



***Segreteria della Commissione Scientifico-Economica del farmaco (CSE)***

**● Esiti Area Pre-Autorizzazioni CSE 22, 23 e 24 Aprile 2024**

**Richieste di inserimento nell'elenco istituito ai sensi della Legge n.648/96**

- 1. Inserimento dei medicinali Pembrolizumab (Keytruda) e Lenvatinib (Lenvima) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento del carcinoma anaplastico della tiroide localmente avanzato, metastatico e/o ricorrente.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole**
  
- 2. Inserimento del medicinale Romiplostim (Nplate) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento della piastrinopenia post-trapianto di cellule staminali ematopoietiche in pazienti di età inferiore ai 18 anni così definibile:
  - prolonged isolated thrombocytopenia (PIT): piastrine  $< 20 \times 10^9/L$  dopo 60 giorni da trapianto;
  - secondary failure of platelet recovery (SFPR): riduzione del livello piastrinico  $< 20 \times 10^9/L$  per 7 giorni o necessità trasfusionale dopo aver raggiunto un valore stabile  $> 50 \times 10^9/L$  senza trasfusioni per 7 giorni.Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole**
  
- 3. Eliminazione del medicinale Clobazam dall'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento delle epilessie gravi farmacoresistenti maggiori di tre anni di età.  
Parere CSE: La CSE mantiene l'argomento in approfondimento**
  
- 4. Inserimento del medicinale Benzilpenicillina benzatinica nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento di infezioni sostenute da microrganismi sensibili alla Benzilpenicillina che rispondono a bassi, ma molto prolungati, livelli serici dell'antibiotico, e per la profilassi della malattia reumatica e delle recidive.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole**
  
- 5. Inserimento dei medicinali Dabrafenib e Trametinib nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento dei pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari localmente avanzato o metastatico positivo alla mutazione BRAF V600E, che ha manifestato una progressione dopo almeno una linea precedente di terapia sistemica.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole**
  
- 6. Inserimento del medicinale Inebilizumab (Uplizna) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con disturbo dello spettro della**

neuromielite ottica (NMOSD) che sono sieronegativi all'immunoglobulina G anti-acquaporina 4 (AQP4-IgG)

Parere CSE: La CSE esprime parere non favorevole

7. Rivalutazione dell'inserimento del medicinale Dinutuximab beta (Qarziba) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento in associazione a chemioterapia del neuroblastoma alto rischio recidivato o refrattario.

Parere CSE: La CSE esprime parere non favorevole

8. Inserimento del medicinale Efgartigimod alfa (Vyvgart) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento in aggiunta alla terapia standard dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono negativi all'anticorpo anti recettore dell'acetilcolina (AChR).

Parere CSE: La CSE esprime parere non favorevole

9. Inserimento del medicinale Doxorubicina liposomiale non-pegilata (Myocet liposomal) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per le seguenti indicazioni:

- in associazione a vinblastina, dacarbazina e bleomicina come terapia di prima linea in pazienti affetti da linfoma di Hodgkin classico, con associata cardiopatia o pretrattati con antracicline o anziani;
- in associazione a vinblastina, dacarbazina e brentuximab vedotin come terapia di prima linea in pazienti affetti da linfoma di Hodgkin CD30+ con associata cardiopatia o pretrattati con antracicline o anziani, in stadio IV non candidabili a trattamento con bleomicina.

Parere CSE: La CSE mantiene l'argomento in approfondimento

10. Esclusione del medicinale Glucagone nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento degli episodi ipoglicemici gravi.

Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole

11. Inserimento del medicinale Anankinra (Kineret) nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per la profilassi della CRS e ICANS in pazienti ad alto rischio di complicanze in corso di terapia con farmaci appartenenti alla classe CAR-T.

Parere CSE: La CSE mantiene l'argomento in approfondimento

12. Prescrivibilità a carico SSN dei farmaci in associazione a Tacrolimus, incluso nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96, per tutte le indicazioni anche in associazione con altri farmaci ad attività immunosoppressiva o immunomodulante e/o steroide.

Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole

13. Esclusione del medicinale Cabozantinib nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento di pazienti con carcinoma tiroideo differenziato resistente alla terapia con radioiodio, in progressione dopo un massimo di due precedenti linee di terapie con farmaci mirati contro il recettore del fattore di crescita endoteliale vascolare (VEGFR).

Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole

14. Modifica della determinazione di inserimento del medicinale Somatropina nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento del deficit staturale dovuto a Sindrome di Noonan.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole
15. Inserimento del medicinale Cloroprocaina cloridrato nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96, per infusione continua epidurale e perinervosa nella popolazione neonatale e pediatrica.  
Parere CSE: La CSE mantiene l'argomento in approfondimento
16. Inserimento del medicinale Talidomide nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento delle angiodisplasie gastrointestinali.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole
17. Inserimento dei medicinali Dabrafenib e Trametinib nell'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/96 per il trattamento di gliomi ad alto grado.  
Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole
18. Inserimento del biosimilare di Natalizumab Tyruko nell'elenco istituito, ai sensi della Legge n. 648/96, per il trattamento della sclerosi multipla recidivante-remittente grave ad evoluzione rapida, definita da due o più recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o più lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto ad una precedente RM effettuata di recente, nei pazienti adolescenti di età compresa fra i 12 ed i 18 anni:
- che sono in trattamento con il farmaco e hanno mostrato una risposta clinica soddisfacente;
  - nei quali l'uso di Fingolimod sia controindicato, non sia stato tollerato o non si sia mostrato efficace.
- Parere CSE: La CSE esprime parere favorevole