali per terapie avanzate (ATMP). Nel triennio è possibile notare un andamento costante del numero di medicinali autorizzati per anno, con un andamento decrescente solo per l'anno 2019. La figura 2.2 illustra la percentuale annua sul totale dei farmaci autorizzati per tipologia. Complessivamente nell'ultimo triennio si riscontra il delinearsi di un trend in aumento per i medicinali orfani, mentre risulta stabile o con lievi variazioni il trend per i medicinali non orfani, i medicinali equivalenti, i medicinali biosimilari e le ATMP.

Figura 2.1 Medicinali con parere positivo di EMA nel triennio 2018-2020, divisi per tipologia e anno.

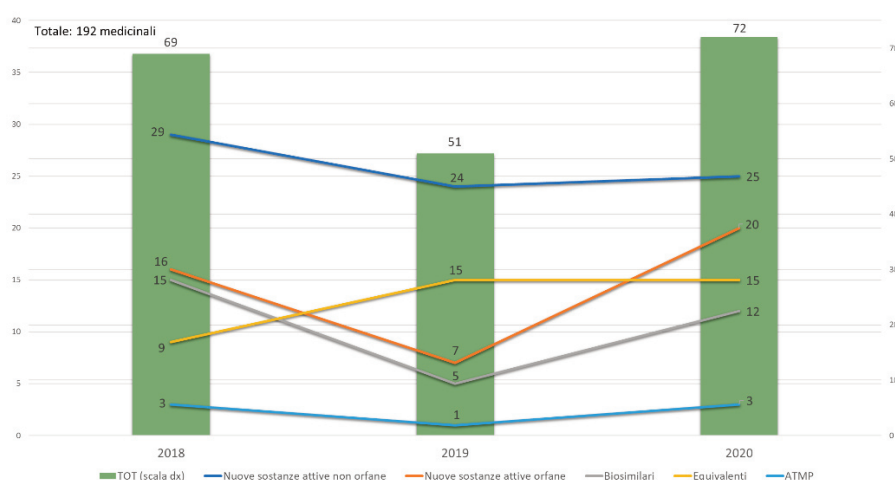
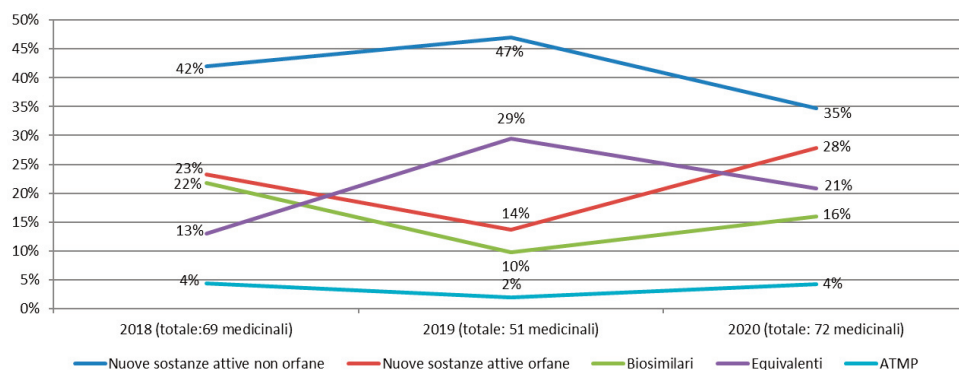
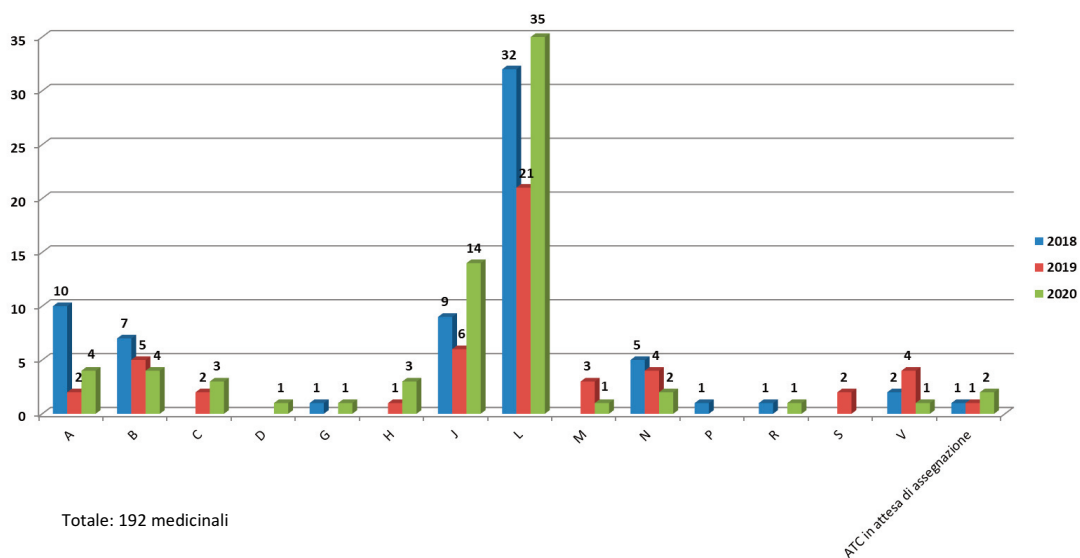


Figura 2.2 Trend dei medicinali con parere positivo di EMA nel triennio 2018-2020, divisi per tipologia e anno.



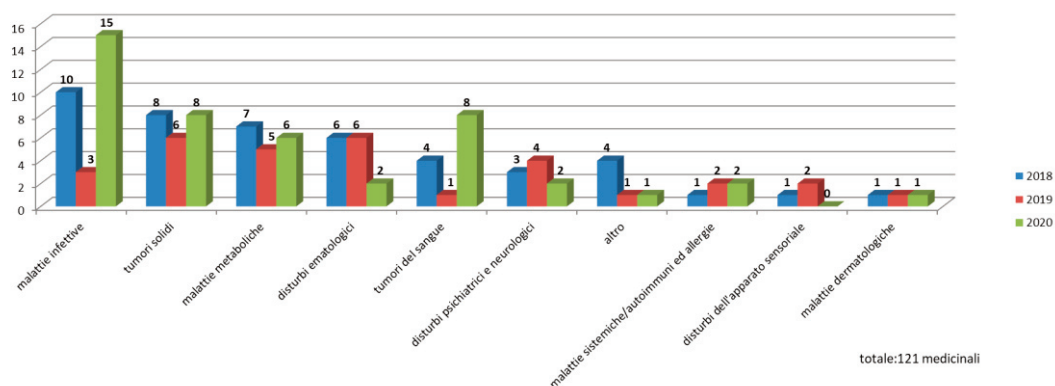
Nella figura 2.3 è illustrata la categorizzazione dei medicinali approvati nel triennio 2018-2020 secondo il sistema di classificazione ATC. Dalla figura si evince il primato dei farmaci antineoplastici e immunomodulatori, appartenenti al gruppo ATC L, che rappresentano il 45,8% del totale dei medicinali autorizzati nel triennio di riferimento (n=88). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali della categoria ATC J (antinfettivi a uso sistemico) pari al 15,1% del totale (n=29) e delle categorie ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e B (sangue e sistema emopoietico), che rappresentano singolarmente l'8,3% del totale (n=16, per ciascuna categoria). I medicinali della categoria ATC N (sistema nervoso) costituiscono il 5,7% del totale (n=11). Le restanti categorie ATC sono rappresentate da un numero minore di farmaci autorizzati nel triennio, che va da un minimo di 1 a un massimo di 7, rispettivamente pari allo 0,5% e al 3,6% del totale.

Figura 2.3 Medicinali con parere positivo di EMA nel triennio 2018-2020, divisi per ATC e anno.



Escludendo dall'analisi del triennio di riferimento i biosimilari (n=32) e gli equivalenti (n=39) approvati (per un totale di 71 medicinali), sono 121 i medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ottenuto parere positivo dell'EMA nel triennio 2018-2020. Come si evince dal grafico rappresentato in figura 2.4, i farmaci contenenti nuove sostanze attive hanno indicazioni terapeutiche che riguardano prevalentemente il trattamento delle seguenti patologie: malattie infettive (n=28, 23,1%), tumori solidi (n=22, 18,2%), malattie metaboliche (n=18, 14,9%), disturbi ematologici (n=14, 11,6%), tumori del sangue (n=13, 10,7%). Rispetto ai due anni precedenti, nel corso del 2020 si rileva un andamento crescente del numero dei medicinali autorizzati per il trattamento delle malattie infettive (n=15) e dei tumori del sangue (n=8). Per le altre condizioni patologiche si nota, invece, un andamento costante o con lievi variazioni nel corso del triennio di riferimento.

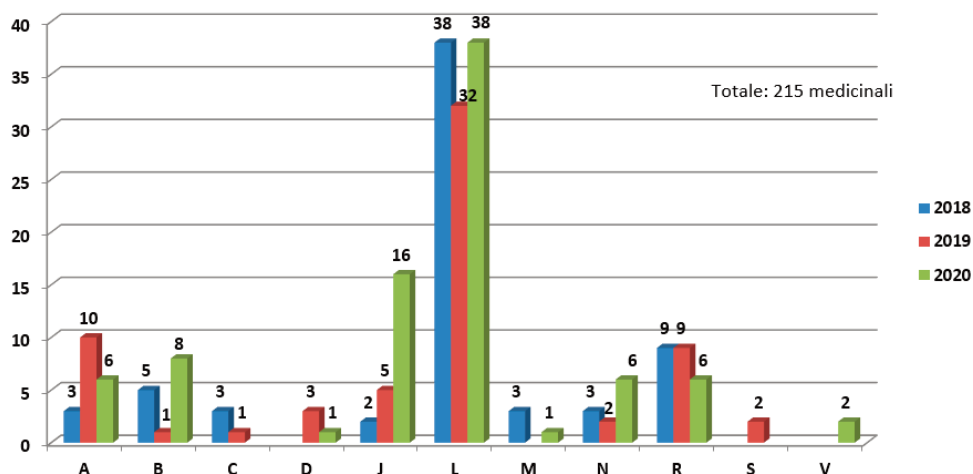
Figura 2.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive con parere positivo di EMA nel triennio 2018-2020, divisi per indicazioni terapeutiche e anno.



Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

Nel corso del triennio 2018-2020, un totale di 215 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati ha ricevuto parere positivo del CHMP dell'EMA. La figura 2.5 mostra il numero di nuove indicazioni terapeutiche approvate suddivise per ATC e per anno, da cui si evince che le ATC maggiormente rappresentate nel triennio di riferimento sono: L farmaci antineoplastici e immunomodulatori (n=108; 50,2%), R sistema respiratorio (n=24; 11,2%), J antinfettivi a uso sistemico (n=23; 10,7%), A apparato gastrointestinale e metabolismo (n=19; 8,8%), B sangue ed organi emopoietici (n=14; 6,5%). In particolare, la superiorità numerica dei medicinali antineoplastici e immunomodulatori con ATC L ha mantenuto un andamento costante nell'ultimo triennio, raggiungendo valori più alti nel 2020 e nel 2018 con 38 medicinali in entrambi gli anni e presentando una lieve decrescita nel 2019 con 32 medicinali. Inoltre, nel 2020 si osserva un incremento del numero delle nuove indicazioni autorizzate riguardanti le malattie infettive, le patologie del sangue e degli organi ematopoietici, così come le malattie del sistema nervoso.

Figura 2.5 Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati con parere positivo di EMA nel triennio 2018-2020, divisi per ATC e anno.



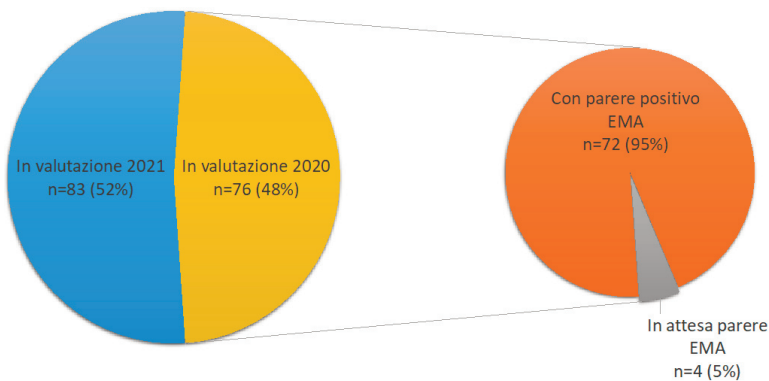
Parte III

Medicinali
in valutazione
nel 2021

Nuovi medicinali

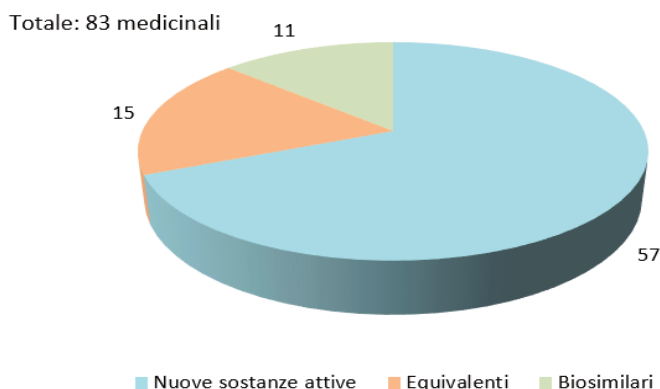
I nuovi medicinali che risultano in valutazione presso il CHMP dell'EMA all'inizio del 2021 e con parere atteso nel corso dell'anno sono 83. Tale numero potrebbe variare nel corso dell'anno con la sottomissione di nuove richieste di AIC presso l'EMA. All'inizio del 2020 erano in valutazione 76 nuovi medicinali con parere atteso entro lo stesso anno. Di questi ultimi, 72 nuovi medicinali (pari al 95% del totale dei nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2020) sono stati successivamente approvati, mentre 4 (pari al 5% del totale dei nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2020) sono ancora in attesa di ricevere un parere (figura 3.1).

Figura 3.1 Nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2020 e del 2021.



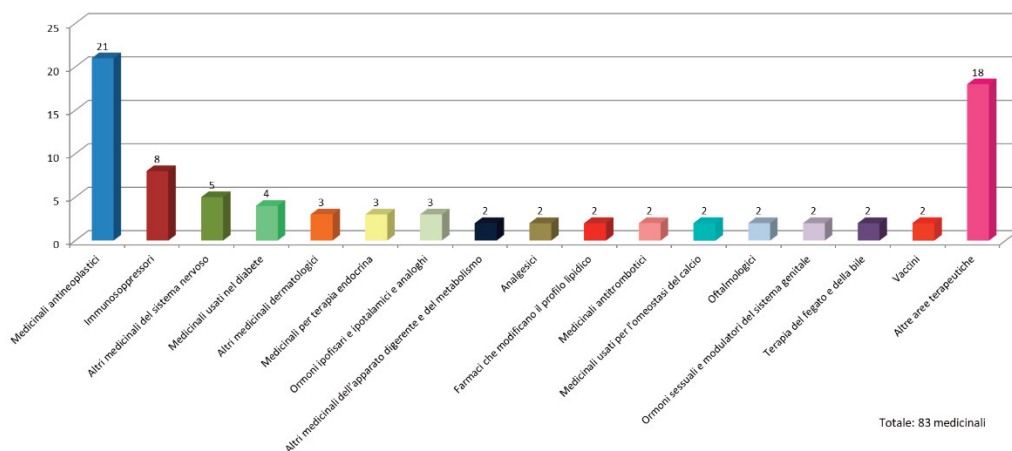
Di 83 nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, 57 sono farmaci contenenti nuove sostanze attive (68,7%), 11 sono medicinali biosimilari (13,3%) e 15 sono medicinali equivalenti (18%) (figura 3.2).

Figura 3.2 Nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per tipologia.



La figura 3.3 mostra il numero di nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, suddivisi per area terapeutica. Si osserva la prevalenza dei nuovi medicinali antineoplastici (n=21, pari al 25,3% del totale), seguiti dai nuovi medicinali immunosoppressori (n=8, pari al 9,6% del totale). Le restanti aree terapeutiche, rappresentate singolarmente nel grafico, presentano un numero inferiore di nuovi medicinali in valutazione, che va da un minimo di 2 a un massimo di 5, rispettivamente pari al 2,4% e al 6% del totale. Le altre aree terapeutiche, rappresentate in modo cumulativo nel grafico, raggiungono complessivamente il numero di 18 nuovi medicinali in valutazione, pari al 21,7% del totale.

Figura 3.3 Nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

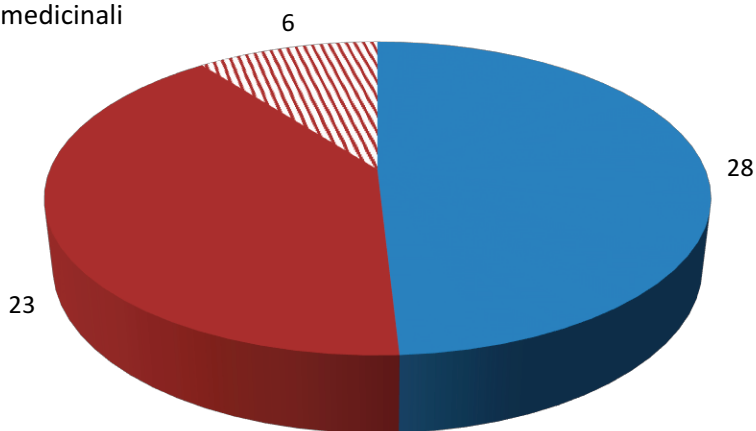


Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 57 medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 (figura 3.4), 28 sono medicinali non orfani (49,1%), mentre 29 sono medicinali orfani (50,9%). Di questi ultimi, 6 sono anche medicinali per terapie avanzate (Sitoiganap, Idecabtagene vicleucel, Lisocabtagene maraleucel, Eladocagene exuparvovec, Elivaldogene autotemcel, Lenadogene nolparvovec) e corrispondono al 20,7% dei medicinali orfani

Figura 3.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per tipologia.

Totale: 57 medicinali



■ Nuove sostanze attive non orfane ■ Nuove sostanze attive orfane ▨ Terapie avanzate

Nella figura 3.5 è illustrata la categorizzazione dei medicinali non orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali non orfani appartiene alle aree terapeutiche dei “medicinali antineoplastici”, degli “immunosoppressori” e degli “altri medicinali dermatologici”. Ogni singola area terapeutica, infatti, rappresenta il 10,7% del totale dei medicinali non orfani in valutazione ($n=3$, per ciascuna area terapeutica). Le restanti aree terapeutiche sono rappresentate da 1 o 2 medicinali non orfani in valutazione, rispettivamente pari al 3,6% e al 7,1% del totale. L'elenco completo dei medicinali non orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 è riportato nella tabella 3.1.

Figura 3.5 Medicinali non orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Totale: 28 medicinali

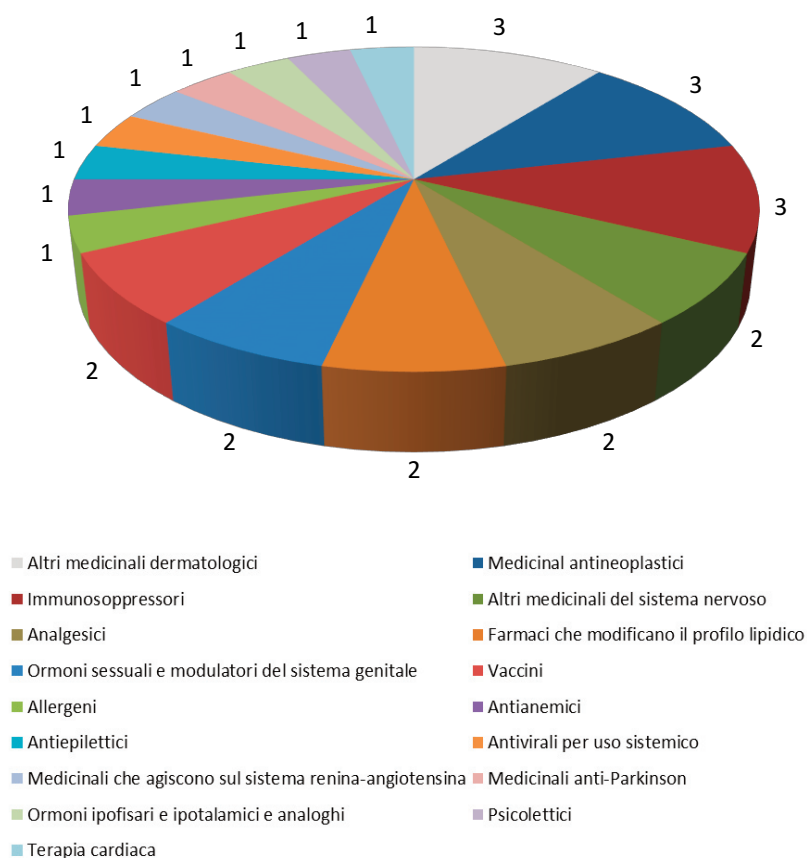


Tabella 3.1 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive non orfane in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Dostarlimab	NO	Cancro dell'endometrio
Pralsetinib	NO	Cancro del polmone non a cellule piccole
Tepotinib	NO	Carcinoma del polmone non a piccole cellule
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Anifrolumab	NO	Lupus eritematoso (LES)
Bimekizumab	NO	Psoriasi a placche
Ponesimod	NO	Sclerosi multipla
Farmaci che modificano il profilo lipidico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Evinacumab	NO	Ipercolesterolemia familiare
Icosapent etile	NO	Riduzione del rischio cardiovascolare
Medicinali che agiscono sul sistema renina-angiotensina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Finerenone	NO	Ritardo della progressione della malattia renale, riduzione del rischio di mortalità e morbidità cardiovascolare
Terapia cardiaca		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Vericiguat	NO	Insufficienza cardiaca cronica
Antianemici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Roxadustat	NO	Anemia
Ormoni ipofisari e ipotalamici e analoghi		
Principio attivo	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Relugolix/estradiolo/acetato di noretindrone Myovant	NO	Fibromi uterini
Ormoni sessuali e modulatori del sistema genitale		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Estetrolo/ drospirenone	NO	Contraccezione orale
Estetrolo/ drospirenone	NO	Contraccezione orale

Analgesici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lasmiditan	NO	Emicrania acuta con o senza aura
Tanezumab	NO	Dolore nell'osteoartrite
Antiepilettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cenobamato	NO	Convulsioni epilettiche
Psicolettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Remimazolam	NO	Sedazione procedurale
Medicinali anti-Parkinson		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Istradefillina	NO	Malattia di Parkinson
Altri medicinali del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Aducanumab	NO	Malattia di Alzheimer
Pitolisant	NO	Sonnolenza diurna nella sindrome da apnea ostruttiva del sonno
Antivirali per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Tecovirimat	NO	Infezione da Orthopoxvirus
Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
ChAdOx1-SARS-CoV-2	NO	Prevenzione della malattia da Coronavirus
Vaccino mRNA Covid-19 (parere positivo di EMA del 6 gennaio 2021)	NO	Prevenzione della malattia da Coronavirus
Allergeni		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Allergeni delle arachidi	NO	Allergia alle arachidi
Altri medicinali dermatologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Abrocitinib	NO	Dermatite atopica
Tirbanibulina	NO	Cheratosi attinica
Tralokinumab	NO	Dermatite atopica

Nella figura 3.6 è illustrata la categorizzazione dei medicinali orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali orfani appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici", che rappresenta il 34,5% del totale dei medicinali orfani in valutazione ($n=10$). Le restanti aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali che va da un minimo di 1 a un massimo di 3 medicinali orfani in valutazione, rispettivamente pari al 3,4% e al 10,3% del totale. L'elenco completo dei medicinali orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 è riportato nella tabella 3.2.

Figura 3.6 Medicinali orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Totale: 29 medicinali

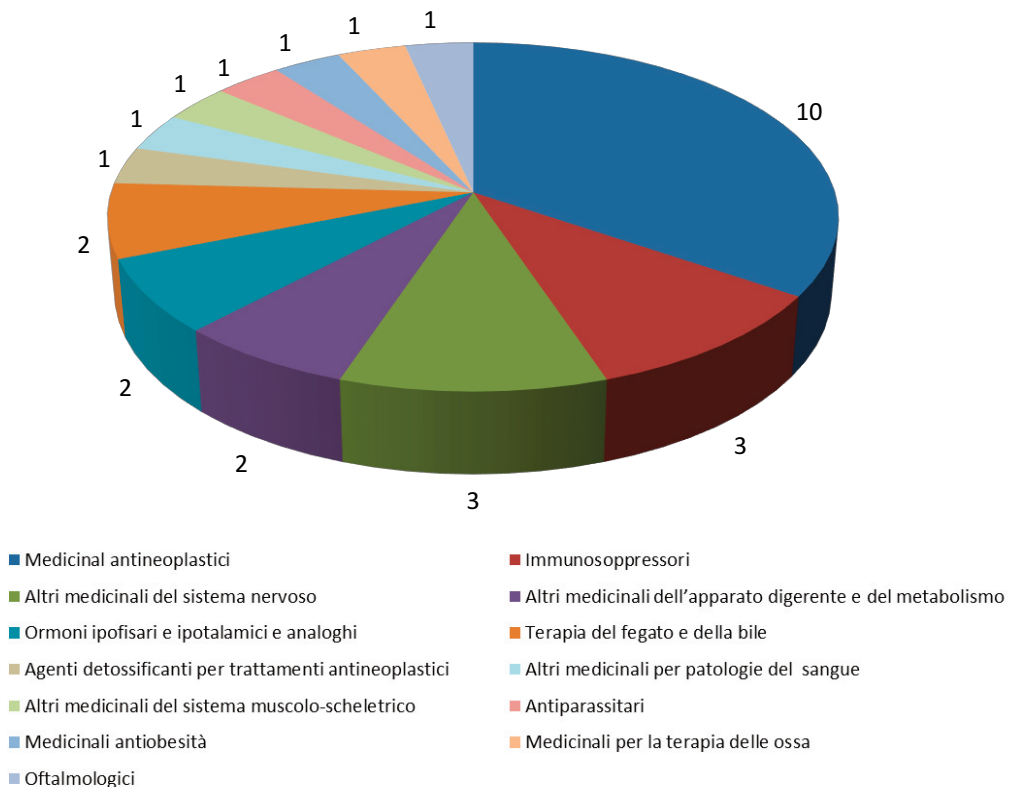


Tabella 3.2. Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive orfane in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Sitoiganap (ERC-1671)	SI	Glioma
Duvelisib	SI	Leucemia linfocitica cronica e linfoma
Idecabtagene vicleucel	SI	Mieloma multiplo
Lisocabtagene maraleucel	SI	Linfoma a cellule B
Pemigatinib	SI	Colangiocarcinoma
Ripretinib	SI	Tumore stromale gastrointestinale (GIST)
Selinexor	SI	Mieloma multiplo
Selumetinib	SI	Neurofibromatosi
Tafasitamab	SI	Linfoma a cellule B
Zanubrutinib	SI	Macroglobulinemia di Waldenström
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Avacopan	SI	Poliangite
Pegcetacoplan	SI	Emoglobinuria notturna parossistica
Satralizumab	SI	Disturbo dello spettro della neuromielite optica (NMOSD)
Agenti detossificanti per trattamenti antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Glucarpidase	SI	Tossicità da metotrexato a dosi alte
Medicinali antiobesità		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Setmelanotide	SI	Obesità
Altri medicinali dell'apparato digerente e del metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Avalglucosidase alfa	SI	Malattia di Pompe - deficit dell'enzima lisosomiale alfa-glucosidasi acida
Lonafarnib	SI	Laminopatie e progeria
Terapia del fegato e della bile		
Maralixibat	SI	Colestasi intraepatica familiare progressiva di tipo 2
Odevixibat	SI	Colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC)

Altri medicinali per patologie del sangue		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Berotrastat	SI	Angioedema ereditario
Ormoni ipofisari e ipotalamici e analoghi		
Principio attivo	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lonapegsomatropin	SI	Deficit dell'ormone della crescita
Somapacitan	SI	Deficit dell'ormone della crescita (AGHD)
Medicinali per la terapia delle ossa		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Vosoritide	SI	Acondroplasia
Altri medicinali del sistema muscolo-scheletrico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Risdiplam	SI	Atrofia muscolare spinale (SMA)
Altri medicinali del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Arimoclomol	SI	Malattia di Niemann-Pick di tipo C (NPC)
Eladocagene exuparvovec	SI	Deficit di decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici
Elivaldogene autotemcel	SI	Mutazione genetica ABCD1 e adrenoleucodistrofia cerebrale
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lenadogene nolparvovec	SI	Perdita della vista
Antiparassitari		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Artesunato	SI	Malaria

Nella figura 3.7 è illustrata la categorizzazione dei medicinali per terapie avanzate in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali per terapie avanzate appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici" che rappresenta il 50% del totale dei medicinali per terapie avanzate in valutazione ($n=3$). Gli altri medicinali per terapie avanzate in valutazione appartengono alle aree terapeutiche "altri farmaci del sistema nervoso" ($n=2$, pari al 33,3% del totale) e "oftalmologici" ($n=1$, pari al 16,7% del totale). L'elenco completo dei medicinali per terapie avanzate in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 è riportato nella tabella 3.3.

Figura 3.7 Medicinali per terapie avanzate in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Totale: 6 medicinali

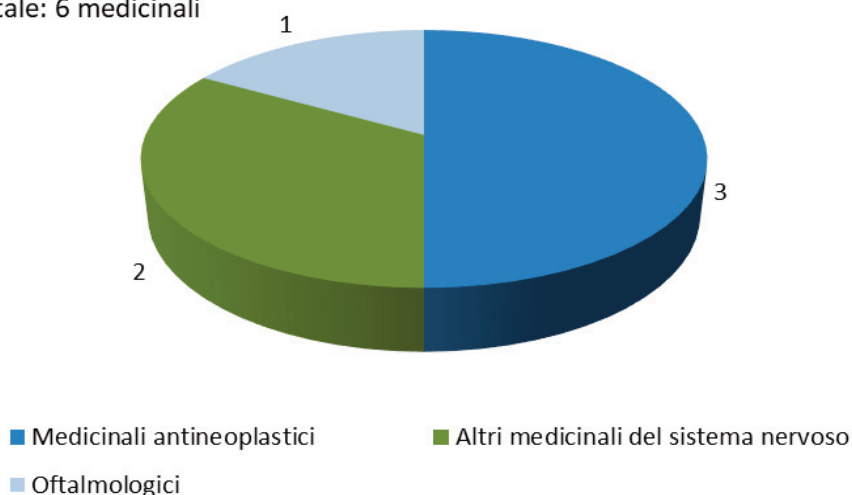


Tabella 3.3 Elenco dei medicinali per terapia avanzata in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Sitoiganap (ERC-1671)	SI	Glioma
Idecabtagene vicleucel	SI	Mieloma multiplo
Lisocabtagene maraleucel	SI	Linfoma a cellule B
Altri medicinali del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Eladocagene exuparvovec	SI	Deficit di decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici
Elivaldogene autotemcel	SI	Mutazione genetica ABCD1 e adrenoleucodistrofia cerebrale
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lenadogene nolpharvovec	SI	Perdita della vista

Analisi delle indicazioni terapeutiche

Nella Figura 3.8 sono rappresentate le indicazioni terapeutiche dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione presso il CHMP dell'EMA e con parere atteso nel corso del 2021. Si tratta di 61 indicazioni terapeutiche (per un totale di 57 medicinali), appartenenti a 8 aree terapeutiche principali: malattie neurologiche, neurometaboliche e sensoriali (n=13; 21,3%), tumori del sangue (n=8; 13,1%), malattie autoimmuni e allergie (n=7; 11,5%), tumori solidi (n=6; 9,8%), malattie cardiovascolari e sindromi metaboliche (n=5; 8,2%), disturbi dell'osso e della crescita (n=5; 8,2%), malattie infettive (n=4; 6,6%), condizioni ginecologiche (n=3; 4,9%). La categoria "altro" raggruppa i medicinali di diverse aree terapeutiche meno rappresentate (n=10; 16,4%). In generale, l'area oncoematologica (n=14; 23%) ha il maggior numero di nuove opzioni terapeutiche potenzialmente in arrivo, soprattutto nell'ambito dei linfomi (n=3; 4,9%). Segue l'area neurologica, neurometabolica e sensoriale, con 13 indicazioni terapeutiche in valutazione (21%). Le patologie che potrebbero avere almeno 2 nuove opzioni terapeutiche nel corso del 2021 sono: tumore del polmone, leucemia, mieloma multiplo, dermatite atopica, deficit dell'ormone della crescita, riduzione del rischio cardiovascolare, colestasi intraepatica, contraccezione orale, prevenzione della malattia da Coronavirus (una delle due opzioni terapeutiche ha ottenuto il parere positivo di EMA in data 6 gennaio 2021).

Figura 3.8 Indicazioni terapeutiche in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divise per area terapeutica.

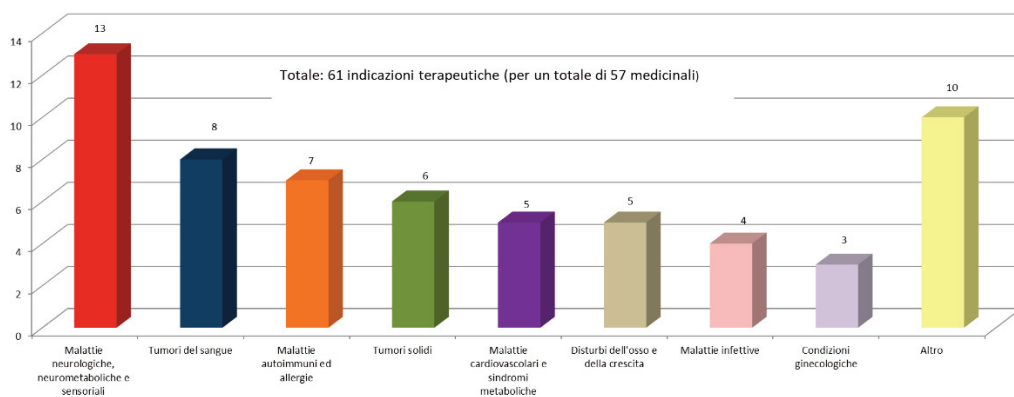


Tabella 3.4 Elenco delle indicazioni terapeutiche dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Malattie neurologiche, neurometaboliche e sensoriali	
INDICAZIONE	NUMERO
Sclerosi multipla	1
Neurofibromatosi	1
Atrofia muscolare spinale (SMA)	1
Convulsioni epilettiche	1
Malattia di Alzheimer	1
Malattia di Parkinson	1
Sonnolenza diurna nella sindrome da apnea ostruttiva del sonno	1
Malattia di Pompe	1
Mutazione genetica ABCD1 e adrenoleucodistrofia cerebrale	1
Deficit di decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici	1
Disturbo dello spettro della neuromielite ottica	1
Perdita della vista	1
Emicrania	1
Tumori del sangue	
INDICAZIONE	NUMERO
Linfoma	3
Mieloma multiplo	2
Leucemia	2
Macroglobulinemia di Waldenström	1
Tumori solidi	
INDICAZIONE	NUMERO
Tumore del polmone	2
Tumore dell'endometrio	1
Colangiocarcinoma	1
Glioma	1
Tumore stromale gastrointestinale (GIST)	1
Malattie autoimmuni e allergie	
INDICAZIONE	NUMERO
Dermatite atopica	2
Allergia arachidi	1
Emoglobinuria notturna parossistica	1

Lupus eritematoso (LES)	1
Psoriasi a placche	1
Poliangite	1
Malattie cardiovascolari e sindromi metaboliche	
INDICAZIONE	NUMERO
Riduzione del rischio cardiovascolare	2
Obesità	1
Insufficienza cardiaca cronica	1
Ipercolesterolemia familiare	1
Disturbi dell'osso e della crescita	
INDICAZIONE	NUMERO
Deficit dell'ormone della crescita	2
Dolore nell'osteoartrite	1
Lesioni alla cartilagine del ginocchio	1
Acondroplasia	1
Malattie infettive	
PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Prevenzione della malattia da Coronavirus	2
Trattamento dell'infezione da Orthopoxvirus	1
Malaria	1
Condizioni ginecologiche	
PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Contraccezione orale	2
Fibromi uterini	1
Altro	
INDICAZIONE	NUMERO
Colestasi intraepatica	2
Anemia	1
Sedazione procedurale	1
Hutchinson-Gilford progeria	1
Laminopatie progeroidi	1
Tossicità da metotrexato a dosi alte	1
Angioedema ereditario	1
Cheratosi attinica	1
Malattia di Niemann-Pick	1

Medicinali biosimilari

Nel 2021 è atteso un parere del CHMP dell'EMA all'AIC di 11 medicinali biosimilari.

Nella figura 3.9 è riportata la categorizzazione secondo l'area terapeutica dei medicinali biosimilari in valutazione nel 2021, da cui emerge che il maggior numero di questi appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici". Tale area terapeutica, infatti, rappresenta il 45,4% del totale dei medicinali biosimilari in valutazione nel 2021 (n=5). Le altre aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali, che va da un minimo di 1 a un massimo di 2 medicinali biosimilari, rispettivamente pari al 9,1% e al 18,2% del totale. L'elenco completo dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 è riportato nella tabella 3.5.

Figura 3.9 Medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Totale: 11 medicinali

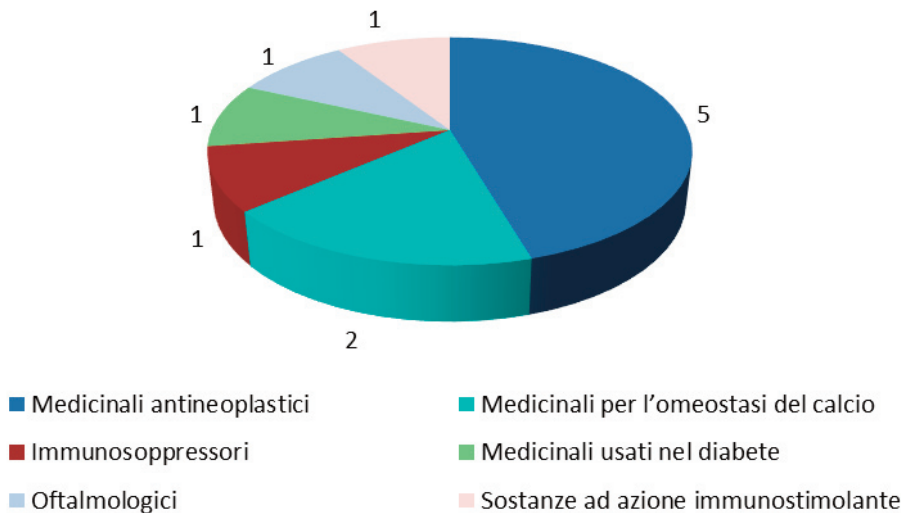


Tabella 3.5 Elenco dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Bevacizumab	NO	4
Trastuzumab	NO	1
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Adalimumab	NO	1
Sostanze ad azione immunostimolante		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Pegfilgrastim	NO	1
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Insulina umana	NO	1
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Teriparatide	NO	2
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ranibizumab	NO	1

Medicinali equivalenti

Nel 2021 è atteso un parere del CHMP dell'EMA all'AIC di 15 medicinali equivalenti.

Nella figura 3.10 è riportata la categorizzazione secondo l'area terapeutica dei medicinali equivalenti in valutazione nel 2021, da cui emerge che il maggior numero di questi appartiene alle seguenti aree terapeutiche: “medicinali antineoplastici”, “medicinali per terapia endocrina” e “medicinali usati nel diabete” (n=3, pari al 20% del totale per ciascuna area terapeutica). Le altre aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali, che va da un minimo di 1 a un massimo di 2 medicinali equivalenti, rispettivamente pari al 6,7% e al 13,2% del totale. L'elenco completo dei medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021 è riportato nella tabella 3.6.

Figura 3.10 Medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Totale: 15 medicinali

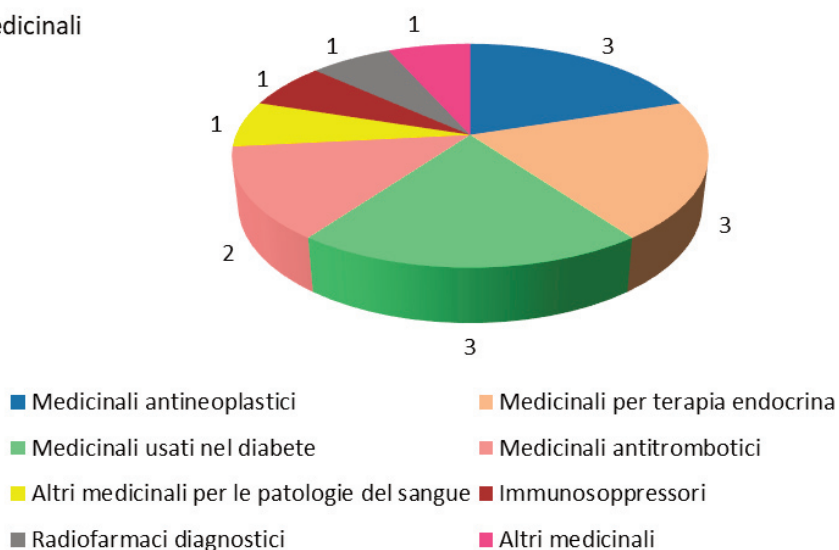


Tabella 3.6 Elenco medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2021, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dasatinib	NO	2
Tiotepa	NO	1
Medicinali per terapia endocrina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Abiraterone	NO	3
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Fingolimod	NO	1
Medicinali antitrombotici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dabigatran etexilato	NO	1
Rivaroxaban	NO	1
Altri medicinali per le patologie del sangue		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Icatibant	NO	1
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Metformina/sitagliptin	NO	1
Sitagliptin	NO	2
Radiofarmaci diagnostici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ioflupane (123I)	NO	1
Altri medicinali		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Sugammadex	NO	1

Parte IV

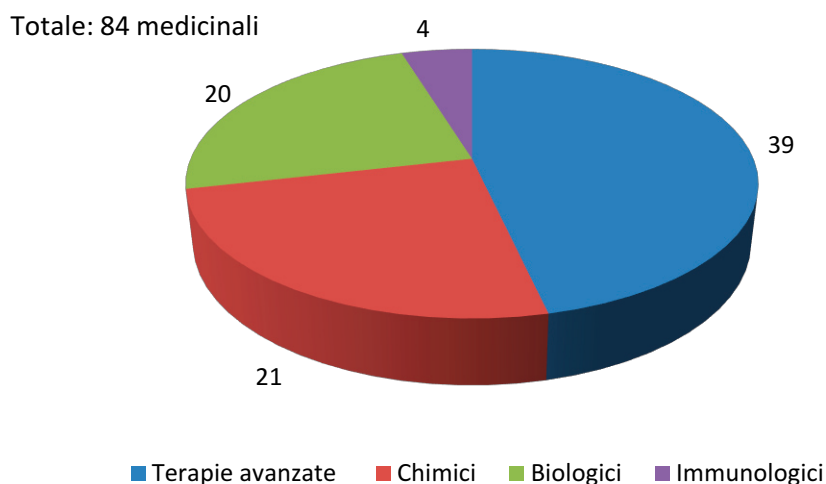
Medicinali ammessi al programma PRIME

I medicinali ammessi al programma PRIME sono medicinali a 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, l'EMA offre alle aziende farmaceutiche un supporto precoce allo sviluppo di tali medicinali, al fine di facilitare e accelerare l'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).

Come mostrato nella figura 4.1, degli 84 medicinali ammessi al programma PRIME, la maggioranza riguarda terapie avanzate (n= 39; 46,4%), mentre i medicinali di natura chimica e biologica rappresentano rispettivamente il 25% (n=21) e il 23,8% (n=20) del totale. Una percentuale limitata di medicinali del programma PRIME riguarda i medicinali immunologici, pari al 4,8% del totale (n=4).

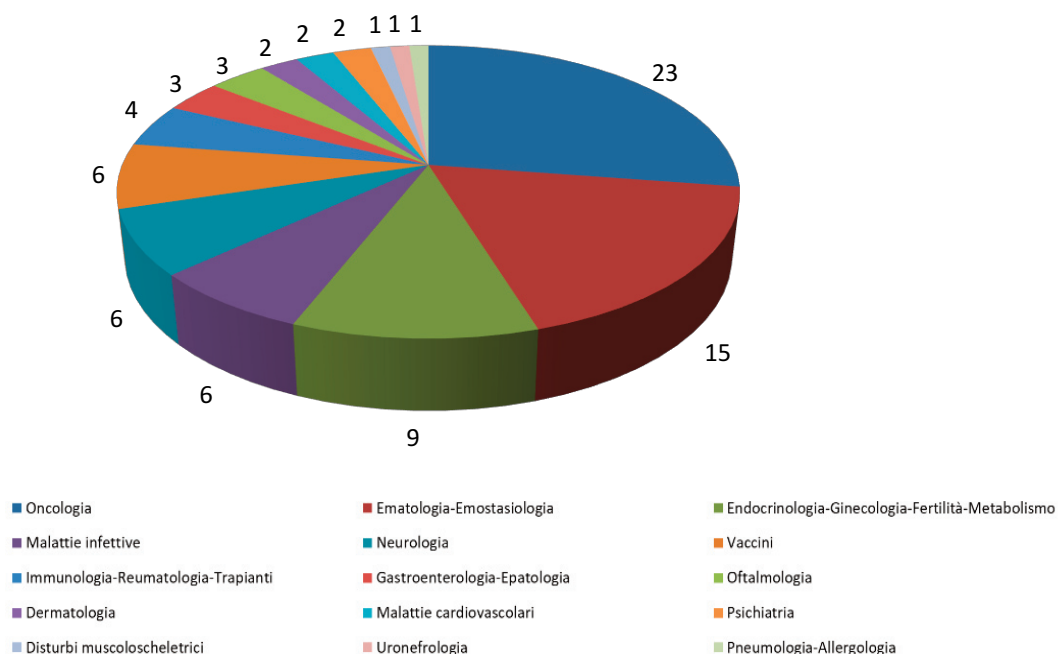
Figura 4.1 Medicinali ammessi al programma PRIME, divisi per tipologia.



La figura 4.2 mostra i medicinali ammessi al programma PRIME divisi per area terapeutica. L'area dell'oncologica è quella maggiormente rappresentata con un totale di 23 medicinali (27,4%). Seguono: l'area dell'ematologia-emostasiologia, con 15 medicinali (17,8%); l'area dell'endocrinologia-ginecologia-fertilità-metabolismo, con 9 medicinali (10,7%); l'area della neurologia, delle malattie infettive e dei vaccini, con 6 medicinali ciascuna (7,1%); l'area dell'immunologia-reumatologia-trapianto, con 4 medicinali (4,8%); le aree della gastroenterologia-epatologia e dell'oftalmologia, con 3 medicinali ciascuna (3,6%); le aree della dermatologia, delle malattie cardiovascolari e della psichiatria, con 2 medicinali ciascuna (2,4%); le aree dei disturbi muscoloscheletrici, della pneumologia-allergologia e dell'uronefrologia, con 1 solo medicinale per area (1,2%).

Figura 4.2 Medicinali ammessi al programma PRIME, divisi per area terapeutica.

Totale: 84 medicinali



La figura 4.3 mostra i medicinali ammessi al programma PRIME suddivisi in base allo *status* regolatorio (parere positivo di EMA, in valutazione, ritirato/escluso/parere negativo di EMA, non ancora in valutazione al fine dell'AIC). Sono 13 i medicinali della lista PRIME (15,5%) che hanno ricevuto il parere positivo da parte del CHMP dell'EMA: Givosiran (Givlaari), Lentiglobin (Zynteglo), Imlifidase (Idefix), Bulevirtide (Hepcludex), Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), KTE-C19 (Yescarta), CTL019 (Kymriah), KTE-X19 (Tecartus), Entrectinib (Rozlytrec), Belantamab mafodotin (Blenrep), Polatuzumab Vedotin (Polivy), Lumasiran (Oxlumo), Vaccino contro il virus Ebola Zaire (Ervebo).

I medicinali attualmente in valutazione da parte del CHMP dell'EMA sono 6 (7,1%): Setmelanotide, Odevixibat (A4250), Lenti-D-CAD, Risdiplam (RO70344067), JCAR-017, Idecabtagene vicleucel (BB2121). Sono, invece, 8 i farmaci (9,5%) che sono stati ritirati su richiesta dell'azienda, esclusi dal programma PRIME, oppure con parere negativo da parte di EMA: Emapalumab, Valoctocogene roxaparvovec (BMN 270), NLA 101, Avacopan (CCX168), Aducanumab, JCAR015, Vocimagene amiretrorepvec, Rapastinel.

I restanti 57 medicinali ammessi al programma PRIME non sono ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA al fine dell'AIC. L'elenco completo dei medicinali ammessi al programma PRIME è riportato nella tabella 4.1.

Figura 4.3 Medicinali ammessi al programma PRIME, divisi per *status* regolatorio.

Totale: 84 medicinali

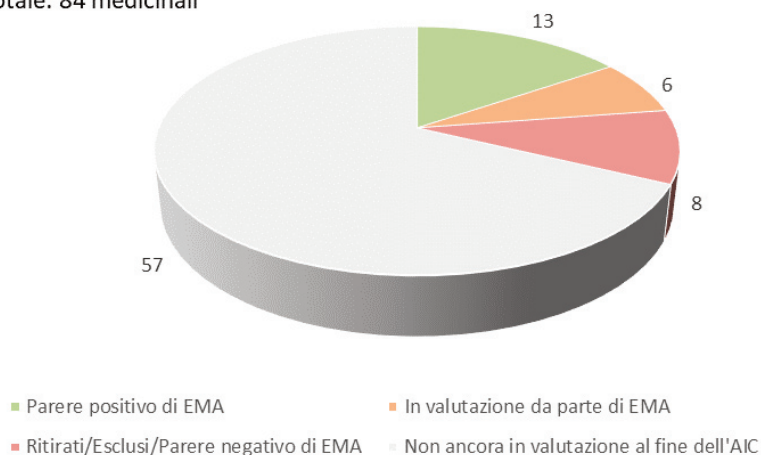


Tabella 4.1 Elenco dei medicinali ammessi al programma PRIME (Fonte: EMA⁸)

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.	
Disturbi muscoloscheletrici		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Setrusumab (BPS-804)	Biologico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'osteogenesi imperfetta di tipo I, III e IV.	
Endocrinologia-Ginecologia-Fertilità-Metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
AT132	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della miopatia miotubulare legata all'X.	
Deossicitidina (dC) Deossitimidina (dT)	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della carenza di timidina chinasi 2.	
Givosiran	Chimico	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: prevenzione di attacchi acuti di porfiria epatica.	
Iptacopan (LNP023/C3G)	Chimico	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: glomerulopatia C3 (malattia renale mediata dal complemento).	
Olipudase alfa	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di manifestazioni non neurologiche di deficit di sfingomielinasi acida.	
OTL-203	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: mucopolisaccaridosi di tipo I (MPS-1).	
Setmelanotide	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'obesità e controllo della fame associati ai disturbi da carenza della via del recettore MC4R.	
Rebisufligene etisparvovec (ABO-102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di Mucopolisaccaridosi di Tipo IIIA, MPS IIIA (Sindrome di San Filippo A).	

⁸ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Teplizumab	Biologico	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento per ritardare o prevenire il diabete di tipo I nei pazienti a rischio.	
Gastroenterologia-Epatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Odevixibat (A4250)	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva.	
Efruxifermin	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: steatoepatite non alcolica.	
Seladelpar (MBX-8025)	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primaria.	
Ematologia-Emostasiologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Emapalumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della linfoistiocitosi emofagocitica primaria.	
LentiGlobin	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente (popolazione non-β ⁰ /β ⁰).	
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.	
Valoctocogene roxaparvovec (BMN 270)	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	
Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/ SPK-9001)	Terapia avanzata	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B.	
Etranacogene dezaparvovec (AMT-060)	Terapia avanzata	21/04/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B severa.	
RP-L102	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: Trattamento dell’anemia di Fanconi di Tipo A	
Voxelotor (GBT440)	Chimico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della anemia falciforme.	
OTL-300	Terapia avanzata	20/09/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della β-talassemia trasfusione dipendente.	

FLT180a	Terapia avanzata	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento della emofilia B.	
BAY2599023	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento della emofilia A.	
Danicopan	Chimico	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: Trattamento dell'emoglobinuria parossistica notturna, che non risponde adeguatamente a un C5-inibitore.	
Bomedemstat (IMG-7289)	Chimico	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della mielofibrosi.	
CTX001	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme.	
LentiGlobin BB305 lentiviral vector encoding the human BA-T87Q-globin gene	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme.	
Immunologia-Reumatologia-Trapianto		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
NLA101	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	
Avacopan (CCX168)	Chimico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con vasculite ANCA associata (inclusa granulomatosi con poliangioite e poliangite microscopica).	
Imlifidase (HMED-Ides)	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di desensibilizzazione di pazienti adulti altamente sensibilizzati che necessitano di trapianto di rene con un crossmatch positivo contro un donatore deceduto disponibile.	
PF-06823859	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della dermatomiosite.	
Malattie cardiovascolari		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
PB2452	Biologico	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: inversione degli effetti antiplatestrinici di ticagrelor in pazienti con sanguinamento maggiore o potenzialmente fatale non controllato o che richiedono un intervento chirurgico urgente o una procedura invasiva.	

Sotatercept	Biologico	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH).	
Malattie infettive		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Bulevirtide	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione cronica da epatite D.	
Nangibotide (LR12)	Chimico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dello shock settico.	
Lonafarnib	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione da epatite D.	
Nirsevimab (MEDI8897)	Biologico	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: prevenzione dell'infezione del tratto respiratorio inferiore causata dal virus respiratorio sinciziale.	
PXVX0317	Biologico	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per prevenire le malattie causate dall'infezione da virus chikungunya in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	
ALVR-105	Terapia avanzata	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di infezioni gravi da virus BK, citomegalovirus, herpes virus umano-6, virus di Epstein Barr e/o adenovirus in riceventi HSCT allogenici.	
Neurologia		
Aducanumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Alzheimer.	
Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)	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).	
Tominersen (RO7234292)	Chimico	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Huntington (HTT).	
Risdiplam (RO7034067)	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q.	
AT-GTX-501	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: rallentamento della progressione della malattia nei pazienti pediatrici con la variante tardiva infantile della lipofusinosi ceroidi neuronale 6 (vLINCL6).	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Axicabtagene ciloleucel (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.	
Tisagenlecleucel (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 recidivante/refrattario.	
JNJ-68284528	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.	
Idecabtagene vicleucel (BB2121)	Terapia avanzata	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante e refrattario, la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
KTE-X19 (Tecartus)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario.	
Asunercept	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma.	
Entrectinib (RXDX-101)	Chimico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di tumori solidi da fusione, positivi, localmente avanzati o metastatici NTRK in pazienti adulti e	

	pediatriche che hanno progredito in seguito a precedenti terapie o che non hanno una terapia standard accettabile.	
Belantamab mafodotin	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo. Trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e refrattario la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38	
Polatuzumab vedotin	Biologico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti recidivi e refrattari con linfoma diffuso a grandi cellule B.	
Vocimagene amiretrorepvec	Terapia avanzata	20/07/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di glioma di alto grado.	
Linfociti T citotossici allogenici specifici per EBV	Terapia avanzata	29/05/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del disturbo linfoproliferativo post-trapianto refrattario al rituximab (PTLD).	
MB-CART2019.1	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con linfoma diffuso a cellule B di grandi dimensioni diffuso recidivante e refrattario (DLBCL) recidivante e refrattario dopo terapia di prima linea e non idonei al trapianto di cellule staminali autologhe.	
JCAR125	Terapia avanzata	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante refrattario, le cui precedenti terapie includevano il trapianto di cellule staminali autologhe se erano ammissibili, un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Cellula interamente umana antiBCMA CAR T autologa (CT053)	Terapia avanzata	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e/o refrattario (MM), i cui regimi precedenti includevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale anti-CD38.	
ADP-A2M4	Terapia avanzata	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti positivi per HLA-A * 02 con sarcoma sinoviale inoperabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e di cui il tumore esprime l'antigene tumorale MAGE-A4.	
CD30.CAR-T	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma di Hodgkin classico.	
Magrolimab	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: sindromi mielodisplastiche.	
ECT-001-CB	Terapia avanzata	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: trapianto urgente di cellule staminali ematopoietiche allogeniche.	

Lacutamab	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con sindrome di Sézary che hanno ricevuto almeno due precedenti terapie sistemiche.	
Oftalmologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
AAV - CNGB3	Terapia avanzata	22/02/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
Sepofarsen (QR-110)	Chimico	25/07/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'amaurosi congenita di Leber.	
Sierotipo 5 del vettore virale associato all'adenovirus contenente il gene RPGR umano	Terapia avanzata	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della retinite pigmentosa legata all'X.	
Pneumologia-allergologia		
Brensocatib	Chimico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento delle bronchiectasie da fibrosi non cistica.	
Psichiatria		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Brexanolone (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.	
Uronefrologia		
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 (MTBVAC)	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.	

Ervebo	Immunologico	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: vaccinazione contro l'Ebola (ceppo Zaire).	
VLA1553	Immunologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: profilassi della malattia da virus di Chikungunya.	
VAC18193	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia delle basse vie respiratorie causata da RSV negli adulti.	

Legenda: ■ medicinali che hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA; ■ medicinali che sono in valutazione da parte del CHMP dell'EMA; ■ medicinali che sono stati ritirati su richiesta dell'azienda, esclusi dal programma PRIME, oppure con parere negativo da parte di EMA; □ medicinali non ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA al fine dell'AIC.

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 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 per i 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 la procedura di autorizzazione all'immissione in commercio che si svolge presso l'EMA. È 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 per sostenere e ottimizzare lo sviluppo dei medicinali in aree terapeutiche con i più urgenti bisogni di salute insoddisfatti. Il PRIME si basa sul contesto regolatorio esistente nonché 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 dell'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 tissutale:** 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 RIMBORSABILITA'

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.

This image shows a single page of white paper with horizontal ruling lines. The lines are evenly spaced and run across the width of the page. There are no margins, text, or other markings on the paper.

[illegible]

