



Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 16-20 dicembre 2024

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazione	Esito
18881	FABHALTA (iptacopan)	Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	Scheda approvata
18623	KANUMA (sebelipasi alfa)	Deficit di LAL	Argomento rinviato
19007	BRUKINSA (zanubrutinib)	Linfoma follicolare (LF)	Scheda approvata
18953	VANFLYTA (quizartinib)	Leucemia mieloide acuta (LMA)	Scheda approvata
18934	ZYNYZ (retifanlimab)	Carcinoma a cellule di Merkel	Scheda approvata
18214	CRYSVITA (burosumab)	Ipofosfatemia FGF23-correlata nell'osteomalacia oncogenica	Espresso parere

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
18797 e 18799	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/eleacaftor) - KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Scheda approvata
19162 e 19163	KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Scheda approvata
19119	MEKTOVI (binimetinib)	Melanoma avanzato	Argomento rinviato
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, β -talassemia	Approfondimento CSE

C) Controdeduzioni delle aziende farmaceutiche a schede già valutate/approvate dalla CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
--	Anticorpi monoclonali anti-CGRP e gepant	Emicrania	Espresso parere

D) Sezione dedicata alla valutazione di richieste provenienti dagli utenti dei registri di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
--	OXLUMO (lumasiran)	Iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1)	Espresso parere

E) Notifiche

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
18892	RYSTIGGO (rozanolixizumab)	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)	Presa d'atto

F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
19174	SKYCLARYS (omaveloxolone)	Atassia di Friedreich	Argomento rinviato
19156	IMCIVREE (setmelanotide)	Obesità e controllo della fame	Espresso parere
19169	AYVAKYT (avapritinib)	Mastocitosi sistemica indolente	Argomento rinviato
19019	RYBREVANT (amivantamab)	NSCLC	Espresso parere
19148	FRUZAQLA (fruquintinib)	Carcinoma metastatico del colon retto	Argomento rinviato
19160	KRAZATI (adagrasib)	NSCLC	Argomento rinviato
19124	XTANDI (enzalutamide)	Carcinoma prostatico	Argomento rinviato
19166	BALVERSA (erdafitinib)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato

19086	ALECENSA (alectinib)	NSCLC	Espresso parere
19091	MOUNJARO (tirzepatide)	Diabete mellito di tipo 2	Espresso parere
18974	OTEZLA (apremilast)	Malattia di Behçet	Espresso parere
19132	CABLIVI (caplacizumab)	Porpora trombotica trombocitopenica	Argomento rinviato
18856	REBLOZYL (luspatercept)	Beta-talassemia	Argomento rinviato
19041	REBLOZYL (luspatercept)	Sindrome Mielodisplastica	Argomento rinviato
19161	BREYANZI (lisocabtagene maraleucel)	Linfoma diffuso a grandi cellule B, linfoma a cellule B ad alto grado, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B e linfoma follicolare di grado 3B in seconda linea	Argomento rinviato
19275	TEPKINLY (epcoritamab)	Linfoma Follicolare Recidivato/Refrattario (FL R/R)	Argomento rinviato
19226	BRAFTOVI (encorafenib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Argomento rinviato
19227	MEKTOVI (binimetinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Argomento rinviato
19211	IQIRVO (elafibranor)	Colangite biliare primitiva (PBC)	Espresso parere
19126	MIRCERA (metossipolietilenglicole-epoetina)	Malattia renale cronica (CKD)	Argomento rinviato
18964	TAKHZYRO (lanadelumab)	Angioedema ereditario (HAE)	Argomento rinviato
19317	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato
19256	PADCEV (enfortumab vedotin)	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato
19264	TAGRISSE (osimertinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Argomento rinviato
19273	YORVIPATH (palopegteriparatide)	Ipoparatiroidismo cronico	Argomento rinviato
18713	ENTRESTO (sacubitril valsartan)	Insufficienza cardiaca sintomatica	Espresso parere

18889	RYEQO (relugolix, estradiolo e noretisterone acetato)	Endometriosi	Espresso parere
18931	METALYSE (tenecteplase)	Ictus ischemico acuto (AIS)	Espresso parere

G) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
19120	LEQVIO (inclisiran)	Ipercolesterolemia	Argomento rinviato
18797, 18799, 19162, 19163, 18941, 18943	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) KALYDECO (ivacaftor) ORKAMBI (Lumacaftor/ivacaftor) SYMKEVI (tezacaftor/ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Espresso parere
--	VARGATEF (nintedanib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Espresso parere

H) Approfondimenti

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, β -talassemia	Approfondimento CSE

I) Varie ed eventuali

a. Controdeduzioni

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
17755	PLUVICTO ([¹⁷⁷ Lu] Lu-PSMA-617)	carcinoma della prostata	Espresso parere

b. Sezione dedicata alla valutazione di richieste provenienti dagli utenti dei registri di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito
-	YESCARTA (axicabtagene ciloleucel)	DLBCL e PMBCL R/R	Espresso parere