


LE TERAPIE AVANZATE IN EUROPA E IN ITALIA




	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
TERAPIA GENICA	Glybera®	alipogene tiparovec	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)* richiesta di rimborso non sottomessa
	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 farmaco orfano		Classe H* luglio 2016
	Kymriah®	tisagenlecleucel	Novartis Europharm Limited	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	agosto 2018 farmaco orfano		Classe H* agosto 2019
	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* novembre 2019
	Luxturna™	voretigene neparovec	Novartis Europharm Limited	distrofia retinica ereditaria	novembre 2018 farmaco orfano		Classe H* dicembre 2020




	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
TERAPIA GENICA	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)	maggio 2019 CMA* farmaco orfano	✓ 18/02/2021 <u>EMA avvia revisione della sicurezza</u>	✗ in valutazione CTS*
	Zolgensma®	onasemnogene abeparvovec	Novartis Gene Therapies EU Limited	atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 1; oppure di pazienti con SMA che hanno fino a tre copie del gene SMN2	maggio 2020 CMA* farmaco orfano	✓	✓ Classe H* marzo 2021
	Tecartus™	brexucabtagene autoleucel	Kite Pharma EU B.V.	linfoma a cellule mantellari (MCL) recidivante o refrattario	dicembre 2020 CMA* farmaco orfano	✓	✗
	 Libmeldy™	cellule autologhe CD34+ che codificano il gene ARSA	Orchard Therapeutics BV	leucodistrofia metacromatica	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✗



	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
TERAPIA CELLULARE	Chondro-Celect®	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate da proteine specifiche	TiGenix N.V.	lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	ottobre 2009	✗ da novembre 2016	✗ da novembre 2016
	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*	✗ 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* settembre 2018



NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Maci®		Vericel Denmark ApS	difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio	giugno 2013	 da luglio 2018	 da luglio 2018
 Holoclar®		Holostem Terapie Avanzate S.r.l.	deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	febbraio 2015 CMA* farmaco orfano		 Classe H* febbraio 2017
Spherox (chondrosphere®)		CO.DON AG	difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio	luglio 2017		 Classe C(nn)* febbraio 2021

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

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

 : farmaco innovativo AIFA

 : strategia terapeutica ideata in Italia

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