

Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 01-05 dicembre 2025

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19885	DUVYZAT (givinostat)	Distrofia muscolare di Duchenne (DMD)	Scheda approvata
20013	SIVEXTRO (tedizolid)	Antibatterico	Scheda approvata
19655	WAINZUA (eplontersen)	Amiloidosi ereditaria mediata da transtiretina in pazienti con polineuropatia (hATTR-PN)	Scheda approvata

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
20007	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Scheda approvata
20004	AMVUTTRA (vutrisiran)	Amiloidosi da transtiretina con cardiomiopatica (ATTR-CM)	Scheda approvata
20122	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma della vescica	Scheda approvata
20050	CALQUENCE (acalabrutinib)	Leucemia Linfatica Cronica non trattata in precedenza (LLC 1° L)	Scheda approvata
20051	CALQUENCE (acalabrutinib)	Linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario (MCL R/R)	Scheda approvata

20052	CALQUENCE (acalabrutinib)	Linfoma a cellule mantellari non trattato in precedenza (MCL 1° L)	Scheda approvata
20038	VYJUVEK (beremagene geperpavec)	Epidermolisi bollosa distrofica (DEB)	Scheda approvata

C) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
20007	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Parere espresso
20004	AMVUTTRA (vutrisiran)	Amiloidosi da transtiretina con cardiomiopatica (ATTR-CM)	Parere espresso
20122	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma della vescica	Parere espresso
20006	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio limitato (LS-SCLC)	Parere espresso
20050	CALQUENCE (acalabrutinib)	Leucemia Linfatica Cronica non trattata in precedenza (LLC 1° L)	Parere espresso
20051	CALQUENCE (acalabrutinib)	Linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario (MCL R/R)	Parere espresso
20052	CALQUENCE (acalabrutinib)	Linfoma a cellule mantellari non trattato in precedenza (MCL 1° L)	Parere espresso
20089	ZIIHERA (zanidatamab)	Carcinoma delle vie biliari (BTC)	Argomento rinviato
20109	NUBEQA (darolutamide)	Cancro della prostata metastatico ormono-sensibile (mHSPC)	Parere espresso
19920 e 19919	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/eleacaftor)-KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica (FC)	Parere espresso
20121	FILSPARI (sparsentan)	Nefropatia primaria da immunoglobulina A (IgAN)	Argomento rinviato
19595	KISUNLA (donanemab)	Disturbo cognitivo lieve o demenza	Argomento rinviato

19888 - 19889	OPSUMIT (macitentan)	Ipertensione arteriosa polmonare (PAH)	Parere espresso
20038	VYJUVEK (beremagene geperpavec)	Epidermolisi bollosa distrofica (DEB)	Parere espresso

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19419	ADZYNMA (Adamts13)	Porpora trombotica trombocitopenica congenita (cTTP)	Parere espresso
19609	LYVDELZI (seladelpar)	Colangite biliare primaria (CBP)	Parere espresso

E) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
--	Xolair (omalizumab)	Orticaria cronica	Parere espresso

F) Varie ed eventuali

Valutazione Istituzione Monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19742	JAYPIRCA (pirtobrutinib)_	leucemia linfatica cronica	Parere espresso

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
18623	KANUMA (sebelipasi alfa)	deficit di LAL	Parere espresso