



## Area Strategia ed Economia del Farmaco

### Settore HTA ed Economia del Farmaco

**Elenco dei farmaci innovativi ai sensi dell'articolo 10, comma 2, Legge 8 novembre 2012, n. 189, come definito dall'art.1 comma 1 e 2 dell'accordo Stato Regioni del 18 novembre 2010 (Rep.Atti n.197/CSR).**

L'elenco rappresenta i prodotti innovativi che devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali. Il riferimento all'inserimento in elenco è pubblicato in G.U. per ogni singola specialità in relazione all'indicazione in regime di rimborso SSN.

Per i prodotti che hanno accesso ai fondi farmaci innovativi, si rimanda agli elenchi pubblicati ai sensi dell'art. 1, commi 402, 403 e 404, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 (legge di Bilancio 2017) e ss.mm.ii.

Principi attivi con parere sull'innovatività da parte della Commissione Tecnico Scientifica dell'Aifa in corso di validità nell'anno in corso dalla data di pubblicazione in G.U. (data di efficacia del provvedimento) e in ordine alfabetico.

#### ELENCO IN BASE ALL'ART.1 COMMA 1 E 2 DELL'ACCORDO STATO REGIONI DEL 18 NOVEMBRE 2010 (REP.ATTI N.197/CSR).

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
ADCETRIS	brentuximab vedotin	Adcetris e' indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da Linfoma cutaneo a cellule T (CTCL) CD30 positivo, sottoposti ad almeno una precedente terapia sistemica	H	Condizionata per 18 mesi	01/11/2019	30/04/2021
ALECENSA <sup>1</sup>	alectinib	in monoterapia è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK).	H	Innovatività	01/08/2018	31/07/2021
BRINEURA	cerliponase alfa	trattamento della patologia ceroidolipofusinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), nota anche come carenza di tripeptidil-peptidasi 1 (TPP-1).	H	Innovatività	13/05/2020	12/05/2023
CABLIVI	caplacizumab	Cablivi è indicato per il trattamento negli adulti degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione a	H	Condizionata per 18 mesi	18/01/2020	17/07/2021

<sup>1</sup> Rivalutazione innovatività CTS novembre 2019.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		plasmaferesi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione				
CRYSVITA	burosumab	trattamento dell'ipofosfatemia X -linked (XLH) con evidenza radiografica di malattia ossea, nei bambini di età pari o superiore a 1 anno e negli adolescenti con sistema scheletrico in crescita.	H	Condizionata per 18 mesi	06/09/2019	05/03/2021
DARZALEX	daratumumab	Esclusivamente nell'indicazione in combinazione con lenalidomide e desametasone, o bortezomib e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che abbiano ricevuto almeno una precedente terapia.	H	Innovatività	19/04/2018	18/04/2021
DUPIXENT	dupilumab	il trattamento della dermatite atopica da moderata a grave in pazienti adulti eligibili per la terapia sistemica.	H	Innovatività	08/09/2018	07/09/2021
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra e' indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII. Hemlibra puo' essere usato in tutte le fasce d'eta'	A	Condizionata per 18 mesi	19/03/2020	18/09/2021
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A con inibitori del fattore VIII. Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età	A	innovatività	07/12/2018	06/12/2021
IMFINZI	durvalumab	Imfinzi® è indicato in monoterapia per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato, non resecabile, negli adulti il cui tumore presenta un'espressione di PD-L1 ≥ 1% sulle cellule tumorali e la cui malattia non è progredita a seguito di chemioradioterapia a base di platino	H	Innovatività	07/09/2019	06/09/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma di Hodgkin classico (cHL) recidivato o refrattario che abbiano fallito il trattamento con trapianto autologo di cellule staminali (ASCT) e brentuximab vedotin (BV), o che non siano eleggibili al trapianto e abbiano fallito il trattamento con BV	H	Condizionata per 18 mesi	12/12/2019	11/06/2021
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento del carcinoma uroteliale localmente avanzato o metastatico negli adulti che hanno ricevuto una precedente chemioterapia contenente platino;	H	Condizionata per 18 mesi	12/12/2019	11/06/2021
KEYTRUDA	pembrolizumab	KEYTRUDA, in associazione a pemetrexed e chemioterapia contenente platino, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico non squamoso negli adulti il cui tumore non è positivo per mutazioni di EGFR o per ALK	H	Innovatività	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento adiuvante di	H	Innovatività	11/12/2019	10/12/2022

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		pazienti adulti con melanoma al III Stadio e con coinvolgimento dei linfonodi che sono stati sottoposti a resezione completa.				
KISQALI <sup>2</sup>	ribociclib	Kisqali, in associazione a un inibitore dell'aromatasi o a fulvestrant, è indicato nelle donne con carcinoma mammario in stadio localmente avanzato o metastatico positivo per il recettore ormonale (HR) e negativo per il recettore 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2), come terapia iniziale a base endocrina o in donne che hanno in precedenza ricevuto una terapia endocrina. In donne in pre-o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH). In donne in pre-o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH)	H	Innovatività	22/05/2020	21/05/2023
KYMRIAH <sup>3</sup>	tisagenlecleucel	Kymriah è indicato per il trattamento di pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età con leucemia linfoblastica acuta (LLA) a cellule B che è refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva; pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	Innovatività	13/08/2019	12/08/2022
LUTATHERA	lutezio-177 lu-oxodotreotide	Tumori neuroendocrini gastroenteropancreatici (GEPNET) ben differenziati (G1 e G2), progressivi, non asportabili o metastatici, positivi ai recettori per la somatostatina	H	Innovatività	30/03/2019	29/03/2022
MAVIRET <sup>4</sup>	glecaprevir/pibrentasvir	Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti e negli adolescenti di età compresa tra 12 e <18 anni	A	Innovatività	04/07/2020	03/07/2023
MEKINIST	trametinib	trametinib in associazione con Dabrafenib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	Innovatività	17/12/2019	16/12/2022
MYALEPTA	metreleptina	Myalepta è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da	H	Condizionata per 18 mesi	20/03/2020	19/09/2021

<sup>2</sup> Innovazione terapeutica in relazione alle seguenti indicazioni: in associazione a fulvestrant in pazienti in post-menopausa; in associazione a inibitore dell'aromatasi in pazienti in pre-perimenopausa.

<sup>3</sup> Conferma innovatività restanti 24 mesi CTS Luglio 2020.

<sup>4</sup> Innovatività per l'indicazione pediatrica.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		lipodistrofia (LD) con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o di LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni.				
ONPATTRO	patisiran	trattamento della amiloidosi hATTR in pazienti adulti con polineuropatia in stadio 1 e 2.	H	Innovatività	31/01/2020	30/01/2023
OPDIVO	nivolumab	in monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante di adulti con melanoma con coinvolgimento dei linfonodi o malattia metastatica che sono stati sottoposti a resezione completa	H	Innovatività	18/12/2019	17/12/2022
OXERVATE	cenegermin	Cheratite neurotrofica moderata (difetto epiteliale persistente) o severa (ulcera corneale) negli adulti	H	Innovatività	24/01/2018	23/01/2021
PREVYMIS	letermovir	Profilassi della riattivazione e della malattia da citomegalovirus (CMV) in adulti sieropositivi per CMV riceventi (R+) di trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche (HSCT)	H/A	Innovatività	18/09/2018	17/09/2021
QARZIBA	dinutuximab beta	Trattamento del neuroblastoma ad alto rischio in pazienti a partire dai 12 mesi di età che sono stati precedentemente sottoposti a chemioterapia di induzione conseguendo almeno una risposta parziale, seguita da terapia mieloablattiva e trapianto di cellule staminali.	H	Innovatività	01/08/2018	31/07/2021
ROACTEMRA	tocilizumab	Roactemra e' indicato per il trattamento dell'arterite a cellule giganti (ACG) in pazienti adulti	H	Condizionata per 18 mesi	18/06/2019	17/12/2020
RYDAPT	midostaurina	In combinazione con chemioterapia standard di induzione con daunorubicina e citarabina e di consolidamento con citarabina ad alte dosi per pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi con mutazione FLT3 positiva	H	Innovatività	17/08/2018	16/08/2021
SPINRAZA	nusinersen	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q	H	Innovatività	28/09/2017	27/09/2020
TAFINLAR	dabrafenib	Dabrafenib in associazione con trametinib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	Innovatività	17/12/2019	16/12/2022
TAGRISSO	osimertinib	TAGRISSO in monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazioni attivanti il recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR).	H	Innovatività per 18 mesi	30/11/2019	29/05/2021
VENCLYXTO	venetoclax	Venclyxto in combinazione con rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfatica cronica (CLL - chronic	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		lymphocytic leukaemia) che hanno ricevuto almeno una terapia precedente.				
VERZENIOS	abemaciclib	Verzenios è indicato per il trattamento di donne con carcinoma della mammella localmente avanzato o metastatico, positivo ai recettori ormonali (HR), negativo al recettore del fattore umano di crescita epidermico di tipo 2 (HER2): in associazione con un inibitore delle aromatasi o fulvestrant come terapia endocrina iniziale o in donne che hanno ricevuto una precedente terapia endocrina. Nelle donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere combinata con un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021
VYXEOS	citarabina e daunorubicina	trattamento di adulti con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta correlata a terapia (t-AML) o AML con alterazioni correlate a mielodisplasia (AML-MRC)	H	Innovatività	19/06/2019	18/06/2022
YESCARTA	axicabtagene ciloleucel	YESCARTA è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL) e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B(primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	Innovatività per 12 mesi	12/11/2019	11/11/2020