



*Ufficio Segreteria Organismi Collegiali*

**● Esiti Area Pre-Autorizzazioni CTS 8, 9 e 10 Gennaio 2024**

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

1. Revisione delle indicazioni relative al medicinale Cladribina incluse nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole alla permanenza del farmaco nell'elenco L.648/96**
2. Inserimento del medicinale Ganaxolone (Ztalmly) nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento aggiuntivo delle crisi epilettiche associate a deficit di chinasi 5 ciclina-dipendente (CDD) in pazienti di età pari o superiore a 2 anni.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**
3. Inserimento del medicinale Pembrolizumab (Keytruda) nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento della leucoencefalopatia multifocale progressiva in infezione da HIV.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole**
4. Inserimento del medicinale Blinatumomab (Blinicyto) nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento in monoterapia di pazienti pediatrici di nuova diagnosi di leucemia linfoblastica acuta da precursori delle cellule B, definiti ad alto rischio sulla base dei criteri identificati nel protocollo AIEOP-BFM 2017, come parte della terapia di consolidamento.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole per l'indicazione proposta.**  
**La CTS esprime parere favorevole per i pazienti con diagnosi di LLA-B e con un riarrangiamento del gene che codifica l'istone-lisina N-metiltransferasi 2A (KMT2A).**
5. Rivalutazione della permanenza del medicinale Eculizumab (Soliris) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per la prevenzione delle recidive nei pazienti affetti da sindrome emolitica uremica atipica (SEUa).  
**Parere CTS: La CTS esprime parere favorevole alla permanenza del farmaco nell'elenco L.648/96**
6. Inserimento del medicinale Teprotumumab-trbw (Tepezza) nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento della malattia dell'occhio della tiroide (TED) indipendentemente dall'attività o dalla durata della malattia.  
**Parere CTS: La CTS esprime parere non favorevole.**

7. Rivalutazione dell'inserimento del medicinale Pegcetacoplan (Aspaveli) nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento della nefropatia da C3.

**Parere CTS: Approfondimento CTS**

**Argomenti in approfondimento**

1. Inserimento del medicinale Exagamglogene autotemcel - Exa Cel nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento della  $\beta$  talassemia trasfusione-dipendente (Morbo di Cooley)

**Parere CTS: Procedura sospesa**

**VARIE ED EVENTUALI**

1. Permanenza del medicinale Misoprostolo nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per l'induzione del parto a termine.

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

***Pubblicazione del 18 Gennaio 2024 come da POS AIFA n. 271 Rev. 02 – “Pubblicazione esiti CTS e CPR”***