



Il CdA AIFA approva la rimborsabilità di 11 farmaci: tra questi la prima terapia genica per l'emofilia B

Sarà rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale il primo trattamento one shot per la forma grave e moderatamente grave di emofilia B, una malattia rara e potenzialmente letale che causa emorragie nelle articolazioni, nei muscoli e negli organi interni.

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA – nella seduta del 29 luglio – ha infatti dato il via libera alla rimborsabilità di **Hemgenix** (etranacogene dezaparvovec), prima terapia genica autorizzata per l'emofilia B, che può avere un impatto significativo nella qualità di vita dei pazienti. Attualmente, infatti, chi presenta questo difetto ereditario della coagulazione del sangue deve sottoporsi con continuità e a vita a infusioni del Fattore IX della coagulazione, per compensarne la carenza congenita e prevenire le emorragie. Etranacogene dezaparvovec, farmaco orfano a cui è stato riconosciuto il requisito dell'innovatività, viene invece somministrato in un'unica soluzione per via endovenosa e utilizza un vettore adeno-virale per trasportare all'interno delle cellule il gene funzionale per la produzione del Fattore IX. Ciò consente al fegato di produrre la proteina Fattore IX e aumentarne i livelli nel sangue, contribuendo a prevenire o ridurre gli episodi di sanguinamento.

Complessivamente sono 11 i trattamenti che saranno rimborsati dal SSN. Tra questi, altri due farmaci orfani:

- **Rezzayo** (rezafungin), un antimicotico per uso sistemico indicato per il trattamento della candidiasi invasiva negli adulti;
- **Voydeya** (danicopan), un nuovo farmaco orale da utilizzare, in combinazione, in pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica residua.

Due le nuove molecole chimiche che saranno ammesse alla rimborsabilità: **Balversa** (erdafitinib), antitumorale indicato per il carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico, e **Exblifep** (cefepime/enmetazobactam), un antibiotico combinato indicato per le infezioni complicate del tratto urinario e per la polmonite acquisita in ospedale, il primo autorizzato dal CdA di AIFA ad essere finanziato attraverso il nuovo Fondo innovativi di 100 milioni di euro destinati ai medicinali contro le antimicrobico-resistenze.

Le estensioni di indicazioni terapeutiche riguardano invece 6 medicinali già rimborsati per altre indicazioni: il farmaco per l'insufficienza cardiaca **Entresto** (sacubitril/valsartan complesso di sale sodico), l'immunosoppressore **Otezla** (apremilast), gli antitumorali **Tagrisso** (osimertinib) e **Xalkori** (crizotinib), il farmaco che agisce sulla struttura e sulla mineralizzazione ossea **Voxzogo** (vosoritide), e l'antivirale **Zepatier** (elbasvir/grazoprevir).

In calce al comunicato la tabella riassuntiva con i farmaci autorizzati e ammessi alla rimborsabilità da parte del Ssn e le indicazioni terapeutiche per esteso.

TABELLA DI SINTESI NUOVI FARMACI ED ESTENSIONE DELLE INDICAZIONI - CdA 29 luglio 2025*

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	etranacogene dezaparvovec	HEMGENIX	Hemgenix è indicato per il trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti senza storia di inibitori del fattore IX.
	rezafungin	REZZAYO	Rezzayo è indicato per il trattamento della candidiasi invasiva negli adulti. Devono essere prese in considerazione le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antifungini.
	danicopan	VOYDEYA	Voydeya è indicato, in associazione con ravulizumab o con eculizumab, per il trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica residua
Nuove entità chimiche	erdafitinib	BALVERSA	Balversa in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (UC) non resecabile o metastatico, portatori di alterazioni genetiche suscettibili di FGFR3, che abbiano precedentemente ricevuto almeno una linea di terapia con un inibitore di PD-1 o PD-L1 per malattia non resecabile o metastatica.
	cefepime/enmetazobactam	EXBLIFEP	EXBLIFEP è indicato per il trattamento delle seguenti infezioni negli adulti: <ul style="list-style-type: none"> • Infezioni complicate del tratto urinario (cUTI), inclusa ielonefrite. • Polmonite acquisita in ospedale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP). Trattamento di pazienti con batteriemia che si verifica in associazione a, o si sospetta che sia associata a una qualsiasi delle infezioni elencate sopra.
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	sacubitril/valsartan complesso di sale sodico	ENTRESTO	Entresto è indicato in bambini e adolescenti da un anno di età in poi per il trattamento dell'insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione sistolica ventricolare sinistra.
	apremilast	OTEZLA	Malattia di Behçet Otezla è indicato per il trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate alla malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica.
	apremilast	OTEZLA	Psoriasi pediatrica Otezla è indicato per il trattamento della psoriasi a placche, da moderata a grave, in bambini e adolescenti di età pari o superiore a 6 anni e di peso non inferiore a 20 kg e che sono candidati alla terapia sistemica. Psoriasi pediatrica psoriasi cronica a placche da moderata a grave deve essere limitato a pazienti di età pari o superiore a 6 anni e di peso non inferiore a 20 kg che non hanno a pazienti adulti che non hanno risposto, che hanno una controindicazione o che sono intolleranti ad altra terapia sistemica (comprendente ciclosporina, metotrexato o psoralene e raggi ultravioletti di tipo A, PUVA) e nei quali l'uso dei farmaci biologici sia controindicato o non tollerato.

	osimertinib	TAGRISSO	TAGRISSO è indicato in associazione a pemetrexed e chemioterapia a base di platino per il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con NSCLC avanzato il cui tumore presenta delezioni dell'esone 19 o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R) di EGFR.
	osimertinib	TAGRISSO	TAGRISSO è indicato in associazione a: <ul style="list-style-type: none"> • pemetrexed e chemioterapia a base di platino per il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con NSCLC avanzato il cui tumore presenta delezioni dell'esone 19 o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R) di EGFR.
	vosoritide	VOXZOGO	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i 4 mesi e i 2 anni. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica.
	crizotinib	XALKORI	Trattamento di pazienti pediatrici (da >=1 a <18 anni) con tumore miofibroblastico infiammatorio (Inflammatory Myofibroblastic Tumour, IMT) non resecabile, recidivante o refrattario, positivo per ALK (chinasi del linfoma anaplastico).
	crizotinib	XALKORI	Trattamento di pazienti pediatrici (da =>1 a <18 anni) con linfoma anaplastico a grandi cellule (Anaplastic Large Cell Lymphoma, ALCL) di tipo sistemico recidivante o refrattario, positivo per ALK (chinasi del linfoma anaplastico).
	elbasvir/grazoprevir	ZEPATIER	Zepatier è indicato per il trattamento dell'epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) nei pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con un peso di almeno 30 kg.

* N.B. Per altre informazioni (classe e regime di fornitura, innovatività, registro, numero procedura) si veda l'allegato al presente comunicato.