



## 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 ceroidolipofuscinosi 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
GILENYA <sup>2</sup>	fingolimod	Gilenya e' indicato in monoterapia, come farmaco modificante la malattia, nella sclerosi multipla recidivante-remittente ad elevata attivita' nei seguenti gruppi di pazienti adulti e di pazienti pediatrici di 10 anni di eta' e oltre: pazienti con un'elevata attivita' di malattia nonostante il trattamento con almeno una terapia disease modifying (vedere paragrafi 4.4 e 5.1 per le eccezioni e le informazioni sui periodi di washout). Questi pazienti possono essere definiti come coloro che non hanno risposto ad un ciclo terapeutico completo e adeguato (normalmente almeno un anno di trattamento) con almeno una terapia disease modifying. I pazienti devono avere avuto almeno 1 recidiva nell'anno precedente mentre erano in terapia, e presentare almeno 9 lesioni iperintense in T2 alla RM cerebrale o almeno 1 lesione captante gadolinio o una lesione T2 nuova o inequivocabilmente aumentata di volume rispetto ad un altro recente esame RM. Un paziente non responder puo' anche essere definito come un paziente che presenta, rispetto all'anno precedente, un tasso di recidive invariato o aumentato o che presenta recidive gravi; oppure pazienti con sclerosi multipla recidivante-remittente grave ad evoluzione rapida, definita da due o piu' recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o piu' lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto ad una precedente RM recentemente effettuata	A	Innovatività	16/09/2020	15/09/2023
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra e' indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici	A	Condizionata	19/03/2020	18/09/2021

<sup>2</sup> Innovatività esclusivamente per il trattamento dei pazienti pediatrici.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		in pazienti affetti da emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII. Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età		per 18 mesi		
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 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
KISQALI <sup>3</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	H	Innovatività	22/05/2020	21/05/2023

<sup>3</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.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		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)				
KYMRIAH <sup>4</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>5</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	16/07/2020	15/07/2023
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 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.	H	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	H	Innovatività	24/01/2018	23/01/2021

<sup>4</sup> Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS Luglio 2020).

<sup>5</sup> Innovatività per l'indicazione pediatrica.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		severa (ulcera corneale) negli adulti				
PREVMIS	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 mieloablativa 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
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 <sup>6</sup>	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	30/11/2019	29/11/2022
VENCLYXTO	venetoclax	Venclxyto 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 <sup>7</sup>	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	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021

<sup>6</sup> Conferma innovatività restanti 18 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).

<sup>7</sup> Innovatività condizionata quando utilizzato in associazione con un inibitore delle aromatasi.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).				
VERZENIOS <sup>8</sup>	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	Innovatività	23/09/2020	12/12/2022
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 <sup>9</sup>	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	12/11/2019	11/11/2022

<sup>8</sup> Innovatività quando utilizzato in associazione a fulvestran (rivalutazione CTS aprile 2020).

<sup>9</sup> Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).