



The AIFA Board of Directors approves the reimbursability of 11 medicines, including the first gene therapy for haemophilia B

The National Health Service will reimburse the first one-shot treatment for severe and moderately severe haemophilia B, a rare and potentially fatal disease that causes bleeding in the joints, muscles and internal organs.

At its meeting on 29 July, the AIFA Board of Directors gave the green light to the reimbursability of **Hemgenix** (etranacogene dezaparovec), the first gene therapy authorised for haemophilia B, which can have a significant impact on patients' quality of life. Currently, people with this hereditary blood clotting disorder must undergo continuous, lifelong infusions of coagulation factor IX to compensate for the congenital deficiency and prevent bleeding. Etranacogene dezaparovec, an orphan drug that has been recognised as innovative, is administered in a single intravenous solution and uses an adenoviral vector to transport the functional gene for Factor IX production into cells. This allows the liver to produce Factor IX protein and increase its levels in the blood, helping to prevent or reduce bleeding episodes.

A total of 11 treatments will be reimbursed by the NHS. These include two other orphan drugs:

- **Rezzayo** (rezafungin), an antifungal agent for systemic use indicated for the treatment of invasive candidiasis in adults;
- **Voydeya** (danicopan), a new oral medicine to be used in combination in adult patients with paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) who have residual haemolytic anaemia.

Two new chemical molecules will be eligible for reimbursement: **Balversa** (erdafitinib), an anticancer medicine indicated for unresectable or metastatic urothelial carcinoma, and **Exblifep** (cefepime/enmetazobactam), a combination antibiotic indicated for complicated urinary tract infections and hospital-acquired pneumonia, the first authorised by the AIFA Board of Directors to be financed through the new €100 million Innovation Fund for medicines targeting antimicrobial resistance.

The extensions of therapeutic indications concern six medicines already reimbursed for other indications: the heart failure medicine **Entresto** (sacubitril/valsartan sodium salt complex), the immunosuppressant **Otezla** (apremilast), the anticancer medicines **Tagrisso** (osimertinib) and **Xalkori** (crizotinib), the medicine that acts on bone structure and mineralisation **Voxzogo** (vosoritide), and the antiviral **Zepatier** (elbasvir/grazoprevir).

A summary table of the authorised medicines eligible for reimbursement by the National Health Service (NHS) and their full therapeutic indications is provided at the bottom of the press release.

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.