



Argomento all'ordine del giorno	Esito della seduta della CTRF
1. Comunicazioni della Segreteria della CTRF: 1.1. PALFORZIA – estratto allergenico (arachide) indicato nel trattamento di pazienti di età compresa tra 4 e 17 anni con diagnosi confermata di allergia alle arachidi. La terapia con «Palforzia» può proseguire nei pazienti di età pari o superiore a 18 anni. «Palforzia» deve essere abbinato a una dieta che escluda le arachidi: cessata commercializzazione 1.2. BREYANZI - lisocabtagene maraleucel indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL), linfoma a cellule B ad alto grado (HGBCL), linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare di grado 3B (FL3B), che sono refrattari alla chemio-immunoterapia di prima linea o recidivati entro 12 mesi dal completamento della chemio-immunoterapia di prima linea: proposta di individuazione dei Centri prescrittori 1.3. REBLOZYL – luspatercept indicato negli adulti per il trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindromi mielodisplastiche (myelodysplastic syndromes, MDS) a rischio molto basso, basso e intermedio: proposta di individuazione dei Centri prescrittori	1.1. La CTRF prende atto. 1.2. La CTRF prende atto. 1.3. La CTRF conclude la valutazione.
2. Approvazione schede istruttorie ed individuazione Centri prescrittori: <u>MALATTIE RARE</u> 2.1. KAYFANDA – odeixibat indicato per il trattamento del prurito colestatico da sindrome di Alagille (ALGS) in pazienti di età pari o superiore ai 6 mesi 2.2. HYMPAVZI – mastracimab indicato nella profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg, con: - emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII; - emofilia B severa (deficit congenito di fattore IX, FIX < 1%) senza inibitori del fattore IX 2.3. PIASKY – crovalimab indicato, in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con peso pari o superiore a 40 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN):	2.1. La CTRF conclude la valutazione 2.2. La CTRF conclude la valutazione 2.3. La CTRF conclude la valutazione



- in pazienti con emolisi con sintomi clinici indicativi di elevata attività della malattia;
- in pazienti clinicamente stabili dopo essere stati trattati con un inibitore del componente 5 (C5) del sistema del complemento per almeno gli ultimi 6 mesi

2.4. ALTUVOCT - Fattore VIII indicato per il trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia A (deficit congenito di fattore VIII). Può essere usato in tutte le fasce d'età

2.4. La CTRF conclude la valutazione

2.5. WINREVAIR – sotatercept indicato, in associazione ad altre terapie, per l'ipertensione arteriosa polmonare (pulmonary arterial hypertension, PAH) nel trattamento di pazienti adulti di classe funzionale (Functional Class, FC) da II a III dell'OMS, per migliorare la capacità di esercizio fisico, in pazienti già precedentemente trattati per almeno 6 mesi con la triplice terapia antagonisti del recettore dell'endotelina + Inibitori della fosfodiesterasi 5/ Stimolatori della guanilato ciclasa solubile + Analoghi/Agonisti della Prostaciclina (ERA+PDE5i/ sGCs+PPA)

2.5. La CTRF conclude la valutazione

AREA ONCOLOGICA

2.6. HETRONIFLY – serplulimab indicato per il trattamento in combinazione con carboplatino ed etoposide per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC)

2.6. La CTRF conclude la valutazione

2.7. JEMPERLI - dostarlimab indicato in associazione a carboplatino e paclitaxel per il trattamento di pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente e che sono candidate per la terapia sistemica

2.7. La CTRF conclude la valutazione

AREA GASTROENTEROLOGICA

2.8. DUPIXENT – dupilumab indicato per il trattamento dell'esofagite eosinofila in bambini di età compresa tra 1 e 11 anni e un peso di almeno 15kg, non adeguatamente controllati da, intolleranti a, o che non sono candidati per la terapia farmacologica convenzionale

2.8. La CTRF sospende la valutazione

ALTRO

2.9. DUPIXENT – dupilumab indicato negli adulti come trattamento di mantenimento aggiuntivo per la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici, in combinazione con un corticosteroide per via inalatoria (inhaled corticosteroid, ICS), un beta2-agonista a lunga durata d'azione (long-acting beta2-agonist, LABA) e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione (long-acting muscarinic antagonist, LAMA) o da

2.9. La CTRF conclude la valutazione



un'associazione di un LABA e di un LAMA se l'ICS non è appropriato	
3. Valutazione delle richieste di riconoscimento di ulteriori Centri autorizzati alla prescrizione dei seguenti farmaci: - Farmaci Nota AIFA 36; - Farmaci Nota AIFA 51: Ryeqo® e Yselty®; - Farmaci biologici di area reumatologica; - Farmaci biologici per il trattamento dell'emicrania; - iPCSK9 (alirocumab, evolocumab) e inclisiran (Leqvio®); - Vericiguat (Verquvo®); - Ciclosilicato di sodio e zirconio (Lokelma®), Patiromer (Veltassa®); - NAO: Rivaroxaban, Apixaban, Edoxaban, Dabigatran; - Rivaroxaban (Xarelto®) - TVP/EP nel paziente pediatrico; - Mepolizumab (Nucala®) - HES; - Dupilumab (Dupixent®) - EoE; - Dupilumab (Dupixent®), Mepolizumab (Nucala®), Omalizumab (Xolair®) – CRSwNP; - Metilfenidato; - Cinacalcet; - Elafibranor (Iqirvo®).	3. La CTRF conclude la valutazione