






**LE TERAPIE AVANZATE
APPROVATE
IN EUROPA E IN ITALIA**

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Glybera®	alipogene tiparvovec	uniQure biopharma	in vivo virus adeno-associato	deficit familiare di lipasi lipoproteica con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite	ottobre 2012 farmaco orfano	 da ottobre 2017	 da ottobre 2017
Imlygic®	talimogene laherparepvec	Amgen Europe	in vivo virus herpes simplex	melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a)	dicembre 2015		 richiesta di rimborso non sottomessa
 Strimvelis®	frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ geneticamente modificate contenente la sequenza di cDNA che codifica per l'ADA umana	Fondazione Telethon ETS	ex vivo retrovirus	ADA-SCID nei casi di assenza di donatore consanguineo	maggio 2016 farmaco orfano		 Classe H* luglio 2016
Luxturna™	voretigene neparvovec	Novartis Europharm Limited	in vivo virus adeno-associato	distrofia retinica ereditaria	novembre 2018 farmaco orfano		 Classe H* dicembre 2020
Zynteglo®	betibeglogene autotemcel	bluebird bio	ex vivo lentivirus	beta talassemia trasfusione dipendente senza genotipo β^0/β^0 (sopra ai 12 anni)	maggio 2019 farmaco orfano	 da marzo 2022	


NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Zolgensma®	onasemnogene abeparvovec	Novartis Gene Therapies EU Limited	in vivo virus adeno-associato	atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 1; oppure di pazienti con SMA che hanno fino a 2 copie del gene SMN2	maggio 2020 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* marzo 2021
				SMA di tipo 2 fino a 13,5 kg e i pre-sintomatici con 3 copie del gene SMN2	marzo 2024	✓	✓
 Libmeldy™	cellule autologhe CD34+ che codificano il gene ARSA	Orchard Therapeutics	ex vivo lentivirus	leucodistrofia metacromatica	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* marzo 2022
Skysona™	elivaldogene autotemcel (Lenti-D™)	bluebird bio	ex vivo lentivirus	adrenoleucodistrofia cerebrale precoce con una mutazione nel gene ABCD1	luglio 2021 farmaco orfano	✗ da novembre 2021	✗
Upstaza™	eladocagene exuparvovec	PTC Therapeutics	in vivo virus adeno-associato	deficit della decarbossilasi degli aromatici L-aminoacidi	luglio 2022 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* novembre 2023

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Roctavian™	valoctocogene roxaparvovec	BioMarin International Limited	in vivo virus adeno-associato	emofilia A grave (carenza congenita di Fattore VIII)	giugno 2022 farmaco orfano	 da febbraio 2026	 da febbraio 2026
Hemgenix®	etranacogene dezaparvovec	CSL Behring	in vivo virus adeno-associato	emofilia B grave e moderatamente grave (carenza congenita di Fattore IX)	febbraio 2023 farmaco orfano		 Classe H* luglio 2025
Beqvez® (prima Durveqtix®)	fidanacogene elaparvovec	Pfizer Europe	in vivo virus adeno-associato	emofilia B grave e moderatamente grave (carenza congenita di Fattore IX)	luglio 2024 farmaco orfano	 da maggio 2025	 richiesta di rimborso non sottomessa
Vyjuvek®	beremagene geperpavec	Krystal Biotech Netherlands	in vivo herpes simplex virus 1	epidermolisi bollosa distrofica	aprile 2025 farmaco orfano		
Waskyra™	etuvetidigene autotemcel	Fondazione Telethon ETS	ex vivo lentivirus	sindrome di Wiskott-Aldrich	gennaio 2026 farmaco orfano		

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Kymriah®	tisagenlecleucel	Novartis Europharm Limited	ex vivo lentivirus	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	agosto 2018 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* agosto 2019
				linfoma follicolare recidivante o refrattario	maggio 2022	✓	✓ luglio 2023
Yescarta®	axicabtagene ciloleucel	Kite Pharma EU	ex vivo retrovirus	linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B refrattari o recidivanti	agosto 2018 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* novembre 2019
				linfoma follicolare recidivante o refrattario	giugno 2022	✓	✓ novembre 2023
				linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma a cellule B di alto grado con ricaduta entro 12 mesi o refrattari	ottobre 2022	✓	✓  novembre 2023
Tecartus™	brexucabtagene autoleucel	Kite Pharma EU	ex vivo retrovirus	linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* marzo 2022
				leucemia linfoblastica acuta da precursori delle cellule B recidivante o refrattaria	settembre 2022	✓	✓  novembre 2023

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Abecma®	idecabtagene vicleucel	Bristol-Myers Squibb / Celgene	ex vivo lentivirus	mieloma multiplo recidivante o refrattario	agosto 2021 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* gennaio 2024
				DLBCL, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare (FL3B)	aprile 2022	✓	✓  Classe H* gennaio 2024
Breyanzi®	lisocabtagene maraleucel	Bristol-Myers Squibb / Celgene	ex vivo lentivirus	linfoma a grandi cellule B refrattario o recidivante (HGBCL)	luglio 2023	✓	✓  Classe H* ottobre 2025
				linfoma follicolare recidivato o refrattario	marzo 2025	✓	✓  Classe H* ottobre 2025
				linfoma mantellare recidivato o refrattario	novembre 2025	✓	
Carvykti™	ciltacabtagene autoleucel	Janssen-Cilag International	ex vivo lentivirus	mieloma multiplo recidivante o refrattario	maggio 2022 farmaco orfano	✓	✓ Classe H* febbraio 2026 (prima in Classe C)

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Aucatzyl®	obecabtagene autoleucel	Autolus GmbH	ex vivo lentivirus	leucemia acuta da cellule B refrattaria linfoblastica precursori di recidivante o	luglio 2025 farmaco orfano	✓	✗

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA / ENTE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Casgevy™	exagamglogene autotemcel	Vertex Pharmaceuticals	ex vivo lentivirus	beta-talassemia trasfusione-dipendente e anemia falciforme severa	febbraio 2024 farmaco orfano	✓	 Classe H* settembre 2025

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Chondro- Celect®	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate espansive ed esprimenti proteine marker specifiche	TiGenix	singole lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	ottobre 2009	 da novembre 2016	 da novembre 2016
Provenge®	sipuleucel-T	Dendreon UK	carcinoma della prostata asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale)	settembre 2013	 da maggio 2015	 da maggio 2015
 Zalmoxis®	Linfociti T allogenici geneticamente modificati con un vettore retrovirale codificante per una forma troncata del recettore umano a bassa affinità del fattore di crescita nervoso e la timidina chinasi del virus herpes simplex I	MolMed	trattamento aggiuntivo nei casi di trapianto di staminali per neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio	agosto 2016 farmaco orfano	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
Alofisel®	darvadstrocel (preparato di cellule staminali mesenchimali adulte umane allogeniche espansive, estratte da tessuto adiposo)	Takeda Pharma	fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva	marzo 2018 farmaco orfano	 da dicembre 2024	 da dicembre 2024
Ebvallo®	tabelecleucel	Pierre Fabre	malattia linfoproliferativa post-trapianto positiva al virus di Epstein-Barr recidivante o refrattaria	dicembre 2022 farmaco orfano		 Classe H* dicembre 2024

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Zemcelpro®	dorocubicel	Cordex Biologics International Limited	neoplasie ematologiche maligne	agosto 2025 farmaco orfano	✓	✓ Classe C(nn)* novembre 2025

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Maci®	Condrociti autologhi vitali caratterizzati, espansi ex vivo esprimendo geni marker specifici per i condrociti, seminati su una membrana di collagene di tipo I/III di origine suina con marchio CE	Vericel Denmark	difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio	giugno 2013	 da luglio 2018	 da luglio 2018
 Holoclar®	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali	Holostem	deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	febbraio 2015 farmaco orfano		 Classe H* febbraio 2017
Spherox	Sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice per impianto sospesi in soluzione isotonica di cloruro di sodio	CO.DON AG	difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio	luglio 2017		 Classe C* novembre 2021

LEGENDA

INN: international non-proprietary name

AIC: autorizzazione all'immissione in commercio

Classe C(nn): farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità

Classe H: medicinali erogabili a carico del SSN solo in ambito ospedaliero


Classe C: farmaci a carico del cittadino

CPR: Comitato Prezzi e Rimborso

CTS: Commissione Tecnico Scientifica

(cliccare sul nome del farmaco e sui simboli per visionare i documenti EMA e AIFA e i comunicati stampa)


 : farmaco non in commercio

 : farmaco in commercio

 : richiesta di rimborso in valutazione AIFA

 : strategia terapeutica ideata in Italia

 : farmaco con innovatività AIFA

 : farmaco con innovatività AIFA scaduta