

Allegato A

PRINCIPIO ATTIVO	NOME COMMERCIALE	ATC	CLASSE RIMB.	TIPO RICETTA	FORMA FARMACEUTICA	VIA DI SOMMINISTRAZIONE	DITTA	NOTE	MONITORAGGIO AIFA	INDICAZIONI	VALUTAZIONE
IMMUNOGLOBULINA UMANA NORMALE (f-SCig)	HYQVIA	J06BA01	H	RNRL	soluzione per iniezione sottocutanea	SC	TAKEDA	Già presente in PTOR, nuova indicazione Malattia rara		HYQVIA è indicato per la terapia sostitutiva negli adulti, nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 0 e 18 anni per il trattamento di: Sindromi da immunodeficienza primaria (PID, primary immunodeficiency) con compromissione della produzione di anticorpi • Immunodeficienze secondarie (SID, secondary immunodeficiency) in pazienti con infezioni severe o ricorrenti, trattamento antitumorale inefficace e documentato difetto di anticorpi specifici (PSAE, proven specific antibody failure) * o livello sierico di IgG < 4 g/L. *PSAE = marcato aumento di almeno 2 volte del titolo anticorpale IgG in risposta ai vaccini con antigeni polisaccaridici e polipeptidici di pneumococco. Terapia immunomodulante negli adulti, nei bambini e negli adolescenti (di età compresa tra 0 e 18 anni) in: Polineuropatia demielinizante infiammatoria cronica (CIPD, chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy) come terapia di mantenimento dopo stabilizzazione con IVIg.	presa d'atto
	EFGARTIGIMOD ALFA	L04AA58	H	RNRL	soluzione iniettabile sottocutanea	SC	ARGENX ITALY SRL		SI	Vyvgart è indicato in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono positivi all'anticorpo anti recettore dell'acetilcolina (AChR). REPORTA MERCATO, in associazione con desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che hanno ricevuto almeno tre linee di terapia precedenti, la cui malattia è refrattaria ad almeno un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale antiCD38, e che hanno mostrato progressione della malattia durante o dopo l'ultima terapia. Per i pazienti sottoposti in precedenza a trapianto autologo di cellule staminali, il tempo intercorso fino alla progressione deve essere di almeno 3 anni dal trapianto.	presa d'atto
MELFALAN FLUFENAMIDE (melfufen)	PEPAXTI	L01AA10	H	OSP	concentrato per soluzione per infusione	EV	ONCOPEPTIDES AB		SI	Momelotinib è indicato per il trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitopenia essenziale e che non sono naive agli inibitori della chinasi Janus (AKI) o già trattati con luebellinib.	presa d'atto
ERAVACICLINA	XERAVA	J01AA13	H	OSP	concentrato per soluzione per infusione	EV	VIATRIS	SCHEDA DI PRESCRIZIONE IN G.U.		Xerava è indicato per il trattamento di infezioni intra-addominali complicate (cIAI) negli adulti (Parere CHMP 26/07/18).	sospensione del giudizio
MOMELOTINIB	OMJIARA	L01EJ04	H	RNRL	compresse rivestite con film	OS	GSK		SI	Momelotinib è indicato per il trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitopenia essenziale e che non sono naive agli inibitori della chinasi Janus (AKI) o già trattati con luebellinib.	presa d'atto
UBLITUXIMAB	BRUUVI	L04AG14	H	OSP	soluzione per infusione	EV	NEURAXPHARM ITALY	SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA		BRUUVI è indicato per il trattamento di pazienti adulti con forme recidivanti di sclerosi multipla (SMR) con malattia attiva definita da caratteristiche cliniche o radiologiche.	approvato
IMMUNOGLOBULINA UMANA NORMALE (SCig)	XEMBIFY	J06BA01	H	RNRL	soluzione per iniezione sottocutanea	SC	GRIFOLS ITALIA	SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA		Sindromi da immunodeficienza primaria (Primary Immunodeficiency Syndromes, PID) con compromissione della produzione di anticorpi • Sindromi da immunodeficienza secondarie (Secondary Immunodeficiency Syndromes, SID) con compromissione della produzione di anticorpi • Immunodeficienze secondarie (SID, secondary immunodeficiency) in pazienti con infezioni severe o ricorrenti, trattamento antitumorale inefficace e documentato difetto di anticorpi specifici (PSAE, proven specific antibody failure) * o livello sierico di IgG < 4 g/L. *PSAE = marcato aumento di almeno 2 volte del titolo anticorpale IgG in risposta ai vaccini con antigeni polisaccaridici e polipeptidici di pneumococco. Terapia immunomodulante negli adulti, nei bambini e negli adolescenti (di età compresa tra 0 e 18 anni) in: Polineuropatia demielinizante infiammatoria cronica (CIPD, chronic inflammatory demyelinating polyneuropathy) come terapia di mantenimento dopo stabilizzazione con IVIg.	presa d'atto
IVOSIDENIB	TIBSOVO	L01XX62	H	RNRL	compresse rivestite con film	OS	SERVIER ITALIA		SI	Tibsovo, in associazione con azacitidina, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta (LMA) con una mutazione dell'isocitrato deidrogenasi 1 (IDH1) R132 che non sono idonei per la chemioterapia di induzione standard. La monoterapia di Tibsovo è indicata per il trattamento di pazienti adulti con colangiocarcinoma localmente avanzato o metastatico con mutazione IDH1 R132, precedentemente trattati con almeno una linea di terapia sistemica.	presa d'atto
LEBRIKIZUMAB	EBGLYSS	D11AH10	H	RRL	Soluzione iniettabile sottocutanea	SC	Almiral Spa	SCHEDA DI PRESCRIZIONE IN G.U.		EBGLYSS è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a severa negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con un peso corporeo minimo di 40 kg, eleggibili per la terapia sistemica.	approvato
SELPERCATINIB	RETSEVMO	L01EX22	H	RNRL	CAPSULE RIGIDE	OS	ELI LILLY		SI	Retsevmo come monoterapia è indicato nel trattamento di adulti con: - carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato positivo alla fusione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con immunoterapia e/o chemioterapia a base di platino Carcinoma della tiroide avanzato positivo alla fusione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con sorafenib e/o lenvatinib	presa d'atto

											Ketsevero come monoterapia e indicato per il trattamento di adulti e adolescenti di età superiore o pari a 12 anni con carcinoma midollare della tiroide (MTC) avanzato con mutazione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con cabozantinib e/o vasodilatatori.	
ZILUCOPLAN	ZILBRYSQ	L04AJ06	H	RRL			SC	UCB PHARMA		SI	Zilbrysq è indicato come terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento della miastenia grave generalizzata (MG) in pazienti adulti positivi agli anticorpi anti-recettore dell'acetilcolina (AChR).	presa d'atto
MIGLUSTAT	OPFOLDA	A16AX06	H	RR	CAPSULE RIGIDE		OS	AMICUS THERAPEUTICS			Opfolda® (miglustat) è uno stabilizzatore enzimatico della cipaiglucoosidasi alfa per la terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α-galattosidasi acida [GAA]).	presa d'atto
CIPAGLUCCOSIDASI ALFA	POMBILITI	A16AB23	H	RR	polvere per soluzione per infusione		EV	AMICUS THERAPEUTICS			Pombiliti® (Cipagluccosidasi alfa) è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine usata in associazione allo stabilizzatore enzimatico miglustat per il trattamento di adulti con malattia di Pompe a esordio tardivo (deficit di α-galattosidasi acida [GAA]).	presa d'atto
ICOSAPENT ETILE	VAZKEPA	C10AX06	A/PHT	RR	CAPSULE MOLLI		OS	AMARIN ITALY		SI (web-based)	Treatment of patients at least 18 years old with statin-induced myopathy (SIM). accertata e BMI ≥27 kg/m². In trattamento con statina ad alta potenza alla massima dose tollerata + ezetimibe, che abbiano raggiunto i livelli target di colesterolo LDL (<70 mg/dL), e presentino ipertrigliceridemia residua (TG ≥200 mg/dL) non spiegabile da altre cause.	approvato
ASFOTASE ALFA	STRENSIQ	L04AC22	H	RRL	SOLUZIONE PER INFUSIONE		EV	ALEXION PHARMA ITALY		SI	Strengis® è una terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti affetti da ipofosfatasia (HPP) ad esordio pediatrico entro i 6 mesi di età e in quei pazienti che pur avendo un'esordio pediatrico tardivo (>6 mesi di età) sono affetti in forma severa.	presa d'atto