



Via libera dal CdA di AIFA alla rimborsabilità di 2 nuovi medicinali orfani e 7 estensioni di indicazione terapeutica

Tra i medicinali che saranno rimborsati anche due farmaci orfani per il trattamento dei neurofibromi plessiformi nella neurofibromatosi di tipo 1 e del cancro delle vie biliari

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA, nella seduta del 23 settembre 2026, ha dato il via libera alla rimborsabilità di 2 nuovi farmaci orfani e 7 estensioni di indicazione terapeutica.

FARMACI ORFANI

Saranno rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale due nuovi farmaci orfani per il trattamento di malattie rare. Si tratta di **Ezmekly** (mirdametinib), indicato in monoterapia per il trattamento di neurofibromi plessiformi (PN) sintomatici non operabili in pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 2 anni con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1), e di **Ziihera** (zanidatamab), indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro delle vie biliari (BTC) HER2-positivo (IHC 3+) non resecabile, localmente avanzato o metastatico, precedentemente trattato con almeno una linea di terapia sistemica.

ESTENSIONI DI INDICAZIONI TERAPEUTICHE

Sette le estensioni delle indicazioni terapeutiche e variazioni posologiche ammesse alla rimborsabilità dal Consiglio di Amministrazione:

- **Dabigatran Etexilato Teva** (dabigatran etexilato): rimborsato per il trattamento del tromboembolismo venoso (TEV) e per la prevenzione di TEV ricorrente nei pazienti pediatrici (dal momento in cui il bambino è in grado di ingerire cibo morbido fino a meno di 18 anni di età).
- **Gamten** (immunoglobuline umane normali): esteso alla profilassi pre/post esposizione al morbillo per adulti, bambini e adolescenti (0-18 anni) suscettibili nei quali l'immunizzazione attiva è controindicata o non raccomandata, e all'immunomodulazione negli adulti affetti da dermatomiosite in fase attiva trattata con farmaci immunosoppressori (inclusi corticosteroidi) o in caso di intolleranza/controindicazioni a questi farmaci.
- **Koselugo** (selumetinib): rimborsato per il trattamento in monoterapia dei neurofibromi plessiformi (PN) inoperabili, sintomatici nei pazienti adulti con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1).
- **Nucala** (mepolizumab): rimborsato negli adulti come trattamento di mantenimento aggiuntivo per la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici, in associazione a tripla terapia (corticosteroidi per via inalatoria ICS, LABA e LAMA).

- **Pegasys** (peginterferone alfa-2a): rimborsato in monoterapia negli adulti per il trattamento della policitemia vera e della trombocitemia essenziale.
- **Tevimbra** (tislelizumab): rimborsato per il nuovo schema posologico di 400 mg somministrati per infusione endovenosa una volta ogni 6 settimane.
- **Veltassa** (patiomer): esteso al trattamento dell'iperkaliemia negli adolescenti di età compresa tra 12 e 17 anni.

RIDUZIONI DI SPESA FARMACEUTICA DA PROCEDIMENTI AIFA

Il CdA ha approvato riduzioni di spesa a esito di rinegoziazioni dei prezzi di medicinali già attualmente rimborsati per complessivi 34,9 milioni di euro.

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 23 settembre 2026

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	mirdametinib	EZMEKLY	Ezmekly in monoterapia è indicato per il trattamento di neurofibromi plessiformi (PN, plexiform neurofibromas) sintomatici non operabili in pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 2 anni, con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1)
	zanidatamab	ZIIHERA	Ziihera® è indicato in monoterapia per il trattamento di adulti con cancro delle vie biliari (BTC) HER2-positivo (IHC 3+) non resecabile localmente avanzato o metastatico, precedentemente trattato con almeno una linea di terapia sistemica (per la selezione dei pazienti basata sui biomarcatori, vedere paragrafo 4.2 del RCP).
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	dabigatran etexilato	DABIGATRAN ETEXILATO TEVA	Estensione di indicazione [75 mg,110 mg e 150 mg]: Trattamento di TEV e prevenzione di TEV ricorrente in pazienti pediatrici dal momento in cui il bambino è in grado di ingerire cibo morbido a meno di 18 anni di età
	immunoglobuline, umane normali	GAMTEN	Profilassi pre /post esposizione al morbillo per adulti, bambini e adolescenti (0 18 anni) suscettibili, nei quali l'immunizzazione attiva è controindicata o non raccomandata. Si devono tenere in considerazione anche le raccomandazioni ufficiali sull'uso di immunoglobuline umane per via endovenosa nella profilassi pre /post esposizione al morbillo e sull'immunizzazione attiva. Immunomodulazione in adulti affetti da: •Dermatomirosite in fase attiva trattata con farmaci immunosoppressori, inclusi i corticosteroidi, o in caso di intolleranza o controindicazioni a questi farmaci
	selumetinib	KOSELUGO	rimborsato per il trattamento in monoterapia dei neurofibromi plessiformi (PN) inoperabili, sintomatici nei pazienti adulti con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1).
	mepolizumab	NUCALA	Broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) Nucala è indicato negli adulti come trattamento di mantenimento aggiuntivo per la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici, in associazione con un corticosteroide per via inalatoria (inhaled corticosteroid, ICS), un beta2-agonista a lunga durata d'azione (long acting beta2-agonist, LABA) e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione (long acting muscarinic antagonist, LAMA)
	peginterferone alfa-2a	PEGASYS	Policitemia vera Pegasys è indicato in monoterapia negli adulti per il trattamento della policitemia vera. Trombocitemia essenziale Pegasys è indicato in monoterapia negli adulti per il trattamento della trombocitemia essenziale

	tislelizumab	TEVIMBRA	TN - 2.4 – Variazione di posologia di un'indicazione terapeutica già rimborsata, Tevimbra 5502 24/02/2026_5502_24-02-2026, BEIGENE IRELAND LIMITED 8 Carcinoma a cellule squamose dell'esofago (OSCC) Tevimbra, in combinazione con chemioterapia a base di platino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con OSCC non resecabile, localmente avanzato o metastatico i cui tumori esprimono PD-L1 con un punteggio TAP >=5%. Tevimbra in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con OSCC non resecabile, localmente avanzato o metastatico, dopo una precedente chemioterapia a base di platino. Carcinoma nasofaringeo (NPC) Tevimbra, in associazione a gemcitabina e cisplatino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con NPC recidivante, non candidabile a chirurgia o radioterapia curative, o metastatico
	patiomer	VELTASSA	Veltassa è indicato per il trattamento dell'iperkaliemia negli adolescenti di età compresa tra 12 e 17 anni

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