



### **Unità Coordinamento Segreterie Organismi Collegiali**

#### **● OdG Ufficio Ricerca e Sperimentazioni Cliniche CTS: 10 ed 11 novembre 2014**

##### ***Sperimentazioni cliniche ed emendamenti sostanziali con ATIMP***

1. Codice protocollo: ANG.AMI-IC001 EudraCT Number; 2010-020497-41; Sponsor: Mesoblast UK Ltd ; IMP: Precursori mesenchimali (precursori delle cellule mesenchimali, MPC) immunoselezionati Stro3 derivati da midollo osseo.

Titolo Protocollo: Sperimentazione clinica prospettica, in doppio cieco, randomizzata, controllata con placebo dell'infusione intracoronarica dei precursori mesenchimali (precursori delle cellule mesenchimali, MPC) immunoselezionati Stro3 derivati da midollo osseo, nel trattamento di pazienti affetti da infarto miocardico con elevazione del tratto ST.

2. Codice Emendamento: Emendamento TK-008-ES-08; EudraCT Number; 2009-012973-37; Sponsor: MolMed S.p.A; IMP: Linfociti T del donatore trasdotti con il supernatante retro virale SFCMM-3 Mut2 #48.

Titolo Protocollo: Randomized phase III trial of haploidentical HCT with or without an add back strategy of HSV-Tk donor lymphocytes in patients with high risk acute leukemia.

3. Notifica ripresa studio ADAPT dopo sospensione trattamento

Acronimo studio: ADAPT; EudraCT Number; 2012-000871-17; Sponsor: ARGOS THERAPEUTICS; IMP: Cellule dendritiche autologhe co-elettroporate con RCC RNA autologo e RNA sintetico (CD40L).

Titolo Protocollo: An International phase III randomized trial of autologous dendritic cell immunotherapy (AGS-003) plus standard treatment of advanced renal cell carcinoma (ADAPT).

##### ***Richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%***

1. Azienda Sanitaria Locale Roma C – Dipartimento Farmaceutico e di Farmacoeconomia Aziendale – UOC Servizio Farmaceutico Territoriale: per la somministrazione del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)**, compresse da 150 mg, per il trattamento di un paziente (P.T.-21/10/1972) affetto da fibrosi cistica.

2. Ospedale San Raffaele – IRCCS – U.O. Ematologia e Trapianto di midollo osseo: per il finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **pomalidomide (Imnovid)** per il trattamento di un paziente affetto da *Mieloma Multiplo Recidivato/Refrattario, pluritrattato*.

3. Città della salute e della scienza di Torino, presidio Molinette S.C. Ematologia 1 – Torino: per il finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **pomalidomide**

**(Imnovid)** per il trattamento di un paziente affetto da *Mieloma Multiplo Recidivato/Refrattario, pluritrattato*.

### **Richieste di inserimento nella Lista 648/96**

1 Inserimento del medicinale **cisteamina cloridrato (Cystaran e Cystadrops)** per uso oftalmico per l'indicazione: *prevenzione e rimozione dei depositi corneali di cristalli di cistina nella cistinosi nefropatica*.

2 Inserimento del medicinale **atazanavir/ritonavir** (Reyataz 300 mg 1cp QD in associazione a Norvir 100 mg) per l'indicazione: *utilizzo in monoterapia in pazienti in trattamento con atazanavir/ritonavir 300/100 mg qd in associazione con 2NRTIs, nadir CD4 > 100 cellule/mm<sup>3</sup> con viremia <50 copie/ml da almeno 6 mesi e in assenza di precedenti fallimenti virologici, per ridurre la tossicità da NRTIs. Particolare cautela e attenta analisi delle opzioni alternative è raccomandata nei pazienti con replicazione virale da HCV e/o presenza di elevate viremie da HIV-1 ( HIV-RNA > 100.000 copie/ml precedente l'inizio della terapia antiretrovirale*.

3 Inserimento del medicinale **everolimus (Afinitor)** per il trattamento dei pazienti affetti da *Neoplasia Endocrina avanzata (metastatica o non operabile) ben o moderatamente differenziata, in progressione di malattia dopo analoghi della somatostatina, a primitività non-pancreatica*.

### **Follow-up di richieste di inserimento già discusse**

1. Reiterazione della richiesta di inserimento del farmaco **regorafenib (Stivarga)** per il *trattamento in terza linea terapeutica dei GIST metastatici non resecabili chirurgicamente o non rispondenti alle terapie attualmente validate (imatinib e sunitinib)*.
2. Richiesta di proroga e modifica della Determinazione AIFA n.12/2012 in G.U. n.286 del 07/12/2012 al fine di concedere **ATGAM (siero antilinfocitario di cavallo)** per un ulteriore periodo di 18 mesi come *farmaco di prima scelta per la terapia dell'aplasia midollare acquisita, anche denominata anemia aplastica*.
3. Aggiornamento della richiesta di inserimento dei farmaci biologici **anakinra e canakinumab** nel *trattamento delle Sindromi auto infiammatorie in età pediatrica (TRAPS)*.

### **Varie ed eventuali**

- 1 Richiesta dilazione emissione Determina di esclusione **ponatinib (Iclusig)** a seguito attribuzione rimborsabilità e il prezzo per il medicinale Iclusig della società Ariad.

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