



**Odg Ufficio Registri di Monitoraggio CSE 18-22 novembre 2024**

**A) Procedura classica su mandato CSE**

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

## B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
18797 e 18799	<b>KAFTRIO</b> (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) - <b>KALYDECO</b> (ivacaftor)	Fibrosi Cistica
19162 e 19163	<b>KALYDECO</b> (ivacaftor)	Fibrosi Cistica
19119	<b>MEKTOVI</b> (binimetinib)	Melanoma avanzato
18763	<b>CASGEVY</b> (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, $\beta$ -talassemia

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

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

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
--	<b>OPDIVO - CABOMETYX</b> (nivolumab- cabozantinib)	Carcinoma renale

## E) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
--	<b>INIBITORI DELLA TIROSIN-CHINASI DI BRUTON (BTKi)</b>	Leucemia linfatica cronica (LLC)

## F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

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

### G) Analisi dati dei registri

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

### H) Varie ed eventuali