



COMMISSIONE TECNICA REGIONALE FARMACI

ORDINE DEL GIORNO

Seduta straordinaria in Teleconferenza del 26.08.2026

1. Approvazione del verbale della seduta del 29.07.2026

2. Argomenti rimandati dalle sedute precedenti

MALATTIE RARE

2.1. AGAMREE – vamorolone indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD) in pazienti di età pari o superiore a 4 anni - **sospeso**

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

3. Approvazione schede istruttorie ed individuazione Centri Prescrittori:

MALATTIE RARE

3.1. ADZYNMA – rADAMTS13 indicato come terapia enzimatica sostitutiva (TES) indicata per il trattamento del deficit di ADAMTS13 nei pazienti pediatrici e adulti affetti da porpora trombotica trombocitopenica congenita (CTTP, congenital thrombotic thrombocytopenic purpura).

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

3.2. CABLIVI – caplacizumab indicato per il trattamento negli adolescenti di età uguale a 12 anni o maggiore con peso corporeo di almeno 40 kg per il trattamento degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione a plasmateresi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione.

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

AREA ONCOLOGICA

3.3. CABOMETYX – cabozantinib indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da tumori neuroendocrini ben differenziati extra-pancreatici (epNET) e pancreatici (pNET), non resecabili o metastatici, che sono progrediti dopo almeno una precedente terapia sistemica diversa dagli analoghi della somatostatina.

Istruttoria: Coordinamento Regionale Attività Oncologiche (CRAO)

AREA GASTROENTEROLOGICA

Farmaci per il trattamento del Morbo di Crohn:

3.4. TREMFYA – guselkumab indicato per il trattamento di pazienti adulti con malattia di Crohn attiva di grado da moderato a severo che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un trattamento biologico



Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

3.5. OMVOH – mirikizumab indicato per il trattamento della malattia di Crohn moderata/grave (HBI HARVEY-BRADSHAW INDEX ≥ 8) in aggiunta o meno alla terapia convenzionale (aminosalicilati e/o steroidi e/o immunosoppressori), in presenza di almeno una delle seguenti situazioni cliniche: dipendenza da un trattamento con steroide per via sistemica, in presenza di resistenza, intolleranza o bilancio beneficio/rischio valutabile come negativo per gli immunosoppressori; resistenza o intolleranza/controindicazioni alla terapia steroidea orale

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

ALTRO

3.6. SPRAVATO – esketamina indicato in combinazione con una terapia antidepressiva orale, negli adulti di età compresa tra i 18 e i 65 anni di età, con un episodio da moderato a grave di disturbo depressivo maggiore (punteggio MADRS totale >28) senza manifestazioni psicotiche, come trattamento acuto di breve termine per la rapida riduzione dei sintomi depressivi, che in base al giudizio clinico costituiscono un'emergenza psichiatrica di entità tale da presentare una indicazione al ricovero.

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

3.7. JAKAVI – ruxolitinib indicato per il trattamento della malattia del trapianto contro l'ospite (Graft versus host disease, GvHD):

- GvHD acuta: trattamento di pazienti pediatriche di età pari o superiore ai 28 giorni ed inferiori ai 12 anni e di pazienti con difficoltà di deglutizione e/o gestione delle compresse con malattia del trapianto contro l'ospite acuta che presentano una risposta inadeguata al trattamento con corticosteroidi o altre terapie sistemiche;
- GvHD cronica: trattamento di pazienti pediatriche di età pari o superiore ai 6 mesi ed inferiori ai 12 anni e di pazienti con difficoltà di deglutizione e/o gestione delle compresse con malattia del trapianto contro l'ospite cronica che presentano una risposta inadeguata al trattamento con corticosteroidi o altre terapie sistemiche.

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

4. Aggiornamento dell'elenco dei Centri Prescrittori dei farmaci per:

- Trattamento malattie infiammatorie croniche intestinali – pazienti adulti e pediatriche;
- HCV;
- Deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL);
- Sindrome dell'intestino corto (SIC).

Istruttoria: Segreteria CTRF



5. Varie ed eventuali

Farmaci per il trattamento della colite ulcerosa:

5.1. SKYRIZI – risankizumab indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a severo, che hanno manifestato una risposta inadeguata, una perdita di risposta o un'intolleranza alla terapia convenzionale o a una terapia biologica

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero

5.2. TREMFYA – guselkumab indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a severo che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un trattamento biologico

Istruttoria: UOC Governo Clinico – Azienda Zero