



### Sarà rimborsato dal SSN il primo trattamento (Skyclarys) per l'Atassia di Friedreich

*Ammessi alla rimborsabilità dal CdA dell'AIFA 7 farmaci (di cui 3 orfani), 2 generici e 6 estensioni di indicazione terapeutica*

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA – nella seduta del 15 dicembre – ha dato il via libera alla rimborsabilità di **Skyclarys** (omaveloxolone), farmaco orfano per il trattamento dell'atassia di Friedreich.

L'atassia di Friedreich è una malattia genetica rara che interessa principalmente il sistema nervoso centrale e il cuore. Esordisce durante l'infanzia o l'adolescenza e la sua progressione porta spesso alla perdita dell'autonomia motoria entro il terzo decennio di vita, mentre le complicanze cardiache rappresentano la principale causa di mortalità. Si stima che colpisca 1 persona ogni 20.000–50.000 nel mondo. In Italia, la prevalenza stimata è di circa 1,07 casi ogni 100.000 abitanti.

Skyclarys, primo farmaco che ha dimostrato di rallentare la progressione della malattia, è stato autorizzato dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) a febbraio 2024 e inserito da AIFA, a luglio 2024, nell'elenco dei farmaci distribuiti ai sensi della legge n. 648/1996, un programma di accesso precoce che consente l'erogazione gratuita ai pazienti eleggibili, con il costo interamente sostenuto dal Servizio Sanitario Nazionale.

Adesso, dopo la negoziazione con l'Azienda titolare, il farmaco sarà disponibile in regime di rimborsabilità per il trattamento dei pazienti di età pari o superiore ai 16 anni, dietro prescrizione dei centri per la cura delle malattie rare.

Altri due farmaci orfani sono stati ammessi alla rimborsabilità:

- **Hetronifly** (serplulimab), indicato in combinazione con carboplatino ed etoposide per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso;
- **Winrevair** (sotatercept), indicato, in associazione ad altre terapie, per il trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare, per migliorare la capacità di esercizio fisico.

Il CdA ha inoltre autorizzato la rimborsabilità di **Recigar** (Citisina), una nuova molecola indicata per smettere di fumare. L'uso di Recigar permette di ridurre gradualmente la dipendenza da nicotina e di disabituarsi dal fumo di tabacco senza sintomi di astinenza da nicotina (come umore depresso, irritabilità, ansia, difficoltà a concentrarsi, insonnia, aumento dell'appetito). È consigliato nelle persone di età compresa tra i 18 e i 65 anni. La durata del trattamento è di 25 giorni.

Saranno rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale anche:

- **Hympavzi** (marstacimab), per la profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti con emofilia A o B severe;

- **Ibuprofene Gen Orph** (ibuprofene), per il trattamento del dotto arterioso pervio nei neonati prematuri;
- **Kayfanda** (odevixibat), per il trattamento del prurito colestatico da sindrome di Alagille (ALGS).

Ammessi alla rimborsabilità anche due generici:

- **Mesalazina DOC** (mesalazina), indicato per la colite ulcerosa;
- **Oroxelam** (midazolam), indicato per le crisi convulsive acute prolungate nei bambini e negli adulti.

Tra le estensioni di indicazione terapeutica, gli anticorpi monoclonali **Keytruda** (pembrolizumab) e **Padcev** (enfortumab vedotin), in associazione tra loro, saranno rimborsati per il trattamento del carcinoma uroteriale.

**Keytruda** (pembrolizumab), in associazione ad altri farmaci, sarà rimborsato anche per il carcinoma dell'endometrio e della cervice.

Per il carcinoma dell'endometrio sarà anche rimborsata un'estensione di indicazione del farmaco **Jemperli** (dostarlimab). Infine, **Pirferidone Sandoz** (pirferidone) sarà rimborsato per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica.

*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 15 dicembre 2025\***

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	Omaveloxolone	SKYCLARYS	Trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni
	Serplulimab	HETRONIFLY	Hetronifly in combinazione con carboplatino ed etoposide è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC).
	Sotatercept	WINREVAIR	Winrevair, in associazione ad altre terapie per l'ipertensione arteriosa polmonare (pulmonary arterial hypertension, PAH), è indicato per il trattamento della PAH in pazienti adulti di classe funzionale (Functional Class, FC) da II a III dell'OMS, per migliorare la capacità di esercizio fisico
Nuove entità chimiche	Citisina	RECIGAR	Cessazione dell'abitudine al fumo e riduzione del desiderio di nicotina nei fumatori che vogliono smettere di fumare
	Marstacimab	HYMPAVZI	profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg, con: <ul style="list-style-type: none"> <li>• emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII &lt; 1%) senza inibitori del fattore VIII oppure</li> <li>•emofilia B severa (deficit congenito di fattore IX, FIX &lt; 1%) senza inibitori del fattore IX</li> </ul>
	Ibuprofene	IBUPROFENE GEN ORPH	Trattamento del dotto arterioso pervio emodinamicamente significativo nei neonati pretermine di età gestazionale inferiore alle 34 settimane
	Odevixibat	KAYFANDA	KAYFANDA è indicato per il trattamento del prurito colestatico da sindrome di Alagille (ALGS) in pazienti di età pari o superiore ai 6 mesi
Farmaci generici, copie (nuove specialità di	Mesalazina	MESALAZINA DOC	Colite ulcerosa

principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	Midazolam	OROXELAM	Trattamento delle crisi convulsive acute prolungate nei bambini (da 3 mesi a <18 anni) e negli adulti
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	Dostarlimab	JEMPERLI	JEMPERLI® è indicato in associazione a carboplatino e paclitaxel per il trattamento di pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente che sono candidate per la terapia sistematica
	Pembrolizumab	KEYTRUDA	KEYTRUDA, in associazione a enfortumab vedotin, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico negli adulti
	Pembrolizumab	KEYTRUDA	KEYTRUDA, in associazione a carboplatino e paclitaxel, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma dell'endometrio primario avanzato o ricorrente negli adulti che sono candidati a terapia sistematica
	Pembrolizumab	KEYTRUDA	Keytruda, in associazione a chemioradioterapia (radioterapia a fasci esterni seguita da brachiterapia), è indicato nel trattamento del carcinoma della cervice localmente avanzato in Stadio III – IVA secondo FIGO 2014 negli adulti che non hanno ricevuto una precedente terapia definitiva
	Enfortumab vedotin	PADCEV	Padcev, in associazione a pembrolizumab, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con cancro uroteliale non resecabile o metastatico che possono essere sottoposti a chemioterapia contenente platino
	Pirfenidone	PIRFENIDONE SANDOZ	Pirfenidone Sandoz è indicato negli adulti per il trattamento della fibrosi polmonare idiopatica (Idiopathic Pulmonary Fibrosis - IPF).

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