



Argomento all'ordine del giorno	Esito della seduta della CTRF
<p><b>1. Approvazione schede istruttorie ed individuazione Centri prescrittori:</b></p> <p><b>1.1. ROCTAVIAN - valoctogene roxaparvovec</b> indicato per il trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5)</p> <p><b>1.2. KOSELUGO - selumetinib</b> indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatriche con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età</p> <p><b>1.3. NEXVIADYME - avalglucosidasi alfa</b> è indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di <math>\alpha</math>-glucosidasi acida)</p> <p><b>1.4. ORLADEYO - berotralstat</b> indicato nella prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (HAE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età</p> <p><b>1.5. BEOVU - brolocizumab</b> indicato negli adulti per il trattamento di diminuzione visiva causata da edema maculare diabetico (DME)</p> <p><b>1.6. IMCIVREE - setmelanotide</b> indicato per il trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS), geneticamente confermata negli adulti e nei bambini di età pari o superiore ai sei anni</p> <p><b>1.7. CABOMETIX - cabozantinib</b> indicato nel trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma differenziato della tiroide (DTC) localmente avanzato o metastatico, refrattario o non eleggibile allo iodio radioattivo (RAI) che sono progrediti durante o dopo una precedente terapia sistemica</p>	<p>1.1. La CTRF conclude la valutazione. 1.2. La CTRF conclude la valutazione. 1.3. La CTRF conclude la valutazione. 1.4. La CTRF conclude la valutazione. 1.5. La CTRF rimanda la valutazione. 1.6. La CTRF conclude la valutazione. 1.7. La CTRF rimanda la valutazione.</p>
<p><b>2. Prescrizione di Triptorelina, ai sensi della L. 648/96, in casi selezionati in cui la pubertà sia incongruente con l'identità di genere (disforia di genere): individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione e piano terapeutico regionale</b></p>	<p>2. La CTRF conclude la valutazione.</p>



<b>3. Richieste integrazione Centri prescrittori</b>	
<b>3.1. DGR 1450/2022:</b> Farmaci biologici per il trattamento dell'asma grave, atomoxetina e melfenidato, teriparatide e romosozumab;	
<b>3.2. DDR 132/2023:</b> farmaci biologici – area reumatologica	
<b>3.3. DDR 134/2023:</b> rivaroxaban	3.1. La CTRF conclude la valutazione.
<b>3.4. DDR 108/2023:</b> vericiguat (Verquvo®)	3.2. La CTRF rimanda la valutazione.
<b>3.5. DDR 136/2023:</b> sacubitril/valsartan (Entresto®)	3.3. La CTRF conclude la valutazione.
<b>3.6. DDR 131/2023:</b> NAO	3.4. La CTRF conclude la valutazione.
<b>3.7. DDR 127/2018:</b> dupilumab (Dupixent®)	3.5. La CTRF conclude la valutazione.
<b>3.8. DDR 180/2023:</b> inclisiran (Leqvio®)	3.6. La CTRF conclude la valutazione.
<b>3.9. DDR 56/2023:</b> iPCSK9	3.7. La CTRF rimanda la valutazione.
<b>3.10. DDR 159/2023:</b> relugolix/estradiolo e noretisterone (Ryeqo®)	3.8. La CTRF conclude la valutazione.
	3.9. La CTRF conclude la valutazione.
	3.10. La CTRF rimanda la valutazione.