



Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 16-20 settembre 2024

A) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18624	ZTALMY (ganaxolone)	Crisi convulsive epilettiche associate a disturbo da deficit di chinasi 5 ciclina-dipendente	Espresso parere
18746	VAZKEPA (icosapent etile)	Rischio cardiovascolare	Scheda approvata

B) Procedura congiunta con istruttoria APA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	REGISTRO PPP	Programma di Prevenzione della Gravidanza	Scheda approvata

C) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18657	ZILBRYSQ (zilucoplan)	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)	Scheda approvata
18664	OMJJARA (momelotinib)	Mielofibrosi	Scheda approvata
18505	PEPAXTI (melfalan flufenamide)	Mieloma multiplo recidivante refrattario	Scheda approvata

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18671	LOARGYS (pegzilarginasi)	Deficit di arginasi 1 (ARG1-D)	Argomento rinviato
18105	KAPRUVIA (difelikefalin)	Prurito associato a malattia renale cronica	Argomento rinviato
--	ROCTAVIAN (Valoctocogene roxaparvovec)_	Emofilia A grave	Espresso parere
18548	SOLIRIS (eculizumab)	Miastenia Gravis generalizzata Refrattaria (MGg)	Espresso parere
18647	JEMPERLI (dostarlimab)	Carcinoma endometriale candidabile a terapia sistemica	Espresso parere
17983	HEMGENIX (Etranacogene dezaparvovec)	Emofilia B	Espresso parere

E) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

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

F) Aggiornamento schede di registro di medicinali già approvate dalla CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
17859	STRENSIQ (asfotase alfa c)	Ipofosfatasia	Scheda approvata

G) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18570	AUBAGIO (teriflunomide)	Sclerosi multipla (SM)	Espresso parere
18718	VOXZOGO (vosoritide)	Acondroplasia	Espresso parere
18519	APRETUDE (cabotegravir)	Prevenzione HIV	Espresso parere
18803	ENRYLAZE (Crisantaspasi ricombinante)	LLA_LL	Espresso parere
18774	KEYTRUDA (pembrolizumab)_	Carcinoma del rene	Espresso parere
18825	ORSERDU (elacestrant)	Carcinoma mammario	Argomento rinviato
18772	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Adenocarcinoma dello stomaco e della giunzione HER2 +	Espresso parere
18773	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Adenocarcinoma dello stomaco e della giunzione HER2 -	Espresso parere
18643	RUBRACA (rucaparib)	Carcinoma ovarico (OC)	Espresso parere
18814	TALZENNA (talazoparib)	Carcinoma prostatico (mCRCP)	Espresso parere
19013	QALSODY (tofersen)	Sclerosi laterale amiotrofica (SLA)	Argomento rinviato
18881	FABHALTA (iptacopan)	Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	Argomento rinviato
18921	VOYDEYA (danicopan)	Emoglobinuria parossistica notturna (EPN)	Argomento rinviato
19005	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma delle vie biliari (BTC)	Espresso parere
19018	OPDIVO (nivolumab)	Trattamento adiuvante del melanoma	Argomento rinviato
18857	OPDIVO (nivolumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Argomento rinviato
19001	AWIQLI (insulina icodec)	diabete mellito	Argomento rinviato
19007	BRUKINSA (zanubrutinib)	Linfoma follicolare (LF)	Argomento rinviato
18764	REZZAYO (rezafungin)	Candidiasi	Argomento rinviato
18892	RYSTIGGO (rozanolixizumab)	Miastenia Gravis generalizzata (MGg)	Argomento rinviato
18953	VANFLYTA (quizartinib)	Leucemia mieloide acuta (LMA)	Argomento rinviato
18994	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Valutazione non esaminata
19014	KEYTRUDA	Carcinoma del polmone non a piccole cellule	Espresso parere

	(pembrolizumab)		
18934	ZYNYZ (retifanlimab)	Carcinoma a cellule di Merkel_(MCC)	Argomento rinviato
18741	OXBRYTA (voxelotor)	Anemia emolitica dovuta ad anemia falciforme	Argomento rinviato
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	β -talassemia, Anemia falciforme severa	Argomento rinviato

H) Aggiornamento schede di registro su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	mAb anti-CGRP (galcanezumab, fremanezumab, erenumab, eptinezumab)	Eemicrania	Argomento rinviato

I) Notifiche

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	VENCLYXTO (venetoclax)	Leucemia Mieloide Acuta (LMA)	Presa d'atto
--	TECVAYLI (teclistamab)	Mieloma Multiplo recidivato/refrattario (MM_RR)	Presa d'atto

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	OPDIVO (nivolumab) – KEYTRUDA (pembrolizumab) – TAFINLAR_MEKINIST (dabrafenib/trametinib)	Melanoma adiuvante	Espresso parere

K) Richieste provenienti da aziende farmaceutiche per registri già attivi

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
------------------	---------	-------------	-------

17697	ULTOMIRIS (ravulizumab)	Miastenia Gravis generalizzate (MGg)	Espresso parere
-------	--------------------------------	--------------------------------------	------------------------

L) Approfondimenti su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
17755	PLUVICTO ([¹⁷⁷Lu] Lu-PSMA-617)	Carcinoma della prostata	Espresso parere

M) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
18989	IMCIVREE (setmelanotide)	Trattamento dell'obesità associato a deficit POMC/LEPR	Espresso parere

N) Argomenti generali

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	--	Linea guida criteri di istituzione del monitoraggio tramite registri AIFA	Espresso parere

O) Varie ed eventuali

Procedura HTA	Farmaco	Indicazioni	Esiti
---------------	---------	-------------	-------

n°			
18509	CAMZYOS (mavacamten)	Cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva	Espresso parere