



Odg Ufficio Registri di Monitoraggio - CSE 16-20 dicembre 2024

A) Procedura classica su mandato CSE

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

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
18797 e 18799	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) - KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica
19162 e 19163	KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica
19119	MEKTOVI (binimetinib)	Melanoma avanzato
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, β -talassemia

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

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

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

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

E) Notifiche

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
18892	RYSTIGGO (rozanolixizumab)	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)

F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
19174	SKYCLARYS (omaveloxolone)	Atassia di Friedreich
19156	IMCIVREE (setmelanotide)	Obesità e controllo della fame
19169	AYVAKYT (avapritinib)	Mastocitosi sistemica indolente
19019	RYBREVANT (amivantamab)	NSCLC
19148	FRUZAQLA (fruquintinib)	Carcinoma metastatico del colon retto
19160	KRAZATI (adagrasib)	NSCLC
19124	XTANDI (enzalutamide)	Carcinoma prostatico
19166	BALVERSA (erdafitinib)	Carcinoma uroteliale
19086	ALECENSA (alectinib)	NSCLC
19091	MOUNJARO (tirzepatide)	Diabete mellito di tipo 2
18974	OTEZLA (apremilast)	Malattia di Behçet
19132	CABLIVI (caplacizumab)	Porpora trombotica trombocitopenica

18856	REBLOZYL (luspatercept)	Beta-talassemia
19041	REBLOZYL (luspatercept)	Sindrome Mielodisplastica
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
19275	TEPKINLY (epcoritamab)	Linfoma Follicolare Recidivato/Refrattario (FL R/R)
19226	BRAFTOVI (encorafenib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule
19227	MEKTOVI (binimetinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)
19211	IQIRVO (elafibranor)	Colangite biliare primitiva (PBC)
19126	MIRCERA (metossipolietilenglicole-epoetina)	Malattia renale cronica (CKD)
18964	TAKHZYRO (lanadelumab)	Angioedema ereditario (HAE)
19317	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale (UC)
19256	PADCEV (enfortumab vedotin)	Carcinoma uroteliale (UC)
19264	TAGRISSE (osimertinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)
19273	YORVIPATH (palopegteriparatide)	Ipoparatiroidismo cronico
18713	ENTRESTO (sacubitril valsartan)	Insufficienza cardiaca sintomatica
18889	RYEQO (relugolix, estradiolo e noretisterone acetato)	Endometriosi
18931	METALYSE (tenecteplase)	Ictus ischemico acuto (AIS)

G) Analisi dati dei registri

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

H) Approfondimenti

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

I) Varie ed eventuali