

Horizon Scanning

scenario dei medicinali in arrivo

Rapporto 2022



AIFA →

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO



Citare il presente Rapporto come segue:

Horizon Scanning. Rapporto Anno 2022.
Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2022.

Horizon Scanning. Report Year 2022.
Rome: Italian Medicines Agency, 2022.

ISBN 979-12-80335-23-4

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web
www.aifa.gov.it

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
Direttore Generale: *Nicola Magrini*

Gruppo di lavoro AIFA del presente rapporto:

UFFICIO ATTIVITÀ ANALISI E PREVISIONE
J. Ivanovic, C. Nardis, A. Petrella, L. Raffaelli

UFFICIO STAMPA E DELLA COMUNICAZIONE
LAYOUT E GRAPHIC DESIGN: *I. Comessatti* EDITING: *E. Iorio, F. Pomponi, S. Vasta*

INTRODUZIONE	7
SINTESI	13
PARTE I	
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL 2021	19
Nuovi medicinali	22
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	23
Medicinali biosimilari	37
Medicinali equivalenti	39
Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati	41
PARTE II	
MEDICINALI IN VALUTAZIONE NEL 2022	59
Nuovi medicinali	61
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	63
Analisi delle indicazioni terapeutiche	72
Medicinali biosimilari	75
Medicinali equivalenti	77
PARTE III	
MEDICINALI AMMESSI AL PROGRAMMA PRIME	81
APPENDICE	97
GLOSSARIO	105

Introduzione

Il Rapporto Horizon Scanning ha lo scopo di fornire informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove terapie più promettenti, che hanno ricevuto un parere positivo dell’Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) nel 2021 o che potrebbero averlo negli anni successivi.

Il Rapporto rientra tra le attività di Horizon Scanning dell’Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) che permettono di identificare e valutare precocemente nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati, che potranno ampliare le opzioni di trattamento a disposizione dei medici e dei pazienti, colmando le esigenze di salute non ancora soddisfatte. In alcuni casi si tratta di terapie che potrebbero avere un impatto significativo sul Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e che, di conseguenza, potrebbero richiedere un impegno da parte dell’Agenzia nella definizione di strategie idonee a garantire ai cittadini l’accesso a cure innovative e personalizzate.

In quest’analisi vengono considerati i medicinali sottoposti a procedura centralizzata, per i quali le aziende farmaceutiche presentano all’EMA una domanda di Autorizzazione all’immissione in commercio (AIC) valida in tutti gli Stati Membri dell’Unione Europea (UE) e nei Paesi dello Spazio Economico Europeo (Islanda, Liechtenstein e Norvegia).

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP-Committee for Medicinal Products for Human Use) dell’EMA effettua una valutazione scientifica della domanda e formula un parere relativo alla concessione dell’AIC.

Il parere dell’EMA viene esaminato e convalidato dalla Commissione Europea¹ e tale decisione viene successivamente pubblicata nella Gazzetta ufficiale dell’Unione Europea (GUUE). Una volta ottenuta l’AIC, il medicinale potrà essere messo a disposizione dei pazienti in tutta l’UE.

Prima della commercializzazione del medicinale in Italia, è compito dell’AIFA stabilire il regime di fornitura, le condizioni di rimborsabilità e il prezzo, avvalendosi della Commissione Tecnico Scientifica (CTS) e del Comitato Prezzi e Rimborso (CPR). In particolare, entro sessanta giorni dalla data di pubblicazione nella GUUE della decisione della Commissione Europea sulla domanda di AIC, l’AIFA pubblica nella Gazzetta Ufficiale

¹ http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm

della Repubblica Italiana un provvedimento recante l'inserimento del medicinale in un'apposita sezione denominata Classe Cnn (Classe C non negoziata), dedicata ai farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità, e definisce il regime di fornitura del medicinale in questione. Tale provvedimento viene emanato in attesa della presentazione, da parte dell'azienda interessata, di un'eventuale domanda di diversa classificazione ai fini della rimborsabilità e di negoziazione del prezzo di rimborso, necessaria per l'erogazione del medicinale a carico del SSN².

Il Rapporto Horizon Scanning è organizzato in **tre parti**:

- **La prima parte** fornisce informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto nel corso del 2021 un parere positivo all'AIC da parte del CHMP dell'EMA;
- **La seconda parte** riguarda i nuovi medicinali in valutazione, che potrebbero ricevere un parere da parte del CHMP dell'EMA nel corso del 2022.

Per ciascun periodo sono riportati dati cumulativi e di dettaglio così suddivisi:

- medicinali contenenti nuove sostanze attive (medicinali orfani, medicinali non orfani, medicinali per terapie avanzate);
- medicinali biosimilari;
- medicinali equivalenti;
- nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati.

Per ciascuna di queste categorie i dati sono presentati sia sotto forma di grafici sia in tabelle con informazioni aggiuntive. Nella prima parte del Rapporto si fa riferimento al sistema di classificazione ATC (anatomico, terapeutico e chimico), nella seconda parte i dati sono rappresentati per area terapeutica, in linea quanto riportato dall'EMA. Per i nuovi medicinali e per le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto il parere positivo dell'EMA, si riportano le seguenti informazioni: ATC, nome commerciale, principio attivo, data del parere EMA, status di medicinale orfano (solo per i nuovi medicinali), indicazione terapeutica approvata e, nel caso dei medicinali biosimilari e dei

² <https://www.aifa.gov.it/procedura-di-autorizzazione-centralizzata>
<https://www.aifa.gov.it/negoziazione-e-rimborsabilita>

medicinali equivalenti, anche il medicinale di riferimento. Per i medicinali in valutazione e che potrebbero ricevere un parere dell'EMA nel corso del 2022, le informazioni riportate in tabella sono: area terapeutica, principio attivo, eventuale designazione di "medicinale orfano" e malattia/condizione clinica.

- **La terza parte** del Rapporto rappresenta una panoramica sui medicinali ammessi al programma PRIME (Priority Medicines) dell'EMA. Si tratta di medicinali a elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte.
- **Nell'appendice 1** sono riportate le terapie e i vaccini anti-COVID-19. Alcuni di loro attualmente sono in valutazione con la procedura *rolling review* del CHMP dell'EMA. La *rolling review* è uno strumento regolatorio di cui l'EMA si serve per accelerare la valutazione di un medicinale o vaccino promettenti durante un'emergenza sanitaria pubblica e pertanto tali procedure hanno una tempistica diversa rispetto alla procedura centralizzata per l'autorizzazione all'immissione in commercio standard.

Fonti di informazione

- CHMP: Agendas, minutes and highlights³
- Community Register⁴
- European Public Assessment Report⁵
- Medicines under evaluation⁶
- PRIME: priority medicine⁷

³ <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-medicinal-products-human-use-chmp>

⁴ <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alfregister.htm>

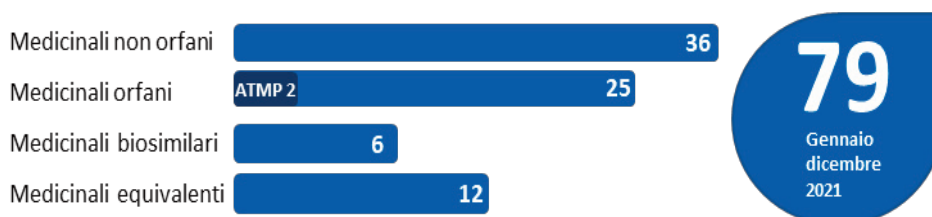
⁵ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

⁶ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation>

⁷ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Sintesi

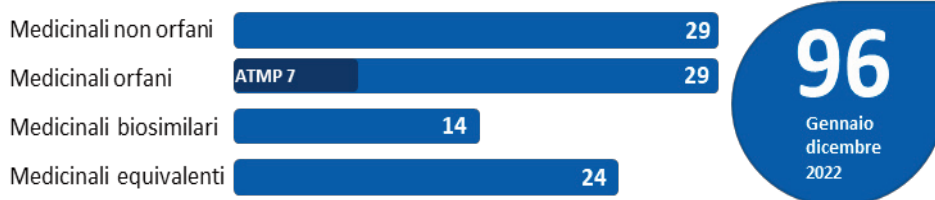
Nel corso del 2021 sono stati autorizzati a livello europeo 79 nuovi medicinali⁸: 61 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 25 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 36 medicinali non orfani), 6 medicinali biosimilari e 12 medicinali equivalenti. Tra i farmaci autorizzati contenenti nuove sostanze attive, una percentuale rilevante (36%) riguarda i medicinali antineoplastici e immunomodulatori destinati al trattamento di malattie autoimmuni e di alcuni tipi di tumori solidi (quali il tumore del polmone, della mammella e dell'utero) e del sangue (quali il mieloma, il linfoma e la leucemia). Circa il 16% dei nuovi medicinali è rappresentato dagli antinfettivi ad uso sistemico, mentre percentuali inferiori riguardano farmaci del sistema nervoso (10%) e del sistema endocrino (8%). Tra i medicinali orfani che hanno ricevuto il parere positivo dell'EMA, 2 sono medicinali per terapie avanzate, nello specifico terapie geniche: Abecma, per il trattamento di adulti con mieloma multiplo recidivante e refrattario, e Skysona, per il trattamento dell'adrenoleucodistrofia cerebrale precoce.



Al momento della stesura del Rapporto, sulla base delle richieste di AIC pervenute all'EMA, è atteso nel 2022 un parere per 96 nuovi medicinali: 58 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 29 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 29 medicinali non orfani), 14 medicinali biosimilari e 24 medicinali equivalenti. Nonostante la maggior parte dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione siano antineoplastici (~24%), risulta rilevante anche la quota in valutazione per altre aree terapeutiche, con particolare riferimento al sistema nervoso e sensoriale (~19%), ai

⁸ Sono esclusi i medicinali ritirati dall'azienda produttrice in seguito al parere positivo dell'EMA, i medicinali contenenti sostanze attive note, in combinazione fissa, nonché i medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione ibrida o di consenso informato.

medicinali immunosoppressori e immunostimolanti (~12%) e ai medicinali dell'apparato digerente e del metabolismo (~9%). Infine, tra i 29 medicinali orfani attualmente in valutazione, 7 sono per terapie avanzate: Sitioganap -ERC-1671 (glioma), Ciltacabtagene autoleucl (mieloma multiplo), Eladocagene exuparvovec (deficit di L-amminoacido decarbossilasi aromatica), Lenadogene nolparvovec (perdita della vista a causa della neuropatia ottica ereditaria di Leber), Lisocabtagene maraleucl (linfoma), Tabelecleucl (malattia linfoproliferativa post-trapianto EBV positiva) e Valoctocogene roxaparvovec (haemophilia A).



NOTA PER LA LETTURA

Lo scenario dei medicinali in arrivo è basato sulle informazioni disponibili al momento della stesura del Rapporto (7 gennaio 2022).

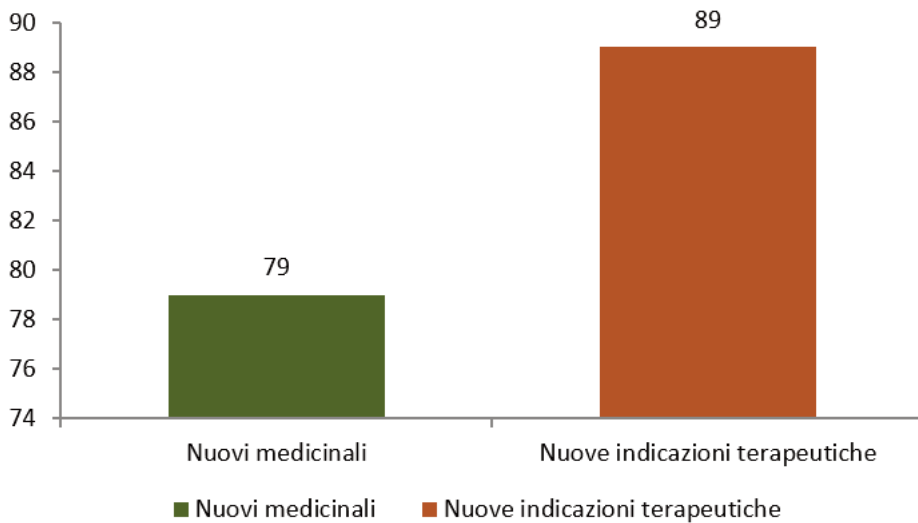
Nella sezione relativa ai medicinali autorizzati vengono riportati i nuovi medicinali (solo quelli contenenti nuove sostanze attive, medicinali biosimilari, medicinali equivalenti) e le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto un parere positivo del CHMP dell'EMA. Restano escluse, invece, le domande di AIC per le quali è stato emesso un parere negativo e quelle che sono state ritirate su richiesta dell'azienda farmaceutica. Tutte le informazioni sui medicinali in corso di valutazione sono da considerarsi indicative e suscettibili di variazioni nel corso della procedura autorizzativa. In particolare, il numero dei medicinali autorizzati alla fine del 2021 potrebbe essere diverso da quello stimato, a causa del ritiro da parte del richiedente o del diniego da parte del CHMP dell'EMA della richiesta di AIC, delle tempistiche autorizzative o dell'autorizzazione di nuovi medicinali che potrebbero essere oggetto di richiesta di valutazione nel corso del 2022. Poiché le indicazioni terapeutiche in valutazione hanno natura confidenziale, vengono riportate nel Rapporto solo informazioni più generali relative alla malattia/condizione clinica. Le indicazioni terapeutiche dettagliate, nonché le effettive date di parere del CHMP dell'EMA, saranno disponibili nei successivi Rapporti, se il medicinale dovesse nel frattempo ottenere un parere positivo. In considerazione dell'emergenza di salute pubblica determinata dall'attuale pandemia, le terapie e i vaccini per curare e prevenire la malattia da Coronavirus (COVID-19), causata da SARS-CoV-2, potrebbero essere sottoposti a un processo autorizzativo abbreviato basato sulla revisione continua (*rolling review*) dei dati. Di conseguenza, il relativo scenario dei trattamenti in arrivo potrebbe essere suscettibile di rapide modifiche. La situazione attuale è riportata nell'appendice 1.

Parte I

Medicinali
autorizzati
nel 2021

A esclusione dei medicinali contenenti sostanze attive note, in combinazione fissa, nonché dei medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione ibrida o di consenso informato, il CHMP dell'EMA ha espresso un parere positivo all'AIC per 79 nuovi medicinali e 89 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali precedentemente autorizzati (figura 1.1).

Figura 1.1 Nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche con parere positivo dell'EMA nel 2021.

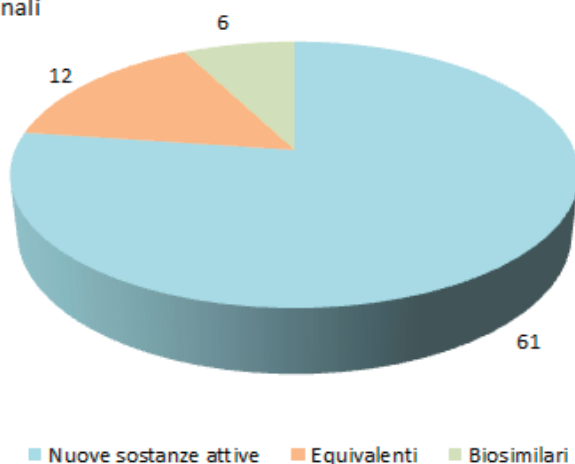


Nuovi medicinali

Dei 79 nuovi medicinali che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021, 61 sono medicinali contenenti nuove sostanze attive (77,2%), 6 sono medicinali biosimilari (7,6%) e 12 sono medicinali equivalenti (15,2%) (figura 1.2).

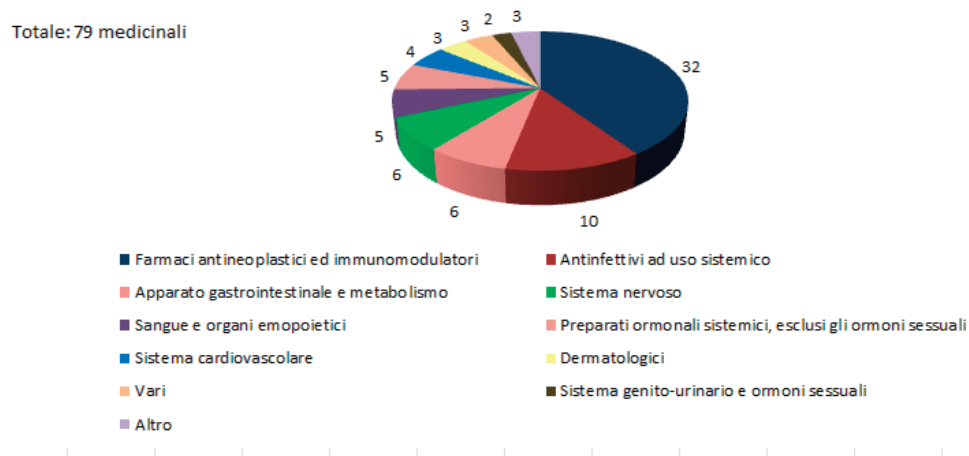
Figura 1.2 Nuovi medicinali con parere positivo dell'EMA nel 2021 per tipologia.

Totale: 79 medicinali



Nella figura 1.3 è illustrata la categorizzazione dei nuovi medicinali approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC. Il maggior numero di nuovi farmaci è rappresentato da antineoplastici e immunomodulatori appartenenti alla categoria ATC L, pari al 40,5% del totale dei nuovi medicinali autorizzati nel 2021 (n=32). Seguono, in ordine decrescente: i medicinali della categoria ATC J (antinfettivi ad uso sistemico), pari al 12,6% del totale (n=10); i medicinali della categoria ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo), pari a 7,6% del totale (n=6); i medicinali della categoria N (sistema nervoso), pari a 7,6% del totale (n=6); i medicinali della categoria ATC B (sangue e sistema emopoietico), pari al 6,3% del totale (n=5); i medicinali della categoria H (preparati ormonali sistemici, esclusi ormoni sessuali), pari al 6,3% del totale (n=5); i medicinali delle categorie ATC C (apparato cardiovascolare), pari al 5,1% del totale (n=4). Meno numerosi sono, invece, i nuovi medicinali appartenenti ad altre categorie ATC o con ATC in attesa di assegnazione.

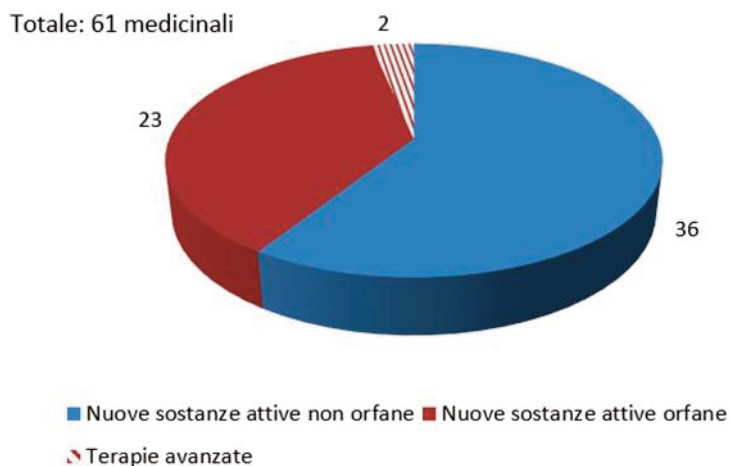
Figura 1.3 Nuovi medicinali con parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.



Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 61 farmaci contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell'EMA nel 2021 (figura 1.4), 25 sono medicinali orfani (41%). Di questi ultimi, 2 (Abecma e Skysona) sono anche medicinali per terapie avanzate.

Figura 1.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive con parere positivo dell'EMA nel 2021 per tipologia.



Nella figura 1.5 è illustrata la categorizzazione dei medicinali non orfani approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui si evince che il maggior numero di medicinali non orfani (20 su 36 pari al 55,6% del totale) è equamente suddiviso tra le categorie ATC J, antifettivi a uso sistemico, e ATC L (farmaci antineoplastici e immunomodulatori). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali delle categorie C (apparato cardiovascolare) e N (sistema nervoso), pari all'11,1% (n=4), la categoria ATC D (dermatologici), pari all'8,3% (n=3), i medicinali delle categorie ATC G (sistema genitourinario e ormoni sessuali) e ATC H (Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali), pari entrambi al 5,5% (n=2) del totale e con un solo medicinale (2,8%) non orfano autorizzato la categoria ATC B (sangue e organi emopoietici). L'elenco completo dei medicinali non orfani è riportato nella tabella 1.1.

Figura 1.5 Medicinali non orfani con parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

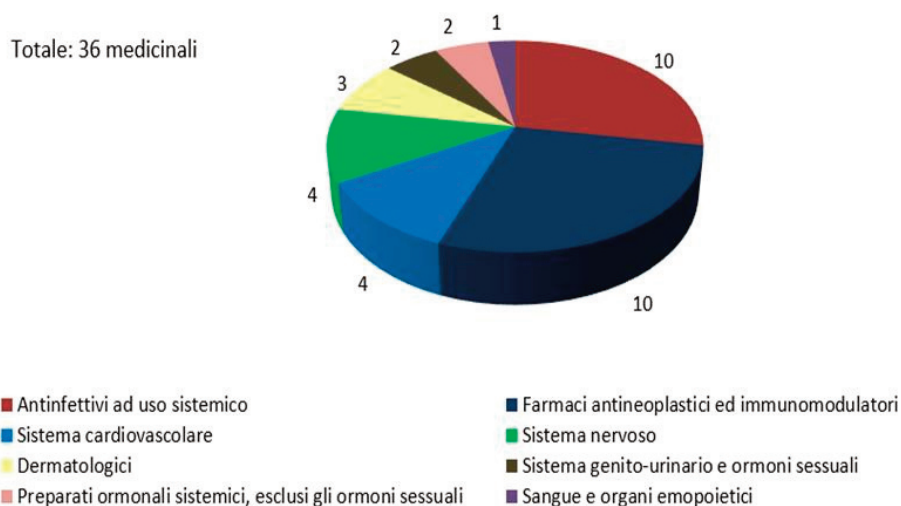


Tabella 1.1 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive non orfane che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

B-Sangue e organi emopoietici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Evrenzo	roxadustat	24/06/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Evrenzo è indicato per il trattamento di pazienti adulti con anemia sintomatica associata a malattia renale cronica (MRC).		
C- Sistema cardiovascolare			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Evkeeza	evinacumab	22/04/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Evkeeza è indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH).		
Kerendia	finerenone	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Kerendia è indicato per il trattamento della malattia renale cronica (stadio 3 e 4 con albuminuria) associata al diabete di tipo 2 negli adulti.		
Vazkepa	icosapent etile	29/01/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Vazkepa è indicato per ridurre il rischio di eventi cardiovascolari in pazienti adulti in trattamento con statine ad elevato rischio cardiovascolare e con trigliceridi elevati (≥ 150 mg/dL [$\geq 1,7$ mmol/L]) e <ul style="list-style-type: none"> • malattia cardiovascolare accertata o • diabete e almeno un altro fattore di rischio cardiovascolare. 		
Verquvo	vericiguat	20/05/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Verquvo è indicato per il trattamento dell'insufficienza cardiaca sintomatica cronica in pazienti adulti con ridotta frazione di eiezione stabilizzati dopo un recente evento di riacutizzazione che abbia richiesto una terapia per via endovenosa.		
D-Dermatologici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Adtralza	tralokinumab	22/04/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Adtralza è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a severa in adulti che sono candidati alla terapia sistemica.		
Cibinqo	abrocitinib	14/10/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Cibinqo è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a grave negli adulti candidati alla terapia sistemica.		
Klisyri	tirbanibulina	20/05/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Klisyri è indicato per il trattamento cutaneo della cheratosi attinica, non ipercheratosica, non ipertrofica (Olsen di grado 1) del viso o del cuoio capelluto, negli adulti.		

G-Apparato genito-urinario e ormoni sessuali			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Drovelis	Estetrolo/drospirenone	25/03/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Contraccezione orale. La decisione di prescrivere Drovelis deve tenere in considerazione i fattori di rischio attuali di ogni singola donna, in particolare quelli relativi alla tromboembolia venosa (TEV), e il rischio di TEV associato a Drovelis in confronto ad altri contraccettivi ormonali combinati (COC).		
Lydisilka	Estetrolo/drospirenone	25/03/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Contraccezione orale. La decisione di prescrivere Lydisilka deve tenere in considerazione i fattori di rischio attuali di ogni singola donna, in particolare quelli relativi alla tromboembolia venosa (TEV), e il rischio di TEV associato a Lydisilka in confronto ad altri contraccettivi ormonali combinati (COC).		
H - Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Ryego	relugolix/estradiolo/noretisterone acetato	20/05/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Ryego è indicato per il trattamento dei sintomi da moderati a severi dei fibromi uterini in donne adulte in età fertile.		
Yselyt	linzagolix colina	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Yselyt è indicato per il trattamento dei sintomi da moderati a severi dei fibromi dell'utero nelle donne adulte in età riproduttiva.		
J- Antinfettivi a uso sistemico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Apexnar	vaccino pneumococcico polisaccaridico coniugato (20-valente, adsorbito)	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Immunizzazione attiva per la prevenzione di patologie invasive e polmoniti causate dallo Streptococcus pneumoniae negli adulti di età pari o superiore a 18 anni.		
COVID-19 Vaccine Janssen	Adenovirus di tipo 26 che codifica per la glicoproteina spike di SARS-CoV-2	11/03/2021	NO
	Indicazione terapeutica: COVID-19 Vaccine Janssen è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione della malattia da nuovo coronavirus (COVID-19), causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.		
Nuvaxovid	nvx-cov2373	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Nuvaxovid è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19 da virus SARS-CoV-2 in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.		

Regkirona	regdanvimab	11/11/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Regdanvimab è indicato per il trattamento di adulti con malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono a maggior rischio di progressione a COVID-19 severa.		
Ronapreve	casirivimab/imdevimab	11/11/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Ronapreve è indicato per: <ul style="list-style-type: none"> • il trattamento di COVID-19 negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con peso corporeo di almeno 40 kg, che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono a maggior rischio di progressione verso forme severe di COVID-19; • la profilassi di COVID-19 in pazienti adulti e in adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con peso corporeo di almeno 40 kg. 		
Spikevax	mrna-1273	06/01/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Spikevax è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.		
Tecovirimat SIGA	tecovirimat	11/11/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Tecovirimat SIGA è indicato per il trattamento delle seguenti infezioni virali negli adulti e nei bambini con peso corporeo di almeno 13 kg: <ul style="list-style-type: none"> • Vaiolo • Vaiolo delle scimmie • Vaiolo bovino <p>Tecovirimat SIGA è indicato anche per il trattamento delle complicanze dovute alla replicazione del virus vaccinale dopo la vaccinazione contro il vaiolo, negli adulti e nei bambini con peso corporeo di almeno 13 kg.</p>		
Vaxneuvance	vaccino pneumococcico polisaccaridico coniugato (adsorbito)	14/10/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Vaxneuvance è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione di patologia invasiva e polmonite causate da <i>Streptococcus pneumoniae</i> in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.		
Vaxzevria	ChAdOx1-SARS-CoV-2	29/01/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Vaxzevria è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.		
Xevudy	sotrovimab	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Xevudy è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni e che abbiano un peso corporeo di almeno 40 kg) che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono ad elevato rischio di progressione a COVID-19 severa.		

L- antineoplastici e immunomodulatori			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Bimzelx	bimekizumab	24/06/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Bimzelx è indicato per il trattamento della psoriasi a placche da moderata a severa in pazienti adulti candidati alla terapia sistemica.		
Gavreto	pralsetinib	16/09/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Gavreto è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato positivo per la fusione del gene REarranged during Transfection (RET) non precedentemente trattati con un inibitore di RET.		
Jemperli	dostarlimab	25/02/2021	NO
	Indicazione terapeutica: JEMPERLI è indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulte affette da cancro endometriale avanzato o ricorrente, con deficit del sistema di mismatch repair (dMMR)/elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H), progredito durante o dopo un precedente trattamento con un regime a base di platino.		
Lumykras	sotorasib	11/11/2021	NO
	Indicazione terapeutica: LUMYKRAS in monoterapia è indicato per il trattamento di adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) in stadio avanzato, con mutazione KRAS G12C e in progressione dopo almeno una precedente linea di terapia sistemica.		
Padcev	enfortumab vedotin	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Padcev, come monoterapia, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (UC) localmente avanzato o metastatico che hanno precedentemente ricevuto una chemioterapia contenente platino e un inibitore del recettore di morte programmata o un inibitore del ligando di morte programmata		
Ponvory	ponesimod	25/03/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Ponvory è indicato per il trattamento di pazienti adulti con forme recidivanti di sclerosi multipla (SMR) con malattia attiva definita sulla base di caratteristiche cliniche o radiologiche.		
Rybrevant	amivantamab	14/10/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Rybrevant in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con mutazioni da inserzione nell'esone 20 attivanti del recettore del fattore di crescita dell'epidermide (EGFR), dopo il fallimento della chemioterapia a base di platino.		
Saphnelo	anifrolumab	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Saphnelo è indicato come terapia aggiuntiva per il trattamento di pazienti adulti affetti da lupus eritematoso sistemico (LES) attivo, autoanticorpi-positivo, in forma da moderata a severa, nonostante la terapia standard.		

Tepmetko	tepotinib	16/12/2021	NO
	Indicazione terapeutica: TEPMETKO in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato, con alterazioni genetiche associate a skipping dell'esone 14 (METex14) del fattore di transizione mesenchimale-epiteliale, che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con immunoterapia e/o chemioterapia a base di platino.		
Trodelvy	sacituzumab govitecan	14/10/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Trodelvy in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella triplo negativo metastatico (metastatic triple-negative breast cancer, mTNBC) o non reseccabile che abbiano ricevuto in precedenza almeno due terapie sistemiche, almeno una delle quali per la malattia avanzata.		
N- Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Byfavo	remimazolam	29/01/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Remimazolam è indicato negli adulti per la sedazione procedurale.		
Ontozry	cenobamate	29/01/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Ontozry è indicato come terapia aggiuntiva delle crisi convulsive a insorgenza focale con o senza generalizzazione secondaria in pazienti adulti affetti da epilessia che non sono stati adeguatamente controllati nonostante una storia di trattamento con almeno 2 medicinali antiepilettici.		
Ozawade	pitolisant	20/05/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Ozawade è indicato per migliorare lo stato di veglia e ridurre l'eccessiva sonnolenza diurna (excessive daytime sleepiness, EDS) in pazienti adulti affetti da apnea ostruttiva nel sonno (obstructive sleep apnea, OSA) nei quali l'EDS non è stata trattata in modo soddisfacente dalla terapia primaria per l'OSA, ad esempio la pressione continua positiva delle vie aeree (continuous positive airway pressure, CPAP) o nei quali tale terapia non sia stata tollerata.		
Vyepti	eptinezumab	11/11/2021	NO
	Indicazione terapeutica: Vyepti è indicato per la profilassi dell'emicrania negli adulti che hanno almeno 4 giorni di emicrania al mese. Vyepti deve essere prescritto da medici esperti nel trattamento dell'emicrania.		

Nella figura 1.6 è riportata la categorizzazione dei medicinali orfani approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che il maggior numero di medicinali orfani appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 48% del totale dei medicinali orfani autorizzati nel 2021 (n=12). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali delle categorie ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e ATC H (preparati sistemici ormonali, esclusi gli ormoni sessuali), ciascuna delle quali pari al 12% del totale (n=3), e delle categorie ATC N (sistema nervoso) e B (sangue e organi emopoietici), pari all'8% del totale dei medicinali orfani (n=2), per ciascuna categoria. Le restanti ATC sono rappresentate da un solo medicinale orfano. L'elenco completo dei medicinali orfani è riportato nella tabella 1.2.

Figura 1.6 Medicinali orfani con parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

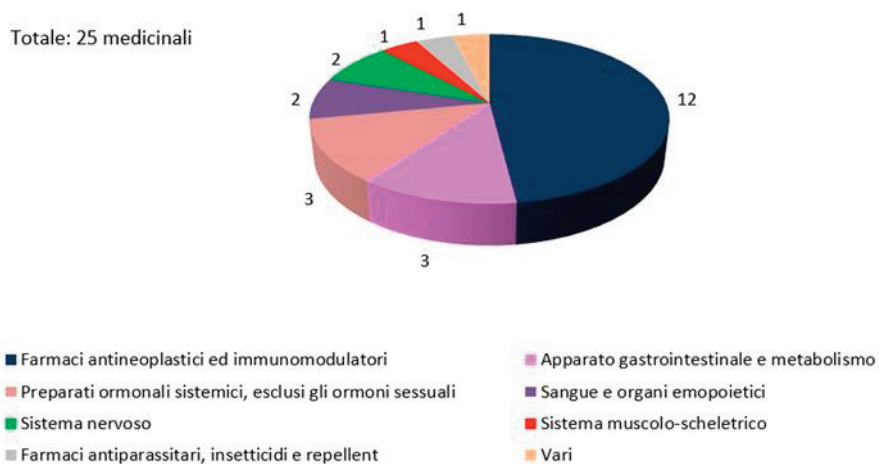


Tabella 1.2 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive orfane che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Bylvay	odevixibat	20/05/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Trattamento della colestasi progressiva intraepatica familiare (PFIC) in pazienti di età pari o superiore a 6 anni.		
Imcivree	setmelanotide	20/05/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Imcivree è indicato per il trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica geneticamente confermata, o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai 6 anni.		
Nexviadyme	avalglucosidasi alfa	11/11/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Nexviadyme (avalglucosidase alfa) è indicato nella terapia sostitutiva enzimatica a lungo termine per il trattamento dei pazienti con la malattia di Pompe (carezza di acido α -glucosidasi).		
B-Organ emopoietici e sangue			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Orladeyo	berotralstat	25/02/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Orladeyo è indicato per la prevenzione routinaria degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (HAE) in pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni.		
Oxbryta	voxelotor	16/12/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Oxbryta è indicato per il trattamento dell'anemia emolitica dovuta ad anemia falciforme (Sickle Cell Disease, SCD) nei pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni, in monoterapia o in associazione a idrossicarbamide.		
H – Preparati sistemiche ormonali, esclusi gli ormoni sessuali			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Lonapegsomatropina Ascendis Pharma	voxelotor	16/12/2021	SI
	Indicazione terapeutica: deficit di crescita nei bambini e negli adolescenti dai 3 fino ai 18 anni di età a causa di una insufficiente secrezione dell'ormone della crescita (deficit dell'ormone della crescita [GHD]). Lonapegsomatropina Ascendis Pharma dovrebbe essere prescritto dai clinici con esperienza nella diagnosi e gestione di pazienti pediatrici con deficit dell'ormone della crescita.		
Ngenla	somatogon	16/12/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Ngenla è indicato per il trattamento di bambini e adolescenti dai 3 anni di età in su con disturbi della crescita a causa di insufficiente secrezione dell'ormone della crescita.		

Sogroya	somapacitan	29/01/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Sogroya è indicato per la sostituzione dell'ormone endogeno della crescita (GH) negli adulti con deficit dell'ormone della crescita (AGHD).		
L-Agenti antineoplastici e immunomodulatori			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Aspaveli	pegcetacoplan	14/10/2021	SI
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (PNH) che risultano anemici dopo trattamento con un inibitore C5 per almeno 3 mesi. Aspaveli deve essere prescritto da clinici con esperienza nella gestione di pazienti con disordini ematologici.		
Abecma	idecabtagene vicleucel	24/06/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Abecma è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante e refrattario, che hanno già ricevuto almeno tre terapie precedenti, inclusi un agente immunomodulante, un inibitore proteasomico e un anticorpo anti-CD38, e hanno presentato progressione della malattia durante l'ultima terapia. Abecma deve essere prescritto da clinici con esperienza nel trattamento di neoplasie ematologiche, incluso il mieloma multiplo.		
Brukinsa	zanubrutinib	16/09/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Brukinsa in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con macroglobulinemia di Waldenström (WM), che hanno ricevuto almeno una terapia precedente, o un trattamento di prima linea per pazienti inadatti alla chemio-immunoterapia.		
Copiktra	duvelisib	25/03/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Copiktra in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con: <ul style="list-style-type: none"> • leucemia linfocitica cronica (CLL) recidivante o refrattaria dopo almeno due terapie precedenti; • limfoma follicolare (FL) refrattario ad almeno due precedenti terapie sistemiche. 		
Enspryng	satralizumab	22/04/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Enspryng è indicato come monoterapia o in combinazione con la terapia immunosoppressiva (IST) per il trattamento dei disordini dello spettro della neuromielite ottica (NMO) in pazienti adulti e adolescenti dai 12 anni di età che risultano sieropositivi agli anticorpi anti-aquaporin-4 (AQP4-IgG).		
Koselugo	selumetinib	22/04/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Koselugo in monoterapia è indicato per il trattamento di neurofibromi sintomatici, plessiformi ed inoperabili (PN) in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) dai 3 anni in su. Koselugo dovrebbe essere prescritto da clinici con esperienza nella diagnosi e nel trattamento di pazienti con NF1 associati a tumori.		

Minjuvi	tafasitamab	24/06/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Minjuvi è indicato in combinazione con lenalidomide o in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante o refrattario (DLBCL), che non sono candidabili al trapianto di cellule staminali adulte autologhe (ASCT).		
Nexpovio	selinexor	29/01/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Nexpovio è indicato in combinazione con desametasone per il trattamento del mieloma multiplo in pazienti adulti che hanno ricevuto almeno quattro precedenti terapie e la cui malattia è refrattaria ad almeno due inibitori del proteasoma, due agenti immunomodulanti e un anticorpo monoclonale anti-CD38, e che hanno presentato una progressione della malattia durante l'ultima terapia.		
Pemazyre	pemigatinib	29/01/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Pemazyre in monoterapia è indicato per il trattamento di adulti con colangiocarcinoma localmente avanzato o metastatico con una fusione o riarrangiamento del recettore del fattore di crescita 2 (FGFR2), progredito dopo almeno una terapia sistemica di prima linea.		
Qinlock	ripretinib	16/09/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Qinlock è indicato per il trattamento di pazienti adulti con tumore stromale gastrointestinale avanzato (GIST), che hanno ricevuto un precedente trattamento con tre o più inibitori della chinasi, incluso imatinib.		
Tavneos	avacopan	11/11/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Tavneos, in combinazione con rituximab o con la ciclofosfamide, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con grave granulomatosi attiva con poliangioite (GPA) o con poliangioite microscopica (MPA). Il trattamento con Tavneos deve essere iniziato e monitorato da professionisti con esperienza nella diagnosi e nel trattamento di GPA o MPA.		
Uplizna	inebilizumab	11/11/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Uplizna è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con disordini dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) che sono sieropositivi agli anticorpi anti-aquaporin 4 (AQP4-IgG). Uplizna deve essere prescritto da clinici con esperienza nel trattamento della NMOSD e con accesso ad appropriato supporto medico per gestire potenziali reazioni avverse gravi quali ad esempio gravi reazioni associate all'infusione.		
M-Sistema muscolo-scheletrico			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Voxzogo	vosoritide	24/06/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Voxzogo è indicato per il trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari o superiore a 2 anni le cui epifisi non sono chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica.		

N-Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Evrysdi	risdiplam	25/02/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Evrysdi è indicato per il trattamento della atrofia muscolare spinale 5q (SMA) in pazienti di età pari o superiore a 2 mesi, con una diagnosi clinica di SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o che presentano da 1 a 4 copie del gene SMN2.		
Skysona	elivaldogene autotemcel	20/05/2021	SI
	Indicazioni terapeutica: Skysona è indicato per il trattamento della adrenoleucodistrofia precoce cerebrale in pazienti con meno di 18 anni, con una mutazione del gene ABCD1, e per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali emopoietiche che presenti l'antigene leucocitario umano (HLA).		
P-Prodotti antiparassitici, insetticidi e repellenti			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Artesunate - Amivas	artesunate	16/09/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Artesunate - Amivas è indicato per il trattamento iniziale della malaria severa negli adulti e nei bambini.		
V- Vari			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Voraxaze	glucarpidasi	11/11/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Voraxaze è indicato per ridurre concentrazioni plasmatiche tossiche di metotrexato in adulti e bambini (con età pari e superiore a 28 giorni) con eliminazione ritardata di metotrexato o a rischio di tossicità da metotrexato.		

Nella figura 1.7 è riportata la categorizzazione dei medicinali per terapie avanzate approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC. I medicinali in questione appartengono alle categorie ATC L (antineoplastici e immunomodulatori) e N (sistema nervoso) (n=1, per ciascuna categoria). L'elenco completo dei medicinali per terapie avanzate è riportato nella tabella 1.3.

Figura 1.7 Medicinali per terapie avanzate con parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

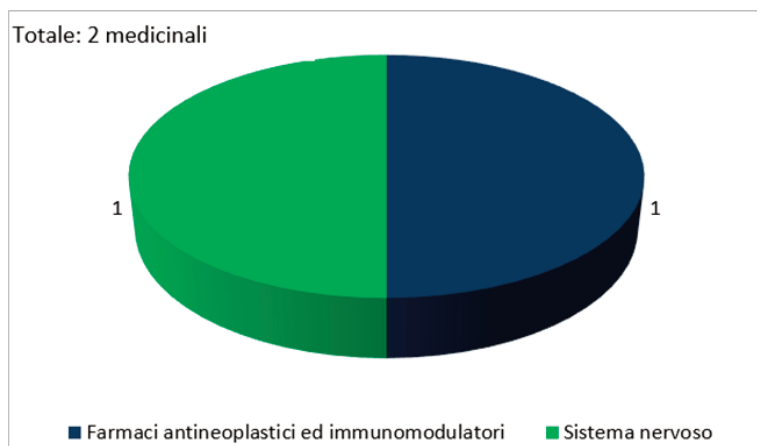


Tabella 1.3 Elenco dei medicinali per terapie avanzate che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

L-Agenti antineoplastici e immunomodulanti			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Abecma	idecabtagene vicleucel	24/06/2021	SI
	Indicazione terapeutica: Abecma è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante e refrattario che hanno ricevuto almeno 3 terapie precedenti, incluso un agente immunomodulante, un inibitore proteasomico e un anticorpo anti-CD38 e hanno manifestato progressione della malattia durante l'ultima terapia. Abecma deve essere prescritto da clinici con esperienza nel trattamento delle neoplasie maligne ematologiche incluso il mieloma multiplo.		
N-Sistema nervoso			
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
Skysona	elivaldogene autotemcel	20/05/2021	SI
	Indicazioni terapeutiche: Skysona è indicato per il trattamento della adrenoleucodistrofia precoce cerebrale in pazienti con meno di 18 anni, una mutazione del gene ABCD1, e per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali emopoietiche che presenti l'antigene leucocitario umano (HLA).		

Medicinali biosimilari

Nel 2021 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 6 medicinali biosimilari. Nella figura 1.8 è riportata la categorizzazione dei medicinali biosimilari approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che quasi la totalità dei medicinali biosimilari appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta l'83% del totale dei medicinali biosimilari autorizzati nel 2021 (n=5). Un unico biosimilare autorizzato appartiene a un'altra categoria - ATC S (organi di senso). L'elenco completo dei medicinali biosimilari è riportato nella tabella 1.4.

Figura 1.8 Medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

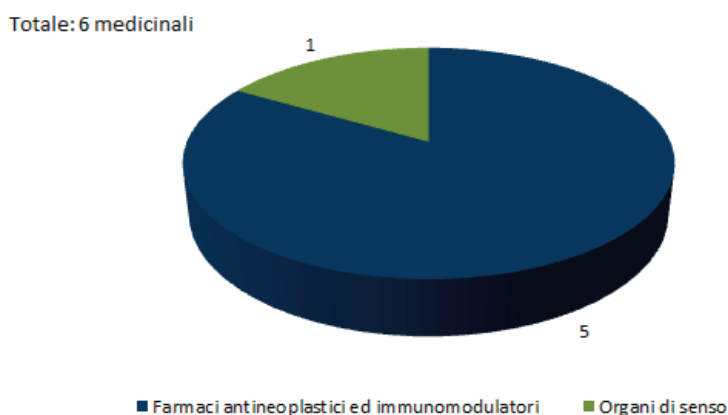


Tabella 1.4 Elenco dei medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

L-Agenti antineoplastici ed immunomodulanti				
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Abevmy	bevacizumab	25/02/2021	NO	Biosimilare di Avastin
Alymsys	bevacizumab	29/01/2021	NO	Biosimilare di Avastin
Hukyndra	adalimumab	16/09/2021	NO	Biosimilare di Humira
Libmyris	adalimumab	16/09/2021	NO	Duplicato di Hukyndra
Oyavas	bevacizumab	29/01/2021	NO	Biosimilare di Avastin
S-Organ sensoriali				
NOME COMM.LE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Byooviz	ranibizumab	24/06/2021	NO	Biosimilare di Lucentis

Medicinali equivalenti

Nel 2021 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 12 medicinali equivalenti. Nella figura 1.9 è riportata la categorizzazione dei medicinali equivalenti approvati nel 2021 secondo il sistema di classificazione ATC, da cui emerge che il maggior numero di medicinali equivalenti appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 41,7% del totale dei medicinali equivalenti autorizzati nel 2020 (n=5). Le altre categorie ATC rappresentate sono: ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) con 3 medicinali (25%) e le ATC B (sangue e organi emopoietici) e V (varie) con 2 medicinali ciascuna (16,7%). L'elenco completo dei medicinali equivalenti è riportato nella tabella 1.5.

Figura 1.9 Medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

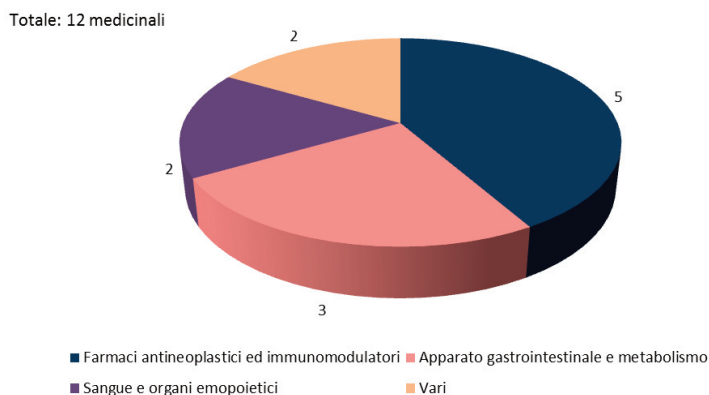


Tabella 1.5 Elenco dei medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

A- Apparato gastrointestinale e metabolismo				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Sapropterin Dipharma	sapropterina	16/12/2021	NO	Kuvan
Sitagliptin / Metformin hydrochloride Mylan	metformina cloridrato / sitagliptin cloridrato monoidrato	16/12/2021	NO	Janumet
Sitagliptin SUN	sitagliptin fumarato	14/10/2021	NO	Januvia
B - Sangue e organi emopoietici				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Icatibant Accord	icatibant	20/05/2021	NO	Firazyr
Rivaroxaban Mylan	rivaroxaban	16/09/2021	NO	Xarelto
L- antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Abiraterone Accord	abiraterone acetato	25/02/2021	NO	Zytiga
Abiraterone acetate KRKA	abiraterone acetato	22/04/2021	NO	Zytiga
Abiraterone Mylan	abiraterone acetato	24/06/2021	NO	Zytiga
Fingolimod Mylan	fingolimod	24/06/2021	NO	Gilenya
Thiotepa Riemser	tiotepa	29/01/2021	NO	Tepadina
V-Varie				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Celsunax	ioflupane (123i)	22/04/2021	NO	Equivalente di DaTSCAN
Sugammadex Mylan	sugammadex	16/09/2021	NO	Equivalente di Bridion

Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

Nella figura 1.10 è illustrata la categorizzazione secondo il sistema di classificazione ATC delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati approvate nel 2021. Il numero totale delle nuove indicazioni è 89, per un totale di 66 medicinali già autorizzati coinvolti. Il maggior numero di nuove indicazioni terapeutiche appartiene alla categoria ATC L, farmaci antineoplastici e immunomodulatori, che rappresenta il 47,1% del totale delle nuove indicazioni terapeutiche autorizzate nel 2021 (n=42). Seguono, in ordine decrescente, le nuove indicazioni terapeutiche appartenenti alle categorie ATC J (antinfettivi a uso sistemico) e A (apparato gastrointestinale e metabolismo), pari rispettivamente al 19,5% (n=18) e al 17,2% (n=15) del totale, i medicinali appartenenti alla categoria R (sistema respiratorio), pari al 10,3% (n=9), alla categoria C (sistema cardiovascolare), pari al 3,4% (n=3), M (sistema muscolo scheletrico) e N (sistema nervoso) pari entrambi all'1,1% (n=1). L'elenco completo delle nuove indicazioni terapeutiche è riportato nella tabella 1.6.

Figura 1.10 Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati con parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

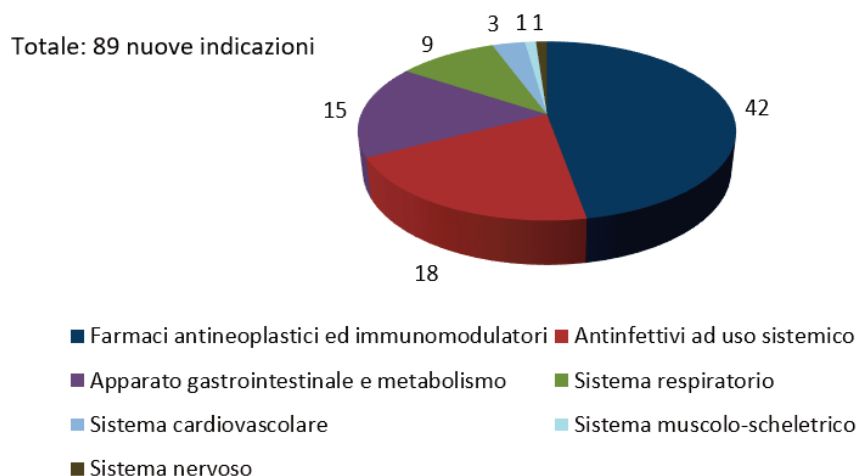


Tabella 1.6 Elenco delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2021 per ATC.

A-Apparato digerente e metabolismo		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Edistride	dapagliflozin	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Edistride è indicato negli adulti per il trattamento della malattia renale cronica.	
Edistride	dapagliflozin	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Diabete mellito di tipo 2</p> <p>Edistride è indicato in pazienti adulti e bambini dai 10 anni di età in su, non adeguatamente controllati per il trattamento del diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in monoterapia quando l'impiego di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza; • in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2. <p>Per i risultati degli studi rispetto alle associazioni con altri medicinali, agli effetti sul controllo glicemico, agli eventi cardiovascolari e renali, e alle popolazioni studiate.</p>	
Eucreas	Vildagliptin/metformina cloridrato	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Eucreas è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in pazienti che non sono adeguatamente controllati con la sola metformina cloridrato; • in pazienti che sono già stati trattati con un'associazione di vildagliptin e metformina cloridrato somministrate in compresse separate; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
Forxiga	dapagliflozin	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Forxiga è indicato negli adulti per il trattamento della malattia renale cronica.	
Forxiga	dapagliflozin	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Forxiga è indicato in pazienti adulti e bambini dai 10 anni di età in su, non adeguatamente controllati per il trattamento del diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in monoterapia quando l'impiego di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza; • in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2. 	

	Per i risultati degli studi rispetto alle associazioni con altri medicinali, agli effetti sul controllo glicemico, agli eventi cardiovascolari e renali, e alle popolazioni studiate.	
Galafold	migalastat	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Galafold è indicato per il trattamento a lungo termine negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con una diagnosi accertata di malattia di Fabry (carenza dell' α -galattosidasi A) e caratterizzati da una mutazione suscettibile.	
Galvus	vildagliptin	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: vildagliptin è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2: <ul style="list-style-type: none"> • come monoterapia quando metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
Icandra	Vildagliptin/metformina cloridrato	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Icandra è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2: <ul style="list-style-type: none"> • in pazienti che non sono adeguatamente controllati con la sola metformina cloridrato; • in pazienti che sono già stati trattati con un'associazione di vildagliptin e metformina cloridrato somministrate in compresse separate; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
Jalra	vildagliptin	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: vildagliptin è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2: <ul style="list-style-type: none"> • come monoterapia quando metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
Jardiance	empaglifozin	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Jardiance è indicato negli adulti per il trattamento dell'insufficienza cardiaca cronica sintomatica con frazione di eiezione ridotta.	

Saxenda	liraglutide	25/03/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Adolescenti (≥ 12 anni)</p> <p>Saxenda è indicato in aggiunta ad una sana alimentazione e a un aumento dell'attività fisica per la gestione del peso corporeo in pazienti adolescenti dall'età di 12 anni in poi con:</p> <ul style="list-style-type: none"> • ≥ 30 kg/m² (obesità (IMC corrispondente a ≥ 30 kg / m² per gli adulti secondo i punti di cut-off valori soglia internazionali*); • peso corporeo superiore a 60 kg. <p>Il trattamento con Saxenda deve essere interrotto e rivalutato se i pazienti non hanno perso almeno il 4% del loro indice di massa corporea IMC o punteggio z dell'IMC dopo 12 settimane alla dose di 3,0 mg/die o alla dose massima tollerata.</p> <p>*Punti Valori soglia di IMC cut-off secondo l'International Obesity Task Force (IOTF) IMC per l'obesità in base al sesso tra 12 e 18 anni.</p>	
Segluromet	ertugliflozin / metformin hydrochloride	16/09/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Segluromet è indicato nel trattamento di pazienti adulti con diabete mellito di tipo 2 non sufficientemente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico:</p> <ul style="list-style-type: none"> • come monoterapia quando metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni; • in aggiunta ad altri medicinali usati per il trattamento del diabete. 	
Steglatro	ertugliflozin	16/09/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Steglatro è indicato nel trattamento di pazienti adulti con diabete mellito di tipo 2 non sufficientemente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico:</p> <ul style="list-style-type: none"> • come monoterapia quando metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni; • in aggiunta ad altri medicinali usati per il trattamento del diabete. 	
Xiliarx	vildagliptin	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Xiliarx è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2:</p> <ul style="list-style-type: none"> • come monoterapia quando metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
Zomarist	Vildagliptin/metformina cloridrato	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Zomarist è indicato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico per migliorare il controllo glicemico negli adulti con diabete mellito di tipo 2:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in pazienti che non sono adeguatamente controllati con la sola metformina cloridrato; 	

	<ul style="list-style-type: none"> • in pazienti che sono già stati trattati con un'associazione di vildagliptin e metformina cloridrato somministrate in compresse separate; • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi medicinali non forniscono un controllo glicemico adeguato. 	
C- Sistema cardiovascolare		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Rapiscan	regadenoson	11/11/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Rapiscan è un vasodilatatore coronarico selettivo da utilizzarsi negli adulti come agente per stress farmacologico per:</p> <ul style="list-style-type: none"> • l'imaging di perfusione miocardica (myocardial perfusion imaging, MPI) in pazienti incapaci di sottoporsi a un adeguato sforzo fisico; • la misurazione della riserva frazionale di flusso (FFR) di una singola stenosi dell'arteria coronaria durante l'angiografia coronarica invasiva, quando non sono previste misurazioni ripetute dell'FFR. 	
Repatha	evolocumab	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica:</p> <p>Ipercolesterolemia e dislipidemia mista: Repatha è indicato nei pazienti adulti affetti da ipercolesterolemia primaria (familiare eterozigote e non familiare) o da dislipidemia mista e nei pazienti pediatrici di età pari o superiore ai 10 anni affetti da ipercolesterolemia familiare eterozigote, in aggiunta alla dieta:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in associazione ad una statina o ad una statina con altre terapie ipolipemizzanti in pazienti che non raggiungono livelli di C-LDL target con la dose massima tollerata di una statina, oppure • in monoterapia o in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti in pazienti intolleranti alle statine o per i quali l'uso di statine è controindicato. <p>Ipercolesterolemia familiare omozigote: Repatha è indicato in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti negli adulti e nei pazienti pediatrici gli adolescenti di almeno 10 anni di età con ipercolesterolemia familiare omozigote.</p>	
Volibris	ambrisentan	22/07/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Volibris è indicato per il trattamento dell'ipertensione polmonare arteriosa (Pulmonary Arterial Hypertension, PAH) negli adolescenti e bambini (di età compresa tra 8 e 18 anni) nelle classi II e III della classificazione funzionale dell'OMS, ivi incluso il trattamento in combinazione. La sua efficacia è stata dimostrata nei pazienti con PAH idiopatica (IPAH), familiare, congenita e nella PAH associata a malattia del tessuto connettivo.</p>	

J- Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Comirnaty	Vaccine covid-19 mRNA (nucleoside-modified)	28/05/2021
	Indicazione terapeutica: Comirnaty è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione della COVID-19, causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 12 anni. L'uso di questo vaccino deve essere in accordo con le raccomandazioni ufficiali.	
Comirnaty	Vaccine covid-19 mRNA (nucleoside-modified)	25/11/2021
	Indicazione terapeutica: Comirnaty è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in bambini di età compresa fra 5 e 11 anni.	
Deltabya	delamanid	22/07/2021
	Indicazione terapeutica: Deltabya è indicato per l'uso nell'ambito di un'opportuna terapia di associazione per la tubercolosi polmonare multi-resistente ai farmaci (MDR-TB) in adulti, adolescenti e bambini con peso corporeo di almeno 10 kg quando non è altrimenti possibile istituire un regime terapeutico efficace per ragioni di resistenza o di tollerabilità. Le linee guida ufficiali sull'uso corretto degli agenti antibatterici devono essere tenute in considerazione.	
Dengvaxia	Vaccino trivalente per dengue (vivo, attenuato)	11/11/2021
	Indicazione terapeutica: Dengvaxia è indicato per la prevenzione della malattia dengue provocata dai sierotipi 1, 2, 3 e 4 del virus dengue in soggetti di età compresa tra 6 e 45 anni con precedente infezione da virus dengue accertata mediante test.	
Dengvaxia	Vaccino trivalente per dengue (vivo, attenuato)	11/11/2021
	Indicazione terapeutica: Dengvaxia è indicato per la prevenzione della malattia dengue provocata dai sierotipi 1, 2, 3 e 4 del virus dengue in soggetti di età compresa tra 6 e 45 anni con precedente infezione da virus dengue accertata mediante test.	
Epclusa	sofosbuvir / velpatasvir	11/11/2021
	Indicazione terapeutica: Epclusa è indicato per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite C cronica (hepatitis C virus, HCV) in pazienti di età pari o superiore a 3 anni.	
Evotaz	atazanavir / cobicistat	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Evotaz è indicato in associazione ad altri medicinali antiretrovirali per il trattamento di soggetti adulti ed adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni che pesano almeno 35 kg) infetti da HIV-1 senza mutazioni note associate a resistenza ad atazanavir.	

Hizentra	immunoglobulina umana normale	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Terapia sostitutiva in adulti, bambini e adolescenti (da 0 a 18 anni) in caso di:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Sindromi da immunodeficienza primaria con alterata produzione di anticorpi (vedere paragrafo 4.4). • Sindromi da immunodeficienza secondaria (SID) in pazienti affetti da infezioni gravissime o ricorrenti, nei quali il trattamento antimicrobico è risultato inefficace e con comprovata insufficienza anticorpale specifica (PSAF)* o livelli di IgG nel siero < di 4g/L. <p>*PSFA = incapacità di aumentare di almeno 2 volte il titolo anticorpale di IgG in risposta agli antigeni polisaccaridici e polipeptidici dei vaccini pneumococcici.</p>	
Maviret	glecaprevir / pibrentasvir	22/04/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti e nei bambini di età maggiore o uguale a 3 anni.</p>	
Noxafil	posaconazolo	16/09/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Aspergillosi invasiva</p>	
Noxafil	posaconazolo	11/11/2021
	<p>Indicazione terapeutica:</p> <p>Le compresse gastroresistenti di Noxafil sono indicate per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni fungine negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Aspergillosi invasiva <p>Le compresse gastroresistenti di Noxafil sono indicate per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni fungine nei pazienti pediatrici da 2 anni di età con peso superiore a 40 kg e negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Aspergillosi invasiva nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o ad itraconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali; • Fusariosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o nei pazienti intolleranti ad amfotericina B; • Cromoblastomicosi e micetoma nei pazienti con malattia refrattaria a itraconazolo o nei pazienti intolleranti ad itraconazolo; • Coccidioidomicosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B, itraconazolo o fluconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali. <p>La refrattarietà è definita come progressione dell'infezione o assenza di miglioramento dopo un trattamento minimo di 7 giorni precedenti con dosi terapeutiche di una terapia antifungina efficace.</p> <p>Le compresse gastroresistenti di Noxafil sono indicate anche nella profilassi delle infezioni fungine invasive nei seguenti pazienti pediatrici da 2 anni di età con peso superiore a 40 kg e negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Pazienti in chemioterapia per induzione della remissione di leucemia mieloblastica acuta (AML) o sindromi mielodisplastiche (MDS) per le quali si prevede una neutropenia prolungata e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive; 	

	<ul style="list-style-type: none"> Soggetti sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) in terapia immunosoppressiva ad alto dosaggio per malattia del trapianto contro l'ospite e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive. <p>Noxafil concentrato per soluzione per infusione è indicato per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni fungine negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> Aspergillosi invasiva. <p>Noxafil concentrato per soluzione per infusione è indicato per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni fungine negli adulti e nei pazienti pediatrici da 2 anni di età:</p> <ul style="list-style-type: none"> Aspergillosi invasiva nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o ad itraconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali; Fusariosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o nei pazienti intolleranti ad amfotericina B; Cromoblastomicosi e micetoma nei pazienti con malattia refrattaria ad itraconazolo o nei pazienti intolleranti ad itraconazolo; Coccidioidomicosi nei pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B, itraconazolo o fluconazolo o nei pazienti intolleranti a questi medicinali. <p>La refrattarietà è definita come progressione dell'infezione o assenza di miglioramento dopo un trattamento minimo di 7 giorni precedenti con dosi terapeutiche di una terapia antifungina efficace.</p> <p>Noxafil concentrato per soluzione per infusione è indicato anche nella profilassi delle infezioni fungine invasive nei seguenti pazienti adulti e pediatrici da 2 anni di età:</p> <ul style="list-style-type: none"> Pazienti in chemioterapia per induzione della remissione di leucemia mieloblastica acuta (AML) o sindromi mielodisplastiche (MDS) per le quali si prevede una neutropenia prolungata e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive; Soggetti sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) in terapia immunosoppressiva ad alto dosaggio per malattia del trapianto contro l'ospite (GVHD) e che sono ad alto rischio di sviluppare infezioni fungine invasive. 	
<p>Quofenix</p>	<p>delafloxacin</p>	<p>25/02/2021</p>
<p>Indicazione terapeutica: Quofenix è indicato negli adulti per il trattamento delle seguenti infezioni:</p> <ul style="list-style-type: none"> infezioni batteriche acute della cute e dei tessuti molli (ABSSSI); polmonite acquisita in comunità (CAP). quando si considera inappropriato l'uso di altri agenti antibatterici comunemente raccomandati per il trattamento iniziale di tali infezioni. <p>Devono essere considerate le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.</p>		
<p>Sirturo</p>	<p>bedaquiline</p>	<p>29/01/2021</p>
<p>Indicazione terapeutica: Sirturo è indicato per l'uso nei pazienti adulti e pediatrici (di età compresa fra 5 anni e i 18 anni non compiuti e di peso</p>		

	pari ad almeno 15 kg) come parte di un appropriato regime di associazione per la tubercolosi polmonare multiresistente (MDR-TB) quando non può essere utilizzato altro efficace regime terapeutico per motivi di resistenza o tollerabilità.	
Spikevax	Vaccine anti COVID-19 mRNA (nucleoside-modified)	23/07/2021
	Indicazione terapeutica: Spikevax è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	
Vaxchora	Vaccine per colera (orale, vivo)	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: Vaxchora è indicato per l'immunizzazione attiva contro la malattia causata dal <i>Vibrio cholerae</i> sierogruppo O1 in adulti e bambini di età pari o superiore a 2 anni.	
Veklury	remdesivir	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: Veklury è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli: <ul style="list-style-type: none"> • adulti che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono ad elevato rischio di progressione a COVID-19 grave. • adulti e adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni e peso pari ad almeno 40 kg) con polmonite che richiede ossigenoterapia supplementare (ossigeno a basso o alto flusso o altro tipo di ventilazione non invasiva all'inizio del trattamento). 	
Vosevi	sofosbuvir / velpatasvir / voxilaprevir	22/07/2021
	Indicazione terapeutica: Vosevi è indicato per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite C cronica (<i>hepatitis C virus</i> , HCV) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e che pesano almeno 30 kg.	
Zepatier	elbasvir / grazoprevir	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Zepatier è indicato per il trattamento dell'epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) nei pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con un peso di almeno 30 kg.	
L- Antineoplastici e immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Aubagio	teriflunomide	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: Aubagio è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di almeno 10 anni affetti da sclerosi multipla (SM) recidivante remittente.	
Benlysta	belimumab	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: Benlysta è indicato in combinazione con terapie immunosoppressive di fondo per il trattamento di pazienti adulti con nefrite lupica attiva.	
Blinicyto	blinatumomab	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Blincyto è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 1 anno con LLA	

	da precursori delle cellule B in prima recidiva ad alto rischio, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia, come parte della terapia di consolidamento.	
Cabometyx	cabozantinib	25/02/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Cabometyx è indicato per il trattamento del carcinoma renale (Renal Cell Carcinoma, RCC) avanzato:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in adulti naïve al trattamento rischio “intermediate o poor”. • negli adulti precedentemente trattati con terapia contro il fattore di crescita dell’endotelio vascolare(VEGF). <p>Cabometyx, in associazione a nivolumab, è indicato per il trattamento di prima linea del carcinoma a cellule renali avanzato in pazienti adulti.</p>	
Darzalex	daratumumab	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Darzalex è indicato in associazione con ciclofosfamide, bortezomib e desametasone per il trattamento di pazienti adulti affetti da amiloidosi sistemica da catene leggere (AL) di nuova diagnosi.</p>	
Darzalex	daratumumab	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: in associazione con pomalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che abbiano ricevuto almeno una precedente linea di terapia contenente un inibitore del proteasoma e lenalidomide, e che erano refrattari alla lenalidomide, o che abbiano ricevuto almeno due precedenti linee di terapia contenenti lenalidomide e un inibitore del proteasoma, e che abbiano mostrato progressione della malattia durante o dopo l’ultima terapia.</p>	
Entyvio	vedolizumab	16/12/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Entyvio è indicato per il trattamento di pazienti adulti con pouchite cronica attiva da moderata a severa che sono stati sottoposti a proctocolectomia e anastomosi ileo-anales con confezionamento di pouch ileale per la colite ulcerosa e che hanno manifestato una risposta inadeguata o hanno avuto una perdita di risposta alla terapia antibiotica.</p>	
Firmagon	degarelix	16/09/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Firmagon è un antagonista dell’ormone di rilascio delle gonadotropine (GnRH) indicato:</p> <ul style="list-style-type: none"> • per il trattamento di pazienti maschi adulti con tumore della prostata ormono-dipendente in stadio avanzato; • per il trattamento del tumore della prostata ormono-dipendente ad alto rischio localizzato e localmente avanzato in combinazione con la radioterapia; • come trattamento neo-adiuvante prima della radioterapia in pazienti con tumore della prostata ormono dipendente localizzato o localmente avanzato ad alto rischio. 	
Jyseleca	filgotinib	16/09/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Jyseleca è indicato per il trattamento della colite ulcerosa in fase attiva da moderata a severa in pazienti adulti che hanno manifestato una risposta inadeguata, hanno avuto una perdita di risposta</p>	

	o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un medicinale biologico.	
Keytruda	pembrolizumab	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in monoterapia, è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 3 anni affetti da linfoma di Hodgkin classico recidivato o refrattario che abbiano fallito il trattamento con trapianto autologo di cellule staminali (ASCT) o a seguito di almeno due precedenti terapie quando ASCT non è un'opzione di trattamento.	
Keytruda	pembrolizumab	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in associazione a chemioterapia contenente platino e fluoropirimidina, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma dell'esofago localmente avanzato non resecabile o metastatico o adenocarcinoma della giunzione gastroesofagea HER2 negativo negli adulti il cui tumore esprime PDL1 con un CPS ≥ 10 .	
Keytruda	pembrolizumab	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in associazione a chemioterapia, è indicato nel trattamento del carcinoma mammario triplo negativo localmente ricorrente non resecabile o metastatico negli adulti il cui tumore esprime PDL1 con un CPS ≥ 10 e che non hanno ricevuto una precedente chemioterapia per malattia metastatica.	
Keytruda	pembrolizumab	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in associazione a lenvatinib, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma a cellule renali avanzato negli adulti.	
Keytruda	pembrolizumab	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in associazione a lenvatinib, è indicato nel trattamento del carcinoma dell'endometrio avanzato o ricorrente negli adulti con progressione della malattia durante o dopo un precedente trattamento con una terapia contenente platino in qualsiasi setting e che non sono candidati a chirurgia curativa o radioterapia.	
Keytruda	pembrolizumab	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: Keytruda, in monoterapia, è indicato nel trattamento adiuvante di adulti con carcinoma a cellule renali a maggior rischio di recidiva a seguito di nefrectomia o a seguito di nefrectomia e resezione di lesioni metastatiche.	
Kineret	anakinra	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: Kineret è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) nei pazienti adulti affetti da polmonite che necessitano di ossigeno supplementare (ossigeno a basso o alto flusso) e che sono a rischio di progressione verso l'insufficienza respiratoria severa determinata da una concentrazione plasmatica del recettore solubile dell'attivatore del plasminogeno dell'urochinasi (suPAR) ≥ 6 ng/mL.	

Kispplx	lenvatinib	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Kispplx è indicato per il trattamento degli adulti affetti da carcinoma a cellule renali (RCC) avanzato:</p> <ul style="list-style-type: none"> • in associazione a pembrolizumab, come trattamento di prima linea. • in associazione a everolimus, dopo una precedente terapia anti-VEGF (fattore di crescita vascolare endoteliale). 	
Lenvima	lenvatinib	14/10/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Lenvima in associazione con pembrolizumab è indicato in pazienti adulti per il trattamento del carcinoma dell'endometrio (Endometrial Carcinoma, EC) avanzato o ricorrente, che abbiano mostrato progressione della malattia durante o dopo il trattamento precedente con una terapia contenente platino in qualsiasi contesto e che non siano candidati all'intervento chirurgico o alla radioterapia curativi.</p>	
Libtayo	cemiplimab	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Libtayo in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma basocellulare localmente avanzato o metastatico (laBCC o mBCC) la cui malattia è progredita o che sono intolleranti a un inibitore del <i>pathway</i> di Hedgehog (HHI).</p>	
Libtayo	cemiplimab	20/05/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Libtayo in monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC) con espressione di PD-L1 (in $\geq 50\%$ delle cellule tumorali), senza aberrazioni EGFR, ALK o ROS1, che presentano:</p> <ul style="list-style-type: none"> • NSCLC localmente avanzato e non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva, oppure • NSCLC metastatico. 	
Lorviqua	lorlatinib	16/12/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Lorviqua come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancratumore del polmone non a piccole cellule (Non-Small Cell Lung Cancer, NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK) non trattati in precedenza con un inibitore diella ALK.</p> <p>Lorviqua come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti in stadio avanzato la cui malattia è progredita dopo:</p> <ul style="list-style-type: none"> • alectinib o ceritinib come terapia di prima linea con un inibitore della tirosin chinasi (TKI) ALK, oppure • crizotinib e almeno un altro TKI ALK. 	
Nulojix	belatacept	22/04/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Nulojix, in combinazione con corticosteroidi e acido micafenolico (MPA), è indicato per la profilassi del rigetto del trapianto negli adulti sottoposti a trapianto renale.</p>	
Opdivo	nivolumab	25/02/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Opdivo in associazione a cabozantinib è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule renali avanzato.</p>	

Opdivo	nivolumab	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: Opdivo in associazione a ipilimumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con mesotelioma maligno della pleura non resecabile.	
Opdivo	nivolumab	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Opdivo in associazione a ipilimumab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma del colon-retto metastatico con deficit di riparazione del mismatch o elevata instabilità dei microsattelliti dopo precedente chemioterapia di associazione a base di fluoropirimidina.	
Opdivo	nivolumab	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Opdivo è indicato in monoterapia per il trattamento adiuvante di pazienti adulti con cancro esofageo o della giunzione gastro-esofagea che presentano malattia patologica residua a seguito di precedente chemioradioterapia neoadiuvante.	
Opdivo	nivolumab	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Opdivo in associazione a chemioterapia di combinazione a base di fluoropirimidina e platino è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con adenocarcinoma dello stomaco, della giunzione gastro-esofagea o dell'esofago, HER2 negativo, avanzato o metastatico, i cui tumori esprimono PD-L1 con un punteggio positivo combinato (CPS) ≥ 5 .	
Rinvoq	upadacitinib	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Rinvoq è indicato nel trattamento della dermatite atopica da moderata a severa negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni eleggibili alla terapia sistemica.	
RoActemra	tocilizumab	06/12/2021
	Indicazione terapeutica: RoActemra è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti in terapia con corticosteroidi sistemici e che necessitano di ossigenoterapia supplementare o ventilazione meccanica.	
Sarclisa	isatuximab	25/02/2021
	Indicazione terapeutica: Sarclisa è indicato: <ul style="list-style-type: none"> • in associazione a pomalidomide e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno due terapie precedenti, tra cui lenalidomide e un inibitore del proteasoma, e con progressione della malattia durante l'ultima terapia; • in combinazione con carfilzomib e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che hanno ricevuto almeno una terapia precedente. 	
Skyrizi	risankizumab	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: Skyrizi, da solo o in associazione con metotressato (MTX), è indicato per il trattamento dell'artrite psoriasica attiva in adulti che hanno manifestato una risposta inadeguata o un'intolleranza a uno o più farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARD).	

Tagrisso	osimertinib	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: Tagrisso in monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante dopo resezione completa del tumore in pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio IB-IIIa il cui tumore presenta delezioni dell'esone 19 o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R) del recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR).	
Tecentriq	atezolizumab	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: Tecentriq in monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con NSCLC metastatico, i cui tumori presentano un'espressione di PD-L1 \geq 50% sulle cellule tumorali (TC) o \geq 10% sulle cellule immunitarie infiltranti il tumore (IC) e sono negativi per mutazioni di EGFR o riarrangiamenti di ALK.	
Teysono	tegafur / gimeracil / oteracil	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: Teysono è indicato negli adulti: <ul style="list-style-type: none"> • in associazione con cisplatino per il trattamento di pazienti con carcinoma gastrico avanzato; • come monoterapia o in associazione con oxaliplatino o irinotecan, con o senza bevacizumab, per il trattamento di pazienti con carcinoma colorettole metastatico per i quali non è possibile continuare il trattamento con un'altra fluoropirimidina a causa della sindrome mani-piedi o della tossicità cardiovascolare che si è sviluppata durante la terapia adiuvante o del carcinoma metastatico. 	
Ultomiris	ravulizumab	22/07/2021
	Indicazione terapeutica: Ultomiris è indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): <ul style="list-style-type: none"> • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi (vedere paragrafo 5.1). Ultomiris è indicato nel trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno 3 mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab.	
Venclyxto	venetoclax	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: Venclyxto in combinazione con un agente ipometilante è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi non idonei alla chemioterapia intensiva.	
Xeljanz	tofacitinib	24/06/2021
	Indicazione terapeutica: Tofacitinib è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare in fase attiva (poliartrite con fattore reumatoide positivo [RF+] o negativo [RF-] e oligoartrite estesa) e dell'artrite psoriasica (PsA) giovanile in pazienti di età pari o superiore a	

	2 anni, che hanno risposto in modo inadeguato alla precedente terapia con DMARD. Tofacitinib può essere somministrato in associazione con a metotrexato (MTX) o in monoterapia in caso di intolleranza a MTX o quando sia inappropriato continuare un trattamento con MTX.	
Xeljanz	tofacitinib	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: Xeljanz è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da spondilite anchilosante (SA) attiva che hanno risposto in modo inadeguato alla terapia convenzionale.	
Xtandi	enzalutamide	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: Xtandi è indicato per il trattamento di uomini adulti con cancro della prostata metastatico ormono-sensibile (metastatic hormone-sensitive prostate cancer, mHSPC) in associazione con terapia di deprivazione androgenica.	
Yervoy	ipilimumab	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: Yervoy in associazione a nivolumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con mesotelioma maligno della pleura (MPM) non resecabile.	
Yervoy	ipilimumab	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Yervoy in associazione a nivolumab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma del colon-retto metastatico con deficit di riparazione del mismatch (dMMR) o elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H) dopo precedente chemioterapia di associazione a base di fuoropirimidina.	
Zeposia	ozanimod	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: Zeposia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa (CU) in fase attiva di grado da moderato a severo che hanno avuto una risposta inadeguata, una perdita di risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un agente biologico.	
M- Sistema muscoloscheletrico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Spherox	Sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice per impianto	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: Riparazione di difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio (grado III o IV, Società Internazionale per la Rigenerazione della Cartilagine e la Conservazione delle Articolazioni [International Cartilage Regeneration & Joint Preservation Society, ICERS]) con dimensioni dei difetti fino a 10 cm ² negli adulti e negli adolescenti con chiusura della placca di accrescimento epifisaria nell'articolazione interessata.	
N-Sistema nervoso		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Epidyolex	cannabidiolo	25/02/2021
	Indicazione terapeutica: Epidyolex è indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da 2 anni di età.	

R-Sistema respiratorio		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
BiResp Spiromax	budesonide / formoterolo	22/04/2021
	<p>Indicazione terapeutica: BiResp Spiromax è indicato negli adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore ai 12 anni) per il regolare trattamento dell'asma quando è appropriato l'uso di un'associazione (corticosteroide per via inalatoria e β_2-adrenocettori agonisti a lunga durata d'azione):</p> <ul style="list-style-type: none"> in pazienti non adeguatamente controllati con corticosteroidi per via inalatoria e con β_2-adrenocettori agonisti a breve durata d'azione usati "al bisogno" in pazienti già adeguatamente controllati sia con corticosteroidi per via inalatoria sia con β_2-adrenocettori agonisti a lunga durata d'azione. 	
DuoResp Spiromax	budesonide / formoterol	22/04/2021
	<p>Indicazione terapeutica: DuoResp Spiromax è indicato negli adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore ai 12 anni) per il regolare trattamento dell'asma quando è appropriato l'uso di un'associazione (corticosteroide per via inalatoria e β_2-adrenocettori agonisti a lunga durata d'azione):</p> <ul style="list-style-type: none"> in pazienti non adeguatamente controllati con corticosteroidi per via inalatoria e con β_2-adrenocettori agonisti a breve durata d'azione usati "al bisogno". in pazienti già adeguatamente controllati sia con corticosteroidi per via inalatoria sia con β_2-adrenocettori agonisti a lunga durata d'azione. 	
Kaftrio	ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor	25/03/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Kaftrio è indicato in un regime di associazione con ivacaftor 150 mg compresse per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età pari e superiore a 12 anni che hanno almeno una mutazione <i>F508del</i> nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).</p>	
Kaftrio	ivacaftor / tezacaftor / elexacaftor	11/11/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Kaftrio è indicato in un regime di associazione con ivacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età pari e superiore a 6 anni che hanno almeno una mutazione <i>F508del</i> nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).</p>	
Kalydeco	ivacaftor	25/03/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Kalydeco è indicato in un regime di associazione con tezacaftor / elexacaftor compresse per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età pari e superiore a 12 anni che hanno almeno una mutazione <i>F508del</i> nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).</p>	
Kalydeco	ivacaftor	11/11/2021
	<p>Indicazione terapeutica: Kalydeco compresse è indicato in un regime di associazione con tezacaftor/ivacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a 6 anni affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno almeno una mutazione <i>F508del</i> nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR).</p>	

Nucala	mepolizumab	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Nucala è indicato come terapia aggiuntiva a corticosteroidi intranasali per il trattamento di adulti con rinosinusite cronica con poliposi nasale (CRSwNP) severa per i quali la terapia con corticosteroidi sistemici e/o la chirurgia non forniscono un controllo adeguato della malattia.	
Nucala	mepolizumab	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Nucala è indicato come terapia aggiuntiva per pazienti adulti con sindrome ipereosinofila non adeguatamente controllata senza una causa secondaria non ematologica identificabile.	
Nucala	mepolizumab	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: Nucala è indicato come terapia aggiuntiva per pazienti di età pari o superiore a 6 anni con granulomatosi eosinofila con poliangite (EGPA) recidivante/remittente o refrattaria.	

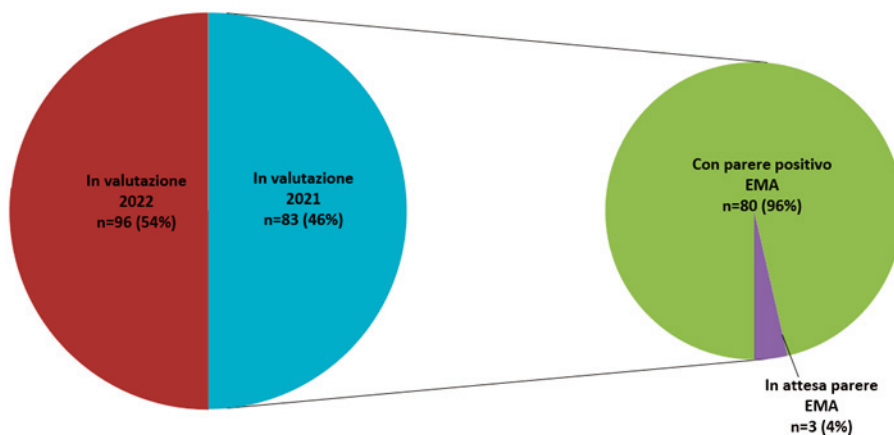
Parte II

Medicinali
in valutazione
nel 2022

Nuovi medicinali

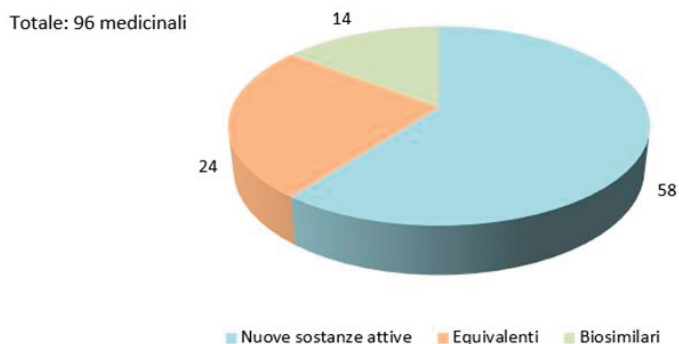
I nuovi medicinali che risultano in valutazione presso il CHMP dell'EMA all'inizio del 2022 e con parere atteso nel corso dell'anno sono 96. Tale numero potrebbe variare con la sottomissione di nuove richieste di AIC presso l'EMA. All'inizio del 2021 erano in valutazione 83 nuovi medicinali con parere atteso entro lo stesso anno. Di questi ultimi, 80 nuovi medicinali (pari al 96% del totale in valutazione all'inizio del 2021) sono stati successivamente approvati, uno è stato ritirato a seguito del parere positivo, mentre 3 (pari al 4% del totale dei nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2021) sono ancora in attesa di ricevere un parere (figura 2.1).

Figura 2.1 Nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2021 e del 2022.



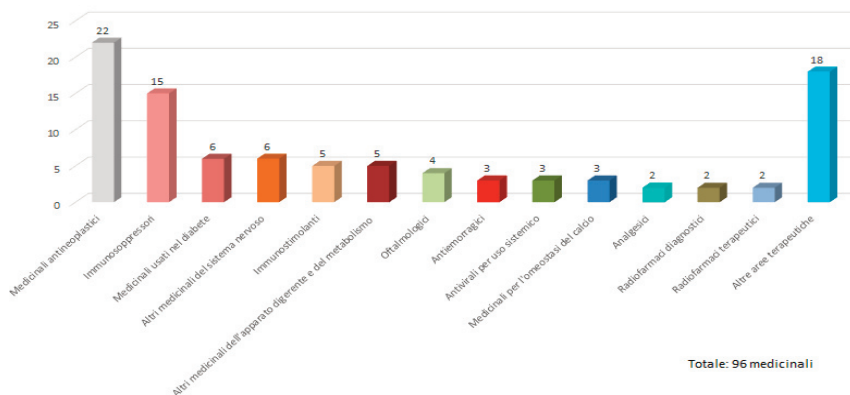
Dei 96 nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022, 58 sono farmaci contenenti nuove sostanze attive (60,42%), 14 sono medicinali biosimilari (14,58%) e 24 sono medicinali equivalenti (25%) (figura 2.2).

Figura 2.2 Nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per tipologia.



La figura 2.3 mostra il numero di nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022, suddivisi per area terapeutica. Si osserva la prevalenza dei nuovi medicinali antineoplastici (n=22, pari al 23% del totale), seguiti dai nuovi medicinali immunosoppressori (n=15, pari al 15,6% del totale). Le restanti aree terapeutiche, rappresentate singolarmente nel grafico, presentano un numero inferiore di nuovi medicinali in valutazione, che va da un minimo di 2 a un massimo di 6, rispettivamente pari al 2,1% e al 6,2% del totale. Le altre aree terapeutiche, rappresentate in modo cumulativo nel grafico, raggiungono complessivamente il numero di 18 nuovi medicinali in valutazione, pari al 18,7% del totale.

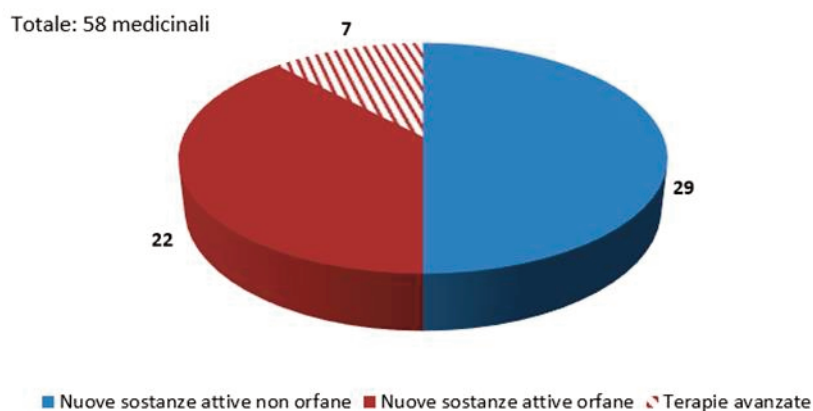
Figura 2.3 Nuovi medicinali in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.



Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 58 medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 (figura 2.4), 29 sono medicinali orfani (50%). Di questi ultimi, 7 sono per terapie avanzate e corrispondono al 24,1% dei medicinali orfani: Sitioganap -ERC-1671 (glioma), Ciltacabtagene autoleucl (mieloma multiplo), Eladocagene exuparvovec (deficit di L-amminoacido decarbossilasi aromatica), Lenadogene nolparvovec (perdita della vista a causa della neuropatia ottica ereditaria di Leber), Lisocabtagene maraleucl (linfoma), Tabelecleucl (malattia linfoproliferativa post-trapianto EBV positiva) e Valoctocogene roxaparvovec (emophilia A).

Figura 2.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per tipologia.



Nella figura 2.5 è illustrata la categorizzazione dei medicinali non orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022, divisi per area terapeutica. Il maggior numero appartiene alle aree terapeutiche dei “medicinali antineoplastici” (13,8%; n=4;) e degli “immunosoppressori” (10,3%; n=3). Le restanti aree terapeutiche sono rappresentate da 1 o 2 medicinali non orfani in valutazione.

L’elenco completo è riportato nella tabella 2.1.

Figura 2.5 Medicinali non orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

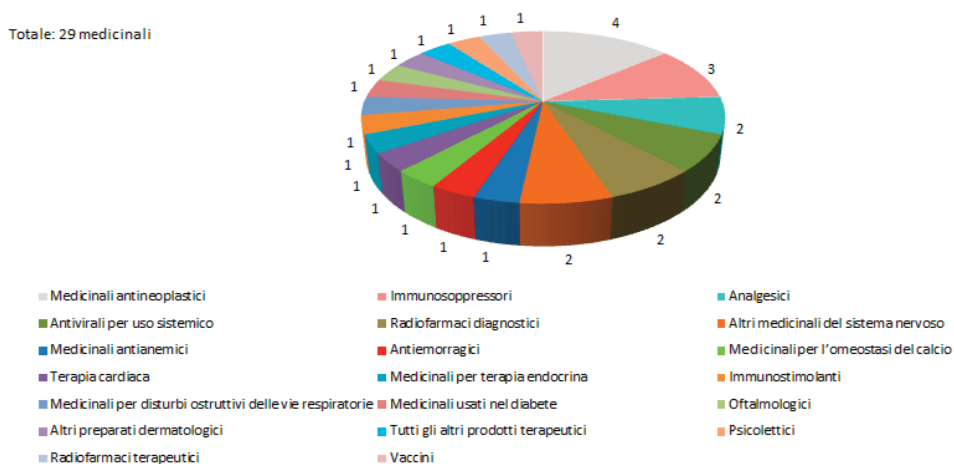


Tabella 2.1 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive non orfane in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Mobocertinib	NO	Carcinoma polmonare non a piccole cellule
Relatlimab/nivolumab	NO	Melanoma
Surufatinib	NO	Tumori neuroendocrini
Capmatinib	NO	Carcinoma polmonare non a piccole cellule
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Deucravacitinib	NO	Psoriasi a placche
Spesolimab	NO	Psoriasi pustolosa
Voclosporin	NO	Nefrite lupica
Analgesici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lasmiditan	NO	Emicrania
Rimegepant	NO	Emicrania
Antivirali per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lenacapavir	NO	Infezione da virus dell'immunodeficienza umana di tipo 1 (HIV-1)
Molnupiravir	NO	Trattamento della malattia da COVID-19
Radiofarmaci diagnostici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Germanio Cloruro (68ge)/ Gallio cloruro (68ga)	NO	Etichettatura dei radiofarmaci
Gozetotide	NO	Trattamento di lesioni dopo radiomarcatura
Altri farmaci del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Gefapixant	NO	Tosse cronica
Gefapixant	NO	Tosse cronica
Medicinali antianemici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Vadadustat	NO	Anemia

Antiemorragici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Eptacog beta (attivato)	NO	Prevenzione del sanguinamento
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Abaloparatide	NO	Osteoporosi
Terapia cardiaca		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Mavacamten	NO	Cardiomiopatia
Medicinali per terapia endocrina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Relugolix	NO	Cancro della prostata
Immunostimolanti		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Efbemalenograstim alfa	NO	Neutropenia
Medicinali per disturbi ostruttivi delle vie respiratorie		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Tezepelumab	NO	Asma
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Tirzepatide	NO	Diabete mellito di tipo 2
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Faricimab	NO	Edema e degenerazione maculare
Altri preparati dermatologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Ruxolitinib crema	NO	Vitiligine
Tutti gli altri prodotti terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Difelikefalin	NO	Prurito
Psicolettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Daridorexant	NO	Insomnia

Radiofarmaci terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
lutezio (177lu) vipivotide tetraxetano	NO	Cancro della prostata
Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
vaccino (vivo, attenuato), tetravalente per l'infezione da dengue	NO	Malattia di dengue

Nella figura 2.6 è illustrata la categorizzazione dei medicinali orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022, suddivisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali orfani appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici", che rappresenta il 34,5% del totale dei medicinali orfani in valutazione (n=10). Le restanti aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali che va da un minimo di 1 a un massimo di 4 medicinali orfani in valutazione. L'elenco completo è riportato nella tabella 2.2.

Figura 2.6 Medicinali orfani in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022.

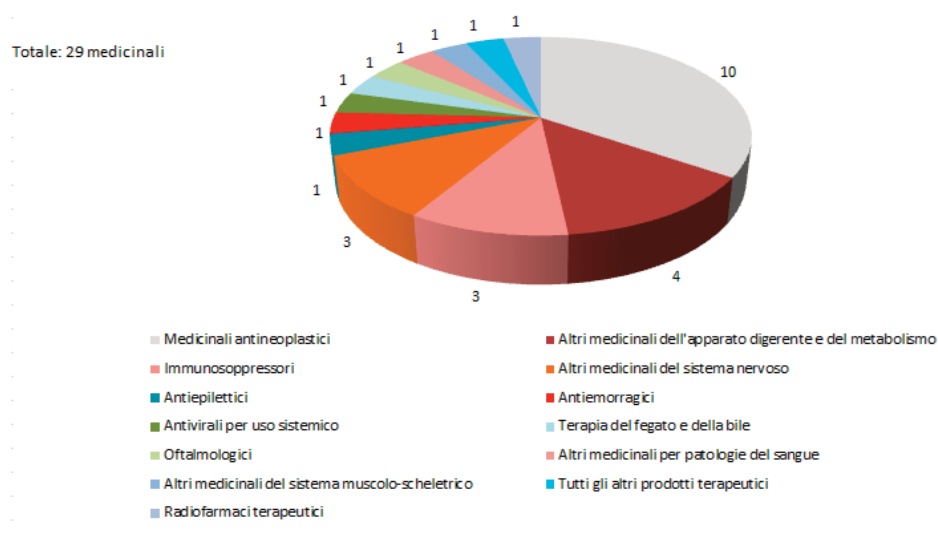


Tabella 2.2 Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive orfane in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Asciminib	SI	Leucemia mieloide cronica
Sitoiganap (ERC-1671) Cellule tumorali di glioma autologo, lisati di cellule tumorali di glioma inattivato/autologo, cellule tumorali di glioma inattivato/allogenico, lisati di cellule tumorali di glioma inattivato/allogenico, inattivato	SI	Glioma
Ciltacabtagene autoleucel	SI	Mieloma multiplo
Copanlisib	SI	Tosse cronica
Infigratinib	SI	Colangiocarcinoma
Lisocabtagene maraleucel / lisocabtagene maraleucel	SI	Linfoma a cellule B
Loncastuximab tesirina	SI	Linfoma a cellule B
Melphalan flufenamide	SI	Mieloma multiplo
Mosunetuzumab	SI	Linfoma follicolare
Tebentafusp	SI	Melanoma uveale
Altri medicinali dell'apparato digerente e del metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cipaglucosidase alfa	SI	Malattia di Pompe
Fosdenopterin	SI	Deficit di cofattore di molibdeno tipo A
Lonafarnib	SI	Progeria
Olipudase alfa	SI	Deficit di sfingomielinasi acida
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Bardoxolone methyl	SI	Malattia renale cronica
Efgartigimod alfa	SI	Miastenia grave
Sutimlimab	SI	Emolisi
Altri medicinali del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Arimoclomol	SI	Malattia di Niemann-Pick
Eladocagene exuparvovec	SI	Deficit di L-amminoacidodecarbossilasi aromatica (AADC)
Vutrisiran	SI	Amiloidosi

Antiepilettici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Ganaxolone	SI	Crisi epilettiche
Antiemorragici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Valoctocogene roxaparvovec	SI	Emofilia A
Antivirali per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Maribavir	SI	Infezione da citomegalovirus (CMV)
Terapia del fegato e della bile		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Maralixibat	SI	Colestasi epatica
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lenadogene nolparvovec	SI	Neuropatia ottica
Altri medicinali per patologie del sangue		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Mitapivat	SI	Deficit di piruvato chinasi
Altri medicinali del sistema muscolo-scheletrico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Palovarotene	SI	Fibrodiasplasia
Tutti gli altri prodotti terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Tabelecleucel	SI	Malattia linfoproliferativa post-trapianto
Radiofarmaci terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Omburtamab i-131	SI	Neuroblastoma

Nella figura 2.7 è illustrata la categorizzazione dei medicinali per terapie avanzate in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022, divisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali per terapie avanzate appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici", che rappresenta il 42,8% del totale dei medicinali per terapie avanzate in valutazione (n=3). L'elenco completo è riportato nella tabella 2.3.

Figura 2.7 Medicinali per terapie avanzate in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Totale: 7 medicinali

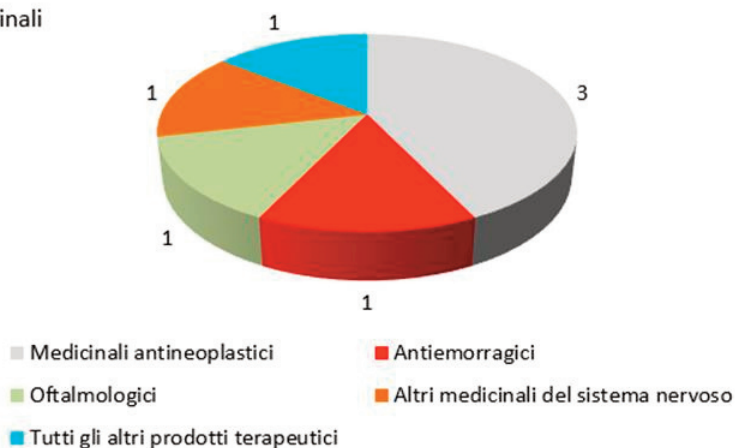


Tabella 2.3 Elenco dei medicinali per terapia avanzata in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Sitoiganap (ERC-1671)	SI	Glioma
Ciltacabtagene autoleucl	SI	Mieloma multiplo
Lisocabtagene maraleucl	SI	Linfoma a cellule B
Antiemorragici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Valoctocogene roxaparvovec	SI	Emofilia A
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Lenadogene nolparvovec	SI	Neuropatia ottica
Altri medicinali del sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Eladocagene exuparvovec	SI	Deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC)
Tutti gli altri prodotti terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Tabelecleucl	SI	Malattia linfoproliferativa post-trapianto

Analisi delle indicazioni terapeutiche

Nella Figura 2.8 sono rappresentate le indicazioni terapeutiche dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione presso il CHMP dell'EMA e con parere atteso nel corso del 2022. Si tratta di 58 indicazioni terapeutiche (per un totale di 51 medicinali già autorizzati coinvolti), appartenenti a 9 aree terapeutiche principali: tumori solidi (n=15; 26%), tumori del sangue (n=9; 16%), malattie infettive (n=8; 14%), malattie neurologiche, neurometaboliche e sensoriali (n=8; 14%), disturbi del sangue (n=4; 7%), malattie autoimmuni e allergie (n=3; 5%), disturbi dell'osso e della crescita (n=3; 5%), condizioni ginecologiche (n=2; 3%). La categoria "altro" raggruppa i medicinali di diverse aree terapeutiche meno rappresentate (n=3; 5%). In generale, l'area oncoematologica ha il maggior numero di nuove opzioni terapeutiche potenzialmente in arrivo (n=24; 41,3%), soprattutto nell'ambito dei linfomi (n=5; 8,6%).

Figura 2.8 Indicazioni terapeutiche in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

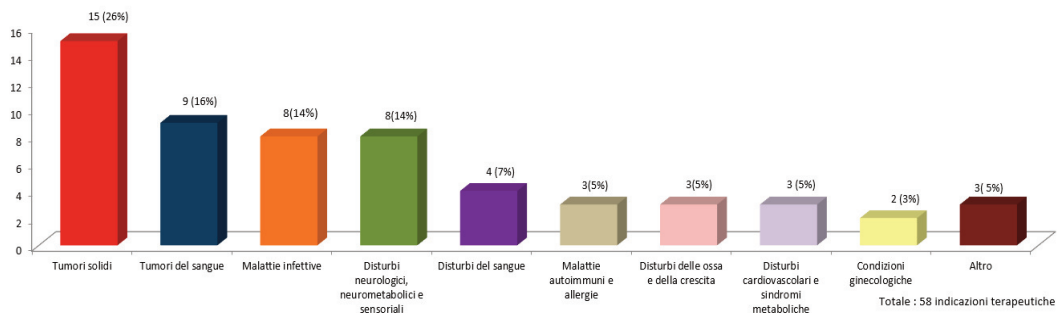


Tabella 2.4 Elenco delle indicazioni terapeutiche dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere atteso nel 2022 per area terapeutica.

Malattie neurologiche, neurometaboliche e sensoriali	
MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA	NUMERO
Sclerosi multipla	1
Crisi epilettiche	3
Dolore cronico	1
Dolore post-operatorio	1
Disabilità visiva dovuta a edema maculare diabetico (DME)	1
Retinopatia del prematuro	1
Tumori del sangue	
INDICAZIONE	NUMERO
Linfoma	5
Mieloma multiplo	1
Leucemia	2
Mastocitosi sistemica	1
Malattie del sangue	
INDICAZIONE	NUMERO
Neutropenia	1
Emofilia A	1
β -talassemia	1
Ipfosfatemia	1
Tumori solidi	
INDICAZIONE	NUMERO
Tumore del polmone	1
Adenocarcinoma gastrico avanzato o giunzione gastro-esofagea	1
Tumori solidi (multiorgano/più indicazioni)	2
Tumore al seno	3
Carcinoma della tiroide	1
Carcinoma dell'esofago	3
Carcinoma della cervice	2
Carcinoma uroteliale	1
Melanoma	1

Malattie autoimmuni e allergie	
INDICAZIONE	NUMERO
Alopecia areata	1
Asma	1
Sindrome di Schnitzler	1
Malattie cardiovascolari e sindromi metaboliche	
INDICAZIONE	NUMERO
Obesità	1
Insufficienza cardiaca cronica	1
Diabete mellito di tipo 2	1
Disturbi dell'osso e della crescita	
INDICAZIONE	NUMERO
Artrite idiopatica giovanile	1
Ipogonadismo ipogonadotropo	1
Spondilite anchilosante	1
Malattie infettive	
INDICAZIONE	NUMERO
Prevenzione della malattia da Coronavirus	1
Trattamento della malattia da Coronavirus	1
Infezione da HIV-1	4
Prevenzione dell'influenza H5N1	1
Infezioni intra-addominali	1
Condizioni ginecologiche	
INDICAZIONE	NUMERO
Atrofia vulvare e vaginale	1
Emorragia post-partum	1
Altro	
INDICAZIONE	NUMERO
Sindrome dell'intestino corto	1
Colite ulcerosa	1
Malattia del trapianto contro l'ospite (GvHD)	1

Medicinali biosimilari

Nel 2022 è atteso un parere del CHMP dell'EMA sull'AIC di 14 medicinali biosimilari. Nella figura 2.9 è riportata la categorizzazione secondo l'area terapeutica dei medicinali biosimilari in valutazione nel 2022, da cui emerge che il maggior numero di questi appartiene all'area terapeutica dei "medicinali antineoplastici". Tale area terapeutica, infatti, rappresenta il 28,6% del totale dei medicinali biosimilari in valutazione nel 2021 (n=4). Seguono i tre medicinali immunostimolanti (21,4% del totale). L'elenco completo è riportato nella tabella 2.5.

Figura 2.9 Medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

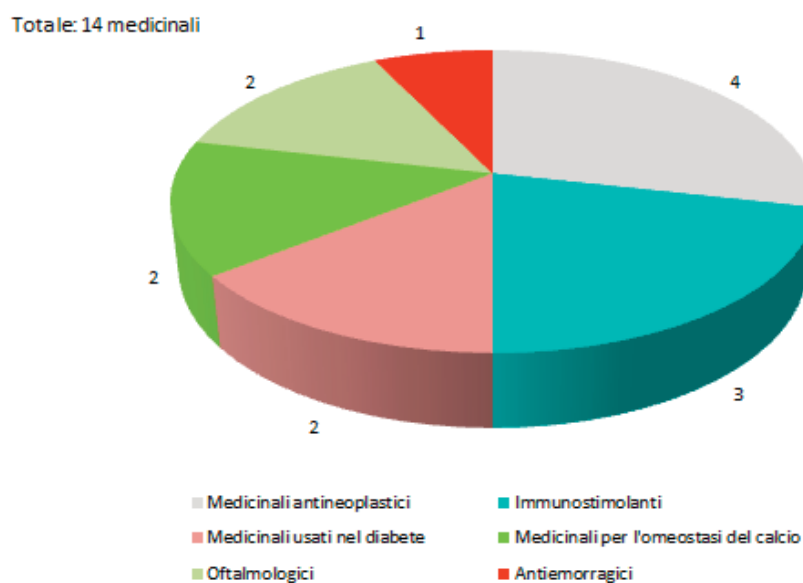


Tabella 2.5 Elenco dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Bevacizumab	NO	2
Trastuzumab	NO	2
Immunostimolanti		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Pegfilgrastim	NO	3
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Insulina aspart	NO	1
Insulina umana	NO	1
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Teriparatide	NO	2
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ranibizumab	NO	2
Antiemorragici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Eptacog alfa (attivato)	NO	1

Medicinali equivalenti

Nel 2022 è atteso un parere del CHMP dell'EMA all'AIC di 24 medicinali equivalenti.

Nella figura 2.10 è riportata la categorizzazione per area terapeutica dei medicinali equivalenti in valutazione nel 2022, da cui emerge che il maggior numero di questi appartiene alle seguenti aree terapeutiche: immunosoppressori (n=9, pari al 37,5%), medicinali antineoplastici (n=4, pari al 16,7%), e “medicinali usati nel diabete” (n=3, pari al 12,5%). Le altre aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali, che va da un minimo di 1 a un massimo di 2 medicinali equivalenti, rispettivamente pari al 4,2% e all'8,3% del totale. L'elenco completo dei medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 è riportato nella tabella 2.6.

Figura 2.10 Medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

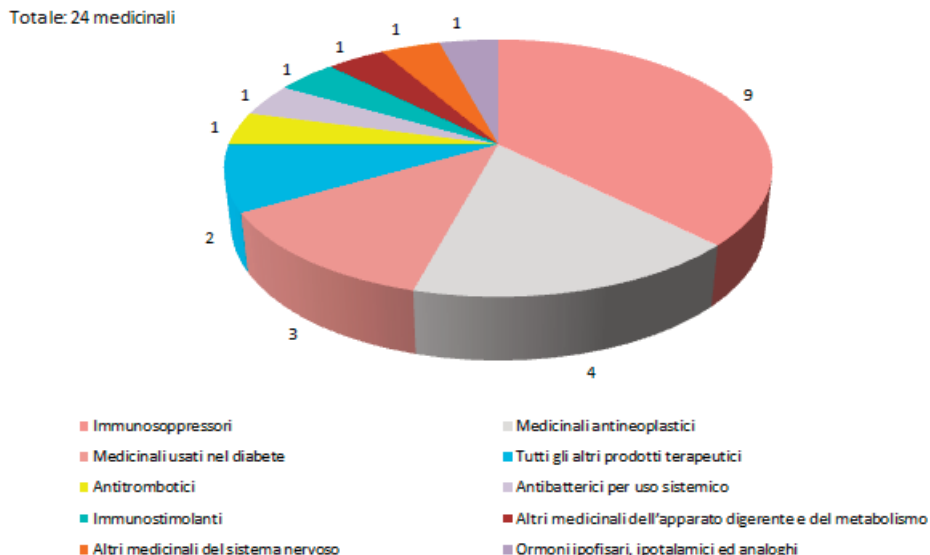


Tabella 2.6 Elenco medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA atteso nel 2022 per area terapeutica.

Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dimethyl fumarate	NO	5
Pirfenidone	NO	2
Teriflunomide	NO	2
Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dasatinib	NO	2
Pemetrexed	NO	1
Sorafenib	NO	1
Immunostimolanti		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Plerixafor	NO	1
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Sitagliptin	NO	1
Sitagliptin / metformina	NO	1
Vildagliptin / metformina	NO	1
Medicinali antitrombotici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Dabigatran	NO	1
Antibatterici per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ertapenem	NO	1
Altri medicinali dell'apparato digerente e del metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Betaine	NO	1
Altri medicinali del Sistema nervoso		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Amifampridine	NO	1

Tutti gli altri prodotti terapeutici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Sugammadex	NO	2

Ormoni ipofisari, ipotalamici e analoghi		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ganirelix	NO	1

Parte III

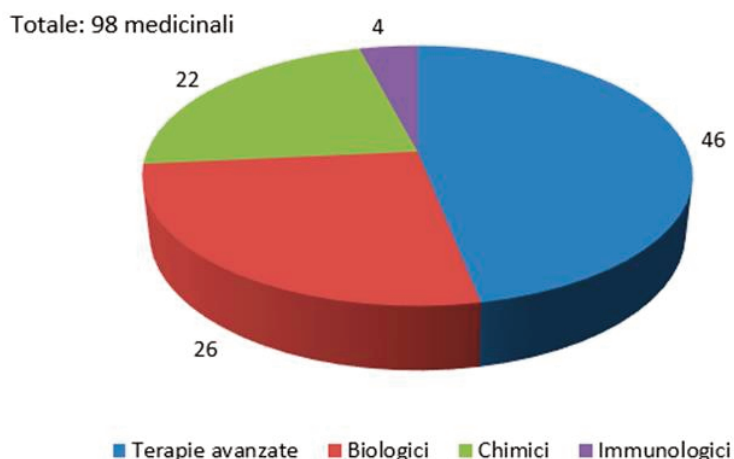
Medicinali
ammessi al
programma
PRIME

I medicinali ammessi al programma PRIME sono medicinali a elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte. In questo contesto, l'EMA offre alle aziende farmaceutiche un supporto precoce allo sviluppo di tali medicinali, al fine di facilitare e accelerare l'iter autorizzativo.

I dati sono organizzati in tabelle, con informazioni sui singoli medicinali (area terapeutica, principio attivo, tipologia di principio attivo, indicazione terapeutica, data di ammissione al programma).

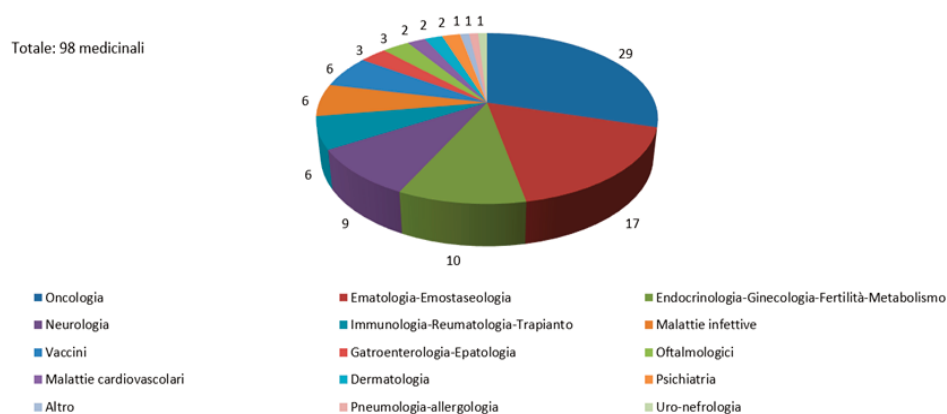
Come mostrato nella figura 3.1, dei 98 medicinali ammessi al programma PRIME, la maggioranza riguarda le terapie avanzate (n= 46; 47%), mentre i medicinali di natura chimica e biologica rappresentano rispettivamente il 22,4% (n=22) e il 26,5% (n=26) del totale. Una percentuale limitata di medicinali del programma PRIME riguarda i medicinali immunologici/vaccini, pari al 4,1% del totale (n=4).

Figura 3.1 Medicinali ammessi al programma PRIME per tipologia.



La figura 3.2 mostra i medicinali ammessi al programma PRIME divisi per area terapeutica. L'area di oncologia è quella maggiormente rappresentata con un totale di 29 medicinali (30%). Seguono: l'area dell'ematologia-emostasiologia, con 17 medicinali (17%); l'area dell'endocrinologia-ginecologia-fertilità-metabolismo, con 10 medicinali (10%); l'area della neurologia, con 9 medicinali (9%); l'area dell'immunologia-reumatologia-trapianto, delle malattie infettive e dei vaccini, con 6 medicinali ciascuna (6%); le aree della gastroenterologia-epatologia e dell'oftalmologia, con 3 medicinali ciascuna (3%); le aree della dermatologia, delle malattie cardiovascolari e della psichiatria, con 2 medicinali ciascuna (2%); le aree della pneumologia-allergologia dell'uronefrologia e altro, con 1 solo medicinale per area (1%).

Figura 3.2 Medicinali ammessi al programma PRIME per area terapeutica.



La figura 3.3 mostra i medicinali ammessi al programma PRIME suddivisi in base allo status regolatorio (parere positivo dell'EMA, in valutazione, ritirato/escluso/parere negativo dell'EMA, non ancora in valutazione al fine dell'AIC). Sono 20 i medicinali della lista PRIME (20%) che hanno ricevuto il parere positivo da parte del CHMP dell'EMA: Avacopan (Tavneos), Givosiran (Givlaari), Lentiglobin (Zynteglo), Imlifidase (Idefirix), Bulevirtide (Hepcludex), Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), KTE-C19 (Yescarta), CTL019 (Kymriah), KTE-X19 (Tecartus), Entrectinib (Rozlytrex), Belantamab mafodotin (Blenrep), Polatuzumab Vedotin (Polivy), Lumasiran (Oxlumo), Ebola Zaire vaccine (Ervebo), Setmelanotide (Imcivree), Odevixibat (Bylvay), Elivaldogene autotemcel (Skysona), Risdiplam (Evrysdi), Idecabtagene vicleucel (Abecma) e Voxelotor (Oxbryta). I medicinali attualmente in valutazione da parte del CHMP dell'EMA sono 5 (5%): Cellule T umane autologhe modificate geneticamente ex vivo mediante un vettore lentivirale che codifica per un recettore chimerico di antigene (CAR) diretto verso l'antigene di maturazione delle cellule B (BCMA) (CARVYKTI), Lisocabtagene maraleucel (Breyanzi), Olipudase alfa (Xenpozyme), Tabelecleucel (Linfociti T citotossici allogenici specifici per il virus di Epstein-Barr) e Valoctocogene roxaparvovec (Roctavian). Sono, invece, 8 i farmaci (8%) che sono stati ritirati su richiesta dell'azienda, esclusi dal programma PRIME, oppure con parere negativo da parte dell'EMA: Aducanumab, NLA101, JCAR015, (JCAR125), bb1111, Emapalumab (Gamifant), Rapastinel e Vocimagene amiretrorepvec. I restanti 65 medicinali ammessi al programma PRIME non sono ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA al fine dell'AIC. L'elenco completo dei medicinali ammessi al programma PRIME è riportato nella tabella 3.1.

Figura 3.3 Medicinali ammessi al programma PRIME, divisi per *status* regolatorio.

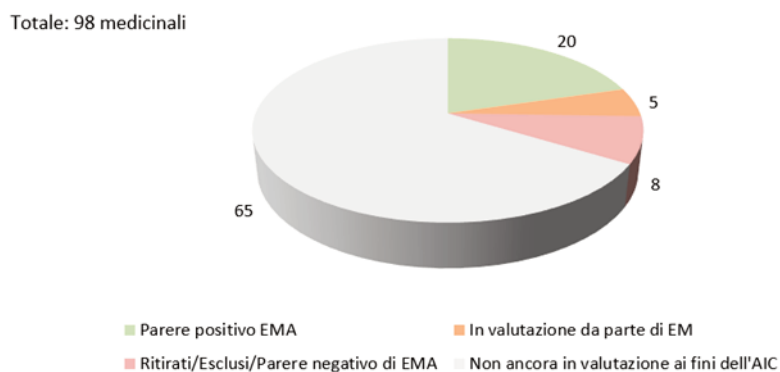


Tabella 3.1 Elenco dei medicinali ammessi al programma PRIME (Fonte: EMA⁹).

Legenda:

- Medicinali che hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA;
- Medicinali in valutazione da parte del CHMP dell'EMA;
- medicinali ritirati su richiesta dell'azienda, esclusi dal programma PRIME, oppure con parere negativo dell'EMA;
- Medicinali non ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA al fine dell'AIC.

Dermatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Proteina di fusione della regione costante dell'immunoglobulina umana G1 con il dominio di legame del recettore dell'ectodisplasina-A1 umana	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della displasia ectodermica ipodrotica legata all'X.	
Herpes simplex virus-1 geneticamente modificato, replicazione-incompetente, che esprime collagene VII (KB103)	Terapia avanzata	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'epidermolisi bollosa distrofica.	
Endocrinologia-ginecologia-fertilità-metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Vettore virale adeno-associato del serotipo 8 contenente il gene umano MTM1	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della miopatia miotubulare legata all'X.	

⁹ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Deossicitidina (dC) Deossitimidina (dT)	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della carenza di timidina chinasi 2.	
Givosiran	Chimico	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: prevenzione di attacchi acuti di porfiria epatica.	
Iptacopan (LNP023/C3G)	Chimico	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: glomerulopatia C3 (malattia renale mediata dal complemento).	
Olipudase alfa (Xenpozyme)	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di manifestazioni non neurologiche di deficit di sfingomielinasi acida.	
OTL-203	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: mucopolisaccaridosi di tipo I (MPS-1).	
Setmelanotide	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'obesità e controllo della fame associati ai disturbi da carenza della via del recettore MC4R.	
Rebisufligene etisparovec (ABO-102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di Mucopolisaccaridosi di Tipo IIIA, MPS IIIA (Sindrome di San Filippo A).	
Teplizumab	Biologico	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento per ritardare o prevenire il diabete di tipo I nei pazienti a rischio.	
Gastroenterologia-epatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Odevixibat	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva.	
Efruxifermin	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: steatoepatite non alcolica.	
Seladelpar (MBX-8025)	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primaria.	
Ematologia-Emostasiologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Emapalumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della linfocitosi emofagocitica primaria.	

LentiGlobin	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente (popolazione non β^0/β^0).	
ARU-1801	Terapia avanzata	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme	
Tabelecleucel (Linfociti T citotossici allogenici specifici per il virus di Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzata	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti con disturbo linfoproliferativo post trapianto del virus di Epstein-Barr nel trapianto di cellule ematopoietiche allogeniche che hanno fallito il rituximab.	
Valoctocogene roxaparvec (Roctavian)	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	
Fidanacogene elaparvec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzata	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B.	
Etranacogene dezaparvec (AMT-060)	Terapia avanzata	21/04/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B severa.	
Cellule autologhe arricchite con CD34+ trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale contenente il gene FANCA PGK-FANCA-WPRE (RP-L102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia di Fanconi di Tipo A	
Voxelotor (Oxbryta)	Chimico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento della anemia falciforme.	
Cellule autologhe CD34+ geneticamente modificate con un vettore lentivirale codificante per il gene della beta-globina umana (OTL-300)	Terapia avanzata	20/09/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della β -talassemia trasfusione dipendente.	
Vettore virale adeno-associato ricombinante di serotipo S3 contenente una cassetta di espressione con codon ottimizzati che codifica una variante del fattore IX della coagulazione umana (FLT180a)	Terapia avanzata	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento della emofilia B.	
Vettore virale adeno-associato ricombinante basato sul sierotipo AAV hu37 contenente un genoma di DNA a filamento singolo codificante il fattore VIII umano (BAY2599023)	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	

Danicopan	Chimico	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emoglobinuria parossistica notturna, che non risponde adeguatamente ad un C5-inibitore.	
Bomedemstat (IMG-7289)	Chimico	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della mielofibrosi.	
CTX001 (Cellule staminali ematopoietiche autologhe CD34+ con una regione enhancer eritroide del gene BCL11A modificata con CRISPR)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme.	
CTX001 (Cellule staminali ematopoietiche autologhe CD34+ con una regione enhancer eritroide del gene BCL11A modificata con CRISPR)	Terapia avanzata	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della β -talassemia trasfusione-dipendente.	
Popolazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ di pazienti con anemia falciforme che contiene cellule staminali ematopoietiche trasdotte con un vettore lentivirale BB305 che codifica per il gene della beta A-T87Q-globina umana (bb1111)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme.	
Immunologia-reumatologia-trapianto		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Cellule allogeniche CD34+ dal sangue del cordone ombelicale, coltivate ex vivo con ligando Notch Delta1 (NLA101)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	
Avacopan (CCX168)	Chimico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con vasculite ANCA associata (inclusa granulomatosi con poliangioite e poliangite microscopica).	
Imlifidase (HMED-Ides)	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di desensibilizzazione di pazienti adulti altamente sensibilizzati che necessitano di trapianto di rene con un crossmatch positivo contro un donatore deceduto disponibile.	
MB-107	Terapia avanzata	22/07/2021
	Indicazione terapeutica: Trattamento dell'immunodeficienza combinata grave legata al cromosoma X (XSCID) nei neonati appena diagnosticati.	

PF-06823859	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della dermatomiosite.	
RP-L201	Terapia avanzata	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: Trattamento del deficit di adesione leucocitaria tipo I.	
Malattie cardiovascolari		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
PB2452	Biologico	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: inversione degli effetti antiplastrinici di ticagrelor in pazienti con sanguinamento maggiore o potenzialmente fatale non controllato o che richiedono un intervento chirurgico urgente o una procedura invasiva.	
Sotatercept	Biologico	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH).	
Malattie infettive		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Bulevirtide	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione cronica da epatite D.	
Nangibotide (LR12)	Chimico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dello shock settico.	
Lonafarnib	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'infezione da epatite D.	
Nirsevimab (MEDI8897)	Biologico	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: prevenzione dell'infezione del tratto respiratorio inferiore causata dal virus respiratorio sinciziale.	
Chikungunya Virus Vaccino di particelle simili al virus / idrossido di alluminio (PXVX0317)	Biologico	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per prevenire le malattie causate dall'infezione da virus chikungunya in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	

Linfociti T specifici allogenici multi-virus diretti verso virus BK, citomegalovirus, herpes virus-6 umano, virus di Epstein Barr e adenovirus (ALVR-105)	Terapia avanzata	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di infezioni gravi da virus BK, citomegalovirus, herpes virus umano-6, virus di Epstein Barr e/o adenovirus in riceventi HSCT allogenici.	
Neurologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Aducanumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Alzheimer.	
Apitegromab	Biologico	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'atrofia muscolare spinale.	
CTI-1601	Biologico	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'atassia di Friedreich.	
Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con diagnosi di atrofia muscolare spinale di tipo 1.	
Elivaldogene autotemcel (Skysona)	Terapia avanzata	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di adrenoleucodistrofia cerebrale (CALD).	
TAK-994	Chimico	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della narcolessia con cataplessia.	
Tominersen (RO7234292)	Chimico	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Huntington (HTT).	
Risdiplam (Evrysdi)	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q.	
AT-GTX-501 (vettore virale adeno-associato del sierotipo 9 contenente il gene umano CLN6)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: rallentamento della progressione della malattia nei pazienti pediatrici con la variante tardiva infantile della lipofusinosi ceroida neuronale 6 (vLINCL6).	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Axicabtagene ciloleucel (Yescarta)	Terapia avanzata	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B che non hanno risposto alla terapia precedente o hanno avuto progressione della malattia dopo trapianto autologo di cellule staminali.	
Tisagenlecleucel (Kymriah)	Terapia avanzata	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con leucemia linfoblastica acuta recidivante o refrattaria a cellule B.	
Tasadenoturev (adenovirus di sierotipo 5 che incorpora una delezione parziale di E1A e un dominio legante integrina, DNX-2401)	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma ricorrente in pazienti per i quali non è possibile o consigliabile una resezione totale lorda o per coloro che rifiutano un ulteriore intervento chirurgico.	
ARI-0001	Terapia avanzata	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti di età superiore a 25 anni con leucemia linfoblastica acuta recidivante/refrattaria.	
Cellule autologhe T CD4+ e CD8+ trasdotte con un vettore lentivirale contenente un recettore delle cellule T ad affinità-potenziata diretto verso l'antigene tumorale New York-1 del cancro del testicolo (NY-ESO-1c259T)	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti alleli positivi HLA-A* 0201, HLA-A* 0205 o HLA-A* 0206 con sarcoma sinoviale non operabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e il cui tumore esprime l'antigene del tumore NY-ESO-1.	
JCAR015	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta B-cellulare recidivante / refrattaria.	
Lisocabtagene maraleucel (JCAR017) (Breyanzi)	Terapia avanzata	15/12/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B diffuso recidivante/refrattario.	
Cellule T umane autologhe modificate geneticamente ex vivo mediante un vettore lentivirale che codifica per un recettore chimerico di antigene (CAR) diretto verso l'antigene di maturazione delle cellule B (BCMA)	Terapia avanzata	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, i cui regimi precedenti comprendevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un	

(JNJ-68284528) (CARVYKTI)	anticorpo anti-CD38 e che presentavano una progressione della malattia dall'ultimo regime.	
Idecabtagene vicleucel (bb2121) (Abecma)	Terapia avanzata	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante e refrattario, la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
KTE-X19 (Tecartus)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario.	
Asunercept	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma.	
Entrectinib (Rozlytrek)	Chimico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di tumori solidi da fusione, positivi, localmente avanzati o metastatici NTRK in pazienti adulti e pediatrici che hanno progredito in seguito a precedenti terapie o che non hanno una terapia standard accettabile.	
Belantamab mafodotin (Blenrep)	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo. Trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e refrattario la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Polatuzumab vedotin (Polivy)	Biologico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti recidivi e refrattari con linfoma diffuso a grandi cellule B.	
Vocimagene amiretrorepvec	Terapia avanzata	20/07/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di glioma di alto grado.	
Linfociti T citotossici allogenici specifici per EBV	Terapia avanzata	29/05/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del disturbo linfoproliferativo post-trapianto refrattario al rituximab (PTLD).	
Cellule autologhe trasdotte CAR T anti-CD19/CD20 (MB-CART2019.1)	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con linfoma diffuso a cellule B di grandi dimensioni diffuso recidivante e refrattario (DLBCL) recidivante e refrattario dopo terapia di prima linea e non idonei al trapianto di cellule staminali autologhe.	

JCAR125	Terapia avanzata	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante refrattario, le cui precedenti terapie includevano il trapianto di cellule staminali autologhe se erano ammissibili, un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Cellula interamente umana antiBCMA CAR T autologa (CT053)	Terapia avanzata	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e/o refrattario (MM), i cui regimi precedenti includevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale anti-CD38.	
CT041 (cellule CAR-CLDN18.2T)	Terapia avanzata	11/11/2021
	Indicazione terapeutica: Trattamento di pazienti con carcinoma gastrico avanzato che hanno fallito almeno 2 precedenti linee di terapia sistemica.	
ADP-A2M4 (cellule CD4+ e CD8+ trasdotte)	Terapia avanzata	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti positivi per HLA-A* 02 con sarcoma sinoviale inoperabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e di cui il tumore esprime l'antigene tumorale MAGE-A4.	
Cellule T autologhe geneticamente modificate dirette da CD30 (CD30.CAR-T)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma di Hodgkin classico.	
Magrolimab	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: sindromi mielodisplastiche.	
ECT-001-CB	Terapia avanzata	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: trapianto urgente di cellule staminali ematopoietiche allogeniche.	
Obecabtagene autoleucel/ AUTO1	Terapia avanzata	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta a cellule B recidivante o refrattaria.	
PF-06863135	Biologico	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo.	
Talquetamab	Biologico	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, che in precedenza avevano ricevuto ≥ 3 linee terapeutiche precedenti.	

Teclistamab	Biologico	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: Trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, che in precedenza avevano ricevuto ≥ 3 linee terapeutiche precedenti.	
Lacutamab	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con sindrome di Sézary che hanno ricevuto almeno due precedenti terapie sistemiche.	
Oftalmologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Vettore virale adenovirus-associato del serotipo 8 contenente il gene umano CNGB3 (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzata	22/02/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
Sepofarsen (QR-110)	Chimico	25/07/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'amaurosi congenita di Leber.	
Vettore virale adenovirus-associato del serotipo 5 contenente il gene umano RPGR	Terapia avanzata	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della retinite pigmentosa legata all'X.	
Pneumologia-allergologia		
Brensocatib	Chimico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento delle bronchiectasie da fibrosi non cistica.	
Psichiatria		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Brexanolone (SAGE-547)	Chimico	10/11/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della depressione postpartum.	
Rapastinel	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento aggiuntivo del disturbo depressivo maggiore.	
Uronefrologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Lumasiran	Chimico	22/03/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di iperossaluria primaria di tipo 1.	

Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Mycobacterium tuberculosis (MTBVAC)	Immunologico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva contro la malattia da tubercolosi nei neonati (obiettivo primario) e adolescenti e adulti (obiettivo secondario).	
MV-CHIK vaccino	Biologico	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: prevenzione della febbre di Chikungunya.	
Vaccino inattivato purificato dal virus Zika (TAK-426)	Immunologico	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione delle malattie causate dal virus Zika.	
Ervebo	Immunologico	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: vaccinazione contro l’Ebola (ceppo Zaire).	
VLA1553	Immunologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: profilassi della malattia da virus di Chikungunya.	
VAC18193	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia delle basse vie respiratorie causata da RSV negli adulti.	
Altro		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Setrusumab (anticorpo monoclonale lambda IgG2 umanizzato ricombinante contro la sclerostina umana, BPS804)	Biologico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’osteogenesi imperfetta di tipo I, III e IV.	

Appendice

Tabella A.1 Medicinali autorizzati nell'Unione Europea (UE) o ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA per il trattamento di COVID-19.

Trattamento COVID-19 e prevenzione dell'infezione da SARS-CoV-2			
Medicinale	Indicazione terapeutica	Status Regolatorio EMA	Disponibilità per il trattamento su decisione AIFA
Anticorpi monoclonali			
Regkirona (regdanvimab)	Regdanvimab è indicato per il trattamento di adulti con malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono a maggior rischio di progressione a COVID-19 severa.	Autorizzato 11/11/2021	Autorizzato Det. AIFA n. 156/2021, 21A07019 (GU n.282 del 26-11-2021)
Ronapreve (casirivimab/imdevimab)	Ronapreve è indicato per: <ul style="list-style-type: none"> il trattamento di COVID-19 negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con peso corporeo di almeno 40 kg, che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono a maggior rischio di progressione verso forme severe di COVID-19; la profilassi di COVID-19 in pazienti adulti e in adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e con peso corporeo di almeno 40 kg. 	Autorizzato 11/11/2021	Autorizzato Det. AIFA n. 155/2021, 21A07018, (GU n.282 del 26-11-2021)
RoActemra (tocilizumab)	RoActemra è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti in terapia con corticosteroidi sistemici e che necessitano di ossigenoterapia supplementare o ventilazione meccanica.	Autorizzato 06/12/2021	Autorizzato Det. AIFA n. 73543/2021, 21A03738 (GU n.143 del 17-06-2021)
Xevudy (sotrovimab)	Xevudy è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni e che abbiano un peso corporeo di almeno 40 kg) che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono a elevato rischio di progressione a COVID-19 severa.	Autorizzato 16/12/2021	Autorizzato Det. AIFA n. 169 del 23/12/2021 (GU n. 305 del 24/12/2021)

Evusheld (tixagevimab /cilgavimab)	L'associazione di anticorpi monoclonali Evusheld (tixagevimab-cilgavimab), è impiegata per la profilassi pre-esposizione dell'infezione da SARS-CoV-2 in soggetti di età pari o superiore a 12 anni con grave stato di compromissione del sistema immunitario e in presenza di sierologia negativa.	In valutazione (rolling review) Inizio 14/10/2021	Reso disponibile all'uso dalla Det. n. DG/87/2022 del 15/2/2022 (GU n.42 del 19-2-2022)
Bamlanivimab/ etesevimab	Bamlanivimab ed etesevimab in associazione sono indicati per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) lieve o moderata, negli adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni che non necessitano di ossigenoterapia supplementare per COVID-19 e che sono ad alto rischio di progressione a COVID-19 severa.	Inizio valutazione (rolling review) 11/03/2021; Ritirato dalla valutazione dall'azienda il 02/11/2021	Reso disponibile all'uso dalla Det n. DG/697/2021 del 14/6/2021 (GU n.142 del 16-6-2021)
Antivirali			
Veklury (remdesivir)	Veklury è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli: <ul style="list-style-type: none"> • adulti che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono ad elevato rischio di progressione a COVID-19 grave. • adulti e negli adolescenti (di età pari o superiore a 12 anni e peso pari ad almeno 40 kg) con polmonite che richiede ossigenoterapia supplementare (ossigeno a basso o alto flusso o altro tipo di ventilazione non invasiva all'inizio del trattamento). 	Autorizzato 25/06/2020	Autorizzato Det. AIFA 8/10/2020, n. 92/2020), 20A05479 (GU n.250 del 09-10-2020)
Paxlovid (PF- 07321332/ritonavir)	Paxlovid è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) negli adulti che non necessitano di ossigenoterapia supplementare e che sono ad elevato rischio di progressione a COVID-19 severa.	Autorizzato 27/01/2022	Autorizzato Det. AIFA 3/2/2022, ai sensi del decreto 26/11/2021. Det. n. DG/35/2022, 22A00962 (GU n.31 del 7-2-2022)

Lagevrio (molnupiravir)	Il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) nei pazienti adulti non ospedalizzati per COVID-19 con malattia lieve-moderata di recente insorgenza e con condizioni cliniche concomitanti che rappresentino specifici fattori di rischio per lo sviluppo di COVID-19 grave.	Domanda di AIC presentata il 23/11/2021	Reso disponibile all'uso dalla Det. AIFA DG/1644/2021 del 28/12/2021 (GU n.308 del 29-12-2021)
Immunomodulatori			
Kineret (anakinra)	Kineret è indicato per il trattamento della malattia da coronavirus 2019 (COVID-19) nei pazienti adulti affetti da polmonite che necessitano di ossigeno supplementare (ossigeno a basso o alto flusso) e che sono a rischio di progressione verso l'insufficienza respiratoria severa determinata da una concentrazione plasmatica del recettore solubile dell'attivatore del plasminogeno dell'urochinasi (suPAR) \geq 6 ng/mL.	Autorizzato 16/12/2021	Autorizzato Det. AIFA, 30/09/2021, n. 114586 (GU n. 237 del 04.10.21)
Olumiant (baricitinib)	Trattamento di pazienti adulti ospedalizzati con COVID-19 grave, in ossigenoterapia ad alti flussi o in ventilazione meccanica non invasiva, e/o con livelli elevati degli indici di infiammazione sistemica, nel caso di carenza del medicinale tocilizumab.	Domanda di estensione di indicazione presentata il 29/04/2021	Reso disponibile all'uso dalla Det. AIFA 114587 del 30 settembre 2021 (GU Serie Generale n.237 del 04-10-2021)

Tabella A.2 Vaccini autorizzati nell'Unione Europea (UE) o ancora in valutazione da parte dell'EMA per la prevenzione di COVID-19.

Vaccini anti-COVID-19		
Autorizzato		
Vaccino	Indicazione terapeutica	Data Parere positivo dell'EMA
Comirnaty (vaccino a mRNA, Pfizer)	Comirnaty 30 microgrammi/dose concentrato per dispersione iniettabile è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	21/12/2020
	Dose <i>booster</i> per i pazienti fragili di età ≥ 12 anni e per i soggetti di età ≥ 18 anni.	04/10/2021
	Comirnaty 10 microgrammi/dose concentrato per dispersione iniettabile è indicato per l'immunizzazione attiva per la prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in bambini di età compresa fra 5 e 11 anni.	25/11/2021
	Dose <i>booster</i> per i soggetti di età ≥12 anni.	24/02/2022
Spikevax (vaccino a mRNA, Moderna)	Spikevax è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	06/01/2021
	Dose <i>booster</i> per i pazienti fragili di età ≥ 12 anni.	04/10/2021
	Dose <i>booster</i> per i soggetti di età ≥ 18 anni.	25/10/2021
	Estensione di indicazione per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, nei bambini di età compresa tra 6 e 11 anni.	24/02/2022
Vaxzevria (vaccino a vettore adenovirale, ChAdOx1-S [ricombinante], AstraZeneca)	Vaxzevria è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19, malattia causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.	29/01/2021
COVID-19 vaccine Janssen (vaccino a vettore adenovirale, Ad26.COVS2-S [ricombinante], Janssen)	COVID-19 Vaccine Janssen è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione della malattia da nuovo coronavirus (COVID-19), causata dal virus SARS-CoV-2, in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.	11/03/2021
	Dose <i>booster</i> per i soggetti di età ≥ 18 anni.	14/12/2021
Nuvaxovid (vaccino proteico ricombinante, adiuvato, Novavax)	Nuvaxovid è indicato per l'immunizzazione attiva nella prevenzione di COVID-19 da virus SARS-CoV-2 in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.	20/12/2021

Valutazione in corso (rolling review dell'EMA)		
Vaccino	Tipologia e meccanismo d'azione	Data inizio
Sputnik V, Gam-COVID-Vac (vaccino a vettore adenovirale, Gamaleya)	Sputnik V, per introdurre nell'organismo umano il messaggio genetico per la produzione della proteina <i>spike</i> del coronavirus SARS-CoV-2 (responsabile di Covid-19), utilizza come vettori due diversi adenovirus, Ad26 e Ad5. Dopo la somministrazione del vaccino e la produzione della proteina <i>spike</i> , il sistema immunitario della persona produrrà difese naturali - anticorpi e cellule T - contro questa proteina. Se, successivamente, la persona vaccinata entra in contatto con SARS-CoV-2, verrà innescata la risposta immunitaria grazie alla presenza di anticorpi. Per garantire la sua efficacia, il vaccino necessita di due somministrazioni a distanza di 21 giorni tra la prima e la seconda. I due adenovirus vengono somministrati separatamente: Ad26 viene utilizzato nella prima dose e Ad5 viene utilizzato nella seconda per potenziare l'effetto del vaccino.	04/03/2021
Vaccino COVID-19 Vero Cell (vaccino a virus inattivato adiuvato, Sinovac Life Sciences)	Il vaccino COVID-19 (Vero Cell) contiene il virus Sars-Cov-2 inattivato e un adiuvante per potenziare la risposta immunitaria. Dopo la somministrazione del vaccino il sistema immunitario riconosce il virus inattivato e inizia a produrre anticorpi. Se, successivamente, la persona vaccinata entra in contatto con SARS-CoV-2, verrà innescata la risposta immunitaria grazie alla presenza di anticorpi. Per l'immunizzazione primaria devono essere somministrate due dosi. La seconda dose viene preferibilmente somministrata 14 -28 giorni dopo la prima dose.	04/05/2021
Vidprevtyn (vaccino proteico adiuvato, Sanofi Pasteur)	Vidprevtyn è un vaccino a base proteica che contiene una versione coltivata in laboratorio della proteina <i>spike</i> del SARS-CoV-2. Il vaccino contiene anche un "adiuvante", una sostanza per aiutare a rafforzare le risposte immunitarie. Quando viene somministrato il vaccino, il sistema immunitario identifica la proteina <i>spike</i> come estranea e produce anticorpi contro di essa. Se, in seguito si entra in contatto con SARS-CoV-2, il sistema immunitario riconoscerà la proteina virale con conseguente risposta immunitaria.	20/07/2021
VLA2001 (vaccino a virus inattivato adiuvato, Valneva)	VLA2001 è un vaccino che contiene SARS-CoV-2 inattivato che stimola la risposta immunitaria ma non può causare la malattia. VLA2001 contiene anche due "adiuvanti", sostanze che aiutano a rafforzare la risposta immunitaria al vaccino. Quando si somministra il vaccino, il sistema immunitario identifica il virus inattivato come	02/12/2021

	estraneo e produce anticorpi contro di esso. Se, in seguito si entra in contatto con SARS-CoV-2, il sistema immunitario riconoscerà il virus con conseguente risposta immunitaria.	
CVnCoV, anti-COVID-19 mRNA vaccine, CureVac	CVnCoV contiene una molecola denominata RNA messaggero (mRNA) che porta con sé le istruzioni per produrre la proteina spike. L'mRNA è avvolto in piccole particelle grasse (lipidi) che ne impediscono la degradazione precoce. Una volta iniettato il vaccino, le cellule dell'organismo umano leggeranno le istruzioni dell'mRNA e produrranno temporaneamente la proteina spike. Il sistema immunitario della persona vaccinata riconoscerà questa proteina come estranea e risponderà producendo le proprie difese naturali, ossia gli anticorpi e le cellule T. Qualora, in un momento successivo, la persona vaccinata dovesse entrare in contatto con SARS-CoV-2, il suo sistema immunitario riconoscerà la proteina e sarà pronto a combattere il virus.	12/02/2021 Ritirato dalla valutazione dall'azienda il 12/10/2021

Glossario

ATC

AREA TERAPEUTICA

A	Apparato gastrointestinale e metabolismo
B	Sangue e organi emopoietici
C	Sistema cardiovascolare
D	Dermatologici
G	Sistema genito-urinario e ormoni sessuali
H	Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali
J	Antinfettivi ad uso sistemico
L	Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori
M	Sistema muscolo-scheletrico
N	Sistema nervoso
P	Farmaci antiparassitari, insetticidi e repellenti
R	Sistema respiratorio
S	Organi di senso
V	Vari

MEDICINALE BIOSIMILARE

Un medicinale biosimilare è un medicinale sviluppato in modo da essere simile per qualità, efficacia e sicurezza a un medicinale biologico già approvato e utilizzato nell'UE (il cosiddetto "biologico di riferimento") e per il quale sia scaduta la copertura brevettuale. Un biosimilare e il suo prodotto di riferimento, pur essendo di fatto la stessa sostanza biologica, possono presentare differenze minori dovute a un certo grado di variabilità naturale, alla loro natura complessa e alle tecniche di produzione. Una volta che il medicinale biologico di riferimento ha perso la copertura brevettuale e il suo periodo di esclusività di mercato è terminato, il medicinale biosimilare può essere commercializzato.

MEDICINALE EQUIVALENTE

È un medicinale che contiene lo stesso principio attivo e nella stessa concentrazione di un farmaco di marca non più coperto da brevetto (definito medicinale di riferimento o originator). I medicinali equivalenti hanno, inoltre, la stessa forma farmaceutica e le stesse indicazioni del farmaco di riferimento. Sono dunque, dal punto di vista terapeutico, equivalenti al prodotto da cui hanno origine e possono quindi essere utilizzati in sua sostituzione. Per valutare la stretta somiglianza tra medicinale equivalente e medicinale di riferimento vengono realizzati studi che analizzano la biodisponibilità del medicinale, un parametro che indica a che velocità e in che quantità il principio attivo si distribuisce (e viene quindi reso disponibile) nell'organismo. Se la biodisponibilità del medicinale equivalente ha gli stessi valori del medicinale di riferimento, si può affermare che i due medicinali sono bioequivalenti.

ATC

Il sistema ATC (Anatomical Therapeutic Chemical classification system) è un sistema di classificazione anatomico, terapeutico e chimico usato per la classificazione sistematica dei farmaci. È un sistema di tipo alfanumerico che suddivide i farmaci in base a uno schema costituito da 5 livelli gerarchici, controllato dall'Organizzazione mondiale della sanità. Il primo livello contiene il gruppo anatomico principale, contraddistinto da 14 lettere: A, B, C, D, G, H, J, L, M, N, P, R, S, V (vedi legenda). In particolare con la lettera V vengono identificate varie tipologie di principi attivi

non rientranti nelle altre categorie, tra cui allergeni, antidoti, diagnostici, mezzi di contrasto e radiofarmaci.

AREA TERAPEUTICA

Raggruppamento di medicinali indicati per aree specialistiche.

PARERE EMA

Si intende il parere rilasciato dal Comitato per i Medicinali per Uso umano (CHMP-Committee for Medicinal Products for Human Use) dell'EMA (Agenzia Europea per i medicinali), in merito all'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale o di una nuova indicazione terapeutica di un medicinale già autorizzato.

PROCEDURA CENTRALIZZATA

La procedura centralizzata è la procedura di autorizzazione all'immissione in commercio che si svolge presso l'EMA. È obbligatoria per medicinali derivati da procedimenti biotecnologici, medicinali per terapie avanzate, medicinali orfani, medicinali per il trattamento della sindrome da immunodeficienza acquisita, del cancro, dei disordini neurodegenerativi, del diabete, per i medicinali per malattie autoimmuni e altre disfunzioni immunitarie e per le malattie virali. Inoltre, è previsto un accesso facoltativo alla procedura centralizzata anche per medicinali che non rientrano nelle classi menzionate ma che siano giudicati innovativi sul piano terapeutico, scientifico o tecnologico o la cui autorizzazione comunitaria sia ritenuta utile per i pazienti.

PRIME

Il **PRIME (PRiority Medicines scheme)** è un programma previsto dall'EMA per sostenere e ottimizzare lo sviluppo dei medicinali in aree terapeutiche con i più urgenti bisogni di salute insoddisfatti. Il PRIME si basa sul contesto regolatorio esistente nonché su strumenti già disponibili, come la consulenza scientifica e la valutazione accelerata.

MEDICINALE ORFANO

Nell'Unione Europea la qualifica di "medicinale orfano" viene attribuita dal Comitato per i Medicinali Orfani (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) dell'EMA a un medicinale che risponde ai seguenti criteri:

- 1) deve essere indicato per una patologia che mette in pericolo la vita, o per un'affezione seriamente debilitante o un'affezione grave e cronica;
- 2) deve essere indicato per una condizione clinica rara, definita da una prevalenza di non più di 5 soggetti ogni 10 mila individui, calcolata a livello dell'Unione Europea;
- 3) non devono essere disponibili trattamenti validi o, se sono già disponibili dei trattamenti, il nuovo farmaco deve rappresentare un beneficio clinico significativo.

MEDICINALI PER TERAPIE AVANZATE

I medicinali per terapie avanzate (Advanced Therapeutic Medicinal Products-ATMPs), rientrano nella definizione di "medicinale biologico", ovvero un prodotto il cui principio attivo è una sostanza biologica. Una sostanza biologica è una sostanza prodotta, o estratta, da una fonte biologica e che richiede per la sua caratterizzazione e per la determinazione della sua qualità una serie di esami fisico-chimico-biologici, nonché le indicazioni sul processo di produzione e il suo controllo. I medicinali per terapie avanzate possono essere classificati in quattro gruppi principali:

- **Medicinali di terapia genica:** contengono geni che portano ad un effetto terapeutico, profilattico o diagnostico. Funzionano attraverso l'utilizzo di DNA "ricombinante", di solito per il trattamento di una varietà di malattie, tra cui malattie genetiche, cancro o malattie a lunga prognosi. Un gene ricombinante è un tratto di DNA che viene creato in laboratorio, riunendo DNA da fonti diverse;
- **Medicinali di terapia cellulare somatica:** contengono cellule o tessuti che sono stati manipolati per cambiare le loro caratteristiche biologiche ovvero cellule o tessuti non destinati ad essere utilizzati per le stesse funzioni essenziali originali. Possono essere utilizzati per curare, diagnosticare o prevenire le malattie;
- **Medicinali di ingegneria tissutale:** contengono cellule o tessuti che sono stati modificati in modo da poter essere utilizzati per riparare, rigenerare o sostituire tessuti umani;
- **Medicinali di terapia avanzata combinati:** contengono uno o più dispositivi medici come parte integrante del medicinale. Un esempio sono le cellule fatte crescere su matrici biodegradabili o supporti sintetici.

CLASSIFICAZIONE AI FINI DEL REGIME DI FORNITURA

Modalità in cui un farmaco può essere dispensato al pubblico (in farmacia, al supermercato o in ospedale, con ricetta del medico o senza). I medicinali sono classificati in una o più delle seguenti categorie:

- a) medicinali soggetti a prescrizione medica (RR);
- b) medicinali soggetti a prescrizione medica da rinnovare volta per volta (RNR);
- c) medicinali soggetti a prescrizione medica speciale o a ricalco (RMR o RMS);
- d) medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, comprendenti:
 - medicinali vendibili al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti (RRL);
 - medicinali utilizzabili esclusivamente in ambiente ospedaliero o in ambiente ad esso assimilabile (OSP);
- e) medicinali non soggetti a prescrizione medica comprendenti:
 - medicinali da banco o di automedicazione (SOP e OTC);

CLASSIFICAZIONE AI FINI DELLA RIMBORSABILITÀ

Tutti i farmaci, ai fini dell'attribuzione della classe di rimborsabilità, sono classificati in:

CLASSE A/H: rimborsati totalmente dal Servizio Sanitario Nazionale;

CLASSE C: non rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale; il prezzo è liberamente fissato dall'Azienda farmaceutica e può essere aumentato solo negli anni dispari.

I farmaci prescrivibili senza obbligo di ricetta, fascia C-bis (SOP e OTC), possono essere acquistati, oltre che in farmacia, anche nelle parafarmacie e nei cosiddetti "corner" della grande distribuzione.

