AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Ufficio segreteria Organismi Collegiali

Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 15-19 settembre 2025

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19438	**PIASKY (crovalimab)**	Emoglobinuria Parossistica Notturna (EPN)	Scheda approvata
19082	**WINREVAIR (sotatercept)**	Ipertensione arteriosa polmonare	Scheda approvata
19174	**SKYCLARYS (omaveloxolone)**	Atassia di Friedreich	Scheda approvata
19560	**BEYONTTRA (acoramidis)**	Amiloidosi da transtiretina con cardiomiopatia (ATTR-CM)	Scheda approvata
19463	**KISQALI (ribociclib)**	Carcinoma mammario stadio iniziale	Approfondimento CSE
19411 - 19413	**ROZLYTREK (entrectinib)**	Tumori solidi con fusione geni recettore tirosin-chinasico neutrofico (NTRK)	Scheda approvata
19372	**CARVYKTI (ciltacabtagene autoleucel)**	Mieloma multiplo recidivato e refrattario (MM/RR)	Scheda approvata
19401	**DARZALEX (daratumumab)**	Mieloma multiplo (MM)	Scheda approvata
19510	**SARCLISA (isatuximab)**	Mieloma multiplo (MM)	Scheda approvata

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
-	**BAVENCIO (avelumab)**	Carcinoma uroteliale	Parere espresso
19322	**ELAHERE (mirvetuximab soravtansine)**	Carcinoma ovarico	Parere espresso
19333 19334 19335	**IMFINZI (durvalumab) - LYNPARZA (olaparib)**	Carcinoma dell'endometrio	Parere espresso
19317 19256	**KEYTRUDA (pembrolizumab) - PADCEV (enfortumab vedotin)**	Carcinoma uroteliale	Parere espresso
19041	**REBLOZYL (luspatercept)**	Anemia trasfusione dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica	Scheda approvata
19174	**SKYCLARYS (omaveloxolone)**	Atassia di Friedreich	Parere espresso
19560	**BEYONTTRA (acoramidis)**	Amiloidosi da transtiretina con cardiomiopatia (ATTR-CM)	Scheda approvata
18623	**KANUMA (sebelipasi alfa)**	deficit di LAL	Argomento rinviato

C) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
--	**ASPAVELI (pegcetacoplan)**	Emoglobinuria Parossistica Notturna (EPN)	Scheda approvata
-	**PADCEV (enfortumab vedotin)**	Carcinoma uroteliale	Scheda approvata
18797 - 18799	**KAFTRIO (ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor) - KALYDECO (ivacaftor)**	Fibrosi Cistica (FC)	Scheda approvata

D) Aggiornamento schede di registro su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19155	**BYLVAY (odevixibat)**	Colestasi intraepatica familiare progressiva (progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC)	Scheda approvata

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
--	**PHESGO (pertuzumab/trastuzumab)**	Carcinoma mammario allo stadio iniziale	Parere espresso
--	**ANTIBIOTICI RESERVE**	Infezione	Parere espresso
--	**TECARTUS (brexucabtagene autoleucel)**	Linfoma a Cellule Mantellari Recidivante/Refrattario (MCL_RR)	Parere espresso

F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
19574	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Carcinoma squamoso dell'esofago	Parere espresso
19600	**BLINCYTO (blinatumomab)**	Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA)	Parere espresso
19620	**HETRONIFLY (serplulimab)**	Carcinoma polmonare a piccole cellule (ES-SCLC)	Parere espresso
19625	**HYMPAVZI (Marstacimab)**	Emofilia A e B	Parere espresso
19567	**ABECMA (idecabtagene vicleucel)**	Mieloma multiplo recidivante e refrattario	Parere espresso

19655	**WAINZUA (eplontersen)**	Amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina	Argomento rinviato
19595	**LEQEMBI (lecanemab)**	Disturbo cognitivo lieve o demenza	Argomento rinviato
19723	**NEMLUVIO (nemolizumab)**	Prurigo Nodularis (PN) e Dermatite atopica (DA)	Argomento rinviato
19673	**SOGROYA (somapacitan)**	sostituzione dell'ormone della crescita endogeno (GH)	Argomento rinviato
19727	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Adenocarcinoma gastrico e giunzione gastroesofagea	Parere espresso
19593	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule NSCLC (NSCLC 1L non squamoso)	Parere espresso
19593	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule NSCLC (NSCLC 1L squamoso)	Parere espresso
19593	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule NSCLC (NSCLC LS)	Parere espresso
19706	**TEVIMBRA (tislelizumab)**	Carcinoma squamoso dell'esofago	Parere espresso
19758	**LYNPARZA (olaparib)**	Adenocarcinoma del pancreas	Argomento rinviato
19765	**TECENTRIQ (atezolizumab)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule NSCLC	Argomento rinviato
19742	**JAYPIRCA (pirtobrutinib)**	Leucemia linfatica cronica (CLL)	Argomento rinviato
19563	**WELIREG (belzutifan)**	Carcinoma a cellule renali	Argomento rinviato
19563	**WELIREG (belzutifan)**	Tumori associati alla malattia di von Hippel Lindau (VHL)	Argomento rinviato
19750	**COLUMVI (glofitamab)**	Linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante o refrattario non altrimenti specificato (DLBCL NOS)	Argomento rinviato
19576	**LAZCLUZE (lazertinib)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Parere espresso
19577	**RYBREVANT (amivantamab)**	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Parere espresso
19369	**TRUQAP (capivasertib)**	Carcinoma mammario	Parere espresso
19885	**DUVYZAT (givinostat)**	Distrofia muscolare di Duchenne (DMD)	Argomento rinviato
19734 e 19735	**OPDIVO (nivolumab) - YERVOY (ipilimumab)**	Carcinoma colon retto (mCRC)	Argomento rinviato

19689	**ANDEMBRY (garadacimab)**	Angioedema ereditario (HAE)	
19134	**NILEMDO (Acido Bempedoico)**	Malattia cardiovascolare aterosclerotica	Argomento rinviato
19135	**NUSTENDI (Acido Bempedoico + Ezetimibe)**	Malattia cardiovascolare aterosclerotica	Argomento rinviato
19169	**AYVAKYT (avapritinib)**	Mastocitosi sistemica indolente (ISM)	Argomento rinviato
19259	**OBGEMSA (vibegron)**	Sindrome della vescica iperattiva (overactive bladder - OAB)	Parere espresso

G) Notifiche

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
-	**ELREXFIO (elranatamab)**	Mieloma Multiplo	Presa d'atto
--	**HEMGENIX (Etranacogene dezaparvovec)**	Emofilia B	Presa d'atto
19565	**VYVGART (efgartigimod)**	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)	Presa d'atto

H) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esito CSE
--	**TAVLESSE (fostamatinib)**	Trombocitopenia immune	Argomento rinviato
-	**PIQRAY (alpelisib)**	Carcinoma mammario	Parere espresso
--	**Nuovi Anticoagulanti Orali (NAO): Eliquis (apixaban), Lixiana (edoxaban), Pradaxa (dabigatran), Xarelto (rivaroxaban)**	Trombosi Venosa Profonda, Embolia Polmonare, Tromboembolismo Venoso	Parere espresso