



### Commissione Tecnica Regionale Farmaci Esiti della seduta telematica del 20 aprile 2023

Argomento all'ordine del giorno	Esito della seduta della CTRF
<p><b>1. Individuazione Centri prescrittori:</b></p> <p><b>1.1. AVYAKYT - avapritinib</b> indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva (ASM), mastocitosi sistemica associata a neoplasia ematologica (SM-AHN) o leucemia mastocitaria (MCL), in seguito ad almeno una terapia sistemica</p> <p><b>1.2. CRYSVITA - burosumab</b> indicato per il trattamento dell'ipofosfatemia X-linked, nei bambini e adolescenti di età compresa tra uno e diciassette anni con evidenza radiografica di malattia ossea, e negli adulti</p> <p><b>1.3. REFIXIA- fattore IX di coagulazione del sangue</b> indicato nel trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti da 12 anni in su affetti da emofilia B (deficit congenito di fattore IX)</p> <p><b>1.4. UPLIZNA - inebilizumab</b> indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) sieropositivi per le immunoglobuline G anti-aquaporina-4 (IgG AQP4)</p> <p><b>1.5. SAPHNELO - anifrolumab</b> indicato come terapia aggiuntiva per il trattamento di pazienti adulti affetti da lupus eritematoso sistemico (LES) attivo, autoanticorpi-positivo, in forma da moderata a severa, nonostante la terapia standard</p> <p><b>1.6. AVYAKYT - avapritinib</b> come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con tumori stromali gastrointestinali (GIST) non resecabili o metastatici che presentano la mutazione del recettore alfa del fattore di crescita derivato dalle piastrine (PDGFRA) D842V</p> <p><b>1.7. Venclyxto - venetoclax</b> indicato, in combinazione con azacitidina, per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (AML - acute myeloid leukaemia) di nuova diagnosi non idonei alla chemioterapia intensiva</p> <p><b>1.8. BYANLI - paliperidone</b> per la terapia di mantenimento della schizofrenia in pazienti adulti che sono clinicamente stabili con le formulazioni di paliperidone palmitato iniettabile a somministrazione mensile o trimestrale</p> <p><b>1.9. JYSELECA – filgotinib</b> per il trattamento della colite ulcerosa in fase attiva da moderata a severa in pazienti adulti che hanno manifestato una risposta inadeguata,</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 conclude la valutazione. 1.6. La CTRF conclude la valutazione. 1.7. La CTRF conclude la valutazione. 1.8. La CTRF conclude la valutazione. 1.9. La CTRF conclude la valutazione. 1.10. La CTRF conclude la valutazione.</p>



<p>hanno avuto una perdita di risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un medicinale biologico</p> <p><b>1.10. FETCROJA - cefiderocol</b> indicato per il trattamento delle infezioni dovute a organismi aerobi gram-negativi negli adulti con opzioni terapeutiche limitate</p>	
<p><b>2. Richieste integrazione Centri prescrittori sospese:</b></p> <ul style="list-style-type: none"><li>- <b>DDR 140/2022:</b> NAO;</li><li>- <b>DDR 141/2022:</b> iPCSK9;</li><li>- <b>DDR 66/2021:</b> Dupixent® - dupilumab (CRSwNP).</li></ul>	<p>2. La CTRF conclude la valutazione.</p>