



Sarà rimborsata dal SSN la prima terapia genica topica per i “bambini farfalla”

Via libera dal CdA AIFA al trattamento topico dell'epidermolisi bollosa distrofica, la patologia nota anche come “sindrome dei bambini farfalla”, per l'estrema fragilità della pelle e delle mucose dei pazienti. Approvato anche il rimborso di farmaci per il tumore della cervice e per malattie polmonari nei bambini e negli adolescenti

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA, nella seduta del 28 ottobre 2026, ha approvato la rimborsabilità da parte del Servizio Sanitario Nazionale di 9 nuove opzioni terapeutiche, tra cui un farmaco orfano innovativo, un antitumorale, 5 estensioni di indicazione terapeutica e 2 medicinali equivalenti.

FARMACI ORFANI PER MALATTIE RARE

Sarà rimborsata dal SSN la prima terapia genica topica per il trattamento delle ferite in pazienti affetti da epidermolisi bollosa distrofica (DEB), una rara dermatosi della pelle di origine genetica, caratterizzata da fragilità della cute e delle mucose, che si manifesta in modo generalizzato e costante con la formazione di vesciche e ulcere spontanee o in risposta a traumi, lasciando cicatrici.

Per le persone affette dalla “sindrome dei bambini farfalla”, nome con cui l'epidermolisi bollosa è nota per il richiamo alla fragilità delle ali della farfalla, sarà adesso possibile accedere al trattamento con **VYJUVEK** (beremagene geperpavec), farmaco orfano al quale è stato attribuito anche il requisito di innovatività terapeutica. È un gel topico che viene applicato una volta a settimana direttamente sulle lesioni, da personale sanitario o da un caregiver adeguatamente formato. Il farmaco ha dimostrato efficacia nel guarire le lesioni causate dalla patologia.

NUOVE MOLECOLE

Tra le nuove molecole, via libera anche alla rimborsabilità di **TIVDAK** (tisotumab vedotin), indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancro della cervice recidivato o metastatico con progressione della malattia durante o dopo la terapia sistemica.

ESTENSIONI DI INDICAZIONI TERAPEUTICHE

Sono 5 i farmaci per i quali sono state rimborsate delle nuove indicazioni terapeutiche e posologiche, in particolare per l'età pediatrica e la prevenzione cardiovascolare:

- **OFEV** (nintedanib): la rimborsabilità viene estesa ai bambini e adolescenti di età compresa tra 6 e 17 anni per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti progressive clinicamente significative, e a bambini e adolescenti dai 6 anni in su per la malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica (SSc-ILD).
- **RAMIPRIL HEXAL** (ramipril): l'estensione riguarda la prevenzione cardiovascolare, e in particolare la riduzione della morbilità e mortalità cardiovascolare in pazienti con patologie

cardiovascolari aterotrombotiche conclamate (pregresse patologie coronariche, ictus o patologie vascolari periferiche) oppure con diabete associato ad almeno un fattore di rischio cardiovascolare.

- **SUGAMMADEX FRESENIUS KABI** (sugammadex), farmaco equivalente, sarà rimborsato per l'antagonismo del blocco neuromuscolare indotto da rocuronio o vecuronio negli adulti e, nella popolazione pediatrica, per l'antagonismo di routine del blocco indotto da rocuronio dalla nascita fino ai 17 anni.
- **KLEKTICA** (levofloxacin) sarà rimborsato per la profilassi dopo l'esposizione e il trattamento curativo dell'inalazione di antrace.
- **LENALIDOMIDE GRINDEKS** (lenalidomide), farmaco equivalente, sarà rimborsato in monoterapia nel trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione-dipendente.

FARMACI EQUIVALENTI

Infine, il CdA ha ammesso alla rimborsabilità 2 farmaci equivalenti:

- **LINAGLIPTIN ZENTIVA** (linagliptin), indicato per migliorare il controllo della glicemia negli adulti con diabete mellito di tipo 2 (in aggiunta a dieta ed esercizio fisico), sia in monoterapia (quando la metformina non è appropriata per intolleranza o compromissione renale) sia in associazione con altri ipoglicemizzanti o insulina;
- **MACITENTAN GLENMARK** (macitentan), indicato, in monoterapia o in associazione, per il trattamento a lungo termine dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH) in pazienti adulti in classe funzionale II e III dell'OMS.

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 28 ottobre 2026

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	beremagene geperpavec	VYJUVEK	Trattamento delle ferite nei pazienti con epidermolisi bollosa distrofica (DEB) nella forma severa (RDEB e DDEB severa) con mutazione/i nel gene della catena alfa 1 del collagene di tipo VII (COL7A1) dalla nascita.
Nuove molecole	tisotumab vedotin	TIVDAK	Tivdak in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancro della cervice recidivato o metastatico con progressione della malattia durante o dopo la terapia sistemica.
Farmaci equivalenti, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	linagliptin	LINAGLIPTIN ZENTIVA	Linagliptin Zentiva, in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico, è indicato per migliorare il controllo della glicemia negli adulti con diabete mellito di tipo 2 come: monoterapia • quando la metformina non è appropriata a causa di intolleranza o è controindicata a causa della compromissione renale. terapia di associazione • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi non forniscono un adeguato controllo della glicemia (vedere paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1 per i dati disponibili sulle diverse combinazioni.
	macitentan	MACITENTAN GLENMARK	Adulti Macitentan Glenmark è indicato, sia in monoterapia che in associazione, per il trattamento a lungo termine dell'ipertensione arteriosa polmonare (pulmonary arterial hypertension, PAH) in pazienti adulti in classe funzionale II e III dell'OMS.
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	levofloxacin	KLEKTICA	Inalazione di antrace: profilassi dopo l'esposizione e trattamento curativo.
	lenalidomide	LENALIDOMIDE GRINDEKS	Sindromi mielodisplastiche Lenalidomide Grindeks come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindromi mielodisplastiche a rischio basso o intermedio-1, associate ad anomalia citogenetica da delezione isolata del 5q, quando altre opzioni terapeutiche sono insufficienti o inadeguate.
	nintedanib	OFEV	Ofev è indicato nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 6 e 17 anni per il trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti progressive clinicamente significative • Ofev è indicato negli adolescenti e nei bambini di età pari o superiore a 6 anni per il trattamento della malattia interstiziale polmonare associata a sclerosi sistemica (SSc ILD).
	ramipril	RAMIPRIL HEXAL	Prevenzione cardiovascolare: riduzione della morbilità e mortalità cardiovascolare in pazienti con: • patologie cardiovascolari aterotrombotiche conclamate (pregresse patologie coronariche o ictus, o patologie vascolari periferiche) o • diabete con almeno un fattore di rischio cardiovascolare.
	sugammadex	SUGAMMADEX FRESENIUS KABI	Antagonismo del blocco neuromuscolare indotto da rocuronio o vecuronio negli adulti. Per la popolazione pediatrica: sugammadex è raccomandato solo per l'antagonismo di routine del blocco indotto da rocuronio in pazienti pediatrici dalla nascita fino a 17 anni di età.