



## **Sarà rimborsata dal Ssn la prima terapia di editing genetico per la $\beta$ -talassemia e l'anemia falciforme**

*Il CdA AIFA approva la rimborsabilità di 7 nuovi farmaci (di cui 2 orfani), di 6 generici e di 6 estensioni di indicazioni terapeutiche*

Sarà rimborsata dal Servizio sanitario nazionale (Ssn) la prima terapia genica con tecnologia CRISPR-CAS9 autorizzata in Italia e in Europa. Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA – nella seduta del 17 settembre – ha infatti dato il via libera alla rimborsabilità di **Casegyv** (exagamglogene autotemcel) indicato per il trattamento della  $\beta$ -talassemia (TDT) e dell'anemia falciforme (SCD), due gravi emoglobinopatie ereditarie, causate da mutazioni del gene della  $\beta$ -globina. Si tratta di un percorso terapeutico altamente innovativo. Le cellule staminali ematopoietiche vengono estratte dal paziente, modificate geneticamente in laboratorio e reinfuse nel suo organismo, dove danno origine alle cellule del sangue in grado di produrre emoglobina fetale (sana), riducendo o eliminando la necessità di trasfusioni nella TDT e le crisi vaso-ostruttive della SCD.

L'altro farmaco orfano che sarà rimborsato dal Ssn è **Zynyz** (retifanlimab), un anticorpo monoclonale indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel.

Sono invece 5 le nuove molecole di origine chimica che verranno ammesse alla rimborsabilità:

- **Anzupgo** (delgocitinib) per il trattamento dell'eczema cronico delle mani;
- **Camzyos** (mavacamten) per il trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO);
- **Krazati** (adagrasib) per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule avanzato;
- **Medepidol** (idromorfone) per il trattamento del dolore severo negli adulti;
- **Vanflyta** (quizartinib) per il trattamento della leucemia mieloide acuta (LMA).

Il CdA dell'AIFA ha inoltre ammesso alla rimborsabilità a carico del SSN 6 farmaci generici:

- **Apremilast G.L., Apremilast Krka e Apremilast Teva** (apremilast) per il trattamento dell'artrite psoriasica, della psoriasi, e della malattia di Behçet;
- **Ciclofosfamide Seacross** (ciclofosfamide) per il trattamento di diversi tipi di tumori e malattie autoimmuni;
- **Diavic** (liraglutide) per il trattamento del diabete mellito di tipo 2;
- **Intelence** (etravirina) per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di Tipo 1 (HIV-1).

Le estensioni di indicazioni terapeutiche ammesse alla rimborsabilità riguardano invece 5 medicinali già rimborsati per altre indicazioni: l'anticorpo monoclonale umanizzato **Bimzelx** (bimekizumab) che sarà rimborsato per due nuove indicazioni; **Braftovi** (encorafenib) e **Mektovi** (binimetinib), due antitumorali indicati in combinazione per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC); **Livmarli** (maralixibat), per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC) e **Tepkinly** (epcoritamab) per il trattamento del linfoma follicolare (FL) recidivato o refrattario.

*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 17 settembre 2025\***

Farmaci orfani per malattie rare	Exagamlogene autotemcel	CASGEVY	<p><math>\beta</math>-talassemia</p> <p>Casgevvy è indicato per il trattamento della <math>\beta</math>-talassemia trasfusione-dipendente (transfusion-dependent <math>\beta</math>-thalassemia, TDT) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (haematopoietic stem cell, HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (human leukocyte antigen, HLA) compatibile.</p> <p>Anemia falciforme</p> <p>Casgevvy è indicato per il trattamento dell'anemia falciforme (sickle cell disease, SCD) severa in pazienti di età pari o superiore a 12 anni con crisi vaso-occlusive (vaso-occlusive crises, VOC) ricorrenti, per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (HLA) compatibile.</p>
	Retifanlimab	ZYNYZ	ZYNYZ è indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel (Merkel cell carcinoma - MCC) recidivato localmente avanzato non resecabile né candidabile a radioterapia.
Nuove entità chimiche	Delgocitinib	ANZUPGO	Anzupgo è indicato per il trattamento dell'eczema cronico delle mani (chronic hand eczema, CHE) da moderato a severo negli adulti per i quali i corticosteroidi topici sono inadeguati o inappropriati.
	Mavacamten	CAMZYOS	Camzyos è indicato per il trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO) sintomatica (classe II-III secondo la classificazione della New York Heart Association, NYHA) in pazienti adulti.
	Adagrasib	KRAZATI	KRAZATI in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con mutazione KRAS G12C e progressione della malattia dopo almeno una precedente terapia sistemica.
	Idromorfone	MEDEPIDOL	Trattamento del dolore severo negli adulti.
	Quizartinib	VANFLYTA	Vanflyta è indicato in associazione a chemioterapia di induzione standard a base di citarabina e antraciclina e chemioterapia di consolidamento standard a base di citarabina, seguite da Vanflyta come monoterapia di mantenimento, per pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) FLT3-ITD positiva di nuova diagnosi.

Farmaci generici, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	Apremilast	APREMILAST G.L.	<p>Artrite psoriasica:  Apremilast G.L., da solo o in associazione a farmaci antireumatici modificanti la malattia (Disease Modifying Antirheumatic Drugs, DMARDs), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica (PsA) attiva in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o sono risultati intolleranti a una precedente terapia con DMARD (vedere paragrafo 5.1).</p> <p>Psoriasi:  Apremilast G.L. è indicato per il trattamento della psoriasi cronica a placche da moderata a grave in 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).</p> <p>Malattia di Behçet  Apremilast G.L. è indicato per il trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate alla malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica.</p>
	Apremilast	APREMILAST KRKA	<p>Artrite psoriasica  Apremilast Krka, da solo o in associazione a farmaci antireumatici modificanti la malattia (Disease Modifying Antirheumatic Drugs, DMARDs), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica (PsA) attiva in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o sono risultati intolleranti a una precedente terapia con DMARD (vedere paragrafo 5.1).</p> <p>Psoriasi  Apremilast Krka è indicato per il trattamento della psoriasi cronica a placche da moderata a grave in 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).</p> <p>Malattia di Behçet  Apremilast Krka è indicato per il trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate alla malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica.</p>

	Apremilast	APREMILAST TEVA	<p>Artrite psoriasica Apremilast Teva, da solo o in associazione a farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARD), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica (PsA) attiva in pazienti adulti che hanno ottenuto una risposta inadeguata o che sono risultati intolleranti a una precedente terapia con DMARD (vedere paragrafo 5.1).</p> <p>Psoriasi Apremilast Teva è indicato per il trattamento della psoriasi cronica a placche da moderata a grave in pazienti adulti che non hanno risposto, che hanno una controindicazione o che sono intolleranti ad altre terapie sistemiche, tra cui ciclosporina, metotrexato o psoralene e raggi ultravioletti di tipo A (PUVA).</p> <p>Malattia di Behçet Apremilast Teva è indicato per il trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate a malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica.</p>
	Ciclofosfamide	CICLOFOSFAMIDE SEACROSS	<p>La ciclofosfamide può essere utilizzata da sola o in combinazione con altri agenti chemioterapici, a seconda dell'indicazione. CICLOFOSFAMIDE SEACROSS è indicato nel trattamento di:</p> <p>Leucemia linfocitica cronica (CLL), Leucemia linfocitica acuta (ALL), Come condizionamento per un trapianto di midollo osseo, nel trattamento della leucemia linfoblastica acuta, della leucemia mielogena cronica e della leucemia mielogena acuta in combinazione con irradiazione dell'intero corpo o busulfano, linfoma di Hodgkin, linfoma non-Hodgkin e mieloma multiplo, carcinoma ovarico e mammario metastatico, trattamento adiuvante del carcinoma mammario, sarcoma di Ewing, cancro del polmone a piccole cellule, neuroblastoma avanzato o metastatico, malattie autoimmuni potenzialmente letali: forme gravi e progressive di nefrite lupica e granulomatosi di Wegener.</p>
	Liraglutide	DIAVIC	<p>Diavic è indicato per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 10 anni affetti da diabete mellito di tipo 2 non adeguatamente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• come monoterapia quando l'uso di metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni</li> <li>• in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete.</li> </ul> <p>Per i risultati degli studi clinici rispetto alle combinazioni, agli effetti sul controllo glicemico e sugli eventi cardiovascolari e alle popolazioni studiate, vedere i paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1.</p>

	Etravirina	INTELENCE	INTELENCE, in associazione a un Inibitore della Proteasi potenziato e ad altri antiretrovirali, è indicato nel trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di Tipo 1 (HIV-1), in pazienti adulti precedentemente trattati con antiretrovirali e in pazienti pediatrici dai 2 anni di età precedentemente trattati con antiretrovirali.
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	Bimekizumab	BIMZELX	Bimzelx è indicato per il trattamento di adulti affetti da spondiloartrite assiale non radiografica attiva con segni oggettivi di infiammazione, rilevati tramite livelli elevati di proteina C-reattiva (C-Reactive 3 Protein, CRP) e/o tramite risonanza magnetica (RM), che hanno risposto in maniera inadeguata o sono intolleranti ai farmaci antinfiammatori non steroidei (FANS). Bimzelx è indicato per il trattamento di adulti affetti da spondilite anchilosante attiva che hanno risposto in maniera inadeguata o sono intolleranti alla terapia convenzionale.
	Bimekizumab	BIMZELX	Bimzelx è indicato per il trattamento dell'idrosadenite suppurativa [hidradenitis suppurativa, HS] attiva da moderata a severa (acne inversa) in pazienti adulti con una risposta inadeguata alla terapia sistemica convenzionale per l'HS.
	Encorafenib	BRAFTOVI	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) Encorafenib in associazione a binimetinib è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio avanzato positivo alla mutazione BRAF V600E.
	Maralixibat	LIVMARLI	Livmarli è indicato per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC) nei pazienti di età pari o superiore a 3 mesi.
	Binimetinib	MEKTOVI	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) Binimetinib in associazione a encorafenib è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio avanzato positivo alla mutazione BRAF V600E.
	Epcoritamab	TEPKINLY	Tepkinly, in monoterapia, è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma follicolare (FL) recidivato o refrattario, dopo due o più linee di terapia sistemica.

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