

## 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
CABLIVI	caplacizumab	Cablivi è indicato per il trattamento negli adulti degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione a plasmaferesi (plasma exchange, PE) e	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
		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
EPCLUSA	sofosbuvir/velpatasvir	epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) negli adulti	A	Innovatività	27/04/2017	26/04/2020
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
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
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	H	Condizionata per 18 mesi	12/12/2019	11/06/2021

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		chemioterapia contenente platino;				
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 pazienti adulti con melanoma al III Stadio e con coinvolgimento dei linfonodi che sono stati sottoposti a resezione completa.	H	Innovatività	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA <sup>2</sup>	pembrolizumab	trattamento di prima linea del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) metastatico negli adulti il cui tumore esprime PD-L1 con tumour proportion score (TPS) $\geq$ 50 % in assenza di tumore positivo per mutazione di EGFR o per ALK	H	Innovatività	25/06/2017	24/06/2020
KYMRIAH	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 per 12 mesi	13/08/2019	12/08/2020
LARTRUVO	olaratumab	Sarcoma dei tessuti molli in fase avanzata. Lartruvo è indicato in combinazione con doxorubicina per il trattamento di pazienti adulti con sarcoma dei tessuto molli in fase avanzata che non sono candidabili a trattamenti curativi di tipo chirurgico o radioterapico e che non sono stati precedentemente trattati con doxorubicina.	H	Potenziale	05/08/2017	04/08/2020
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>3</sup>	glecaprevir/pibrentasvir	Trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti	A	Innovatività	28/09/2017	26/04/2020
MEKINIST	trametinib	trametinib in associazione con Dabrafenib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in	H	Innovatività	17/12/2019	16/12/2022

<sup>2</sup> Rivalutazione innovatività CTS maggio 2019.

<sup>3</sup> Follower di EPCLUSA.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa				
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 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.	A	Condizionata per 18 mesi	20/03/2020	19/09/2021
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

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
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	In monoterapia e' indicato per il trattamento della leucemia linfatica cronica (CLL - chronic lymphocytic leukaemia) in presenza della delezione 17p o della mutazione TP53 in pazienti adulti non idonei o che hanno fallito la terapia con un inibitore della via del recettore delle cellule B. In monoterapia e' indicato per il trattamento di pazienti adulti con CLL in assenza della delezione 17p o mutazione TP53 che hanno fallito la chemioimmunoterapia e la terapia con un inibitore della via del recettore delle cellule B.	H	Potenziale	12/08/2017	11/08/2020
VENCLYXTO	venetoclax	Venclyxto in combinazione con rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfatica cronica (CLL – chronic lymphocytic leukaemia) che hanno ricevuto almeno una terapia precedente.	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021
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
VOSEVI <sup>4</sup>	sofosbuvir/velpatasvir/voxilaprevir	Trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C	A	Innovatività	19/04/2018	26/04/2020

<sup>4</sup> Follower di EPLUSA.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		(HCV) negli adulti				
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