



LE TERAPIE AVANZATE APPROVATE IN EUROPA E IN ITALIA

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

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

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Roctavian™	valoctocogene roxaparvovec	emofilia A grave (carenza congenita di Fattore VIII)	in vivo virus adeno-associato	BioMarin International Limited	giugno 2022 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* gennaio 2024
Hemgenix®	etranacogene dezaparvovec	emofilia B grave e moderatamente grave (carenza congenita di Fattore IX)	in vivo virus adeno-associato	CSL Behring	febbraio 2023 farmaco orfano	✓	✓
Durveqtix®	fidanacogene elaparvovec	emofilia B grave e moderatamente grave (carenza congenita di Fattore IX)	in vivo virus adeno-associato	Pfizer Europe	luglio 2024 farmaco orfano	✓	✗ richiesta di rimborso non sottomessa

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Kymriah®	tisagenlecleucel	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	ex vivo lentivirus	Novartis Europharm Limited	agosto 2018 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* agosto 2019
		linfoma follicolare recidivante o refrattario			maggio 2022		✓ luglio 2023
Yescarta®	axicabtagene ciloleucel	linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B refrattari o recidivanti	ex vivo retrovirus	Kite Pharma EU	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	linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario	ex vivo retrovirus	Kite Pharma EU	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*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Abecma®	idecabtagene vicleucel	mieloma multiplo recidivante o refrattario	ex vivo lentivirus	Bristol-Myers Squibb / Celgene	agosto 2021 farmaco orfano	✓	✓ Classe H* gennaio 2024
Breyanzi®	lisocabtagene maraleucel	DLBCL, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare (FL3B)	ex vivo lentivirus	Bristol-Myers Squibb / Celgene	aprile 2022	✓	✓ Classe H* gennaio 2024
		linfoma a grandi cellule B refrattario o recidivante (HGBCL)			luglio 2023	✓	✗
Carvykti™	ciltacabtagene autoleucel	mieloma multiplo recidivante o refrattario	ex vivo lentivirus	Janssen-Cilag International	maggio 2022 farmaco orfano	✓	✓

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Casgevy™	exagamglogene autotemcel	beta-talassemia dipendente dalle trasfusioni e anemia falciforme severa caratterizzata da crisi vaso- occlusive	ex vivo	Vertex Pharmaceuticals	febbraio 2024 farmaco orfano	✓	✓

TERAPIA CELLULARE

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Chondro- Celect®	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate espanse ex vivo ed esprimenti proteine marker specifiche	singole lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	TiGenix	ottobre 2009	 da novembre 2016	 da novembre 2016
Provenge®	sipuleucel-T	carcinoma della prostata asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale)	Dendreon UK	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	trattamento aggiuntivo nei casi di trapianto di staminali per neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio	MolMed	agosto 2016 farmaco orfano	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
Alofisel®	darvadstrocel (preparato di cellule staminali mesenchimali adulte umane allogeniche espanse, estratte da tessuto adiposo)	fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva	Takeda Pharma	marzo 2018 farmaco orfano		 Classe C* settembre 2018
Ebvallo®	tabelecleucel	malattia linfoproliferativa post-trapianto positiva al virus di Epstein-Barr recidivante o refrattaria	Pierre Fabre	dicembre 2022 farmaco orfano		 Classe H* dicembre 2024

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	AZIENDA	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	difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio	Vericel Denmark	giugno 2013	 da luglio 2018	 da luglio 2018
 Holoclar®	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali	deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	Holostem Terapie Avanzate	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	difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio	CO.DON AG	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

 : 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

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