



Segreteria della Commissione Scientifico-Economica del farmaco (CSE)

Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 17-21 marzo 2025

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
19211	IQIRVO (elafibranor)	Colangite biliare primitiva	Scheda approvata
19041	REBLOZYL (luspatercept)	Anemia trasfusione dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica	Scheda approvata
17799	VYDURA (rimegepant)	Eemicrania “in acuto”	Scheda approvata
18214	CRYSVITA (burosumab)	Ipofosfatemia FGF23-correlata	Parere espresso
18692	PREVMIS (letermovir)	Profilassi della malattia da CMV nel trapianto di rene	Scheda approvata
18713	ENTRESTO (sacubitril/valsartan)	Scompenso cardiaco dovuto a LVSD (pediatrico)	Scheda approvata
18623	KANUMA (sebelipasi alfa)	Deficit di LAL (d-LAL)	Approfondimento CSE

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
------------------	---------	-------------	------------

19350	OPDIVO (nivolumab)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19206 e 19387	EVKEEZA (evinacumab)	Ipercolesterolemia familiare omozigote	Argomento rinviato

C) Controdeduzioni delle aziende farmaceutiche a schede già valutate/approvate dalla CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
18892	RYSTIGGO (rozanolixizumab)	Miastenia Gravis Generalizzata	Scheda approvata
18214	CRYSVITA (burosumab)	Ipofosfatemia FGF23-correlata	Scheda approvata
19007	BRUKINSA (zanubrutinib)	Linfoma follicolare refrattario o recidivato	Scheda approvata

D) Aggiornamento schede di registro su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
18693	PREVYMIS (letermovir)	Profilassi della malattia da CMV nel trapianto di midollo	Scheda approvata

E) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
--	BAVENCIO (avelumab)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
--	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato

F) Modifica schede di monitoraggio già approvate dalla CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
17799	VYDURA (rimegepant)	Eemicrania "profilassi"	Scheda approvata

G) Notifiche

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
19162- 19163	KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi cistica	Presa d'atto
--	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Presa d'atto

H) Approfondimenti su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
--	CAR T (axicabtagene ciloleucel; lisocabtagene maraleucel; tisagenlecleucel)	Linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL), Linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL), Linfoma a cellule B ad alto grado (HGBL), Linfoma follicolare di grado 3B (FL3B) recidivanti/refrattari	Approfondimento CSE

I) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
19174	SKYCLARYS (omaveloxolone)	Atassia di Friedreich	Argomento rinviato
19169	AYVAKYT (avapritinib)	Mastocitosi sistemica indolente	Argomento rinviato
19166	BALVERSA (erdafitinib)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19161	BREYANZI (lisocabtagene maraleucel)	Linfoma diffuso a grandi cellule B, linfoma a cellule B ad alto grado, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B e linfoma follicolare di grado 3B in seconda linea	Argomento rinviato
19275	TEPKINLY (epcoritamab)	Linfoma Follicolare Recidivato/Refrattario (FL R/R)	Argomento rinviato
18964	TAKHZYRO (lanadelumab)	Angioedema ereditario (HAE)	Argomento rinviato
19317	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato
19256	PADCEV (enfortumab vedotin)	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato

19264	TAGRISSO (osimertinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Argomento rinviato
19273	YORVIPATH (palopegteriparatide)	Ipoparatiroidismo cronico	Argomento rinviato
19327	KAYFANDA (odevixibat)	Prurito colestatico	Argomento rinviato
19082	WINREVAIR (sotatercept)	Ipertensione arteriosa polmonare	Argomento rinviato
19322	ELAHERE (mirvetuximab soravtansine)	Carcinoma ovarico	Argomento rinviato
19333	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19334	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19335	LYNPARZA (olaparib)	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19338	OPDIVO (nivolumab)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19368	OLUMIANT (baricitinib)	Dermatite atopica	Argomento rinviato
19385	KEYTRUDA pembrolizumab)	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19403	KEYTRUDA pembrolizumab)	Carcinoma della cervice	Argomento rinviato
19353	VYLOY (zolbetuximab)	Carcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea	Argomento rinviato
19206 e 19387	EVKEEZA (evinacumab)	Ipercolesterolemia familiare omozigote	Argomento rinviato
19410	XALKORI (crizotinib)	Linfoma anaplastico a grandi cellule	Argomento rinviato
19409	XALKORI (crizotinib)	Tumore miofibroblastico infiammatorio	Argomento rinviato
19347	OTEZLA (apremilast)	Psoriasi	Parere espresso
19095	DUPIXENT (dupilumab)	Broncopneumopatia cronica ostruttiva	Argomento rinviato
19305	AKANTIOR (poliesanide)	Cheratite	Argomento rinviato
19438	PIASKY (crovalimab)	Emoglobinuria Parossistica Notturna (EPN)	Argomento rinviato
19463	KISQALI (ribociclib)	Carcinoma mammario	Argomento rinviato
19492	TAGRISSO (osimertinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Argomento rinviato
19369	TRUQAP (capivasertib)	Carcinoma mammario	Argomento rinviato
19411 - 19413	ROZLYTREK (entrectinib)	Tumori solidi che esprimono una fusione genica di NTRK	Argomento rinviato
19470	LIVMARLI (maralixibat)	PFIC nei pazienti di età pari o superiore a 3 mesi	Argomento rinviato
19259	OBGEMSA (vibegron)	sindrome della vescica iperattiva	Argomento rinviato

19372	CARVYKTI (ciltacabtagene autoleucel)	Mieloma Multiplo recidivato e refrattario” (MM R/R)	Argomento rinviato
19401	DARZALEX (daratumumab)	Mieloma Multiplo di nuova diagnosi eleggibile al trapianto	Argomento rinviato
18986	EXBLIFEP (cefepime+enmetazobactam)	Antibatterico	Argomento rinviato
19222	RECIGAR (dipendenza da nicotina)	Cessazione dell’abitudine al fumo	Parere espresso

J) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Parere CSE
19120	LEQVIO (inclisiran)	Ipercolesterolemia	Parere espresso

K) Varie ed eventuali