



Argomento all'ordine del giorno	Esito della seduta della CTRF
<p><b>1. Approvazione schede istruttorie ed individuazione Centri prescrittori:</b></p> <p style="text-align: center;"><b><u>MALATTIE RARE</u></b></p> <p><b>1.1. CEVENFACTA – eptacog beta</b> è indicato adulti e adolescenti (a partire da dodici anni di età) per il trattamento di episodi emorragici e nella prevenzione di sanguinamenti durante gli interventi chirurgico procedure invasive nei seguenti gruppi di pazienti:</p> <ul style="list-style-type: none"><li>- Pazienti con emofilia congenita con inibitori ad alta risposta ai fattori di coagulazione VIII o IX (ad es. = 5 unità Bethesda[UB]);</li><li>- Pazienti con emofilia congenita con inibitori a basso titolo (UB &lt; 5), ma nei quali è attesa un'alta risposta anamnestica alla somministrazione del fattore VIII o del fattore IX o refrattarietà all'incremento del dosaggio di FVIII o FIX</li></ul> <p><b>1.2. HEMLIBRA – emicizumab</b> indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A (deficit congenito di fattore VIII): senza inibitori del fattore VIII che presentano malattia moderata (FVIII ≥ 1% e ≤ 5%) con fenotipo emorragico severo</p> <p style="text-align: center;"><b><u>AREA GASTROENTEROLOGICA</u></b></p> <p><b>1.3. OMVOH – mirikizumab</b> indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a grave che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un trattamento biologico</p>	<p>1.1. La CTRF sospende la valutazione</p> <p>1.2. La CTRF conclude la valutazione</p> <p>1.3. La CTRF conclude la valutazione</p>
<p><b>2. Individuazione dei Centri prescrittori:</b></p> <p><b>2.1. PHESGO – pertuzumab/trastuzumab</b> indicato per l'uso in associazione con chemioterapia nel trattamento neoadiuvante di pazienti adulti con carcinoma mammario HER2 positivo, localmente avanzato, infiammatorio o allo stadio iniziale ad alto rischio di recidiva</p> <p><b>2.2. OPDUALAG – nivolumab/relatlimab</b> indicato per il trattamento di prima linea del melanoma avanzato (non resecabile o metastatico) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con espressione tumorale del PD-L1 &lt; 1%</p>	<p>2.1. La CTRF conclude la valutazione.</p> <p>2.2. La CTRF conclude la valutazione.</p>



## **AREA DERMATOLOGICA**

<p><b>2.3. LITFULO – ritlectinib</b> per il trattamento dell'alopecia areata severa negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni</p> <p><b>2.4. ADTRALZA – tralokinumab</b> indicato per il trattamento della dermatite atopica da moderata a severa in pazienti adolescenti (12-17 anni) che sono candidati alla terapia sistemica)</p> <p><b>2.5. AQUIPTA – atogepant</b> indicato per la profilassi dell'emicrania negli adulti che hanno almeno quattro giorni di emicrania al mese</p>	<p>2.3. La CTRF conclude la valutazione.</p> <p>2.4. La CTRF conclude la valutazione.</p> <p>2.5. La CTRF conclude la valutazione.</p>
<p><b>3. Aggiornamento sul farmaco UPSTAZA - eladocagene exuparvovec</b> indicato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a diciotto mesi con una diagnosi di deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC) confermata dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo</p>	<p>3. La CTRF conclude la valutazione</p>