



Unità Coordinamento Segreterie Organismi Collegiali

● Esiti Ufficio Ricerca e Sperimentazioni Cliniche CTS: 21, 22 e 23 ottobre 2014

Sperimentazioni cliniche ed emendamenti sostanziali con ATIMP

1. Codice protocollo: H0113, versione 6 del 25 marzo 2014 EudraCT Number; 2012-004915-30; Sponsor: HOVON Foundation; IMP: Cellule stromali mesenchimali, soluzione per infusione.
Titolo Protocollo: Trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD) acuta, di grado severo, steroide-resistente con cellule stromali mesenchimali. Studio clinico multicentrico, randomizzato, di fase II.
Parere CTS: approfondimento CTS
2. Codice protocollo: ATTACK-OG, vers. 3 del 21 giugno 201; EudraCT Number; 2012-005327-33; Sponsor: The Christie NHS Foundation Trust, GB; IMP: NYESO-1 T CELLS.
Titolo Protocollo: Studio di fase II non randomizzato multi-centrico, open label, che prevede l'infusione di linfociti T autologhi ridirezionati contro l'antigene NYESO-1 in associazione a pre-condizionamento tramite chemioterapia e somministrazione di IL-2.
Parere CTS: argomento rinviato alla prossima seduta in attesa dei commenti dell'esperto
3. Codice protocollo: 20120325, vers. 1 del 18 marzo 2014; EudraCT Number; 2013-005552-15; Sponsor: Amgen S.r.l.; IMP: Talimogene Laherparepvec.
Titolo Protocollo: Studio clinico di fase II, multicentrico, in aperto, a braccio singolo per la valutazione della correlazione tra il tasso di risposta obiettiva e la densità delle cellule CD8+ intratumorali al basale nei soggetti con melanoma non-resecato di stadio da IIIB a IVM1c trattati con talimogene laherparepvec.
Parere CTS: argomento rinviato alla prossima seduta in attesa dei commenti dell'esperto
4. Codice Emendamento: Amendment 4, versione 1 del 2 aprile 2014 28 August 2014 , Version n°1 .0– Amendment 5; EudraCT Number; 2012-001410-41; Sponsor: Istituto Scientifico Romagnolo per lo Studio e la Cura dei Tumori; IMP: Cellule dendritiche autologhe caricate con lisato od omogenato tumorale autologo.
Titolo Protocollo: Vaccinazione con cellule dendritiche autologhe caricate con lisato od omogenato tumorale autologo associata a radioterapia immunomodulante e/o

IFN-alfa preleucaferesi in pazienti con melanoma metastatico: studio di fase II randomizzato "proof-of-principle".

Parere CTS: parere favorevole

5. Codice Emendamento: Emendamento IMPD v.1.2 5 giugno 2014; EudraCT Number; 2012-000871-17; Sponsor: ARGOS THERAPEUTICS; IMP: Cellule dendritiche autologhe co-elettroporate con RCC RNA autologo e RNA sintetico (CD40L).
Titolo Protocollo: An International phase III randomized trial of autologous dendritic cell immunotherapy (AGS-003) plus standard treatment of advanced renal cell carcinoma (ADAPT).

Parere CTS: parere favorevole

Richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%

1. Fondazione IRCCS CA' Granda – Ospedale Maggiore Policlinico – U.O. Pediatria: per il finanziamento a copertura della spesa per l'acquisto del medicinale **delamanid (Delyba)** per il *trattamento di un paziente affetto da tubercolosi altamente resistente ai farmaci (TB XDR)*.
Parere CTS: parere favorevole dopo aver verificato l'indisponibilità della ditta Otsuka Pharmaceutical Co.Ltd. a fornire il farmaco per trattamento in uso compassionevole già iniziato in assenza di AIC del farmaco in Italia.
2. Azienda Sanitaria Provinciale di Siracusa – U.O.S. Farmacia – U.O.C. Gestione farmaci: per la somministrazione del medicinale **ivacaftor (Kalydeco)**, compresse da 150 mg, per il trattamento di un paziente (G.S.- 12/7/1995) affetto da fibrosi cistica, portatore della mutazione G551D.
Parere CTS: parere favorevole

Richieste di inserimento nella Lista 648/96

1. Inserimento del medicinale **adalimumab (Humira)** per l'indicazione: *Idrosadenite suppurativa*.
Parere CTS: argomento rinviato alla prossima seduta in attesa di un approfondimento che coinvolga un esperto
2. Inserimento dei farmaci **anakinra e canakinumab** nel *trattamento delle Sindromi auto infiammatorie in età pediatrica (TRAPS)*.
Parere CTS: argomento rinviato alla prossima seduta in attesa dei commenti dell'esperto
3. Inserimento dell'**acido colico (Orphacol)** per il *trattamento dei difetti congeniti della sintesi degli acidi biliari primari causati dal deficit di 3 β -idrossi- Δ 5-C27-steroidi ossidoreduttasi o deficit di Δ 4-3-ossosteroidi-5 β -reduttasi in lattanti, bambini e adolescenti da 1 mese a 18 anni di età e negli adulti*.
Parere CTS: parere non favorevole, la Commissione si dichiara disponibile all'esame di eventuali richieste di accesso al Fondo Aifa del 5%

Follow-up di richieste di inserimento già discusse

1. Richiesta di proroga dell'inserimento del medicinale "**lomitapide**" per l'indicazione "*trattamento della ipercolesterolemia familiare omozigote*".

- Parere CTS: parere favorevole**
- 2 Inserimento del farmaco **ataluren (Translarna)** per l'indicazione: *trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofina in pazienti di età pari o superiore a 5 anni.*
Parere CTS: parere favorevole all'inserimento del farmaco in lista L.648/96 (lista classica) per il periodo massimo di un anno
- 3 Ulteriore aggiornamento della richiesta di Inserimento del prodotto medicinale **Vekacia (emulsione oftalmica Ciclosporina 0.1%)** per il *trattamento della cheratocongiuntivite primaverile grave.*
Parere CTS: parere non favorevole per indicazione pediatrica della cheratocongiuntivite primaverile grave del bambino, perché il dossier è stato ritirato dall'EMA già nel 2008
- 4 Aggiornamento della richiesta di di inserimento del farmaco **atazanavir (Reyataz)** unboosted in associazione ad analoghi nucleosidici nei pazienti con HIV in trattamento e con carica virale soppressa, che non riescono a tollerare la dose booster di ritonavir.
Parere CTS: la Commissione autorizza l'inserimento in lista L.648/96 uso consolidato per l'indicazione in oggetto.

Varie ed eventuali

- 1 Primo quesito su **bendamustina** in 648 per l'utilizzo nel *linfoma follicolare.*
Parere CTS: parere favorevole all'inserimento della Bendamustina nell'indicazione linfoma mantellare
- 2 Secondo quesito su **bendamustina** in 648 per l'utilizzo nel *mieloma multiplo recidivato.*
Parere CTS: in caso di somministrazioni associate deve essere rimborsato esclusivamente il farmaco aggiuntivo
- 3 Programma di Uso Compassionevole di **nintedanib** nel trattamento della fibrosi polmonare idiopatica.
Parere CTS: richiesta approfondimento ad esperti.
- 4 ADA-SCID-MM: Richiesta uso "retention" vettore per farmaco di terapia genica (GSK2696273) ad Uso Compassionevole (ex DM 8 maggio 2003).
Parere CTS: mandato agli Uffici di approfondire con l'ISS eventuali problematiche legate alla qualità del prodotto.

Pubblicazione come da POS AIFA n. 273 Rev. 0 – "Pubblicazione OdG ed esiti relativi alla CTS e CPR"