



Odg Ufficio Registri di Monitoraggio – CSE 13-17 gennaio 2025

A) Procedura classica su mandato CSE

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
18623	KANUMA (sebelipasi alfa)	Deficit di LAL
18214	CRYSVITA (burosumab)	Ipofosfatemia FGF23-correlata nell'osteomalacia oncogenica
19086	ALECENSA (alectinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)
18814	TALZENNA (talazoparib)	Carcinoma prostatico
19019	RYBREVANT (amivantamab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule
19211	IQIRVO (elafibranor)	Colangite biliare primitiva
18763	CASGEVY (exagamglogene autotemcel)	Anemia falciforme, β -talassemia

B) Procedura congiunta con istruttoria HTA

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
19119	MEKTOVI (binimetinib)	Melanoma avanzato
19350	OPDIVO (nivolumab)	Carcinoma uroteliale

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
17799	VYDURA (rimegepant)	Emicrania
18548	SOLIRIS (eculizumab)	Miastenia Gravis generalizzata Refrattaria

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

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
--	TECENTRIQ (atezolizumab)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule

E) Aggiornamento schede di registro di medicinali già in monitoraggio

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
--	BAVENCIO (avelumab)	Carcinoma uroteliale
--	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale

F) Valutazioni istituzione di monitoraggio

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

19166	BALVERSA (erdafitinib)	Carcinoma uroteliale
19132	CABLIVI (caplacizumab)	Porpora trombotica trombocitopenica
18856	REBLOZYL (luspatercept)	Beta-talassemia
19041	REBLOZYL (luspatercept)	Sindrome Mielodisplastica
19161	BREYANZI (lisocabtagene maraleucel)	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
19275	TEPKINLY (epcoritamab)	Linfoma Follicolare Recidivato/Refrattario (FL R/R)
19226	BRAFTOVI (encorafenib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule
19227	MEKTOVI (binimetinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)
19126	MIRCERA (metossipolietilenglicole-epoetina)	Malattia renale cronica (CKD)
18964	TAKHZYRO (lanadelumab)	Angioedema ereditario (HAE)
19317	KEYTRUDA (pembrolizumab)	Carcinoma uroteliale (UC)
19256	PADCEV (enfortumab vedotin)	Carcinoma uroteliale (UC)
19264	TAGRISSE (osimertinib)	Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)
19273	YORVIPATH (palopegteriparatide)	Ipoparatiroidismo cronico
19130	BIMZELX (bimekizumab)	Idrosadenite suppurativa
19327	KAYFANDA (odevixibat)	Prurito colestatico
19082	WINREVAIR (sotatercept)	Ipertensione arteriosa polmonare
19031	ALTUVOCT (efanesoctocog alfa)	Emofilia A
19322	ELAHERE (mirvetuximab soravtansine)	Carcinoma ovarico

19333	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma dell'endometrio
19334	IMFINZI (durvalumab)	Carcinoma dell'endometrio
19335	LYNPARZA (olaparib)	Carcinoma dell'endometrio
19338	OPDIVO (nivolumab)	Carcinoma uroteliale
19368	OLUMIANT (baricitinib)	Dermatite atopica
19105	CIBINQO (abrocitinib)	Dermatite atopica

G) Analisi dati dei registri

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

H) Approfondimenti

Procedura HTA n°	Farmaco	Indicazioni
	STRIMVELIS	ADA-SCID

I) Varie ed eventuali