



**Esiti Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 13-17 gennaio 2025**

**A) Procedura classica su mandato CSE**

<b>Procedura HTA n°</b>	<b>Farmaco</b>	<b>Indicazioni</b>	<b>Esiti</b>
18623	<b>KANUMA (sebelipasi alfa)</b>	Deficit di LAL	Approfondimento CSE
18214	<b>CRYSVITA (burosumab)</b>	Ipoposfatemia FGF23-correlata nell'osteomalacia oncogenica	Scheda approvata
19086	<b>ALECENSA (alectinib)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Scheda approvata
18814	<b>TALZENNA (talazoparib)</b>	Carcinoma prostatico	Scheda approvata
19019	<b>RYBREVANT (amivantamab)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Scheda approvata
19211	<b>IQIRVO (elafibranor)</b>	Colangite biliare primitiva	Argomento rinviato
18763	<b>CASGEVY (exagamglogene autotemcel)</b>	Anemia falciforme, $\beta$ -talassemia	Schede approvate

**B) Procedura congiunta con istruttoria HTA**

<b>Procedura HTA n°</b>	<b>Farmaco</b>	<b>Indicazioni</b>	<b>Esiti</b>
19119	<b>MEKTOVI (binimetinib)</b>	Melanoma avanzato	Parere espresso
19350	<b>OPDIVO (nivolumab)</b>	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
17799	<b>VYDURA (rimegepant)</b>	Emicrania	Parere espresso
18548	<b>SOLIRIS (eculizumab)</b>	Miastenia Gravis generalizzata Refrattaria	Parere espresso

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	<b>TECENTRIQ (atezolizumab)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Parere espresso

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
--	<b>BAVENCIO (avelumab)</b>	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
--	<b>KEYTRUDA (pembrolizumab)</b>	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato

### F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
19174	<b>SKYCLARYS (omaveloxolone)</b>	Atassia di Friedreich	Argomento rinviato
19169	<b>AYVAKYT (avapritinib)</b>	Mastocitosi sistemica indolente	Argomento rinviato
19148	<b>FRUZAQLA (fruquintinib)</b>	Carcinoma metastatico del colon retto	Argomento rinviato
19160	<b>KRAZATI (adagrasib)</b>	NSCLC	Argomento rinviato
19124	<b>XTANDI (enzalutamide)</b>	Carcinoma prostatico	Argomento rinviato

19166	<b>BALVERSA (erdafitinib)</b>	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19132	<b>CABLIVI (caplacizumab)</b>	Porpora trombotica trombocitopenica	Parere espresso
18856	<b>REBLOZYL (luspatercept)</b>	Beta-talassemia	Valutazione non esaminata
19041	<b>REBLOZYL (luspatercept)</b>	Sindrome Mielodisplastica	Parere espresso
19161	<b>BREYANZI (lisocabtagene maraleucel)</b>	Linfoma diffuso a grandi cellule B, linfoma a cellule B ad alto grado, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B e linfoma follicolare di grado 3B in seconda linea	Argomento rinviato
19275	<b>TEPKINLY (epcoritamab)</b>	Linfoma Follicolare Recidivato/Refrattario (FL R/R)	Argomento rinviato
19226	<b>BRAFTOVI (encorafenib)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule	Parere espresso
19227	<b>MEKTOVI (binimetinib)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Parere espresso
19126	<b>MIRCERA (metossipolietilenglicole-epoetina)</b>	Malattia renale cronica (CKD)	Parere espresso
18964	<b>TAKHZYRO (lanadelumab)</b>	Angioedema ereditario (HAE)	Argomento rinviato
19317	<b>KEYTRUDA (pembrolizumab)</b>	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato
19256	<b>PADCEV (enfortumab vedotin)</b>	Carcinoma uroteliale (UC)	Argomento rinviato
19264	<b>TAGRISSE (osimertinib)</b>	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)	Argomento rinviato
19273	<b>YORVIPATH (palopegteriparatide)</b>	Ipoparatiroidismo cronico	Argomento rinviato
19130	<b>BIMZELX (bimekizumab)</b>	Idrosadenite suppurativa	Argomento rinviato
19327	<b>KAYFANDA (odevixibat)</b>	Prurito colestatico	Argomento rinviato
19082	<b>WINREVAIR (sotatercept)</b>	Ipertensione arteriosa polmonare	Argomento rinviato
19031	<b>ALTUVOCT (efanesoctocog alfa)</b>	Emofilia A	Parere espresso
19322	<b>ELAHERE (mirvetuximab soravtansine)</b>	Carcinoma ovarico	Argomento rinviato

19333	<b>IMFINZI (durvalumab)</b>	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19334	<b>IMFINZI (durvalumab)</b>	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19335	<b>LYNPARZA (olaparib)</b>	Carcinoma dell'endometrio	Argomento rinviato
19338	<b>OPDIVO (nivolumab)</b>	Carcinoma uroteliale	Argomento rinviato
19368	<b>OLUMIANT (baricitinib)</b>	Dermatite atopica	Argomento rinviato
19105	<b>CIBINQO (abrocitinib)</b>	Dermatite atopica	Valutazione non esaminata

### G) Analisi dati dei registri

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
19120	<b>LEQVIO (inclisiran)</b>	Ipercolesterolemia	Argomento rinviato
--	<b>TUKYSA (tucatinib)</b>	Carcinoma mammario (CM)	Parere espresso
--	<b>RITALIN, MEDIKINET, EQUASYM (Metilfenidato)</b>	Disturbo da deficit dell'attenzione ed iperattività (ADHD)	Parere espresso
--	<b>HOLOCLAR (Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali)</b>	Deficit di cellule staminali limbari	Parere espresso
--	<b>VENCLYXTO (venetoclax)</b>	LLA, LMA I° linea, LMA RR	Parere espresso
--	<b>JEMPERLI (dostarlimab)</b>	Carcinoma del retto, I. 648/96	Parere espresso

### H) Approfondimenti

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni	Esiti
	<b>STRIMVELIS</b>	ADA-SCID	Parere espresso

**I) Varie ed eventuali**

**Procedura classica su mandato CSE**

<b>Procedura HTA n°</b>	<b>Farmaco</b>	<b>Indicazioni</b>	<b>Parere CSE</b>
	<b>IMCIVREE</b>	Obesità e controllo della fame	Scheda approvata