

# Orizzonte Farmaci

scenario dei medicinali in arrivo

## Rapporto 2020



AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

# Orizzonte Farmaci

scenario dei medicinali in arrivo

## Rapporto 2020

Gennaio, 2020

**Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)**  
Sostituto del Direttore Generale: *R. Massimi*

**Gruppo di lavoro AIFA del presente rapporto:**

Coordinamento:  
*M. Marangi*

UFFICIO ATTIVITÀ ANALISI E PREVISIONE

*G. Capone, J. Ivanovic, V. Pantò, L. Raffaelli*  
Per le revisioni linguistiche:  
*M.G. Toma*

UFFICIO STAMPA E DELLA COMUNICAZIONE

Grafica:  
*I. Comessatti*  
Editing testi:  
*F. Mazzeo, F. Pomponi, S. Vasta*

Citare il presente Rapporto come segue:

*Orizzonte Farmaci. Rapporto Anno 2020.*  
*Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2020.*

*Medicines on the Horizon. Report Year 2020.*  
*Rome: Italian Medicines Agency, 2020.*

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web  
[www.aifa.gov.it](http://www.aifa.gov.it)

<b>INTRODUZIONE</b>	5
<b>SINTESI</b>	9
<b>PARTE I</b>	
<b>MEDICINALI AUTORIZZATI NEL 2019</b>	12
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	14
Medicinali biosimilari	19
Medicinali equivalenti	20
Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati	26
<b>PARTE II</b>	
<b>MEDICINALI IN VALUTAZIONE NEL 2020</b>	39
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	41
Medicinali biosimilari	46
Medicinali equivalenti	47
<b>PARTE III</b>	
<b>MEDICINALI AMMESSI AL PROGRAMMA PRIME</b>	49
<b>APPENDICE</b>	57
ATC legenda	58
Glossario	59

# Introduzione

Il rapporto “Orizzonte farmaci” ha lo scopo di fornire ai cittadini e agli operatori sanitari informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove terapie promettenti, che sono stati autorizzati nell’Unione Europea (UE) nel 2019 o che potrebbero essere autorizzati nel corso del 2020.

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, pertanto, 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, impegneranno l’Agenzia nella definizione di strategie idonee a garantire ai cittadini l’accesso a cure innovative e personalizzate.

In quest’analisi vengono considerati i medicinali soggetti a procedura centralizzata, per i quali le aziende farmaceutiche presentano all’Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) una domanda di autorizzazione all’immissione in commercio (AIC) valida in tutti gli Stati membri dell’Unione Europea 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 Europea ([http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm)); 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’Unione Europea.

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 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 nelle more della presentazione, da parte dell'azienda titolare AIC 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 SSN.

<https://www.aifa.gov.it/procedura-di-autorizzazione-centralizzata>

<https://www.aifa.gov.it/web/guest/negoziazione-e-riemborsabilit%C3%A0>

Per commercializzare un farmaco che non sia a carico del SSN, il titolare AIC deve preventivamente comunicarne all'AIFA il prezzo e la data di inizio della commercializzazione nonché, ove previsto, ottemperare alle condizioni o alle limitazioni relative all'uso sicuro ed efficace del medicinale.

Il rapporto "Orizzonte farmaci" 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 2019 un parere positivo all'AIC da parte del CHMP dell'EMA.

La seconda parte riguarda nuovi medicinali in valutazione, che potrebbero essere autorizzati nel corso del 2020.

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

- medicinali contenenti nuove sostanze attive;
- medicinali biosimilari;
- medicinali equivalenti;
- nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati (solo per l'anno 2019).

Per ciascuna di queste categorie i dati sono presentati sia sotto forma di grafici, in base al sistema di classificazione ATC- Anatomical Therapeutic Chemical (nella prima parte del

rapporto) o all'area terapeutica secondo le informazioni EMA (nella seconda parte), sia in tabelle con informazioni aggiuntive.

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, eventuale designazione di "medicinale orfano", indicazione terapeutica approvata e, nel caso di medicinali biosimilari e dei medicinali equivalenti, anche il medicinale di riferimento (il c.d. "*originator*"). Si specifica che, nelle legende dei grafici, la sezione "Altro" include due o più ATC relativi a medicinali le cui informazioni di dettaglio sono poi riportate nelle tabelle di riferimento.

Per i medicinali in valutazione e che potrebbero essere autorizzati nel corso del 2020, le informazioni riportate in tabella sono: area terapeutica, principio attivo, eventuale designazione di "medicinale orfano" e malattia/condizione clinica.

La terza parte del rapporto è una panoramica sui medicinali ammessi a partecipare 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 mediche insoddisfatte.

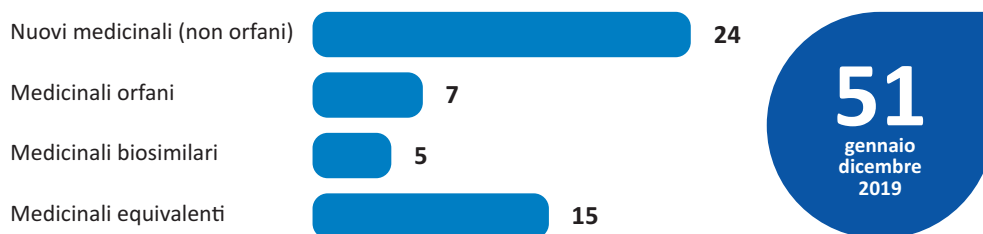
### Fonti di informazione

- [European public assessment report](#)
- [CHMP: Agendas, minutes and highlights](#)
- [Community Register](#)
- [PRIME: priority medicine](#)

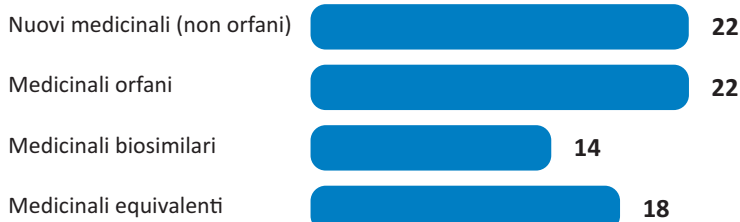


# Sintesi

Nel corso del 2019 sono stati autorizzati a livello europeo 51 nuovi medicinali: 31 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 7 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 24 medicinali non orfani), 5 medicinali biosimilari e 15 medicinali equivalenti. Tra i medicinali autorizzati, circa il 20% è rappresentato da medicinali oncologici destinati al trattamento di alcuni tipi di tumori, quali il tumore del polmone, della mammella e della pelle. Una percentuale rilevante riguarda, inoltre, i medicinali per l'apparato gastrointestinale e il metabolismo, antifettivi ad uso sistemico e medicinali del sistema nervoso e per patologie del sangue. In particolare, tra questi ultimi, ha ricevuto il parere positivo dell'EMA una nuova terapia genica indicata per il trattamento di pazienti di età pari o superiore ai 12 anni affetti da beta talassemia trasfusione-dipendente, (Zynteglo). Sempre nel corso del 2019, hanno inoltre ricevuto un parere positivo dell'EMA 65 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati.



Nel corso del 2020 è previsto un parere da parte dell'EMA per 76 medicinali: 44 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 22 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 22 medicinali non orfani), 14 medicinali biosimilari e 18 medicinali equivalenti. Poiché è possibile che non tutti i medicinali ricevano un parere positivo, il numero di quelli autorizzati alla fine del 2020 potrebbe risultare inferiore a 76. Nonostante la maggior parte dei medicinali in valutazione appartengano all'area terapeutica oncologica, risulta rilevante anche la quota di medicinali in valutazione per altre aree terapeutiche, con particolare riferimento agli antibatterici ad uso sistemico e ai medicinali per le malattie autoimmuni. Infine, sono attualmente in valutazione due medicinali per terapie avanzate, rispettivamente per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (AMS) di Tipo 1 (Zolgensma) e per il trattamento della leucodistrofia metacromatica (OTL-200).



76

gennaio  
dicembre  
2020

### NOTA PER LA LETTURA

Lo scenario dei medicinali in arrivo è basato sulle informazioni disponibili al momento della stesura del rapporto.

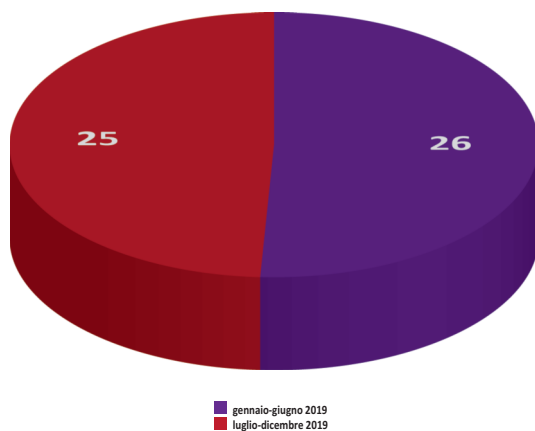
Nella sezione relativa ai medicinali autorizzati, vengono considerati i nuovi medicinali (solo nuove sostanze attive, biosimilari, equivalenti) e le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto un parere positivo del CHMP dell'EMA. Restano invece escluse le domande di AIC per le quali è stato emesso un parere negativo, ovvero quelle che sono state ritirate su richiesta dell'azienda farmaceutica. Le modifiche alle indicazioni terapeutiche già autorizzate sono evidenziate in grassetto. Tutte le informazioni sui medicinali in corso di valutazione sono da considerarsi indicative e suscettibili di variazioni nel corso della procedura autorizzativa. 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 qualora il medicinale dovesse nel frattempo ottenere un parere positivo.

Parte I

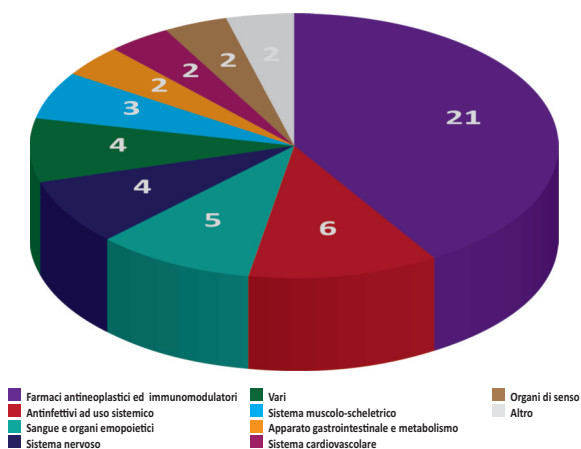
Medicinali  
autorizzati  
nel 2019

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, nel 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso un parere positivo all'AIC per un totale di 51 nuovi medicinali (di cui 31 medicinali contenenti nuove sostanze attive, 5 medicinali biosimilari, 15 medicinali equivalenti) e 65 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali precedentemente autorizzati.

**Figura 1.1** Nuovi medicinali che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divisi per semestri.

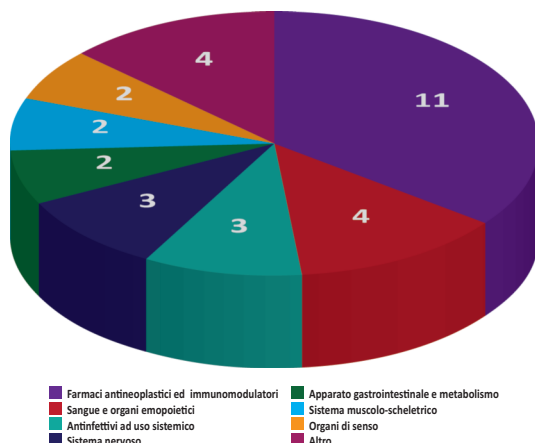


**Figura 1.2** Nuovi medicinali che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divisi per ATC.



### Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Figura 1.3 Nuove sostanze attive che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divise per ATC.



Dei 31 medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell'EMA nel 2019, 7 sono medicinali orfani (Palynziq, Zynteglo, Isturisa, Polivy, Xospata, Epidyolex e Waylivra), di cui uno è anche un medicinale di terapia avanzata (Zynteglo).

Tabella 1. Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divise per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Palynziq	pegvaliase	28/02/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU), di età pari e superiore ai 16 anni, che hanno un controllo inadeguato della fenilalanina ematica (livelli ematici di fenilalanina maggiori di 600 micromol/L) nonostante il trattamento precedente con le opzioni terapeutiche disponibili.		
Zynquista	sotagliflozin	28/02/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in aggiunta alla terapia insulinica per migliorare il controllo glicemico in adulti con diabete mellito di tipo 1 con indice di massa corporea (Body Mass Index, BMI) $\geq 27 \text{ kg/m}^2$ , che non hanno raggiunto un		

controllo glicemico adeguato nonostante una terapia insulinica ottimale.			
B-Sangue e organi emopoietici			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Doptelet	avatrombopag	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della trombocitopenia grave, nei pazienti adulti con malattia epatica cronica e programmati per essere sottoposti a una procedura invasiva.		
Esperoct	turoctocog alfa pegol	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti a partire da 12 anni affetti da emofilia A (deficit congenito di fattore VIII).		
Tavlesse	fostamatinib	14/11/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti.		
Zynteglo	cellule autologhe CD34+ geneticamente modificate contenenti cellule staminali ematopoietiche (HSC) trasdotte con LVV che codifica per il gene della $\beta^{A-T87Q}$ globina	28/03/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da beta-talassemia trasfusione-dipendente (TDT) che non hanno un genotipo $\beta^0/\beta^0$ , per i quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche ( <i>haematopoietic stem cells</i> , HSC) sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC antigene leucocitario umano ( <i>human leukocyte antigen</i> , HLA)-compatibile (vedi paragrafi 4.4 e 5.1).		
C- Sistema cardiovascolare			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Giapreza	angiotensina II	27/06/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'ipotensione refrattaria negli adulti con shock settico o altro shock distributivo che rimangono ipotensivi malgrado un'adeguata restituzione del volume e l'applicazione di catecolamine e altre terapie vasopressorie disponibili (vedere paragrafo 5.1).		
H - Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali			
Isturisa	Osilodrostat	14/11/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della sindrome di Cushing endogena negli adulti.		
J-Antinfettivi ad uso sistemico			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Quofenix	delafloxacin	17/10/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> negli adulti per il trattamento delle infezioni batteriche acute della cute e dei tessuti molli (ABSSSI) quando si considera inappropriato l'uso di altri agenti antibatterici comunemente raccomandati per il trattamento iniziale di tali infezioni.		
Trogarzo	ibalizumab	25/07/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in associazione a uno o ad altri antiretrovirali, è		

	indicato per il trattamento di adulti con infezione da virus dell'immunodeficienza umana (HIV-1) resistente ai medicinali per i quali non sarebbe altrimenti possibile predisporre un regime antivirale soppressivo (vedere paragrafo 5.1).		
Ervebo	ibalizumab	17/10/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> immunizzazione attiva di individui di età pari o superiore a 18 anni per la protezione contro la malattia da virus Ebola (Ebola Virus Disease, EVD) causata dal virus Ebola Zaire (vedere paragrafi 4.2, 4.4 e 5.1).		
L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Libtayo	cemiplimab	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma cutaneo a cellule squamose metastatico o localmente avanzato che non sono candidati a intervento chirurgico curativo o radioterapia curativa.		
Lorviqua	lorlatinib	28/02/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da cancro del polmone non a piccole cellule ( <i>Non-Small Cell Lung Cancer</i> , NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK) la cui malattia è progredita dopo: <ul style="list-style-type: none"> <li>• alectinib o ceritinib come terapia di prima linea con un inibitore della tirosin chinasi (TKI) ALK; oppure</li> <li>• crizotinib e almeno un altro TKI ALK.</li> </ul>		
Mayzent	siponimod	14/11/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti adulti con sclerosi multipla secondariamente progressiva (SMSP) con malattia attiva evidenziata da recidive o da caratteristiche radiologiche di attività infiammatoria		
Polivy	polatuzumab vedotin	14/11/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in associazione a bendamustina e rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) recidivante/refrattario non candidabili al trapianto di cellule staminali ematopoietiche.		
Rinvoq	upadacitinib	17/10/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'artrite reumatoide in fase attiva da moderata a severa nei pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata o che sono intolleranti ad uno o più farmaci antireumatici modificanti la malattia (DMARD). RINVOQ può essere somministrato in monoterapia o in associazione con metotrexato.		
Skyrizi	risankizumab	28/02/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della psoriasi a placche da moderata a grave in pazienti adulti candidati alla terapia sistemica.		
Talzenna	talazoparib	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con mutazioni germinali BRCA1/2, affetti da carcinoma mammario HER2-negativo localmente avanzato o metastatico. I pazienti devono essere stati precedentemente trattati con una antiriciclina e/o un taxano nel contesto (neo)adiuvante, localmente avanzato o metastatico, ad eccezione dei pazienti non idonei per tali trattamenti. I pazienti con carcinoma mammario positivo ai recettori ormonali (HR) devono essere stati precedentemente trattati con terapia endocrina o ritenuti non idonei alla		



	terapia endocrina.		
Ultomiris	ravulizumab	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): <ul style="list-style-type: none"> <li>• in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia</li> <li>• in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi.</li> </ul>		
Vizimpro	dacomitinib	31/01/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule ( <i>Non-small Cell Lung Cancer</i> , NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazioni attivanti il recettore del fattore di crescita dell'epidermide ( <i>Epidermal Growth Factor Receptor</i> , EGFR).		
Vltrakvi	larotrectinib	25/07/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici affetti da tumori solidi che presentino una fusione di geni del Recettore Tiroso-Chinasico Neurotrofico (Neurotrophic Tyrosine Receptor Kinase, NTRK), - che abbiano una malattia localmente avanzata, metastatica oppure nel caso in cui la resezione chirurgica possa determinare una severa morbidità, e - che non dispongano di opzioni terapeutiche soddisfacenti.		
Xospata	gilteritinib	19/09/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) recidivante o refrattaria che presentano una mutazione del gene FLT3.		
<b>M-Sistema muscolo-scheletrico</b>			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Evenity	romosozumab	17/10/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'osteoporosi severa in donne in post-menopausa ad alto rischio di frattura.		
Nuceiva	tossina botulinica di tipo A	26/04/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per il temporaneo miglioramento nei casi di comparsa di rughe verticali da moderate a severe tra le sopracciglia, osservate al massimo corrugamento (rughe glabellari), quando la severità delle rughe facciali sopra citate ha un rilevante impatto psicologico negli adulti al di sotto dei 65 anni di età.		
<b>N-Sistema nervoso</b>			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Ajovy	fremanezumab	31/01/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> profilassi dell'emicrania in adulti che presentano almeno 4 giorni di emicrania al mese.		
Epidyolex	cannabidiolo	25/07/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato, come terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox-Gastaut (LGS) o a sindrome di Dravet (DS) nei pazienti a partire da 2 anni di età.		
Sunosi	solriamfetol	14/11/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per migliorare lo stato di veglia e ridurre la sonnolenza diurna eccessiva in pazienti adulti affetti da narcolessia (con o		

	<p>senza cataplessia). Sunosi è indicato per migliorare lo stato di veglia e ridurre la sonnolenza diurna eccessiva (<i>Excessive Daytime Sleepiness</i>, EDS) in pazienti adulti affetti da apnea ostruttiva del sonno (<i>Obstructive Sleep Apnoea</i>, OSA) nei quali l'EDS non è stata trattata in modo soddisfacente con la terapia primaria per l'OSA, ad esempio la pressione positiva continua nelle vie aeree (<i>Continuous Positive Airway Pressure</i>, CPAP).</p>		
S-Organismi di senso			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Beovu	brolucizumab	12/12/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> negli adulti per il trattamento della degenerazione maculare neovascolare (umida) legata all'età (AMD).		
Rhokiinsa	netarsudil	19/09/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per la riduzione della pressione intraoculare (PIO) elevata in pazienti adulti con glaucoma primario ad angolo aperto o ipertensione dell'occhio.		
V-Vari			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Ondexxya	andexanet alfa	28/02/2019	NO
	<b>Indicazione terapeutica:</b> per pazienti adulti trattati con un inibitore diretto del fattore Xa (FXa) (apixaban o rivaroxaban), quando è richiesta l'inversione della terapia anticoagulante a causa di emorragie potenzialmente fatali o incontrollate.		
ATC in attesa di assegnazione			
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO
Waylivra	volanesorsen	28/02/2019	SI
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato come coadiuvante della dieta in pazienti adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS) confermata geneticamente e ad alto rischio di pancreatite, in cui la risposta alla dieta e alla terapia di riduzione dei trigliceridi è stata inadeguata.		

## Medicinali biosimilari

Nel 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 5 medicinali biosimilari: Amsparity, Idacio, Kromea, Grasustek e Pegfilgrastim Mundipharma.

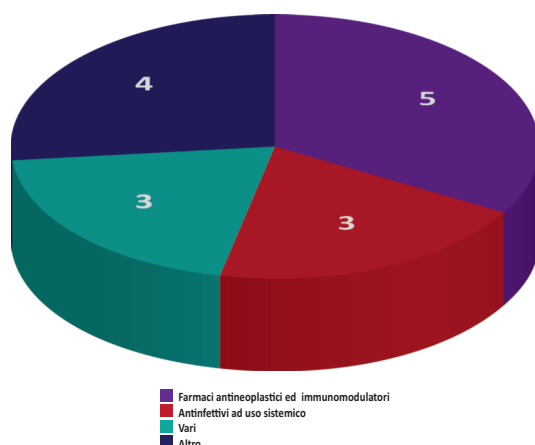
**Tabella 2.** Elenco dei medicinali biosimilari che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divisi per ATC.

L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Amsparity	adalimumab	12/12/2019	NO	Biosimilare di Humira
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> artrite reumatoide, artrite idiopatica giovanile poliarticolare, artrite associata ad entesite, spondilite anchilosante (AS), spondiloartrite assiale senza evidenza radiografica di SA, artrite psoriasica, psoriasi, psoriasi a placche pediatrica, idrosadenite suppurativa (HS), malattia di Crohn, malattia di Crohn in pazienti pediatrici, colite ulcerosa, uveite, uveite pediatrica, idrosadenite suppurativa negli adolescenti*.</p> <p>* L'indicazione terapeutica riportata è stata ridotta, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR</p>			
Idacio	adalimumab	31/01/2019	NO	Biosimilare di Humira
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> artrite reumatoide, artrite idiopatica giovanile poliarticolare, artrite associata ad entesite, spondilite anchilosante (AS), spondiloartrite assiale senza evidenza radiografica di SA, artrite psoriasica, psoriasi, psoriasi a placche pediatrica, idrosadenite suppurativa (HS), malattia di Crohn, malattia di Crohn in pazienti pediatrici, colite ulcerosa, uveite, uveite pediatrica, idrosadenite suppurativa negli adolescenti*.</p> <p>* l'indicazione terapeutica riportata è stata ridotta, per la versione estesa fare riferimento all'EPAR</p>			
Kromea	adalimumab	31/01/2019	NO	Biosimilare di Humira
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> artrite reumatoide, artrite idiopatica giovanile poliarticolare, artrite associata ad entesite, spondilite anchilosante (AS), spondiloartrite assiale senza evidenza radiografica di SA, artrite psoriasica, psoriasi, psoriasi a placche pediatrica, malattia di Crohn, malattia di Crohn in pazienti pediatrici, colite ulcerosa, uveite, uveite pediatrica*.</p>			
Grasustek	pegfilgastrim	26/04/2019	NO	Biosimilare di Neulasta
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> riduzione della durata della neutropenia e dell'incidenza di neutropenia febbrile in pazienti adulti trattati con chemioterapia citotossica per neoplasie (con l'eccezione della leucemia mieloide cronica e delle sindromi mielodisplastiche).</p>			
Pegfilgrastim Mundipharma	pegfilgrastim	17/10/2019	NO	Biosimilare di Neulasta
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> riduzione della durata della neutropenia e dell'incidenza di neutropenia febbrile in pazienti adulti trattati con chemioterapia citotossica per neoplasie (con l'eccezione della leucemia mieloide cronica e delle sindromi mielodisplastiche)</p>			

## Medicinali equivalenti

Nel 2019 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 15 medicinali equivalenti: Clopidogrel/Acido acetilsalicilico Mylan, Ambrisentan Mylan, Atazanavir Krka, Posaconazolo Accord, Posaconazolo AHCL, Azacitidina Accord, Bortezomib Fresenius Kabi, Ivozall, Pazenir, Triossido di Arsenico Accord, Febuxostat Krka, Dexmedetomidina Accord, Deferasirox Accord, Deferasirox Mylan e Striascan.

**Figura 1.4** Medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divisi per ATC.



**Tabella 3.** Elenco dei medicinali equivalenti che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divisi per ATC.

B - Sangue e organi emopoietici				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Clopidogrel/Acido acetilsalicilico Mylan	Clopidogrel/Acido acetilsalicilico	14/11/2019	NO	Equivalente di DuoPlavin
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> prevenzione secondaria di eventi di origine aterotrombotica in pazienti adulti già in trattamento con clopidogrel e acido acetilsalicilico (ASA). Clopidogrel/Acido acetilsalicilico Mylan è un medicinale composto da una combinazione a dose fissa indicato per la prosecuzione della terapia nella:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>sindrome coronarica acuta senza innalzamento del tratto ST (angina instabile o infarto miocardico senza onde Q), inclusi pazienti sottoposti a posizionamento di stent in seguito a intervento coronarico percutaneo</li> </ul>			

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• sindrome coronarica acuta con innalzamento del tratto ST nei pazienti in terapia farmacologica candidati alla terapia trombolitica.</li> </ul>			
C-apparato cardiovascolare				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Ambrisentan Mylan	ambrisentan	26/04/2019	NO	Equivalente di Volibris
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato in pazienti adulti per il trattamento dell'ipertensione polmonare arteriosa (Pulmonary Arterial Hypertension, PAH) di classe 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) e nella PAH associata a malattia del tessuto connettivo.</p>			
J-Antinfettivi ad uso sistemico				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Atazanavir Krka	atazanavir	31/01/2019	NO	Equivalente di Reyataz
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> somministrato in associazione con ritonavir a basso dosaggio, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con infezione da HIV-1 e di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 anni in associazione con altri antiretrovirali. Sulla base dei dati virologici e clinici a disposizione da pazienti adulti, non è atteso alcun beneficio in pazienti con ceppi resistenti a diversi inibitori delle proteasi (<math>\geq 4</math> mutazioni da PI). La scelta di Atazanavir Krka in pazienti adulti e pediatrici sottoposti a precedente trattamento deve essere basata sui test di resistenza virale individuale e sulla storia dei precedenti trattamenti del paziente.</p>			
Posaconazole Accord	posaconazolo	29/05/2019	NO	Equivalente di Noxafil
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni fungine negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Aspergillosi invasiva in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o ad itraconazolo o in pazienti intolleranti a questi medicinali;</li> <li>• Fusariosi in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o in pazienti intolleranti ad amfotericina B;</li> <li>• Cromoblastomicosi e micetoma in pazienti con malattia refrattaria a itraconazolo o in pazienti intolleranti ad itraconazolo;</li> <li>• Coccidioidomicosi in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B, itraconazolo o fluconazolo o in pazienti intolleranti a questi medicinali.</li> <li>• La refrattarietà è definita come progressione dell'infezione o assenza di miglioramento dopo un trattamento minimo di 7 giorni con dosi terapeutiche di una terapia antifungina efficace. Posaconazolo Accord è indicato anche nella profilassi di infezioni fungine invasive nei seguenti pazienti:</li> <li>• 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;</li> <li>• Pazienti 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.</li> </ul>			
Posaconazolo AHCL	posaconazolo	29/05/2019	NO	Equivalente di Noxafil
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per l'uso nel trattamento delle seguenti infezioni</p>			

	<p>fungine negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Aspergillosi invasiva in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o ad itraconazolo o in pazienti intolleranti a questi medicinali;</li> <li>• Fusariosi in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B o in pazienti intolleranti ad amfotericina B;</li> <li>• Cromoblastomicosi e micetoma in pazienti con malattia refrattaria a itraconazolo o in pazienti intolleranti ad itraconazolo;</li> <li>• Coccidioidomicosi in pazienti con malattia refrattaria ad amfotericina B, itraconazolo o fluconazolo o in pazienti intolleranti a questi medicinali;</li> <li>• Candidiasi orofaringea: come terapia di prima linea in pazienti con malattia grave o immunocompromessi, in cui ci si aspetta scarsa risposta ad una terapia topica.</li> <li>• La refrattarietà è definita come progressione dell'infezione o assenza di miglioramento dopo un trattamento minimo di 7 giorni con dosi terapeutiche di una terapia antifungina efficace.</li> <li>• Posaconazolo AHCL è indicato anche nella profilassi di infezioni fungine invasive nei seguenti pazienti: <ul style="list-style-type: none"> <li>• 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;</li> <li>• Pazienti 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.</li> </ul> </li> </ul>			
L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Azacitina Accord	azacitidina	12/12/2019	NO	Equivalente di Vidaza
<p><b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti adulti non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche (HSCT) con:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Sindromi mielodisplastiche (SMD) a rischio intermedio 2 e alto secondo l'International Prognostic Scoring System (IPSS),</li> <li>• Leucemia mielomonocitica cronica (LMMC) con il 10-29% di blasti midollari senza disordine mieloproliferativo,</li> <li>• Leucemia mieloide acuta (LMA) con 20-30% di blasti e displasia multilineare, secondo la classificazione dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS),</li> <li>• LMA con blasti midollari &gt; 30% secondo la classificazione dell'OMS.</li> </ul>				
Bortezomib Fresenius Kabi	bortezomib	19/09/2019	NO	Equivalente di Velcade
<p><b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia o in associazione con doxorubicina liposomiale pegilata o desametasone è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo in progressione che abbiano già ricevuto almeno una precedente linea di trattamento e che siano già stati sottoposti o non siano candidabili a trapianto di cellule staminali ematopoietiche.</p> <p>Bortezomib in associazione con melfalan e prednisone è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo precedentemente non trattato non eleggibili a chemioterapia ad alte dosi con trapianto di cellule staminali ematopoietiche.</p> <p>Bortezomib in associazione con desametasone o con desametasone e talidomide è indicato per il trattamento di induzione di pazienti adulti con mieloma multiplo precedentemente non trattato eleggibili a chemioterapia ad alte dosi con trapianto</p>				

	di cellule staminali ematopoietiche. Bortezomib in associazione con rituximab, ciclofosfamide, doxorubicina e prednisona è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma mantellare precedentemente non trattato non candidabili a trapianto di cellule staminali ematopoietiche.			
Ivozall	clofarabina	19/09/2019	NO	Equivalente di Evoltra
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della leucemia linfoblastica acuta (LLA) in pazienti pediatrici in recidiva o refrattari che abbiano ricevuto almeno due precedenti regimi terapeutici e qualora non vi siano altre possibilità di trattamento prevedibilmente in grado di offrire una risposta duratura. La sicurezza e l'efficacia sono state valutate in studi condotti su pazienti di età ≤ 21 anni alla diagnosi iniziale (vedere paragrafo 5.1).			
Pazenir	paclitaxel	28/02/2019	NO	Equivalente di Abraxane
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia è indicato nel trattamento del tumore metastatico della mammella in pazienti adulti che hanno fallito il trattamento di prima linea per la malattia metastatica e per i quali la terapia standard, contenente antraciclina, non è indicata (vedere paragrafo 4.4). Pazenir in associazione con carboplatino è indicato per il trattamento di prima linea del tumore del polmone non a piccole cellule, in pazienti adulti non candidati a chirurgia potenzialmente curativa e/o a radioterapia.			
	triossido di arsenico	19/09/2019	NO	Equivalente di Trisenox
Triossido di Arsenico Accord	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per l'induzione della remissione e come terapia di consolidamento in pazienti adulti affetti da: <ul style="list-style-type: none"> <li>• Leucemia promielocitica acuta (LPA) di nuova diagnosi a rischio basso/intermedio (conta leucocitaria ≤10 x 10<sup>3</sup> /μL) in combinazione con acido all-trans retinoico (ATRA)</li> <li>• Leucemia promielocitica acuta (LPA) recidivata/refrattaria (il trattamento precedente deve aver incluso un retinoide e chemioterapia) caratterizzata dalla presenza della traslocazione t(15;17) e/o dalla presenza del gene leucemia promielocitica/recettore alfa dell'acido retinoico (PML/RAR-alfa).</li> </ul> Il tasso di risposta al triossido di arsenico di altri sottotipi di leucemia mieloide acuta non è stato esaminato			
<b>M-Sistema muscolo-scheletrico</b>				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Febuxostat Krka	febuxostat	31/01/2019	NO	Equivalente di Adenuric
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per il trattamento dell'iperuricemia cronica con deposito di urato (compresa l'anamnesi, o la presenza, di tofi e/o di artrite gottosa). Febuxostat Krka è indicato negli adulti.			
<b>N-Sistema nervoso</b>				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Dexmedetomidina Accord	dexmedetomidina	12/12/2019	NO	Equivalente di Dexdor
	<b>Indicazione terapeutica:</b> per la sedazione di pazienti adulti in Unità di Terapia Intensiva che necessitano di un livello di sedazione non più profondo del risveglio in risposta alla stimolazione verbale (corrispondente al valore da 0 a - 3 della Scala			

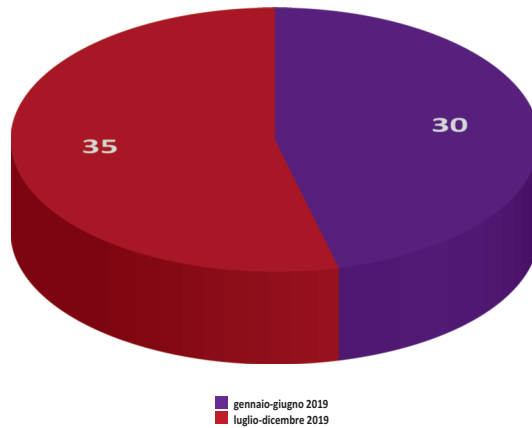
V- Vari				
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
Richmond Sedazione-Agitazione (Richmond Agitation-Sedation Scale, RASS). Per la sedazione di pazienti adulti non intubati prima e/o durante procedure diagnostiche o chirurgiche che richiedono sedazione, cioè sedazione procedurale/da cosciente.				
Deferasirox Accord	deferasirox	14/11/2019	NO	Equivalente di Exjade
<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a frequenti emotrasfusioni (<math>\geq 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati), in pazienti con beta talassemia major di età pari o superiore a 6 anni.</p> <p>Deferasirox Accord è indicato anche per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a emotrasfusioni quando la terapia con deferoxamina è controindicata o inadeguata, nei seguenti gruppi di pazienti:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• in pazienti pediatrici, di età compresa tra 2 e 5 anni, con beta talassemia major con sovraccarico di ferro dovuto a frequenti emotrasfusioni (<math>\geq 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati),</li> <li>• in pazienti adulti e pediatrici, di età pari o superiore a 2 anni, con beta talassemia major con sovraccarico di ferro dovuto a emotrasfusioni non frequenti (<math>&lt; 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati),</li> <li>• in pazienti adulti e pediatrici, di età pari o superiore a 2 anni, con altre anemie.</li> </ul> <p>Deferasirox Accord è indicato anche per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro che richiede terapia chelante quando la terapia con deferoxamina è controindicata o inadeguata in pazienti, di età pari e superiore a 10 anni, con sindromi talassemiche non trasfusione-dipendenti.</p>				
Deferasirox Mylan	deferasirox	25/07/019	NO	Equivalente di Exjade
<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a frequenti emotrasfusioni (<math>\geq 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati), in pazienti con beta talassemia major di età pari o superiore a 6 anni.</p> <p>Deferasirox Mylan è indicato anche per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a emotrasfusioni quando la terapia con deferoxamina è controindicata o inadeguata, nei seguenti gruppi di pazienti:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- in pazienti pediatrici, di età compresa tra 2 e 5 anni, con beta talassemia major con sovraccarico di ferro dovuto a frequenti emotrasfusioni (<math>\geq 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati),</li> <li>- in pazienti adulti e pediatrici, di età pari o superiore a 2 anni, con beta talassemia major con sovraccarico di ferro dovuto a emotrasfusioni non frequenti (<math>&lt; 7</math> mL/kg/mese di globuli rossi concentrati),</li> <li>- in pazienti adulti e pediatrici, di età pari o superiore a 2 anni, con altre anemie.</li> </ul> <p>Deferasirox Mylan è indicato anche per il trattamento del sovraccarico cronico di ferro che richiede terapia chelante quando la terapia con deferoxamina è controindicata o inadeguata in pazienti, di età pari e superiore a 10 anni, con sindromi talassemiche non trasfusione-dipendenti.</p>				
Striascan	ioflupane (123i)	26/04/2019	NO	Equivalente di Datscan
<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Medicinale solo per uso diagnostico. Striascan è indicato per rilevare la perdita di terminazioni neuronali dopaminergiche funzionali nel corpo striato:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• In pazienti adulti affetti da sindromi parkinsoniane clinicamente incerte, ad esempio quelle con sintomi precoci, al fine di agevolare la differenziazione del</li> </ul>				



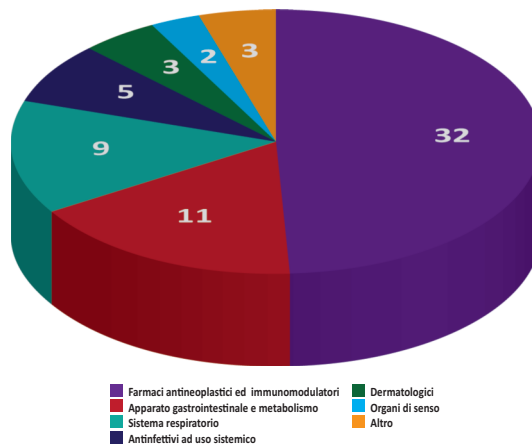
	<p>tremore essenziale dalle sindromi parkinsoniane correlabili al morbo di Parkinson idiopatico, atrofia multisistemica e paralisi sopranucleare progressiva. Striascan non consente di discriminare tra morbo di Parkinson, atrofia multisistemica e paralisi sopranucleare progressiva.</p> <ul style="list-style-type: none"><li>• In pazienti adulti, per agevolare la differenziazione della probabile demenza a corpi di Lewy dal morbo di Alzheimer.</li></ul> <p>Striascan non consente di discriminare tra demenza a corpi di Lewy e demenza da morbo di Parkinson</p>
--	---

## Nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati

**Figura 1.5** Nuove indicazioni terapeutiche che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divise per semestre.



**Figura 1.6** Nuove indicazioni terapeutiche che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divise per ATC.



Nella tabella seguente sono riportate, con le relative informazioni di dettaglio (ATC, nome commerciale, principio attivo, data parere EMA, indicazione terapeutica approvata), le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che nel corso del 2019 hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA.

**Tabella 4.** Elenco delle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2019, divise per ATC.

A-Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Dificlir	fidaxomicina	12/12/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento delle infezioni da <i>Clostridium difficile</i> (CDI – <i>Clostridium difficile</i> infections) note anche come diarrea associata a <i>C. difficile</i> (CDAD – <i>C. Difficile</i> – associated diarrhoea) in pazienti adulti e <b>pediatrici con un peso corporeo di almeno 12,5 kg</b> .</p> <p>Devono essere prese in considerazione le linee guida ufficiali sull'uso appropriato di medicinali antibatterici.</p>	
Ebymect	dapagliflozin / metformina	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Ebymect è indicato in pazienti adulti con diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• nei pazienti <b>non sufficientemente</b> controllati con la dose massima tollerata di metformina in monoterapia</li> <li>• in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete nei pazienti <b>non sufficientemente</b> controllati con metformina e questi medicinali</li> <li>• nei pazienti già trattati con l'associazione dapagliflozin e metformina, assunti in compresse separate.</li> </ul>	
Edistride	dapagliflozin	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Edistride è indicato in pazienti adulti, non adeguatamente controllati per il trattamento del:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio, per migliorare il controllo glicemico,</li> <li>- in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza.</li> <li>in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2.</li> <li>• <b>diabete mellito di tipo 1 in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI ≥ 27 kg/m2, quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica.</b></li> </ul>	
Edistride	dapagliflozin	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b></p> <p>Diabete mellito di Tipo 2</p> <p>Edistride è indicato in pazienti adulti, non adeguatamente controllati per il trattamento del</p> <p>diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio</p> <p>- in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di</p>	

	<p>intolleranza.</p> <p>- in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2.</p> <p>Per i risultati degli studi clinici rispetto alle associazioni con altri medicinali, agli effetti sul controllo glicemico e agli eventi cardiovascolari, e alle popolazioni studiate vedere paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1.</p> <p>Diabete mellito di Tipo 1</p> <p>Edistride è indicato negli adulti nel trattamento del diabete mellito di tipo 1 non sufficientemente controllato in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI <math>\geq 27</math> kg/m<sup>2</sup>, quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica</p>	
<b>Fiasp</b>	insulina aspart	27/06/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento del diabete mellito in adulti, <b>adolescenti e bambini di età pari o superiore a 1 anno.</b>	
<b>Forxiga</b>	dapagliflozin	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Forxiga è indicato in pazienti adulti, non adeguatamente controllati per il trattamento del:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio, per migliorare il controllo glicemico,</li> <li>- in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza.</li> <li>- in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2.</li> <li>• <b>diabete mellito di tipo 1 in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI <math>\geq 27</math> kg/m<sup>2</sup>, quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica.</b></li> </ul>	
<b>Forxiga</b>	dapagliflozin	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b></p> <p>Diabete mellito di Tipo 2</p> <p>Forxiga è indicato in pazienti adulti, 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"> <li>- in monoterapia quando l'uso di metformina è ritenuto inappropriato a causa di intolleranza.</li> <li>- in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete di tipo 2.</li> </ul> <p>Per i risultati degli studi clinici rispetto alle associazioni con altri medicinali, agli effetti sul controllo glicemico e agli eventi cardiovascolari, e alle popolazioni studiate vedere paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1.</p> <p>Diabete mellito di Tipo 1</p> <p>Forxiga è indicato negli adulti nel trattamento del diabete mellito di tipo 1 non sufficientemente controllato in aggiunta all'insulina in pazienti con BMI <math>\geq 27</math> kg/m<sup>2</sup>, quando l'insulina da sola non fornisce un adeguato controllo glicemico nonostante ottimizzazione della terapia insulinica</p>	
<b>Toujeo</b>	Insulina glargine	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento del diabete mellito negli adulti, <b>adolescenti e bambini a partire dai 6 anni di età.</b>	
<b>Trulicity</b>	dulaglutide	19/09/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b></p> <p>Diabete mellito tipo 2</p> <p>Trulicity è indicato per il trattamento di adulti affetti da diabete mellito tipo 2 non</p>	

	<p>adeguatamente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• come monoterapia quando l'uso di metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni</li> <li>• in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete.</li> </ul> <p>Per i risultati degli studi clinici rispetto alle combinazioni, agli effetti sul controllo glicemico e agli eventi cardiovascolari e alle popolazioni studiate, vedere i paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1.</p>	
<b>Victoza</b>	liraglutide	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Victoza è indicato per il trattamento di adulti, <b>adolescenti e bambini di età pari o superiore a 10 anni</b> affetti da diabete mellito tipo 2 non adeguatamente controllato in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• come monoterapia quando l'uso di metformina è considerato inappropriato a causa di intolleranza o controindicazioni</li> <li>• in aggiunta ad altri medicinali per il trattamento del diabete.</li> </ul> <p>Per i risultati degli studi clinici rispetto alle combinazioni, agli effetti sul controllo glicemico e agli eventi cardiovascolari e alle popolazioni studiate, vedere i paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1.</p>	
<b>Xigduo</b>	dapaglifozin/metformina	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> indicato in pazienti adulti con diabete mellito di tipo 2 in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• nei pazienti <b>non sufficientemente</b> controllati con la dose massima tollerata di meformina in monoterapia</li> <li>• in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete nei pazienti <b>non sufficientemente</b> controllati con metformina e questi medicinali</li> <li>• nei pazienti già trattati con l'associazione dapaglifozin e metformina, assunti in compresse separate.</li> </ul> <p>Per i risultati degli studi relativi alla combinazione di terapie, effetti sul controllo glicemico e eventi cardiovascolari e le popolazioni studiate, vedere le sezioni 4.4, 4.5 e 5.1.</p>	
<b>B-Sangue e organi emopoietici</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Hemlibra</b>	emicizumab	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Hemlibra è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• emofilia A (deficit congenito di fattore VIII) con inibitori del fattore VIII</li> <li>• <b>emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII &lt; 1%) senza inibitori del fattore VIII.</b></li> </ul> <p>Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età.</p>	
<b>C-Sistema cardiovascolare</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Praluent</b>	alirocumab	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata Praluent è indicato negli adulti con malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata per ridurre il rischio cardiovascolare riducendo i livelli di C-LDL, in aggiunta alla correzione di altri fattori di rischio:</p>	

	<ul style="list-style-type: none"> <li>in associazione alla dose massima tollerata di statina con o senza altre terapie ipolipemizzanti</li> </ul> oppure, <ul style="list-style-type: none"> <li>in monoterapia o in associazione ad altre terapie ipolipemizzanti in pazienti intolleranti alle statine o per i quali l'uso delle statine è controindicato.</li> </ul>	
D-Dermatologici		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Dupixent	dupilumab	28/02/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> Asma Dupixent è indicato negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni come trattamento aggiuntivo di mantenimento per l'asma grave con infiammazione di tipo 2, caratterizzata da un aumento degli il livello di eosinofili ematici e/o del FeNO (vedere paragrafo 5.1), non adeguatamente controllati con ICS (corticosteroidi per via inalatoria) a dosaggio medio-alto e un altro prodotto medicinale per il trattamento di mantenimento.		
Dupixent	dupilumab	27/06/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> Dermatite atopica Dupixent è indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a grave, in adulti e adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni eligibili per la terapia sistemica.		
Dupixent	dupilumab	19/09/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> Rinosinusite cronica con poliposi nasale (CRSwNP) Dupixent è indicato come terapia aggiuntiva a corticosteroidi intranasali per il trattamento di adulti con CRSwNP grave per i quali la terapia con corticosteroidi sistemici e/o la chirurgia non fornisce un controllo adeguato della malattia.		
J-Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMM.LE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Maviret	glecaprevir / pibrentasvir	31/01/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus dell'epatite C (HCV) negli adulti e negli <b>adolescenti di età compresa tra 12 e &lt; 18 anni.</b>		
Sirturo	bedaquilina	12/12/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato per l'uso come parte di un regime di associazione appropriato per la tubercolosi polmonare resistente a più farmaci (TBC MDR) <b>in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e di peso non inferiore a 30 kg quando</b> un regime terapeutico efficace non può altrimenti essere composto per ragioni di resistenza o tollerabilità. È necessario prendere in considerazione le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.		
Viread	tenofovir disoproxil	28/02/2019
<b>Indicazione terapeutica:</b> Infezione da epatite B		

	<p>Viread 123 mg, 163 mg e 204 mg compresse rivestite con film è indicato per il trattamento dell'epatite B cronica nei pazienti pediatrici di età compresa tra 6 e &lt; 12 anni e peso corporeo compreso tra 17 kg e meno di 35 kg, con:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• malattia epatica compensata ed evidenza di malattia immunitaria attiva, cioè con replicazione virale attiva e livelli sierici di ALT persistentemente elevati, oppure evidenza istologica d'infiammazione da moderata a grave e/o di fibrosi. Per quanto concerne la decisione di iniziare il trattamento nei pazienti pediatrici. Infezione da epatite B</li> </ul> <p>Viread 33 mg/g granulato è indicato per il trattamento dell'epatite B cronica in adulti per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata, con:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• malattia epatica compensata, con evidenza di replicazione virale attiva, livelli sierici di alanina aminotransferasi (ALT) persistentemente elevati ed evidenza istologica d'infiammazione attiva e/o di fibrosi</li> <li>• evidenza di virus dell'epatite B resistente alla lamivudina</li> <li>• malattia epatica scompensata.</li> </ul> <p>Viread 33 mg/g granulato è indicato anche nel trattamento dell'epatite B cronica nei pazienti pediatrici di età compresa tra 2 e &lt; 18 anni per i quali una forma farmaceutica solida non è appropriata, con:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• malattia epatica compensata ed evidenza di malattia immunitaria attiva, ovvero replicazione virale attiva e livelli sierici di ALT persistentemente elevati, oppure evidenza istologica d'infiammazione da moderata a grave e/o di fibrosi. Per quanto concerne la decisione di iniziare il trattamento nei pazienti pediatrici.</li> </ul>	
<b>Zerbaxa</b>	ceftolozano / tazobactam	25/07/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento delle seguenti infezioni negli adulti :</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Infezioni intra-addominali complicate;</li> <li>• Pielonefrite acuta;</li> <li>• Infezioni complicate del tratto urinario;</li> <li>• <b>Polmonite acquisita in ospedale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP).</b></li> </ul> <p>Devono essere considerate le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.</p>	
<b>Zinforo</b>	ceftarolina fosamil	27/06/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento delle seguenti infezioni nei <b>neonati, nei lattanti</b>, nei bambini, negli adolescenti e negli adulti:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Infezioni complicate della cute e dei tessuti molli (cSSTI).</li> <li>• Polmonite acquisita in comunità (CAP).</li> </ul> <p>Si devono tenere in considerazione le indicazioni ufficiali sull'impiego appropriato degli agenti antibatterici.</p>	
<b>L-Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Bavencio</b>	avelumab	19/09/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Bavencio è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma a cellule di Merkel (Merkel Cell Carcinoma, MCC) metastatico. <b>Bavencio in associazione con axitinib è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma a cellule renali (renal cell carcinoma, RCC) avanzato.</b></p>	

<b>Benlysta</b>	belimumab	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> come terapia aggiuntiva nei pazienti di età pari o superiore a 5 anni con lupus eritematoso sistemico (LES) attivo, autoanticorpi-positivo, con un alto grado di attività della malattia (ad esempio anti-dsDNA positivi e basso complemento) nonostante la terapia standard (vedere paragrafo 5.1).	
<b>Cyramza</b>	ramucirumab	27/06/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Carcinoma epatocellulare: in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma epatocellulare avanzato o non resecabile abbiano una concentrazione di alfa-fetoproteina (AFP) $\geq$ 400 ng/ml e che siano stati precedentemente che trattati con Sorafenib.	
<b>Cyramza</b>	ramucirumab	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Carcinoma polmonare non a piccole cellule: in associazione con erlotinib è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare metastatico non a piccole cellule con attivazione di mutazioni del recettore del fattore di crescita epidermico (EGFR) (vedere paragrafo 5.1).	
<b>Darzalex</b>	daratumumab	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato in associazione con lenalidomide e desametasone o con bortezomib, melfalan e prednisone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali.	
<b>Darzalex</b>	daratumumab	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato in associazione con bortezomib, talidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi idonei al trapianto autologo di cellule staminali.	
<b>Docetaxel Zentiva</b>	docetaxel	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in associazione con terapia di deprivazione androgenica (androgen -deprivation therapy, ADT), con o senza prednisone o prednisolone, è indicato per il trattamento di pazienti con cancro della prostata metastatico ormono-sensibile.	
<b>Empliciti</b>	elotuzumab	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato in combinazione con pomalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno due linee di terapia precedenti comprendenti lenalidomide e un inibitore del proteasoma e con progressione della malattia durante l'ultima terapia.	
<b>Erleada</b>	apalutamide	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> indicato: <ul style="list-style-type: none"> <li>• negli uomini adulti per il trattamento del carcinoma prostatico non metastatico resistente alla castrazione (nmCRPC) ad alto rischio di sviluppare malattia metastatica (vedere paragrafo 5.1).</li> <li>• negli uomini adulti per il trattamento del carcinoma della prostata metastatico sensibile all'ormone (mHSPC) in combinazione con la terapia di deprivazione androgenica (ADT) (vedere paragrafo 5.1).</li> </ul>	
<b>Imbruvica</b>	ibrutinib	27/06/2019



	<b>Indicazione terapeutica:</b> IMBRUVICA in monoterapia o in associazione a bendamustina e rituximab (BR) è indicato per il trattamento di pazienti adulti con CLL che hanno ricevuto almeno una precedente terapia.	
<b>Imbruvica</b>	ibrutinib	27/06/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> IMBRUVICA in combinazione con rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con WM.	
<b>Imnovid</b>	pomalidomide	28/03/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Imnovid, in associazione con bortezomib e desametasone, è indicato nel trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente terapia comprendente lenalidomide.	
<b>Kadcyla</b>	tastuzumab emtansina	14/11/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Tumore mammario in stadio iniziale (EBC) Kadcyla, in monoterapia, è indicato per il trattamento adiuvante di pazienti adulti affetti da tumore mammario in stadio iniziale HER2-positivo con malattia invasiva residua a livello della mammella e/o dei linfonodi dopo terapia neoadiuvante a base di taxani e terapia mirata anti-HER2.	
<b>Keytruda</b>	pembrolizumab	31/01/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in associazione a carboplatino e paclitaxel o nab-paclitaxel, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico squamoso negli adulti.	
<b>Keytruda</b>	pembrolizumab	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in associazione ad axitinib, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma a cellule renali (RCC) avanzato negli adulti (vedere paragrafo 5.1).	
<b>Keytruda</b>	pembrolizumab	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia o in associazione a chemioterapia contenente platino e 5-fluorouracile (5-FU), è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma a cellule squamose della testa e del collo (HNSCC) metastatico o ricorrente non resecabile, negli adulti il cui tumore esprime PD-L1 con un combined positive score (CPS) $\geq 1$ (vedere paragrafo 5.1).	
<b>Lonsurf</b>	trifluridina / tipiracil	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Carcinoma gastrico Lonsurf è indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma gastrico metastatico, incluso l'adenocarcinoma della giunzione gastroesofagea, che sono stati precedentemente trattati con almeno due precedenti regimi di trattamento sistemico per malattia avanzata.	
<b>Lynparza</b>	olaparib	28/02/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Cancro della mammella Lynparza è indicato, in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella, localmente avanzato o metastatico, HER2 negativo, e con	

	<p>mutazioni della linea germinale BRCA1/2. I pazienti devono essere stati precedentemente trattati con un'antraciclina e un taxano nel setting 20 (neo)adiuvante o metastatico, a meno che i pazienti non fossero stati eleggibili per questi trattamenti.</p> <p>I pazienti con cancro della mammella e recettore ormonale (HR)-positivo, devono inoltre aver progredito durante o dopo una precedente terapia endocrina o devono essere considerati non eleggibili per la terapia endocrina.</p>	
<b>Lynparza</b>	olaparib	26/04/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Cancro dell'ovaio</p> <p>Lynparza (<b>compresse</b>) è indicato, in monoterapia, per il:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- trattamento di mantenimento di pazienti adulte con cancro dell'ovaio epiteliale di alto grado <b>avanzato (stadio III e IV secondo FIGO) BRCA1/2-mutato (mutazione nella linea germinale e/o mutazione somatica)</b>, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo, che sono in risposta (completa o parziale) dopo il completamento della chemioterapia di prima linea a base di platino.</li> <li>- trattamento di mantenimento di pazienti adulte con recidiva platino-sensibile del cancro dell'ovaio epiteliale di alto grado, del cancro della tuba di Falloppio o del cancro peritoneale primitivo, che sono in risposta (completa o parziale) alla chemioterapia a base di platino.</li> </ul>	
<b>Mabthera</b>	rituximab	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Pemfigo volgare</p> <p>MabThera è indicato per il trattamento di pazienti con pemfigo volgare (PV) da moderato a grave.</p>	
<b>Mozobil</b>	plerixafor	28/03/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Pazienti pediatrici (età compresa tra 1 e meno di 18 anni)</p> <p>Mozobil è indicato in combinazione con il G-CSF per incrementare la mobilizzazione delle cellule staminali ematopoietiche nel sangue periferico per la raccolta e il conseguente trapianto autologo in bambini con linfoma o tumori maligni solidi:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>- preventivamente, quando ci si attende che nel giorno previsto per la raccolta, dopo un'adeguata mobilizzazione mediante il G-CSF (con o senza chemioterapia), il conteggio delle cellule staminali circolanti sia insufficiente in riferimento alla resa desiderata di cellule staminali ematopoietiche, o</li> <li>- nel caso in cui in precedenza non si sia riusciti a raccogliere sufficienti cellule staminali ematopoietiche.</li> </ul>	
<b>Orencia</b>	abatacept	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Artrite idiopatica giovanile poliarticolare</p> <p>ORENCIA in combinazione con metotrexato è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare (pJIA) attiva da moderata a severa in pazienti pediatrici di età pari o superiore ai 6 anni che hanno avuto una risposta inadeguata a una precedente terapia con DMARD.</p> <p>ORENCIA può essere dato come monoterapia in caso di intolleranza a metotrexato o quando il trattamento con metotrexato non è appropriato.</p>	

<b>Revlimid</b>	lenalidomide	28/03/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Mieloma multiplo</p> <p>Revlimid come monoterapia è indicato per la terapia di mantenimento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali. Revlimid in regime terapeutico di associazione con desametasone, o bortezomib e desametasone, o melfalan e prednisone è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo non precedentemente trattato che non sono eleggibili al trapianto.</p> <p>Revlimid, in associazione con desametasone, è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente terapia.</p>	
<b>Revlimid</b>	lenalidomide	14/11/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Linfoma follicolare</p> <p>Revlimid in associazione con rituximab (anticorpo anti CD20) è indicato per il trattamento dei pazienti adulti con linfoma follicolare (grado 1-3a) precedentemente trattato.</p>	
<b>Soliris</b>	eculizumab	25/07/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Disturbo dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) in pazienti positivi agli anticorpi anti-acquaporina 4 (AQP4) con decorso recidivante della malattia.</p>	
<b>Stelara</b>	ustekinumab	25/07/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Colite ulcerosa</p> <p>STELARA è indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a grave che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o ad una terapia biologica oppure che presentano controindicazioni mediche a tali terapie.</p>	
<b>Stelara</b>	ustekinumab	12/12/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Psoriasi a placche pediatrica: trattamento della psoriasi a placche da moderata a grave in bambini e adolescenti <b>di età pari o superiore a 6 anni</b>, che non sono adeguatamente controllati o intolleranti ad altre terapie sistemiche o fototerapia.</p>	
<b>Taxotere</b>	docetaxel	19/09/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> Cancro della prostata</p> <p>TAXOTERE in associazione con prednisone o prednisolone è indicato nella terapia dei pazienti con cancro della prostata metastatico resistente alla castrazione.</p> <p>TAXOTERE in associazione con terapia di deprivazione androgenica (androgen-deprivation therapy, ADT), con o senza prednisone o prednisolone, è indicato per il trattamento dei pazienti con cancro della prostata metastatico ormono-sensibile.</p>	
<b>Tecentriq</b>	atezolizumab	31/01/2019
	<p><b>Indicazione terapeutica:</b> in monoterapia è indicato nel trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (CU) localmente avanzato o metastatico:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• dopo una precedente chemioterapia contenente platino o</li> </ul>	

	<ul style="list-style-type: none"> <li>• che sono considerati non eleggibili al cisplatino ed il cui tumore presenta un'espressione di PDL1 <math>\geq</math> 5%.</li> </ul> <p>Tecentriq, in combinazione con bevacizumab, paclitaxel e carboplatino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non small cell lung cancer, NSCLC) non squamoso metastatico. Nei pazienti affetti da NSCLC con mutazioni del recettore del fattore di crescita dell'epidermide (epidermal growth factor receptor, EGFR) o positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (anaplastic lymphoma kinase, ALK), Tecentriq, in combinazione con bevacizumab, paclitaxel e carboplatino, è indicato solo dopo il fallimento di adeguate terapie a bersaglio molecolare.</p> <p>Tecentriq in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da NSCLC localmente avanzato o metastatico precedentemente sottoposti a chemioterapia. Prima di essere trattati con Tecentriq, i pazienti affetti da NSCLC con mutazioni di EGFR o ALK-positivo devono essere stati sottoposti anche a terapie a bersaglio molecolare.</p>	
<b>Tecentriq</b>	atezolizumab	27/06/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in combinazione con nab-paclitaxel è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma mammario triplo negativo (triple-negative breast cancer, TNBC) non resecabile localmente avanzato o metastatico i cui tumori presentano un'espressione PD-L1 $\geq$ 1% e che non sono stati sottoposti a precedente chemioterapia per malattia metastatica.	
<b>Tecentriq</b>	atezolizumab	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in combinazione con nab-paclitaxel e carboplatino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da NSCLC non squamoso metastatico che non presentano mutazioni di EGFR o riarrangiamento di ALK (vedere paragrafo 5.1).	
<b>Tecentriq</b>	atezolizumab	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> in combinazione con carboplatino ed etoposide, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC) (vedere paragrafo 5.1).	
<b>N-Sistema nervoso</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Vyndaqel</b>	tafamidis	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Trattamento dell'amiloidosi transtiretinica <i>wild-type</i> o ereditaria in pazienti adulti con cardiomiopatia (ATTR-CM).	
<b>R-Sistema respiratorio</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Anoro Ellipta</b>	umeclidinium / vilanterol	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Anoro Ellipta è indicato per il trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO).	
<b>Bretaris Genuair</b>	bromuro di acildinio	14/11/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica	

	ostruttiva (BPCO).	
<b>Eklira Genuair</b>	bromuro di aclidinio	14/11/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO).	
<b>Incruse Ellipta</b>	umeclidinium	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Incruse Ellipta è indicato per il trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO).	
<b>Laventair Ellipta</b>	umeclidinium / vilanterol	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Laventair Ellipta è indicato per il trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO).	
<b>Rolufta Ellipta</b>	umeclidinium	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Rolufta Ellipta è indicato per il trattamento broncodilatatore di mantenimento per alleviare i sintomi in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO).	
<b>Kalydeco</b>	ivacaftor	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Kalydeco granulato è indicato per il trattamento di bambini <b>di almeno 6 mesi di età</b> e con peso corporeo <b>da 5 kg</b> a meno di 25 kg affetti da fibrosi cistica (FC), che hanno una delle seguenti mutazioni di gating (di classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.	
<b>Riarify</b>	beclometasone dipropionato / formoterolo fumarato diidrato / glicopirronio	28/02/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> terapia di mantenimento in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) da moderata a severa per i quali l'associazione di un corticosteroide inalatorio e un beta2-agonista a lunga durata d'azione o <b>l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione</b> non costituiscano un trattamento adeguato.	
<b>Trydonis</b>	beclometasone dipropionato / formoterolo fumarato diidrato / glicopirronio bromuro	28/02/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> terapia di mantenimento in pazienti adulti affetti da broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) da moderata a severa per i quali l'associazione di un corticosteroide inalatorio e un beta2-agonista a lunga durata d'azione o <b>l'associazione di un beta2-agonista a lunga durata d'azione e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione</b> non costituiscano un trattamento adeguato.	
<b>S-Organ di senso</b>		
<b>NOME COMM.LE</b>	<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>PARERE EMA</b>
<b>Lucentis</b>	ranibizumab	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Lucentis è indicato nei neonati pretermine per: Il trattamento della retinopatia del prematuro (ROP) in zona I (stadio 1+, 2+, 3 o	

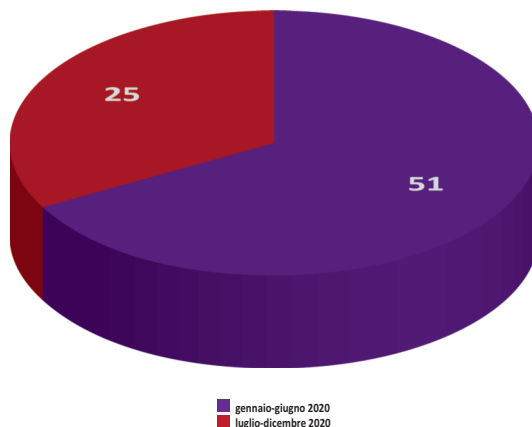
	3+), zona II (stadio 3+) o AP-ROP (Aggressive Posterior ROP).	
<b>Lucentis</b>	ranibizumab	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Trattamento della retinopatia diabetica proliferante (PDR)	

Parte II

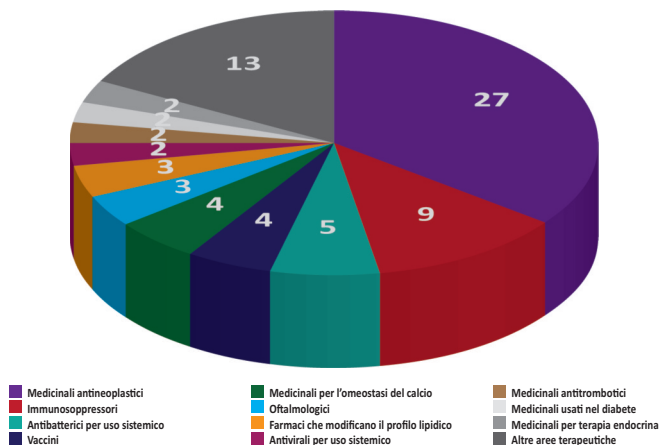
Medicinali  
in valutazione  
nel 2020

Attualmente sono in valutazione presso il CHMP dell'EMA 76 medicinali, di cui 44 medicinali contenenti nuove sostanze attive, 14 medicinali biosimilari, 18 medicinali equivalenti.

**Figura 2.1** Nuovi medicinali in valutazione con parere EMA previsto nel 2020.



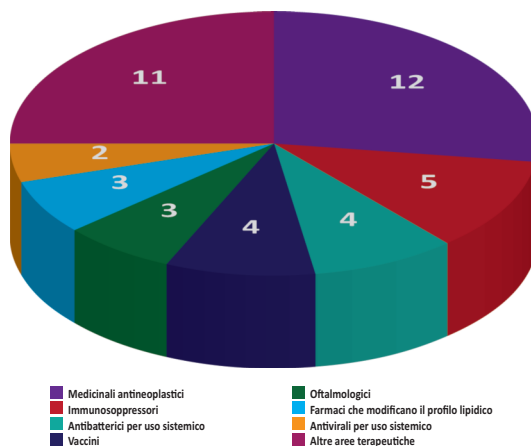
**Figura 2.2** Nuovi medicinali in valutazione con parere EMA previsto nel 2020, divisi per area terapeutica.





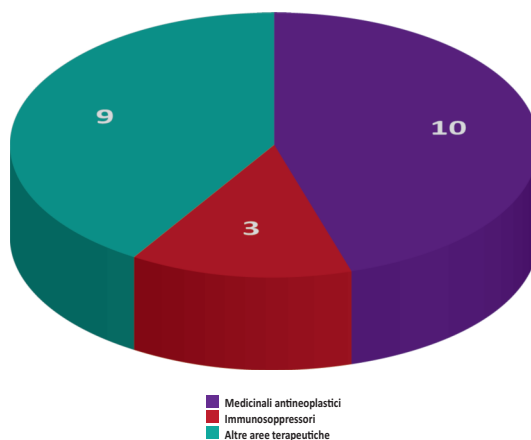
### Medicinali contenenti nuove sostanze attive

**Figura 2.3** Nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divise per area terapeutica.



Dei 44 medicinali contenenti nuove sostanze attive per i quali è previsto un parere del CHMP dell’EMA nel 2020, 22 sono designati medicinali orfani, 2 dei quali (Zolgensma e OTL-200) sono anche medicinali per terapie avanzate.

**Figura 2.4** Nuove sostanze attive designate orfane in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divise per area terapeutica.



**Tabella 5.** Elenco dei medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divise per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Acalabrutinib	SI	Leucemia linfocitica cronica (LLC), Linfoma linfocitico piccolo (SLL)
Alpelisib	NO	Carcinoma mammario
Avapritinib	SI	Tumori stromali gastrointestinali (GIST)
Enasidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Entrectinib	NO	Tumori solidi
Glasdegib	SI	Leucemia mieloide acuta di nuova diagnosi o secondaria
Isatuximab	SI	Mieloma multiplo
Ivosidenib	SI	Leucemia mieloide acuta
Pexidartinib (idrocloreuro)	SI	Tumore tenosinoviale a cellule giganti
Selinexor	SI	Mieloma multiplo
Tagraxofusp	SI	Neoplasia delle cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche
Cellule autologhe CD34+ geneticamente modificate contenenti cellule staminali e progenitrici trasdotte ex vivo con un vettore Lentivirale (LVV) che codifica per il gene dell'arilsolfatasi umana (OTL-200)	SI	Leucodistrofia metacromatica
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Emapalumab	SI	Linfoistocitosi emofagocitica pediatrica
Imlifidase	SI	Rischio rigetto nel trapianto del rene
Ozanimod	NO	Sclerosi multipla
Filgotinib	NO	Artrite reumatoide
Satralizumab	SI	Disturbi dello spettro della neuromielite optica (NMOSD)
Medicinali per apparato gastrointestinale e le malattie del metabolismo		

PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Givosiran	SI	Porfiria epatica acuta
<b>Medicinali per terapia endocrina</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Darolutamide	NO	Tumore della prostata resistente alla castrazione (nmCRPC)
<b>Ormoni ipofisari e ipotalamici e analoghi</b>		
Principio attivo	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Somapacitan	SI	Deficit dell'ormone della crescita (AGHD)
<b>Vaccini</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Vaccino antinfluenzale quadrivalente (rDNA)	NO	Profilassi dell'influenza
Vaccino contro il colera, orale, vivo	NO	Immunizzazione attiva contro le malattie causate dal sierogruppo O1 di Vibrio cholerae
Vaccino contro l'ebola (rDNA, replicazione incompetente)	NO	Immunizzazione attiva per la prevenzione delle malattie causate dal virus Ebola
Vaccino contro l'ebola (rDNA, replicazione incompetente)	NO	Immunizzazione attiva per la prevenzione delle malattie causate dal virus Ebola
<b>Altri medicinali del sistema muscolo-scheletrico</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)	SI	Atrofia muscolare spinale
<b>Antibatterici per uso sistemico</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cefiderocol	NO	Infezioni dovute a batteri Gram-negativi aerobi
Lefamulin	NO	Polmonite acquisita in comunità (PAC)
Plazomicin	NO	Infezioni complicate del tratto urinario (cUTI); Infezioni del sangue; infezioni da Enterobacteriaceae
Baloxavir marboxil	NO	Influenza in pazienti di età pari o superiore a 12 anni

Antimicobatterici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Pretomanid	SI	Tubercolosi
Antivirali per uso sistemico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Cabotegravir	NO	Virus dell'immunodeficienza umana di tipo 1 (HIV-1)
Bulevirtide	SI	Infezione da virus dell'epatite Delta (D) cronica (HDV)
Allergeni		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Allergeni delle arachidi	NO	Allergia alle arachidi
Oftalmologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Brolucizumab	NO	Degenerazione maculare senile neovascolare (AMD)
Abicipar pegol	NO	Degenerazione maculare senile neovascolare (AMD)
Lifitegrast	NO	Malattia dell'occhio secco
Altri medicinali dermatologici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Crisaborolo	NO	Dermatite atopica
Farmaci che modificano il profilo lipidico		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Acido bempedoico	NO	Trattamento dell'ipercolesterolemia primaria o dislipidemia mista
Acido bempedoico/ ezetimide	NO	Trattamento dell'ipercolesterolemia primaria o dislipidemia mista
Icosapent ethyl	NO	Riduzione del rischio cardiovascolare in aggiunta alla terapia con statine
Altri medicinali per il sistema respiratorio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Elexacaftor / Tezacaftor / Ivacaftor	SI	Fibrosi cistica
Antianemici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Luspatercept	SI	Anemia associata a sindromi mielodisplastiche; anemia associata a beta-talassemia che richiede trasfusioni di globuli

		rossi
<b>Altri medicinali per patologie del sangue</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>MEDICINALE ORFANO</b>	<b>MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA</b>
Crizanlizumab	SI	Anemia falciforme
<b>Sieri immuni e immunoglobuline</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>MEDICINALE ORFANO</b>	<b>MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA</b>
Obiltoximab	SI	Trattamento dell'antrace per inalazione

## Medicinali biosimilari

Figura 2.5 Medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divisi per area terapeutica.

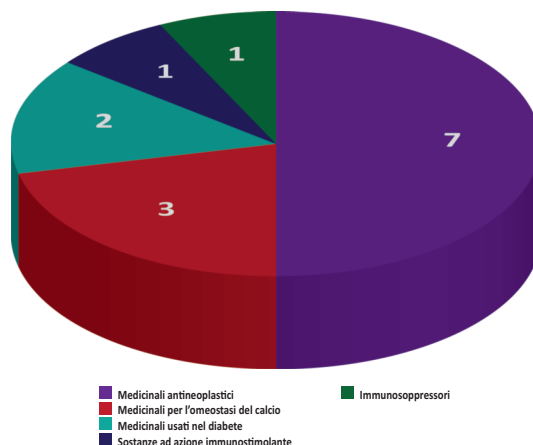


Tabella 6. Elenco dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divisi per area terapeutica.

Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Etanercept	NO	1
Medicinali usati nel diabete		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Insulina aspart	NO	2
Sostanze ad azione immunostimolante		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Pegfilgrastim	NO	1
Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Rituximab	NO	3
Trastuzumab	NO	2
Bevacizumab	NO	2
Medicinali per l'omeostasi del calcio		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Teriparatide	NO	3

## Medicinali equivalenti

Figura 2.6 Medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divisi per area terapeutica.

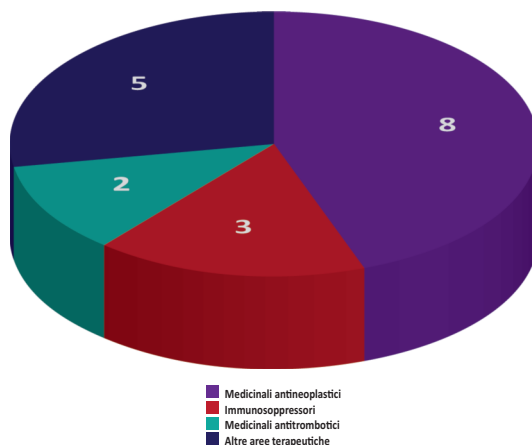


Tabella 7. Elenco medicinali equivalenti in valutazione e con parere EMA previsto nel 2020, divisi per area terapeutica.

Medicinali antineoplastici		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Azacidina	NO	2
Dasatinib	NO	2
Erlotinib	NO	1
Sunitinib	NO	1
Triossido di arsenico	NO	2
Medicinali per terapia endocrina		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Abiraterone	NO	1
Immunosoppressori		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Fingolimod	NO	2
Lenalidomide	NO	1
Medicinali antitrombotici		

PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Apixaban	NO	1
Rivaroxaban	NO	1
<b>Medicinali per l'omeostasi del calcio</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Cinacalcet	NO	1
<b>Antibatterici per uso sistemico</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Tigeciclina	NO	1
<b>Radiofarmaci diagnostici</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
loflupane (123I)	NO	1
<b>Altri medicinali del sistema nervoso</b>		
PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Fampridina	NO	1



Parte III

Medicinali  
ammessi al  
programma  
PRIME

I medicinali ammessi al programma PRIME sono medicinali ad 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 il relativo 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).

Dei 64 medicinali ammessi al programma PRIME, 5 medicinali (KTE-C19 (ora YESCARTA), CTL019 (ora Kymriah), Lentiglobin (ora Zynteglo), Polatuzumab Vedotin (ora Polivy) e Ervebo) hanno ricevuto l'opinione positiva dal CHMP (in verde), 6 medicinali (Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma), HMED-Ides, Emapalumab, Entrectinib, Givosiran e Bulevirtide) sono attualmente in valutazione (in arancione), 1 medicinale è stato ritirato dopo aver presentato la richiesta di AIC (CCX168) e 4 medicinali (Aducanumab, JCAR015, NLA 101, Rapastinel) sono stati esclusi dal programma su richiesta dell'applicant (in rosso).

**Tabella 8.** Elenco dei medicinali ammessi al programma PRIME

Dermatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
EDI200	Biologico	12/10/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della displasia ectodermica ipoidrotica legata all'X.	
KB103	Terapia avanzata	28/03/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'epidermolisi bollosa distrofica.	
Disturbo neuromuscolare		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
AT132	Terapia avanzata	31/05/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della miopatia miotubulare legata all'X.	
Muscoloscheletrico		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
BPS-804	Biologico	09/11/2017

	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'osteogenesi imperfetta di tipo I, III e IV.	
<b>Endocrinologia-Ginecologia-Fertilità-Metabolismo</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Deossicitidina (dC) Deossitimidina (dT)	Chimico	28/06/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della carenza di timidina chinasi 2.	
Givosiran	Chimico	23/02/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> prevenzione di attacchi acuti di porfiria epatica.	
Olipudase alfa	Biologico	18/05/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di manifestazioni non neurologiche di deficit di sfingomielinasi acida.	
Setmelanotide	Chimico	28/06/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'obesità e controllo della fame associati ai disturbi da carenza della via del recettore MC4R.	
Rebisufligene etisparvovec (ABO-102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Trattamento di Mucopolisaccaridosi di Tipo IIIA, MPS IIIA (Sindrome di San Filippo A)	
Teplizumab	Biologico	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento per ritardare o prevenire il diabete di tipo I nei pazienti a rischio.	
<b>Gastroenterologia-Epatologia</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
A4250	Chimico	13/10/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della colestasi intraviale intraepatica familiare progressiva.	
MBX-8025	Chimico	13/10/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della colangite biliare primaria.	
<b>Ematologia - Emostasiologia</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Emapalumab	Biologico	26/05/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della linfoistiocitosi emofagocitica primaria.	
LentiGlobin	Terapia avanzata	15/09/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente (popolazione non- $\beta^0/\beta^0$ ).	
ATA129	Terapia avanzata	13/10/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dei pazienti con disturbo linfoproliferativo post trapianto del virus di Epstein-Barr nel trapianto di cellule ematopoietiche allogeniche che hanno fallito il rituximab.	
BMN 270	Terapia avanzata	26/01/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'emofilia A.	

PF-06838435/ SPK-9001	Terapia avanzata	23/02/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'emofilia B.	
AMT-060	Terapia avanzata	21/04/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'emofilia B severa.	
RP-L102	Terapia avanzata	12/12/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Trattamento dell'anemia di Fanconi di Tipo A	
GBT440	Chimico	22/06/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della anemia falciforme.	
OTL-300	Terapia avanzata	20/09/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della $\beta$ -talassemia trasfusione dipendente.	
FLT180a	Terapia avanzata	28/02/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della emofilia B.	
BAY2599023	Terapia avanzata	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della emofilia A.	
Danicopan	Chimico	14/11/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> Trattamento dell'emoglobinuria parossistica notturna, che non risponde adeguatamente ad un C5-inibitore.	
<b>Immunologia-Reumatologia-trapianto</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
NLA101	Terapia avanzata	31/05/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	
Avacopan (CCX168)	Chimico	26/05/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti con vasculite ANCA associata (inclusa granulomatosi con poliangioite e poliangite microscopica).	
HMED-Ides	Biologico	18/05/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> per la desensibilizzazione di pazienti altamente sensibilizzati per renderli idonei al trapianto mediante inattivazione di IgG anti-HLA.	
<b>Malattie infettive</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Bulevirtide	Chimico	18/05/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'infezione cronica da epatite D.	
LR12	Chimico	09/11/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dello shock settico.	

Lonafarnib	Chimico	13/12/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'infezione da epatite D.	
MEDI 8897	Biologico	31/01/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> prevenzione dell'infezione del tratto respiratorio inferiore causata dal virus respiratorio sinciziale.	
PXVX0317	Chimico	19/09/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> immunizzazione attiva per prevenire le malattie causate dall'infezione da virus chikungunya in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	
<b>Neurologia</b>		
Aducanumab	Biologico	26/05/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della malattia di Alzheimer.	
Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)	Terapia avanzata	26/01/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti pediatriche con diagnosi di atrofia muscolare spinale di tipo 1.	
Lenti-D CALD	Terapia avanzata	26/07/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di adrenoleucodistrofia cerebrale (CALD).	
RO7234292	Chimico	09/11/201726/07/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della malattia di Huntington (HTT).	
RisdiplamRO7034067	Chimico	13/12/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q.	
<b>Oncologia</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Axicabtagene ciloleucei KTE-C19	Terapia avanzata	26/05/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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.	
TisagenlecleuceiCTLO19	Terapia avanzata	23/06/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti pediatriche con leucemia linfoblastica acuta recidivante o refrattaria a cellule B.	
DNX-2401	Terapia avanzata	21/07/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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.	
NY-ESO-1c259T	Terapia avanzata	21/07/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della leucemia linfoblastica acuta B-cellulare recidivante / refrattaria.	
JCAR017	Terapia avanzata	15/12/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B diffuso recidivante/refrattario.	
JNJ-68284528	Terapia avanzata	28/03/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, i cui regimi precedenti comprendevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38 e che presentavano una progressione della malattia dall'ultimo regime.	
BB2121	Terapia avanzata	09/11/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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 (prima KTE C19)	Terapia avanzata	31/05/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario.	
Asunercept	Biologico	18/05/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento del glioblastoma.	
Entrectinib (RXDX-101)	Chimico	12/10/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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.	
GSK2857916	Biologico	12/10/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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	Biologico	22/06/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di pazienti recidivi e refrattari con linfoma diffuso a grandi cellule B.	
Vocimagene amiretrorepevec	Terapia avanzata	20/07/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di glioma di alto grado.	
Linfociti T citotossici allogenici specifici per EBV	Terapia avanzata	29/05/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento del disturbo linfoproliferativo post-trapianto refrattario al rituximab (PTLD)	
MB-CART2019.1	Terapia avanzata	17/10/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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
	<b>Indicazione terapeutica:</b> 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.	
<b>Oftalmologia</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
AAV - CNGB3	Terapia avanzata	22/02/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
QR-110	Chimico	25/07/2019
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento dell'acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
<b>Psichiatria</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Brexanolone (SAGE-547)	Chimico	10/11/2016
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento della depressione postpartum.	
Rapastinel	Chimico	18/05/2017
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento aggiuntivo del disturbo depressivo maggiore.	
<b>Uronefrologia</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Lumasiran	Chimico	22/03/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> trattamento di iperossaluria primaria di tipo 1.	
<b>Vaccini</b>		
<b>PRINCIPIO ATTIVO</b>	<b>TIPOLOGIA</b>	<b>DATA DI AMMISSIONE</b>
Mycobacterium tuberculosis	Immunologico	28/06/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> immunizzazione attiva contro la malattia da tubercolosi nei neonati (obiettivo primario) e adolescenti e adulti (obiettivo secondario).	
MV-CHIK vaccino	Biologico	31/05/2018
	<b>Indicazione terapeutica:</b> prevenzione della febbre di Chikungunya.	
TAK-426	Immunologico	28/03/2019

	<b>Indicazione terapeutica:</b> immunizzazione attiva per la prevenzione delle malattie causate dal virus Zika.	
Ervebo	Immunologico	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: vaccinazione contro l'Ebola (ceppo Zaire).	

**Legenda:** ■ medicinali che hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA all'AIC; ■ medicinali che sono in valutazione da parte del CHMP dell'EMA; ■ medicinali che sono stati ritirati oppure esclusi dal programma PRIME.



# Appendice

**ATC****AREA TERAPEUTICA**

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