

## Area Strategia ed Economia del Farmaco

### Settore HTA ed Economia del Farmaco

#### **Elenchi farmaci innovativi ai sensi dell'art. 1, commi 402, 403 e 404, della legge 11/12/2016, n. 232 (Legge di Bilancio 2017)**

Gli elenchi rappresentano i farmaci che accedono ai fondi previsti dalla norma sopra indicata: il primo si riferisce al "Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi", il secondo al "Fondo per il concorso al rimborso alle regioni per l'acquisto dei medicinali innovativi oncologici". Il riferimento all'inserimento in elenco è pubblicato in G.U. per ogni singola specialità in relazione all'indicazione in regime di rimborso SSN.

Per i prodotti che devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali si rimanda agli elenchi pubblicati ai sensi dell'articolo 10, comma 2, Legge 8 novembre 2012, n. 189, come definito dall'art.1 comma 1 dell'accordo Stato Regioni del 18 novembre 2010 (Rep.Atti n.197/CSR).

#### **ELENCO 1 - FONDO FARMACI INNOVATIVI (NON ONCOLOGICI) ANNO 2021**

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
BRINEURA	cerliponase alfa	trattamento della patologia ceroidolipofuscinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), nota anche come carenza di tripeptidil-peptidasi 1 (TPP-1).	H	13/05/2020	12/05/2023
DUPIXENT	dupilumab	Trattamento della dermatite atopica da moderata a grave in pazienti adulti eligibili per la terapia sistemica.	H	08/09/2018	07/09/2021
DUPIXENT <sup>1</sup>	dupilumab	trattamento della dermatite atopica da moderata a grave, negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni eligibili per la terapia sistemica	H	10/12/2020	09/12/2023

<sup>1</sup> Innovatività negli adolescenti di età compresa tra i 12 e i 17 anni

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
GILENYA <sup>2</sup>	fingolimod	in monoterapia, come farmaco modificante la malattia, nella sclerosi multipla recidivante-remittente ad elevata attivita' nei seguenti gruppi di pazienti adulti e di pazienti pediatrici di 10 anni di eta' e oltre: pazienti con un'elevata attivita' di malattia nonostante il trattamento con almeno una terapia disease modifying (vedere paragrafi 4.4 e 5.1 per le eccezioni e le informazioni sui periodi di washout). Questi pazienti possono essere definiti come coloro che non hanno risposto ad un ciclo terapeutico completo e adeguato (normalmente almeno un anno di trattamento) con almeno una terapia disease modifying. I pazienti devono avere avuto almeno 1 recidiva nell'anno precedente mentre erano in terapia, e presentare almeno 9 lesioni iperintense in T2 alla RM cerebrale o almeno 1 lesione captante gadolinio o una lesione T2 nuova o inequivocabilmente aumentata di volume rispetto ad un altro recente esame RM. Un paziente non responder puo' anche essere definito come un paziente che presenta, rispetto all'anno precedente, un tasso di recidive invariato o aumentato o che presenta recidive gravi; oppure pazienti con sclerosi multipla recidivante-remittente grave ad evoluzione rapida, definita da due o piu' recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o piu' lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto ad una precedente RM recentemente effettuata	A	16/09/2020	15/09/2023
GIVLAARI	givosiran	trattamento della porfiria epatica acuta (AHP) in adulti e adolescenti di età pari e superiore ai 12 anni	A	20/01/2021	19/01/2024
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A con inibitori del fattore VIII. Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età	A	07/12/2018	06/12/2021
KAFTRIO	ivacaftor/tezacaftor/ elexacaftor	Kaftrio e' indicato in un regime di associazione con ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di eta' pari e superiore a dodici 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)».	A	06/07/2021	05/07/2024
KALYDECO <sup>3</sup>	ivacaftor	Kalydeco compresse è indicato:	A	06/07/2021	05/07/2024

<sup>2</sup> Innovatività per il trattamento dei pazienti pediatrici.

<sup>3</sup> Innovatività limitata al trattamento in associazione a KAFTRIO di adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione F508del nel gene CFTR.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
		<ul style="list-style-type: none"> <li>• 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 regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR): G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R (vedere paragrafi 4.4 e 5.1).</li> <li>• In un regime di associazione con tezacaftor/ivacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 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.</li> <li>• In un regime di associazione con ivacaftor /tezacaftor /elexacaftor compresse per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari e superiore a 12 anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione F508del nel gene CFTR (vedere paragrafo 5.1).</li> </ul>			
LUXTURNA	voretigene naparvovec	Luxturna è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti retiniche vitali.	H	10/01/2021	09/01/2024
MAVIRET <sup>4</sup>	glecaprevir/pibrenta svir	Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti e negli adolescenti di età compresa tra 12 e <18 anni	A	16/07/2020	15/07/2023
ONPATTRO	patisiran	trattamento della amiloidosi hATTR in pazienti adulti con polineuropatia in stadio 1 e 2.	H	31/01/2020	30/01/2023
OXERVATE	cenegermin	Cheratite neurotrofica moderata (difetto epiteliale persistente) o severa (ulcera corneale) negli adulti	H	24/01/2018	23/01/2021

<sup>4</sup> Innovatività per l'indicazione pediatrica.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
PREVYMIS	letermovir	Profilassi della riattivazione e della malattia da citomegalovirus (CMV) in adulti sieropositivi per CMV riceventi (R+) di trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche (HSCT)	H/A	18/09/2018	17/09/2021
ZOLGENSMA <sup>5</sup>	onasemnogene abeparvovec	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.	H	14/03/2021	13/03/2022

<sup>5</sup> innovatività' per dodici mesi, rinnovabile previo parere della CTS per altri dodici mesi, eventualmente prorogabili per altri dodici mesi fino a trentasei mesi complessivi.

**ELENCO 2 - FONDO FARMACI INNOVATIVI ONCOLOGICI ANNO 2021**

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
ALECENSA <sup>6</sup>	alectinib	in monoterapia è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK).	H	01/08/2018	31/07/2021
ALUNBRIG <sup>7</sup>	brigatinib	Alunbrig e' indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (anaplastic lymphoma kinase, ALK) in stadio avanzato, precedentemente non trattati con un inibitore di ALK.	H	10/12/2020	31/07/2021
DARZALEX	daratumumab	In combinazione con lenalidomide e desametasone, o bortezomib e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che abbiano ricevuto almeno una precedente terapia	H	19/04/2018	18/04/2021
DARZALEX	daratumumab	n associazione con lenalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali	H	15/01/2021	14/01/2024
IMFINZI	durvalumab	Imfinzi® è indicato in monoterapia per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato, non reseccabile, negli adulti il cui tumore presenta un'espressione di PD-L1 ≥ 1% sulle cellule tumorali e la cui malattia non è progredita a seguito di chemioradioterapia a base di platino	H	07/09/2019	06/09/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	KEYTRUDA, in associazione a pemetrexed e chemioterapia contenente platino, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico non squamoso negli adulti il cui tumore non è positivo per mutazioni di EGFR o per ALK	H	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma al III Stadio e con coinvolgimento dei linfonodi che sono stati sottoposti a resezione completa.	H	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	in associazione a carboplatino e paclitaxel o nab-paclitaxel, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico squamoso negli adulti	H	17/12/2020	16/12/2023

<sup>6</sup> Rivalutazione innovatività CTS novembre 2019.

<sup>7</sup> Follower di Alecensa.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
KISQALI <sup>8</sup>	ribociclib	Kisqali, in associazione a un inibitore dell'aromatasi o a fulvestrant, è indicato nelle donne con carcinoma mammario in stadio localmente avanzato o metastatico positivo per il recettore ormonale (HR) e negativo per il recettore 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2), come terapia iniziale a base endocrina o in donne che hanno in precedenza ricevuto una terapia endocrina. In donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH). In donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH)	H	22/05/2020	21/05/2023
KYMRIAH <sup>9</sup>	tisagenlecleucel	Kymriah è indicato per il trattamento di pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età con leucemia linfoblastica acuta (LLA) a cellule B che è refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva; pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	13/08/2019	12/08/2022
LUTATHERA	lutezio-177 lu-oxodotreotide	Tumori neuroendocrini gastroenteropancreatici (GEPNET) ben differenziati (G1 e G2), progressivi, non asportabili o metastatici, positivi ai recettori per la somatostatina	H	30/03/2019	29/03/2022
MEKINIST	trametinib	trametinib in associazione con Dabrafenib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	17/12/2019	16/12/2022
OPDIVO	nivolumab	in monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante di adulti con melanoma con coinvolgimento dei linfonodi o malattia metastatica che sono stati sottoposti a resezione completa	H	18/12/2019	17/12/2022
QARZIBA	dinutuximab beta	Trattamento del neuroblastoma ad alto rischio in pazienti a partire dai 12 mesi di età che sono stati precedentemente sottoposti a chemioterapia di induzione conseguendo almeno una risposta parziale, seguita da terapia mieloablattiva e trapianto di cellule staminali.	H	01/08/2018	31/07/2021
RYDAPT	midostaurina	In combinazione con chemioterapia standard di induzione con daunorubicina e citarabina e di consolidamento con citarabina ad alte dosi per pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi con mutazione FLT3 positiva	H	17/08/2018	16/08/2021

<sup>8</sup> Innovazione terapeutica in relazione alle seguenti indicazioni: in associazione a fulvestrant in pazienti in post-menopausa; in associazione a inibitore dell'aromatasi in pazienti in pre-perimenopausa.

<sup>9</sup> Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS Luglio 2020).

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	DATA EFFICACIA	DATA SCADENZA
TAFINLAR	dabrafenib	Dabrafenib in associazione con trametinib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	17/12/2019	16/12/2022
TAGRISSE <sup>10</sup>	osimertinib	TAGRISSE in monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazioni attivanti il recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR).	H	30/11/2019	29/11/2022
VERZENIOS <sup>11</sup>	abemaciclib	Verzenios è indicato per il trattamento di donne con carcinoma della mammella localmente avanzato o metastatico, positivo ai recettori ormonali (HR), negativo al recettore del fattore umano di crescita epidermico di tipo 2 (HER2): in associazione con un inibitore delle aromatasi o fulvestrant come terapia endocrina iniziale o in donne che hanno ricevuto una precedente terapia endocrina. Nelle donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere combinata con un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).	H	23/09/2020	12/12/2022
VYXEOS	citarabina e daunorubicina	trattamento di adulti con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta correlata a terapia (t-AML) o AML con alterazioni correlate a mielodisplasia (AML-MRC)	H	19/06/2019	18/06/2022
YESCARTA <sup>12</sup>	axicabtagene ciloleucel	YESCARTA è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL) e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B(primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	12/11/2019	11/11/2022

<sup>10</sup> Conferma innovatività restanti 18 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).

<sup>11</sup> Innovatività quando utilizzato in associazione a fulvestrant. L'innovatività è stata rivalutata dalla CTS ad aprile 2020 a seguito della presentazione di ulteriori dati a supporto dell'attribuzione del requisito di innovatività piena da condizionata.

<sup>12</sup> Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).