

Tabella di sintesi nuovi farmaci ed estensione delle indicazioni - CdA 29 luglio 2025

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE	CLASSE E REGIME DI FORNITURA	INNOVATIVITA'	REGISTRO	NUMERO PROCEDURA
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.	H/OSP	SI	SI	17983
	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.	H/OSP	NO	NO	18764
	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.	H/RRL	NO	SI	18921
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.	H/RRL	NO	NO	19166
	cefepime/enmetazobactam	EXBLIFEP	EXBLIFEP è indicato per il trattamento delle seguenti infezioni negli adulti: • 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.	H/OSP	NO	SI	18986
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	sacubitril/valsartan complesso di sale sodico	ENTRESTO	Entresto è indicato in bambini ed adolescenti da un anno di età in poi per il trattamento dell'insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione sistolica ventricolare sinistra.	A/PT-PHT/RRL	NO	NO	18713
	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.	A/PT-PHT/RRL	NO	NO	18974
	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.	A/PT-PHT/RRL	NO	NO	19347
	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.	H/RNRL	NO	NO	19264
	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.	H/RNRL	NO	NO	19492
	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".	H/RRL	SI	SI	18718
	Crizotinib	XALKORI	• Il 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).	H/RNRL	NO	NO	19409
	Crizotinib	XALKORI	• Il 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).	H/RNRL	NO	NO	19410
	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.	A/PT-PHT/RNRL	NO	SI	17484