



Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 18-22 novembre 2024

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18881	FABHALTA (iptacopan)	Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	Approfondimento CSE
18921	VOYDEYA (danicopan)	Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	Scheda approvata
18718	VOXZOGO (vosoritide)	Acondroplasia	Scheda approvata
18774	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma rene	Scheda approvata
19014	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma polmonare	Scheda approvata
18643	RUBRACA (rucaparib)	Carcinoma ovarico (OC)	Scheda approvata
18773	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Adenocarcinoma gastrico e giunzione HER2 negativo	Scheda approvata
18772	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Adenocarcinoma gastrico e giunzione HER2 positivo	Scheda approvata
19005	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Colangiocarcinoma	Scheda approvata
19018	OPDIVO (nivolumab)	Melanoma	Scheda approvata
18857	OPDIVO (nivolumab)	NSCLC	Scheda approvata
18892	RYSTIGGO (rozanolixizumab)	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)	Scheda approvata
18623	KANUMA (sebelipasi alfa)	Deficit di LAL	Argomento rinviato
18671	LOARGYS (pegzilarginasi)	Deficit di arginasi 1	Scheda approvata

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18797 e 18799	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) - KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Argomento rinviato
19162 e 19163	KALYDECO (ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Argomento rinviato
19119	MEKTOVI (binimetinib)	Melanoma avanzato	Argomento rinviato
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, β -talassemia	Argomento rinviato

C) Controdeduzioni delle aziende farmaceutiche a schede già valutate/approvate dalla CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
17755	PLUVICTO ([¹⁷⁷Lu] Lu-PSMA-617)	Carcinoma della prostata	Espresso parere
18548	SOLIRIS (eculizumab)	Miastenia Gravis generalizzata refrattaria	Espresso parere
17983	HEMGENIX (etranacogene dezaparvovec)	Emofilia B	Espresso parere

D) Sezione dedicata alla valutazione di richieste provenienti dagli utenti dei registri di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	OPDIVO - CABOMETYX (nivolumab-cabozantinib)	Carcinoma renale	Espresso parere

E) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	INIBITORI DELLA TIROSIN-CHINASI DI BRUTON (BTKi)	Leucemia linfatica cronica (LLC)	Espresso parere

F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
19174	SKYCLARYS (omaveloxolone)	Atassia di Friedreich	Argomento rinviato
19156	IMCIVREE (setmelanotide)	Obesità e controllo della fame	Argomento rinviato
19169	AYVAKYT (avapritinib)	Mastocitosi sistemica indolente	Argomento rinviato
18994	KEYTRUDA (pembrolizumab)	NSCLC	Valutazione non esaminata
18934	ZYNYZ (retifanlimab)	Carcinoma a cellule di Merkel (MCC)	Espresso parere
18825	ORSERDU (elacestrant)	Carcinoma mammario	Espresso parere
19019	RYBREVANT (amivantamab)	NSCLC	Argomento rinviato
19148	FRUZAQLA (fruquintinib)	Carcinoma metastatico del colon retto	Argomento rinviato
19160	KRAZATI (adagrasib)	NSCLC	Argomento rinviato
19124	XTANDI (enzalutamide)	Carcinoma prostatico	Argomento rinviato
19166	BALVERSA (erdafitinib)	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19086	ALECENSA (alectinib)	NSCLC	Argomento rinviato
18637	ADEMPAS (riociguat)	Ipertensione arteriosa polmonare	Espresso parere
19091	MOUNJARO (tirzepatide)	Diabete mellito di tipo 2	Argomento rinviato
18691	OTEZLA (apremilast)	Malattia di Behçet	Argomento rinviato
18903	VELSIPITY (etrasimod)	Colite ulcerosa	Espresso parere
18510	XYDALBA (dalbavancina cloridrato)	Infezione batterica	Espresso parere
19007	BRUKINSA (zanubrutinib)	Linfoma follicolare	Espresso parere
18953	VANFLYTA (quizartinib)	Leucemia mieloide acuta	Espresso parere
19132	CABLIVI (caplacizumab)	Porpora trombotica trombocitopenica	Argomento rinviato
18856	REBLOZYL (luspatercept)	Beta-talassemia	Argomento rinviato
19041	REBLOZYL (luspatercept)	Sindrome Mielodisplastica	Argomento rinviato

G) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
19120	LEQVIO (inclisiran)	Ipercolesterolemia	Argomento rinviato
18797, 18799, 19162, 19163	KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) KALYDECO (ivacaftor) ORKAMBI (Lumacaftor/ Ivacaftor) SYMKEVI (tezacaftor/ ivacaftor)	Fibrosi Cistica	Argomento rinviato
--	STRATTERA (atomoxetina)	ADHD	Espresso parere

H) Varie ed eventuali

a. Sezione dedicata alla valutazione di richieste provenienti dagli utenti dei registri di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
-	INIBITORI DELLA tirosin-chinasi di Bruton (BTKi)_Leucemia linfatica cronica (LLC)	Leucemia linfatica cronica (LLC)	Espresso parere