



**COMMISSIONE TECNICA REGIONALE FARMACI
ORDINE DEL GIORNO
Seduta in Teleconferenza del 20.2.2024**

1. Approvazione schede istruttorie ed individuazione Centri prescrittori:

1.1. ROCTAVIAN - valoctocogene roxaparvovec 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)

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

1.2. KOSELUGO - selumetinib indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

1.3. NEXVIADYME - avalglucosidasi alfa 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 a- glucosidasi acida)

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

1.4. ORLADEYO- berotralstat indicato nella prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (HAE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

1.5. BEOVU - brolucizumab indicato negli adulti per il trattamento di diminuzione visiva causata da edema maculare diabetico (DME)

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

1.6. IMCIVREE - setmelanotide 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

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero



1.7. CABOMETIX - cabozantinib 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

Istruttoria: UOC Governo Clinico - Azienda Zero

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

3. Richieste integrazione Centri prescrittori

- **DGR 1450/2022**: farmaci biologici per trattamento dell'asma grave, atomoxetina e metilfenifato, teriparatide e romosozumab;
- **DDR 132/2023**: farmaci biologici – area reumatologica.
- **DDR 134/2023**: rivaroxaban;
- **DGR 108/2023**: vericiguat (Verquvo®);
- **DDR 136/2023**: Sacubitril/Valsartan (Entresto®);
- **DDR 131/2023**: NAO;
- **DDR 127/2018**: dupilumab (Dupixent®);
- **DDR 180/2023**: inclisiran (Leqvio®);
- **DDR 56/2023**: iPCSK9;
- **DDR 159/2023**: Relugolix/Estradiolo e Noretisterone (Ryeqo®).

Istruttoria: Segreteria della CTRF

4. Varie ed eventuali