

*Ufficio Segreteria Organi Collegiali*

● Esiti Area Pre-Autorizzazione CTS 16, 17, 18 e 23 Settembre 2020

**A. Richieste di inserimento nell'elenco istituito ai sensi della Legge n.648/96**

1. Rivalutazione dell'inserimento del medicinale Zolgensma (Onasemnogenebeparvec) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento di pazienti naive affetti da atrofia muscolare spinale di tipo I (SMA I) diagnosticati entro i primi sei mesi di vita e dei pazienti SMA pre-sintomatici naive, aventi fino a tre copie del gene SMN2, provenienti dalle Regioni nelle quali il protocollo di screening neonatale è già attivo.

**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

2. Ulteriore proroga dell'inserimento del siero antilinfocitario di cavallo (Atgam) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per la terapia dell'aplasia midollare acquisita, anche denominata anemia aplastica, dopo fallimento di trattamento con siero antilinfocitario di coniglio (Thymoglobuline).

**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

3. Inserimento del medicinale 5-Fluorouracile nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per via sottocongiuntivale per resuscitare bozze congiuntivali fallite in pregressi interventi di trabeculectomia.

**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

4. Inserimento del medicinale Valaciclovir nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per la prevenzione e il trattamento dell'infezione fetale da citomegalovirus.

**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

5. Inserimento del medicinale Bevacizumab (originatore e biosimilare) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 come adiuvante nella terapia della papillomatosi respiratoria ricorrente.

**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**

6. Inserimento del medicinale Rituximab (originatore e biosimilare) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento della nefropatia membranosa primitiva.

**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

7. Inserimento del medicinale Rituximab (originatore e biosimilare) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento della glomerulosclerosi focale e segmentale e della malattia a lesioni minime.

**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**

8. Inserimento del medicinale Ibrutinib nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96, in associazione al Rituximab (originatore o biosimilare), per il trattamento dei pazienti affetti da leucemia linfatica cronica, di età  $\leq 70$  anni e con stato mutazionale IGHV non mutato.

**Parere CTS: La CTS lascia l'argomento in approfondimento**

9. Inserimento del medicinale Rituximab (originatore o biosimilare) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 come terapia di mantenimento dopo trapianto autologo di cellule staminali emopoietiche nei pazienti affetti da linfoma mantellare.

**Parere CTS: La CTS lascia l'argomento in approfondimento**

10. Revisione relativa alla determinazione 11 novembre 2014 riferita all'inserimento nell'elenco istituito ai sensi della legge n. 648/96 dell'immunoglobulina umana sottocutanea per il trattamento dei pazienti affetti da polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) nei quali sia opportuno proseguire il trattamento già iniziato per via sottocutanea.

**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**

11. Rivalutazione dell'inserimento del medicinale Midazolam (Nayzilam) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento acuto di crisi epilettiche prolungate nei pazienti di età pari o superiore ai 12 anni.

**Parere CTS: La CTS lascia l'argomento in approfondimento**

12. Chiarimenti sulla prescrivibilità di Micofenolatometile e Ciclosporina per il trattamento delle polineuropatie disimmuni ai sensi della Legge n. 648/96 .

**Parere CTS: La CTS ritiene che l'indicazione Micofenolatometile e Ciclosporina per le malattie disimmuni comprenda anche le polineuropatie disimmuni nell'adulto.**

## **B. Richieste di accesso al Fondo 5%**

1. Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Onasemnogeneaeparvec (Zolgensma) per il trattamento di un paziente affetto da Atrofia Muscolare Spinale di tipo 1 (Masson).

**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**

2. Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Onasemnogeneaeparvec (Zolgensma) per il trattamento di un paziente affetto da Atrofia Muscolare Spinale con mutazione bi-allelica nel gene SMN1 e diagnosi clinica di SMA tipo 1 (Ricci).

**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**

3. Richiesta di rinnovo di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Crysvida (burosumab) per il trattamento di un paziente (V.A.) affetto da Rachitismo ipofosfatemico X-linked.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**
  
4. Richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Sebelipasi alfa (Kanuma) per il trattamento di un paziente affetto da deficit di lipasi acida lisosomiale con diagnosi oltre l'anno di età.  
**Parere CTS: La CTS lascia l'argomento in approfondimento**
  
5. Rivalutazione della richiesta di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Metreleptina (Mylept) per il trattamento di paziente (G.P.) per il trattamento adiuvante alla dieta delle complicazioni derivanti dalla carenza di leptina in paziente affetta da lipodistrofia.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**
  
6. Rivalutazione della richiesta di VI rinnovo di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Metreleptina (Mylept) per il trattamento di un paziente (S.B.) affetto da lipodistrofia parziale (Santini).  
**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**
  
7. Richiesta di II rinnovo di finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale Burosumab (Crysvida) per il trattamento di un paziente (L.B.) affetto da rachitismo ipofosfatemico X-linked.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole**

*Pubblicazione in data 29 Settembre 2020 come da POS AIFA n. 273 Rev. 0 – “Pubblicazione OdG ed esiti relativi alla CTS e CPR”*