

LE TERAPIE AVANZATE IN EUROPA E IN ITALIA



TERAPIA GENICA

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	IN ITALIA
Glybera®	alipogene tiparvovec	uniQure biopharma B.V.	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 B.V.	melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a)	dicembre 2015		 Classe C(nn)
Strimvelis®	Frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ geneticamente modificate con un vettore retrovirale contenente la sequenza di cDNA che codifica per l'ADA umana	Orchard Therapeutics BV	ADA-SCID nei casi di assenza di donatore consanguineo	maggio 2016		 Classe H*
KYMRIAH®	tisagenlecleucel	Novartis Europharm Limited	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	agosto 2018 farmaco orfano		 Classe H* farmaco innovativo
YESCARTA®	axicabtagene ciloleucel	Kite Pharma EU B.V.	linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B refrattari o recidivanti	agosto 2018 farmaco orfano		 Classe H*
LUXTURNA™	voretigene neparvovec	Novartis Europharm Limited	distrofia retinica ereditaria	novembre 2018 farmaco orfano		 Classe C(nn)* in valutazione CTS*
ZYNTEGLO®	Cellule autologhe CD34+ codificanti per il gene della β A-T87Q globina	bluebird bio B.V.	beta talassemia trasfusione dipendente senza genotipo β 0/ β 0 (sopra ai 12 anni)	marzo 2019 CMA* farmaco orfano		 in valutazione CTS*



TERAPIA CELLULARE

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	IN ITALIA
PROVENGE®	sipuleucel-T	Dendreon UK Ltd	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 CMA* farmaco orfano	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
ALOFISEL®	darvadstrocel	Takeda Pharma A/S	fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva	marzo 2018 farmaco orfano		 Classe C*
CHONDRO-CELECT®	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate e espanse ex vivo ed esprimenti proteine marker specifiche	TiGenix N.V.	single lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	ottobre 2009	 da novembre 2016	 da novembre 2016

TERAPIA TISSUTALE

MACI®	Condrociti autologhi vitali caratterizzati, espansi ex vivo esprimenti geni marker specifici per i condrociti, seminati su una membrana di collagene di tipo I/III di origine suina con marchio CE	Vericel Denmark ApS	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	Chiesi Farmaceutici S.p.A.	deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	febbraio 2015 farmaco orfano		 Classe H*
SPHEROX (CHONDROSPHERE®)	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		 non sottomesso

LEGENDA: INN international non-proprietary name; AIC autorizzazione all'immissione in commercio); CMA conditional marketing authorisation; **Classe C(nn):** farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità (Determina n. 39/2017); **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.