

Horizon Scanning

scenario dei medicinali in arrivo

Rapporto 2025



AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

Aprile 2025

© Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)

Citare il presente Rapporto come segue:

Horizon Scanning. Anno 2025

Roma: Agenzia Italiana del Farmaco, 2025.

Horizon Scanning. Report Year 2025.

Rome: Italian Medicines Agency, 2025.

ISBN 979-12-80335-62-3

Il Rapporto è disponibile consultando il sito web
www.aifa.gov.it

Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA)
Presidente: Robert Giovanni Nisticò
Direttore Tecnico-Scientifico: Pierluigi Russo

Gruppo di lavoro AIFA del presente Rapporto:

UFFICIO ATTIVITÀ DI ANALISI E PREVISIONE
COORDINAMENTO
P. Marconi
GRUPPO DI LAVORO
C. Ferrajolo, J. Ivanovic, E. Manna

Per il supporto al reperimento delle informazioni sui farmaci:
L. Santi (ISF)

UFFICIO STAMPA E DELLA COMUNICAZIONE
A. Maio, B. Galante, E. Iorio, F. Pomponi

Per le attività di impaginazione e grafica:
C. Guercini

INTRODUZIONE	7
SINTESI	13
PARTE I	
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL 2024	19
NUOVI MEDICINALI	22
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	22
MEDICINALI NON ORFANI CONTENENTI NUOVE SOSTANZE ATTIVE	23
MEDICINALI ORFANI CONTENENTI NUOVE SOSTANZE ATTIVE	29
MEDICINALI PER TERAPIE AVANZATE	32
Medicinali biosimilari	32
Medicinali equivalenti	34
Medicinali con altre basi legali	35
NUOVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE DI MEDICINALI GIÀ AUTORIZZATI	38
MEDICINALI AUTORIZZATI NEL PERIODO 2020-2024	53
PARTE II	
MEDICINALI IN VALUTAZIONE NEL 2025	57
NUOVI MEDICINALI	59
Medicinali contenenti nuove sostanze attive	62
Medicinali biosimilari	68
Medicinali equivalenti	70
Medicinali con altre basi legali	72
Nuove indicazioni terapeutiche	74
PARTE III	
MEDICINALI AMMESSI AL PROGRAMMA PRIME	77
GLOSSARIO	97

Introduzione

Il Rapporto Horizon Scanning ha lo scopo di fornire informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni che hanno ricevuto un parere positivo dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) nel 2024 o che potrebbero riceverlo nell'anno successivo.

Il Rapporto rientra tra le attività di Horizon Scanning dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA), con l'obiettivo di identificare e valutare precocemente nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che potranno ampliare le opzioni di trattamento a disposizione dei medici e dei pazienti, colmando le esigenze di cura non ancora soddisfatte. In alcuni casi si tratta di terapie con un potenziale impatto sul Servizio Sanitario Nazionale (SSN) e che, di conseguenza, potrebbero richiedere un impegno da parte dell'Agenzia nella definizione di strategie idonee a garantire ai cittadini l'accesso a cure innovative e personalizzate.

In questa analisi vengono considerati i medicinali sottoposti a procedura centralizzata, per i quali le aziende farmaceutiche presentano all'EMA una domanda di Autorizzazione all'Immissione in Commercio (AIC) valida in tutti gli Stati Membri dell'Unione Europea (UE) e nei Paesi dello Spazio Economico Europeo (Islanda, Liechtenstein e Norvegia).

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP - Committee for Medicinal Products for Human Use) dell'EMA effettua una valutazione scientifica della domanda e formula un parere relativo alla concessione dell'AIC.

Il parere dell'EMA è esaminato e convalidato dalla Commissione Europea¹ e la decisione viene successivamente pubblicata nella Gazzetta Ufficiale dell'Unione Europea (GUUE). Una volta ottenuta l'AIC, il medicinale potrà essere messo a disposizione dei pazienti in tutta l'UE. Dal 12 gennaio 2025 è in vigore il nuovo regolamento sulla valutazione delle tecnologie sanitarie (HTA-R) (Regolamento UE 2021/2282)², un importante passo avanti per migliorare e accelerare l'accesso a nuovi medicinali. Le procedure di valutazione clinica congiunta (JCA), previste dal nuovo regolamento, favoriscono lo snellimento procedurale e la valutazione precoce dei medicinali. L'obiettivo principale è garantire decisioni più tempestive e informate sui prezzi e sui rimborsi delle tecnologie sanitarie.

Per quanto riguarda la procedura nazionale, prima della commercializzazione del medicinale, è compito dell'AIFA stabilire il regime di fornitura, le condizioni di rimborsabilità e il prezzo, avvalendosi del parere della Commissione Scientifica ed Economica del farmaco (CSE)³.

¹ http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/index_en.htm

² Regulation (EU) 2021/2282 of the European Parliament and of the Council of 15 December 2021 on health technology assessment and amending Directive 2011/24/EU.

(<https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:32021R2282>)

³ DECRETO 8 gennaio 2024, n. 3: Regolamento recante modifiche al regolamento sull'organizzazione e sul funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA) (GU Serie Generale n.11 del 15-01-2024)

In particolare, entro sessanta giorni dalla data di pubblicazione nella GUUE della decisione della Commissione Europea sulla domanda di AIC, l'AIFA pubblica nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica Italiana un provvedimento recante l'inserimento del medicinale in un'apposita sezione denominata Classe Cnn (Classe C non negoziata), dedicata ai farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità, e definisce il regime di fornitura del medicinale in questione. Il provvedimento è emanato in attesa della presentazione, da parte dell'azienda interessata, di un'eventuale domanda di diversa classificazione e di negoziazione del prezzo ai fini della rimborsabilità, necessaria per l'erogazione del medicinale a carico del SSN⁴.

Il Rapporto Horizon Scanning è strutturato in **tre parti**:

- la **prima parte** fornisce informazioni sui nuovi medicinali e sulle nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto nel corso del 2024 un parere positivo all'AIC o alla estensione di indicazione da parte del CHMP dell'EMA. In questa sezione è inoltre riportato il *trend* delle autorizzazioni dei medicinali negli ultimi 5 anni;
- la **seconda parte** riguarda i nuovi medicinali e le estensioni di indicazione di medicinali già autorizzati in valutazione, che potrebbero ricevere un parere da parte del CHMP dell'EMA nel corso del 2025;
- la **terza parte** del Rapporto presenta una panoramica sui medicinali ammessi al programma PRIME (Priority Medicines) dell'EMA. Si tratta di medicinali a elevato interesse per i pazienti e per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica, destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte.

Nelle prime due parti del Rapporto sono riportati dati cumulativi e in dettaglio così suddivisi:

- medicinali contenenti nuove sostanze attive (medicinali non orfani e medicinali orfani inclusi medicinali per terapie avanzate);
- medicinali biosimilari;
- medicinali equivalenti;
- medicinali con altre basi legali;
- nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati.

Per ciascuna di queste categorie i dati sono presentati sia in grafici che in tabelle con informazioni aggiuntive. Nella prima parte del Rapporto i dati sono organizzati in base alla classi-

⁴ <https://www.aifa.gov.it/procedura-di-autorizzazione-centralizzata>
<https://www.aifa.gov.it/negoziazione-e-rimborsabilita>

ficazione ATC (anatomico, terapeutico e chimico, come riportato nel Glossario) e nella seconda parte in base all'area terapeutica interessata.

Nella prima parte sono riportate, per i nuovi medicinali e per le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ricevuto il parere positivo dell'EMA, le seguenti informazioni: ATC, nome commerciale, principio attivo, data del parere dell'EMA, status di medicinale orfano, indicazione terapeutica approvata e, nel caso dei medicinali biosimilari e dei medicinali equivalenti, il medicinale di riferimento.

Nella seconda parte le informazioni riportate in tabella, per i medicinali in valutazione e che potrebbero ricevere un parere dell'EMA nel corso del 2025, comprendono: area terapeutica, principio attivo, eventuale designazione di "medicinale orfano" e malattia/condizione clinica.

Fonti di informazione

- CHMP: Agendas, minutes and highlights⁵
- Community Register⁶
- European Public Assessment Report⁷
- Medicines under evaluation⁸
- PRIME: priority medicine⁹

⁵ <https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-medicinal-products-human-use-chmp>

⁶ <http://ec.europa.eu/health/documents/community-register/html/alfregister.htm>

⁷ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>

⁸ <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation>

⁹ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Sintesi

**Horizon
Scanning**
scenario dei medicinali in arrivo
Rapporto 2025

In Europa, nel corso del 2024, il CHMP dell'EMA ha espresso parere favorevole per 114 nuovi medicinali, di cui 53 contenenti nuove sostanze attive, 28 medicinali biosimilari, 17 medicinali equivalenti e 16 medicinali con altre basi legali, tra cui medicinali con procedura ibrida e sostanze attive note.

Questo Rapporto fa però riferimento a 113 medicinali, in quanto non viene considerato un medicinale ritirato dal titolare subito dopo il parere dell'EMA.

Tra i farmaci contenenti nuove sostanze attive, che hanno ricevuto parere favorevole, una quota rilevante riguarda i medicinali antineoplastici (25%), destinati al trattamento di alcuni tipi di tumori solidi (quali il tumore del polmone, del rene e vie urinarie, del tratto gastrointestinale, della cute e testa-collo, della mammella e il tumore ovarico) e del sangue (quali il linfoma), e i medicinali per il trattamento e la prevenzione delle malattie infettive (21,2%, prevalentemente vaccini). Seguono quelli per le malattie ematologiche (19,2%, principalmente per il trattamento di emofilie e di emoglobinuria parossistica notturna) e per le patologie del metabolismo (9,6%). Percentuali inferiori riguardano i medicinali dell'area terapeutica neurologica (tra cui un farmaco per la malattia di Alzheimer e uno per la sclerosi laterale amiotrofica), dermatologica, gastroenterologica, cardiovascolare, nefrologica/urologica, area diagnostica (2 medicinali per ciascuna area, pari al 3,8%) e immunologica (1 medicinale pari all'1,9%).

Tra i medicinali non orfani che hanno ricevuto il parere positivo dell'EMA, uno è un prodotto per terapie avanzate, Beqvez, indicato per il trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti.



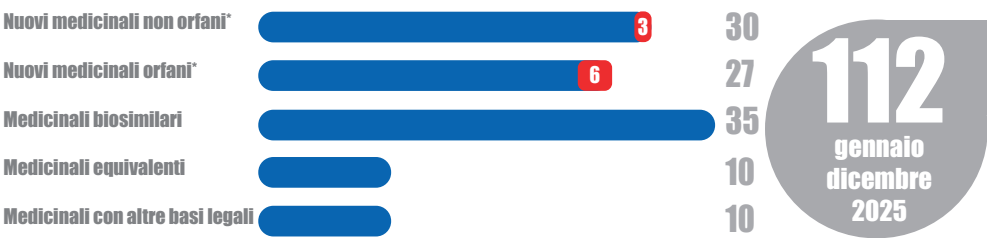
**sono compresi i prodotti per le terapie avanzate, nel box arancione*

Al momento della chiusura del database di riferimento e disponibilità dei dati (15 gennaio 2024), considerate le richieste di AIC pervenute all'EMA, nel 2025 è atteso un parere per 112

nuovi medicinali: 57 medicinali contenenti nuove sostanze attive (di cui 27 medicinali orfani per il trattamento di patologie rare e 30 medicinali non orfani), 35 medicinali biosimilari, 10 medicinali equivalenti e 10 medicinali con altre basi legali.

I medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione appartengono prevalentemente all’area terapeutica oncologica/oncoematologica (18, pari al 31,6%, di cui 13 per il trattamento di tumori solidi e 5 per quelli del sangue), l’area neurologica (9, 15,8%, tra cui due medicinali per la distrofia di Duchenne e due per la malattia di Alzheimer). Seguono le aree delle malattie del metabolismo, delle malattie infettive e quella ematologica, con 5 medicinali in valutazione per ciascuna di esse (8,8%); le altre si attestano su numeri inferiori.

Tra i medicinali attualmente in valutazione, 9 sono per terapie avanzate, di cui 6 medicinali orfani (per il trattamento dell’anemia di Fanconi, della distrofia muscolare di Duchenne, della leucemia linfoblastica acuta, di neoplasie ematologiche che richiedono il trapianto di cellule staminali allogeniche ematopoietiche, dell’epidermolisi bollosa distrofica e per la sindrome di Wiskott-Aldrich) e 3 medicinali non orfani (per il trattamento dei difetti della cartilagine del ginocchio, del melanoma e del tumore alla vescica).



**sono compresi i prodotti per le terapie avanzate, nel box arancione.*

NOTA PER LA LETTURA

Lo scenario dei medicinali in arrivo è basato sulle informazioni disponibili al momento della stesura del Rapporto (*cut-off* dei dati al 31 dicembre 2024).

Nella sezione relativa ai medicinali autorizzati, sono considerati i nuovi medicinali (quelli contenenti nuove sostanze attive, medicinali biosimilari, medicinali equivalenti e altre basi legali) e le nuove indicazioni terapeutiche di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto un parere positivo dal CHMP dell'EMA. Restano escluse, invece, le domande di AIC per le quali è stato emesso un parere negativo e quelle che sono state ritirate su richiesta dell'azienda titolare dell'AIC. Tutte le informazioni sui medicinali in corso di valutazione sono da considerarsi indicative e suscettibili di variazioni nel corso della procedura autorizzativa. In particolare, il numero dei medicinali autorizzati alla fine del 2025 potrebbe differire da quello stimato, per vari motivi: ritiro della richiesta di AIC da parte del titolare, diniego dell'AIC da parte del CHMP dell'EMA, conclusione dell'iter autorizzativo nell'anno successivo.

Vista la natura confidenziale delle informazioni riguardanti le indicazioni terapeutiche in valutazione, esse sono genericamente riportate facendo riferimento alla malattia/condizione clinica di utilizzo. Le indicazioni terapeutiche dettagliate, nonché le effettive date di parere del CHMP dell'EMA, saranno disponibili nei successivi Rapporti, se il medicinale dovesse nel frattempo ottenere un parere positivo.

Parte I

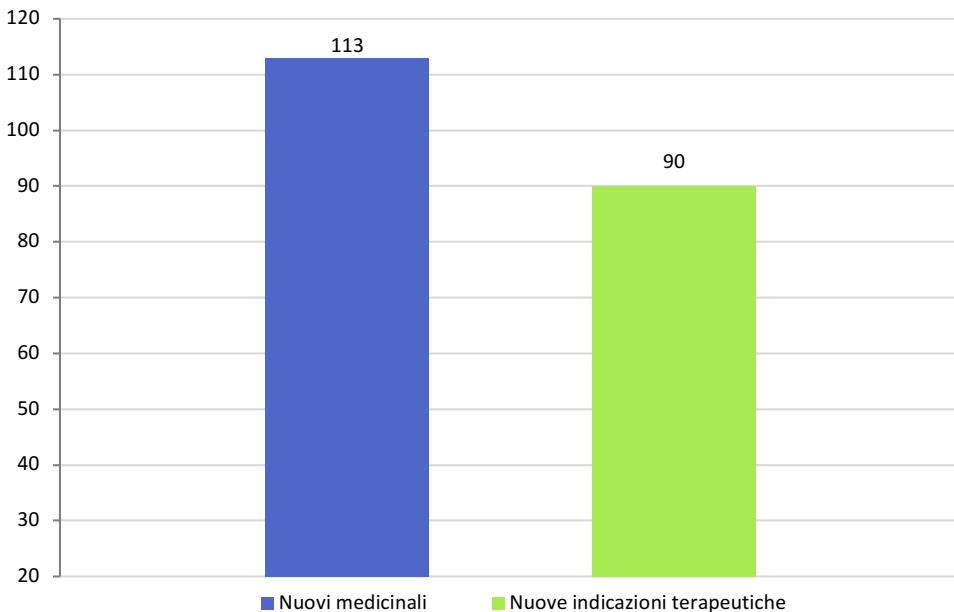
Medicinali autorizzati nel 2024

Horizon
Scanning
scenario dei medicinali in arrivo
Rapporto 2025

Il Rapporto Horizon Scanning prende in considerazione i medicinali costituiti da nuove sostanze attive, biosimilari, equivalenti e i farmaci con altre basi legali, compresi quelli contenenti sostanze attive note, quelli in combinazione a dose fissa, i medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione ibrida o di consenso informato. I medicinali per cui i titolari hanno ritirato la richiesta di AIC, invece, sono stati esclusi dall'analisi.

Nel 2024 il CHMP dell'EMA ha espresso un parere positivo all'AIC di 113 nuovi medicinali (escludendo un medicinale per il quale è stata ritirata l'AIC dopo parere positivo) e per 90 nuove indicazioni terapeutiche di medicinali precedentemente autorizzati (Figura 1.1).

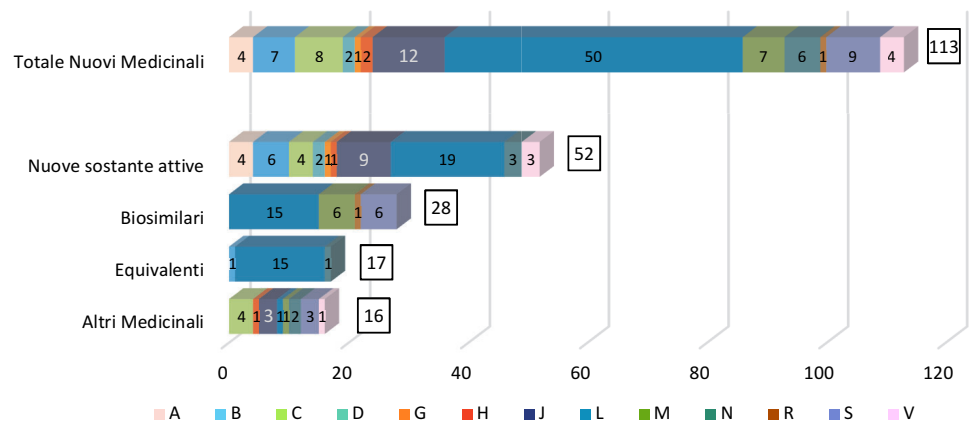
Figura 1.1 Nuovi medicinali e nuove indicazioni terapeutiche con parere positivo dell'EMA nel 2024.



NUOVI MEDICINALI

Dei 113 nuovi medicinali che hanno ottenuto il parere positivo dell’EMA nel 2024, 52 sono medicinali contenenti nuove sostanze attive (46%), 28 biosimilari (24,8%), 17 equivalenti (15%) e 16 medicinali con altre basi legali (14,2%) (Figura 1.2).

Figura 1.2 Nuovi medicinali con parere positivo dell’EMA nel 2024, divisi per tipologia e per ATC.



Nella Figura 1.2 è illustrata la distribuzione secondo il sistema di classificazione ATC dei nuovi medicinali approvati nel 2024, il 44,2% dei quali è rappresentato da antineoplastici e immunomodulatori appartenenti alla categoria ATC L (50). Seguono, in ordine decrescente, i medicinali appartenenti alle categorie ATC J (antinfettivi ad uso sistemico, 12) con il 10,6%, ATC S (organi di senso, 9) pari all’8%, ATC C (sistema cardiovascolare, 8) con il 7,1%, ATC B (sangue e organi emopoietici, 7) e ATC M (sistema muscoloscheletrico, 7), che rappresentano entrambi il 6,2% del totale dei nuovi medicinali autorizzati. I medicinali che contribuiscono con una percentuale pari o inferiore al 5% sono quelli relativi all’ATC N (sistema nervoso) con 6 medicinali (5,3%), ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo) e ATC V, entrambi con 4 medicinali (3,5%). Ancora meno numerosi sono i nuovi medicinali appartenenti ad altre categorie ATC.

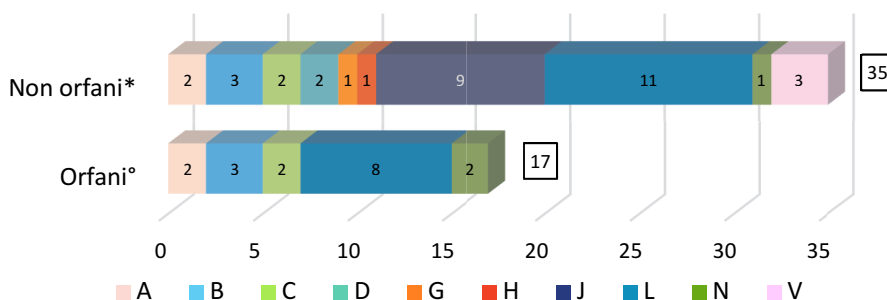
Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 52 medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell’EMA nel 2024, 35 sono medicinali senza designazione di farmaco orfano (67,3%) e 17 sono medicinali con designazione di farmaco orfano (32,7%) (Figura 1.3). Tra i

nuovi medicinali è stato approvato un prodotto per terapie avanzate, Beqvez (fidanacogene elaparvovec): inizialmente aveva ricevuto la designazione orfana, successivamente ritirata dal titolare dell'AIC.

La Figura 1.3 rappresenta la distribuzione dei medicinali contenenti nuove sostanze attive approvati nel 2024 in base al sistema di classificazione ATC e alla tipologia di designazione (non orfani, orfani).

Figura 1.3 Medicinali contenenti **nuove sostanze attive** con parere positivo dell'EMA nel 2024, divisi per designazione orfana e per ATC.



*Tra i medicinali non orfani è compreso anche un prodotto per terapie avanzate.

°Tra i medicinali orfani sono inclusi tre nuovi medicinali con designazione di farmaco orfano al momento del parere del CHMP, che successivamente è stata ritirata su richiesta dell'azienda o diniegata dal CHMP.

Medicinali non orfani contenenti nuove sostanze attive

Oltre la metà (57,1%) dei medicinali non orfani contenenti nuove sostanze è rappresentato dai farmaci antineoplastici e immunomodulatori - ATC L (11, pari al 31,4%), insieme agli agenti antinfettivi ad uso sistemico - ATC J (9, pari al 25,7%). Seguono, con una frequenza inferiore al 10%, le categorie ATC B - sangue e organi emopoietici e ATC V - Vari, con 3 medicinali per categoria (pari ciascuna all'8,6%), e le ATC A - apparato gastrointestinale e metabolismo, ATC C - sistema cardiovascolare e ATC D - dermatologici, con 2 medicinali per categoria (pari ciascuna al 5,7%). Seguono i medicinali appartenenti alle altre categorie ATC, come illustrato nella Figura 1.3. L'elenco completo, comprensivo delle indicazioni terapeutiche specifiche, dei nuovi medicinali non orfani è riportato nella Tabella 1.1.

Tabella 1.1 Elenco dei medicinali **non orfani**, contenenti nuove sostanze attive, che hanno ottenuto il parere positivo dell’EMA nel 2024, divise per ATC.

A - Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Awiqli	insulina icodec	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento del diabete mellito in adulti.	
Kayfanda	odevixibat	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento del prurito colestatico da sindrome di Alagille (ALGS) in pazienti di età pari o superiore ai 6 mesi.	
B - Sangue e organi ematopoietici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Beqvez	fidanacogene elaparovvec	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti senza un’anamnesi di inibitori del fattore IX e senza anticorpi rilevabili contro la variante AAV sierotipo Rh74.	
Alhemo	concizumab	17/10/2024
	Indicazione terapeutica: profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti con: • emofilia A (deficit congenito del fattore VIII) con inibitori del FVIII e di età pari o superiore a 12 anni. • emofilia B (deficit congenito del fattore IX) con inibitori del FIX e di età pari o superiore a 12 anni.	
Andembry	garadacimab	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: prevenzione di routine degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (<i>hereditary angioedema</i> , HAE) negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni.	
C - Sistema cardiovascolare		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Jeraygo	aprocitentan	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: indicato in pazienti adulti per il trattamento dell’ipertensione resistente, in associazione ad almeno tre medicinali antipertensivi.	
Beyontra	acoramidis	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’amiloidosi da transtiretina <i>wild type</i> o variante in pazienti adulti con cardiomiopatia (ATTR-CM).	
D - Dermatologici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Anzupgo	delgocitinib	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’eczema cronico delle mani (<i>chronic hand eczema</i> , CHE) da moderato a severo negli adulti per i quali i corticosteroidi topici sono inadeguati o inappropriati.	

D - Dermatologici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Nemludio	nemolizumab	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: • Dermatite atopica (DA): trattamento della dermatite atopica da moderata a severa in pazienti di età pari o superiore a 12 anni eleggibili per la terapia sistemica. • Prurigo nodulare (PN): trattamento di adulti con prurigo nodulare da moderata a grave eleggibili per la terapia sistemica.	
G - apparato genito-urinario e ormone sessuale		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Obgemsa	vibegron	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento sintomatico di pazienti adulti con sindrome della vescica iperattiva (<i>overactive bladder</i> - OAB).	
H - Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Zegalogue	dasiglucagone	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'ipoglicemia grave in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 6 anni affetti da diabete mellito.	
J - Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Exblifep	cefepime / enmetazobactam	25/01/2024
	Indicazione terapeutica: Trattamento delle seguenti infezioni negli adulti: • infezioni complicate del tratto urinario (cUTI), inclusa pielonefrite • polmonite acquisita in ospedale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP) • batteriemia che si verifica in associazione a, o si sospetta che sia associata a, una qualsiasi delle infezioni elencate sopra.	
Celldemic	vaccino influenzale zoonotico (H5N1) (antigene di superficie, inattivato, adiuvato)	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva contro il sottotipo H5N1 del virus A dell'influenza negli adulti e nella prima infanzia dai 6 mesi di età e oltre.	
Incellipan	vaccino influenzale pandemico (H5N1) (antigene di superficie, inattivato, adiuvato)	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva contro l'influenza in una pandemia ufficialmente dichiarata.	
Emblaveo	aztreonam / avibactam	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: indicato nei pazienti adulti per il trattamento delle seguenti infezioni: infezione intra-addominale complicata (cIAI) polmonite acquisita in ospedale (HAP), inclusa la polmonite associata a ventilazione meccanica (VAP) infezione complicata del tratto urinario (cUTI), inclusa pielonefrite. infezioni causate da microrganismi aerobi Gram-negativi in pazienti adulti con opzioni terapeutiche limitate.	

J - Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Fluenz	Vaccino antinfluenzale (vivo attenuato, nasale)	21/05/2024
	Indicazione terapeutica: profilassi dell’influenza in bambini e adolescenti di età compresa tra 24 mesi e 18 anni.	
Ixchiq	virus chikungunya (CHIKV) ceppo Δ5nsP3 (vivo, attenuato)	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia causata dal virus chikungunya (CHIKV) nei soggetti di età pari o superiore a 18 anni.	
Mresvia	vaccino a mRNA contro il virus respiratorio sinciziale (<i>Respiratory Syncytial Virus</i> , RSV)	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva nella prevenzione della malattia del tratto respiratorio inferiore (<i>lower respiratory tract disease</i> , LRTD) causata dal virus respiratorio sinciziale negli adulti di età pari o superiore a 60 anni.	
Kavigale	sipavibart	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: profilassi pre-esposizione al COVID-19 negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con peso corporeo di almeno 40 kg e immunocompromessi a causa di condizioni mediche o per l’assunzione di trattamenti immunosoppressivi.	
Kostaive	zapomeran	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per prevenire la malattia da COVID-19 causata da SARS-CoV-2 in soggetti di età pari o superiore a 18 anni.	
L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Ryzneuta	efbemalenograstim alfa	25/01/2024
	Indicazione terapeutica: riduzione della durata della neutropenia e dell’incidenza della neutropenia febbrile nei pazienti adulti trattati con chemioterapia citotossica per patologie maligne (ad eccezione della leucemia mieloide cronica e delle sindromi mielodisplastiche).	
Fruzaqla	fruquintinib	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con cancro del colon-retto metastatico (mCRC) che sono stati precedentemente trattati con le terapie standard disponibili, incluse le chemioterapie a base di fluoropirimidina, oxaliplatino e irinotecan, agenti anti-VEGF e agenti anti-EGFR e che hanno manifestato progressione o sono risultati intolleranti al trattamento con trifluridina-tipiracil o con regorafenib.	
Truqap	capivasertib	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione a fulvestrant, per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo al recettore degli estrogeni (oestrogen receptor, ER), HER2-negativo, con una o più alterazioni di PIK3CA/AKT1/PTEN in seguito a recidiva o progressione durante o dopo un regime a base endocrina.Nelle donne in pre- o perimenopausa il trattamento con Truqap più fulvestrant deve essere associato a un agonista dell’ormone di rilascio dell’ormone luteinizzante (<i>luteinizing hormone releasing hormone</i> , LHRH).Per gli uomini deve essere presa in considerazione la somministrazione di un agonista dell’LHRH secondo gli attuali standard di pratica clinica.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Cejemly	sugemalimab	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione a chemioterapia a base di platino è indicato per il trattamento di prima linea di adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non small cell lung cancer, NSCLC) metastatico in assenza di mutazioni sensibilizzanti di EGFR o berrazioni dei geni ALK, ROS1 o RET del tumore.	
Balversa	erdafitinib	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (UC) non resecabile o metastatico, portatori di alterazioni genetiche suscettibili di FGFR3, che abbiano precedentemente ricevuto almeno una linea di terapia con un inibitore di PD-1 o PD-L1 per malattia non resecabile o metastatica.	
Piasky	crovalimab	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con peso pari o superiore a 40 kg, affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi con sintomi clinici indicativi di elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo essere stati trattati con un inibitore del componente 5 (C5) del sistema del complemento per almeno gli ultimi 6 mesi.	
Loqtorzi	toripalimab	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione a cisplatino e gemcitabina, per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma nasofaringeo recidivante, non candidabile a chirurgia o radioterapia, o metastatico. in associazione a cisplatino e paclitaxel, per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule squamose dell'esofago non resecabile avanzato, recidivante o metastatico.	
Augtyro	repotrectinib	14/11/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia, per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato ROS1-positivo. Augtyro in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con tumori solidi in fase avanzata che esprimono una fusione genica di NTRK e che: • hanno ricevuto in precedenza un inibitore di NTRK oppure • non hanno ricevuto in precedenza un inibitore di NTRK e per i quali le opzioni terapeutiche non mirate a NTRK offrono un beneficio clinico limitato o sono state esaurite.	
Gohibic	vilobelimab	14/11/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti affetti da sindrome da distress respiratorio acuto (ARDS) indotta dal SARS-CoV-2, trattati con corticosteroidi sistemici nell'ambito dello standard di cura e sottoposti a ventilazione meccanica invasiva [con o senza ossigenazione extracorporea a membrana (ECMO)].	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Lazcluze	lazertinib	14/11/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione con amivantamab è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (<i>non-small cell lung cancer</i> , NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR.	
Welireg	belzutifan	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: • Carcinoma a cellule renali (<i>renal cell carcinoma</i>, RCC): in monoterapia nel trattamento di pazienti adulti con carcinoma a cellule renali avanzato a cellule chiare, progredito a seguito di due o più linee di terapia che includevano un inibitore di PD-(L)1 e di almeno due terapie mirate anti-VEGF. • Tumori associati alla malattia di von Hippel-Lindau (VHL): in monoterapia nel trattamento di pazienti adulti con malattia di von Hippel-Lindau che necessitano di terapia per carcinoma a cellule renali (RCC) localizzato, per emangioblastomi del sistema nervoso centrale (SNC) o per tumori neuroendocrini del pancreas (<i>pancreatic neuroendocrine tumours</i>, pNET) associati alla malattia di von Hippel-Lindau e per i quali le procedure locali non sono adeguate.	
N - Sistema nervoso		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Leqembi [#]	lecanemab	14/11/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con diagnosi clinica di lieve compromissione cognitiva e lieve demenza dovuta alla malattia di Alzheimer (malattia di Alzheimer precoce) che non sono portatori dell'allele ε4 del gene per l'apolipoproteina E (ApoE ε4) o sono portatori in eterozigosi con patologia amiloide confermata.	
V - Vari		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
GalliaPharm	germanio (68Ge) cloruro / gallio (68Ga) cloruro	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: questo generatore di radionuclidi non è destinato all'uso diretto nei pazienti. L'eluato sterile (soluzione di gallio (68Ga) cloruro) del generatore di radionuclidi Germanio cloruro (68Ge)/Gallio cloruro (68Ga) GalliaPharm è indicato per la radiomarcatura in vitro di vari kit radiofarmaceutici sviluppati e approvati per la radiomarcatura con questo eluato, da utilizzare nella tomografia ad emissione di positroni (PET).	
Tauvid	flortaucipir (18f)	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: medicinale solo per uso diagnostico. Flortaucipir (18F) è un radiofarmaco indicato per rilevare con la tomografia a emissione di positroni (PET) le immagini del cervello per valutare la distribuzione neocorticale dei grovigli neurofibrillari (NFT, neurofibrillary tangles) di proteina tau aggregata in pazienti adulti con deterioramento cognitivo che vengono valutati per la malattia di Alzheimer (AD, Alzheimer Disease). Flortaucipir (18F) è indicato in aggiunta alle valutazioni cliniche e ad altre valutazioni diagnostiche.	

V - Vari		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Siiltibcy	rdesat-6 / rcfp-10	17/10/2024
	Indicazione terapeutica: indicato come diagnostico per il rilevamento dell'infezione da Mycobacterium tuberculosis, inclusa la malattia, negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 28 giorni.	

medicinale con parere favorevole del CHMP dell'EMA ma in attesa dell'autorizzazione da parte della CE.

Medicinali orfani contenenti nuove sostanze attive

Come riportato nella Figura 1.3, il maggior numero di medicinali orfani contenenti nuove sostanze è rappresentato da farmaci antineoplastici e immunomodulatori (ATC L), che contribuiscono al 47% del totale dei medicinali orfani autorizzati nel 2024 (8). Seguono tre medicinali per le malattie del sangue e organi ematopoietici (17,6%) e due medicinali ciascuno per le patologie dell'apparato gastrointestinale e del metabolismo (ATC A), del sistema cardiovascolare (ATC C) e del sistema nervoso (ATC N) (11,8% per categoria). L'elenco completo dei medicinali orfani, incluse le indicazioni terapeutiche specifiche, è riportato nella Tabella 1.2.

Tabella 1.2 Elenco dei nuovi medicinali **orfani**, contenenti nuove sostanze attive, che hanno ottenuto il parere positivo dell’EMA nel 2024, divise per ATC.

A - Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Iqirvo	elafibranor	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primitiva (<i>primary biliary cholangitis</i> , PBC) in associazione con acido ursodesossilico (<i>ursodeoxycholic acid</i> , UDCA) in soggetti adulti che mostrano una risposta inadeguata all'UDCA oppure in monoterapia in pazienti che non sono in grado di tollerare l'UDCA.	
Seladelpar Gilead	seladelpar lisina diidrato	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primaria (<i>primary biliary cholangitis</i> , PBC) in combinazione con acido ursodesossilico (UDCA) negli adulti che hanno una risposta inadeguata a UDCA da solo, o in monoterapia in quelli ove UDCA non è tollerato.	
B - Sangue e organi ematopoietici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Altuvoc	efanesoctocog alfa	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia A (deficit congenito di fattore VIII). Altuvoc può essere utilizzato in tutte le fasce d'età.	
Adzynma	apadamtase alfa / cinaxadamtase alfa	30/05/2024
	Indicazione terapeutica: terapia enzimatica sostitutiva (TES) indicata per il trattamento del deficit di ADAMTS13 nei pazienti pediatrici e adulti affetti da porpora trombotica trombocitopenica congenita (cTTP, <i>congenital thrombotic thrombocytopenic purpura</i>).	
Hympavzi	marstacimab	19/09/2024
	Indicazione terapeutica: profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg, con: • emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII oppure • emofilia B severa (deficit congenito di fattore IX, FIX < 1%) senza inibitori del fattore IX.	
C - Sistema cardiovascolare		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Filspari	sparsentan	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento di adulti con nefropatia primaria da immunoglobulina A (IgAN) con un'escrezione di proteine urinarie > 1,0 g/die (o rapporto proteine-creatinina nelle urine ≥ 0,75 g/g).	
Winrevair	sotatercept	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione ad altre terapie per l'ipertensione arteriosa polmonare (<i>pulmonary arterial hypertension</i> , PAH), per il trattamento della PAH in pazienti adulti di classe funzionale (<i>Functional Class</i> , FC) da II a III dell'OMS, per migliorare la capacità di esercizio fisico.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Voydeya	danicopan	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione con ravulizumab o con eculizumab, per il trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica residua.	
Zynyz	retifanlimab	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel (<i>Merkel cell carcinoma</i> - MCC) metastatico o recidivato localmente avanzato non resecabile e non candidabili a radioterapia.	
Fabhalta	iptacopan	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica.	
Ordspono	odronextamab	27/06/2024
	Indicazione terapeutica: • in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con linfoma follicolare recidivante o refrattario (FL r/r) dopo due o più linee di terapia sistemica. • in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante o refrattario (DLBCL r/r), dopo due o più linee di terapia sistemica.	
Vyloy	zolbetuximab	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: in associazione a chemioterapia contenente fluoropirimidina e platino, per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastro-esofagea (GGE) HER2 negativo localmente avanzato non resecabile o metastatico, i cui tumori sono positivi alla claudina (CLDN) 18.2.	
Elahere	mirvetuximab soravtansine	19/09/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia per il trattamento di pazienti adulte con cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo, positivo al recettore alfa dei folati (FR α), platino-resistente, sieroso di alto grado, che hanno ricevuto da uno a tre precedenti regimi di trattamento sistemico.	
Hetronifly	serplulimab	19/09/2024
	Indicazione terapeutica: in combinazione con carboplatino ed etoposide per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC).	
Rytelo	imetelstat	12/12/2024
	Indicazione terapeutica: in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con anemia trasfusione dipendente secondaria a sindromi mielodisplastiche (MDS) a rischio molto basso, basso o intermedio senza anomalia citogenetica di delezione isolata 5q (non-del 5q) e che abbiano risposto in modo insoddisfacente o siano non idonei a una terapia a base di eritropoietina.	

N - Sistema nervoso		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Qalsody	tofersen	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento di adulti affetti da sclerosi laterale amiotrofica (SLA), associata a una mutazione nel gene superossido dismutasi 1 (SOD1).	
Wainzua	eplontersen	17/10/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (hereditary transthyretin-mediated amyloidosis, ATTRv) in pazienti adulti con polineuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2.	

Medicinali per terapie avanzate

Nel 2024 ha ricevuto parere positivo un medicinale per terapie avanzate, Beqvez, indicato per il trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti, come riportato nella Tabella 1.3.

Tabella 1.3 Nuovo medicinale per **terapie avanzate** che ha ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2024.

NOME COMMERCIALE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	FARMACO ORFANO
B - Sangue ed organi emopoietici			
Beqvez	fidanacogene elaparovvec	30/05/2024	NO
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti senza un'anamnesi di inibitori del fattore IX e senza anticorpi rilevabili contro la variante AAV sierotipo Rh74.		

Medicinali biosimilari

Nel 2024 il CHMP dell'EMA ha espresso parere positivo all'AIC di 28 medicinali biosimilari. Come riportato nella Figura 1.2, i biosimilari approvati nel 2024 appartengono alle categorie: ATC L - farmaci antineoplastici e immunomodulatori (15, pari al 53,6%), ATC M - sistema muscoloscheletrico e ATC S - farmaci degli organi di senso (6, pari al 21,4% per categoria), ATC R - sistema respiratorio (1, pari al 3,6%). L'elenco completo dei medicinali biosimilari è riportato nella Tabella 1.4.

Tabella 1.4 Elenco dei medicinali **biosimilari** che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2024, divisi per ATC.

NOME COMMERCIALE	SOSTANZA ATTIVA	PARERE EMA	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori			
Pyzchiva	ustekinumab	22/02/2024	Stelara
Tofidence	tocilizumab	25/04/2024	RoActemra
Wezenla	ustekinumab	25/04/2024	Stelara
Avzivi	bevacizumab	30/05/2024	Avastin
Steqeyma	ustekinumab	27/06/2024	Stelara
Eksunbi	ustekinumab	25/07/2024	Stelara
Fymskina	ustekinumab	25/07/2024	Stelara
Ituxredi	rituximab	25/07/2024	MabThera
Otulfi	ustekinumab	25/07/2024	Stelara
Tuznue	trastuzumab	25/07/2024	Herceptin
Absimky	ustekinumab	17/10/2024	Stelara
Imuldosa	ustekinumab	17/10/2024	Stelara
Avtozma	tocilizumab	12/12/2024	RoActemra
Yesintek	ustekinumab	12/12/2024	Stelara
Zefylti	filgrastim	12/12/2024	Neupogen
M - Sistema muscolo-scheletrico			
Jubbonti	denosumab	21/03/2024	Prolia
Wyost	denosumab	21/03/2024	Xgeva
Obodence	denosumab	14/11/2024	Prolia
Xbryk	denosumab	14/11/2024	Xgeva
Osenvelt	denosumab	12/12/2024	Xgeva
Stoboclo	denosumab	12/12/2024	Prolia
R - Sistema respiratorio			
Omlyclo	omalizumab	21/03/2024	Xolair
S - Organi di senso			
Ranibizumab Midas	ranibizumab	25/07/2024	Lucentis
Afqlir	aflibercept	19/09/2024	Eylea
Opuviz	aflibercept	19/09/2024	Eylea
Ahzantive	aflibercept	14/11/2024	Eylea
Baiama	aflibercept	14/11/2024	Eylea
Eydenzelt	aflibercept	12/12/2024	Eylea

Medicinali equivalenti

Nel 2024 il CHMP dell’EMA ha espresso parere positivo all’AIC di 17 medicinali equivalenti. Come riportato nella Figura 1.2, la categoria prevalentemente rappresentata è l’ATC L - farmaci antineoplastici e immunomodulatori (15, pari all’ 88,2%). Sono presenti le ATC C - sistema cardiovascolare e ATC N - sistema nervoso, con un medicinale per categoria (5,9%). L’elenco completo dei medicinali equivalenti è riportato nella Tabella 1.5.

Tabella 1.5 Elenco dei medicinali **equivalenti** che hanno ottenuto il parere positivo dell’EMA nel 2024, divisi per ATC.

NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE DI RIFERIMENTO
B - Sangue e organi ematopoietici			
Eltrombopag Viatris	eltrombopag	17/10/2024	Revolade
L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori			
Apremilast Accord	apremilast	22/02/2024	Otezla
Nintedanib Accord	nintedanib	22/02/2024	Ofev
Dimethyl fumarate Accord	dimethyl fumarate	21/03/2024	Tecfidera
Dimethyl fumarate Mylan	dimethyl fumarate	21/03/2024	Tecfidera
Dimethyl fumarate Neuraxpharm	dimethyl fumarate	21/03/2024	Tecfidera
Eribulin Baxter	eribulin	25/04/2024	Halaven
Apexelsin	paclitaxel	30/05/2024	Abraxane
Dasatinib Accord Healthcare	dasatinib	30/05/2024	Sprycel
Pomalidomide Accord	pomalidomide	30/05/2024	Imnovid
Pomalidomide Krka	pomalidomide	30/05/2024	Imnovid
Pomalidomide Zentiva	pomalidomide	30/05/2024	Imnovid
Enzalutamide Viatris	enzalutamide	27/06/2024	Xtandi
Nilotinib Accord	nilotinib	27/06/2024	Tasigna
Axitinib Accord	axitinib	25/07/2024	Inlyta
Pomalidomide Teva	pomalidomide	19/09/2024	Imnovid
N - Sistema nervoso			
Niapelf	paliperidone	25/01/2024	Xeplion

Medicinali con altre basi legali

Nel 2024 il CHMP dell’EMA ha espresso parere positivo all’AIC di 16 medicinali con diversa base legale, inclusi quelli contenenti sostanze attive note, quelli in combinazione a dose fissa e i medicinali sottoposti a una procedura di autorizzazione ibrida. Come riportato nella Figura 1.2, sono rappresentate diverse categorie, tra cui l’ATC C - farmaci del sistema cardiovascolare con 4 medicinali (pari al 25%), le ATC J e ATC S con 3 medicinali per categoria (18,8%). Tra questi, tre medicinali hanno ricevuto una designazione orfana per il trattamento della tireotossicosi periferica nei pazienti con sindrome di Allan-Herndon-Dudley (tiratricosol - Emcitate), la cheratite da Acanthamoeba (poliesanide - Akantior) e l’ipertermia maligna (dantrolene - Agilus). Relativamente a quest’ultimo, si fa presente che il medicinale ha perso la designazione orfana a seguito di rivalutazione al momento del parere del CHMP.

L’elenco completo dei medicinali equivalenti è riportato nella Tabella 1.6.

Tabella 1.6 Elenco dei medicinali con altre basi legali che hanno ottenuto il parere positivo dell’EMA nel 2024, divisi per ATC.

C - Sistema cardiovascolare				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Neoatrimon	dopamina cloridrato	21/03/2024	NO	Ibrido
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’ipotensione nei neonati, nella prima infanzia e nei bambini emodinamicamente instabili < 18 anni.			
Eurneffy	epinephrine	27/06/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: trattamento d’emergenza delle reazioni allergiche (anafilassi) dovute a punture o morsi di insetti, alimenti, medicinali e altri allergeni nonché dell’anafilassi idiopatica o indotta dall’esercizio fisico. Il trattamento è indicato per adulti e bambini con un peso corporeo ≥ 30 kg.			
Yuvanci	macitentan / tadalafil	25/07/2024	NO	Combinazione fissa
	Indicazione terapeutica: terapia sostitutiva per il trattamento a lungo termine dell’ipertensione arteriosa polmonare (<i>Pulmonary Arterial Hypertension</i> , PAH) in pazienti adulti in classe funzionale (FC) II e III dell’OMS, che sono già in trattamento con la combinazione di macitentan e tadalafil somministrate contemporaneamente in compresse separate.			
Paxneuryegic	guanfacina cloridrato	12/12/2024	NO	Ibrido
	Indicazione terapeutica: trattamento del disturbo da deficit di attenzione/iperattività (ADHD) nei bambini e adolescenti da 6 a 17 anni per i quali gli stimolanti non sono idonei, non sono tollerati o si sono dimostrati inefficaci.			

H - Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Emcitate	tiratricol	12/12/2024	SI	Ibrido
	Indicazione terapeutica: trattamento della tireotossicosi periferica nei pazienti di tutte le età con deficit del trasportatore 8 dei monocarbossilati (MCT8) (sindrome di Allan-Herndon-Dudley).			
J - Antinfettivi ad uso sistemico				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Fluad Tetra	Vaccino antinfluenzale (antigene di superficie, inattivato, adiuvato)	17/10/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: profilassi dell'influenza negli adulti di età pari o superiore a 50 anni.			
Flucelvax Tetra	Vaccino antinfluenzale (antigene di superficie, inattivato)	17/10/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: profilassi dell'influenza negli adulti e nei bambini a partire da 6 mesi di età.			
Penbraya	Vaccino coniugato anti-meningococco gruppo A, C, W, Y e gruppo B (ricombinante, adsorbito)	19/09/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva di soggetti di età pari o superiore a 10 anni al fine di prevenire la malattia invasiva causata da <i>Neisseria meningitidis</i> gruppo A, B, C, W e Y.			
L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Korjuny	catumaxomab	17/10/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: trattamento intraperitoneale dell'ascite maligna in adulti affetti da carcinomi positivi alla molecola di adesione delle cellule epiteliali (EpCAM) e non idonei a un'ulteriore terapia antitumorale sistemica.			
M - Sistema muscolo-scheletrico				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Agilus	dantrolene sodico emieptaidrato	21/03/2024	SI (iniziale designazione rimossa al momento dell'AIC)	Ibrido
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'ipertermia maligna negli adulti e nei bambini di tutte le età, in associazione con adeguate misure di supporto.			

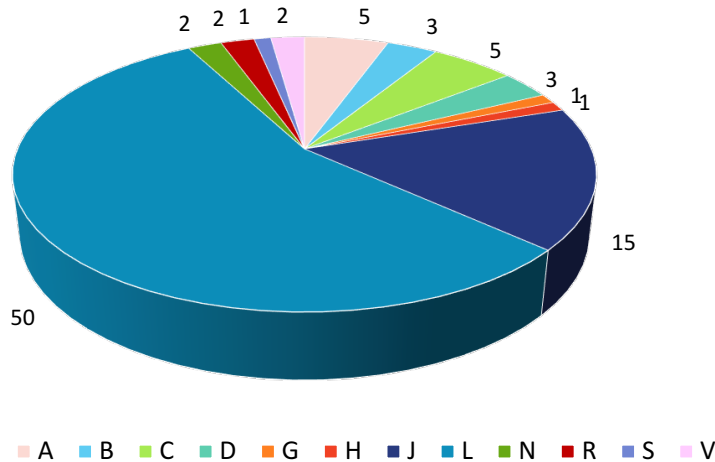
N - Sistema nervoso				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Buprenorphine Neuraxpharm	buprenorfina	17/10/2024	NO	Ibrido
	Indicazione terapeutica: trattamento sostitutivo per la dipendenza da oppioidi, nell'ambito di un trattamento medico, sociale e psicologico in adulti e adolescenti di età superiore ai 15 anni che abbiano accettato di essere trattati per la loro dipendenza.			
Tuzulby	metilfenidato cloridrato	12/12/2024	NO	Ibrido
	Indicazione terapeutica: indicato come parte di un programma di trattamento completo del disturbo da deficit di attenzione e iperattività (ADHD) in bambini e adolescenti da 6 a 17 anni in cui le sole misure correttive si dimostrino insufficienti.			
S - Organi di senso				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Lytenava	bevacizumab	21/03/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: trattamento di adulti con degenerazione maculare neovascolare (umida) correlata all'età (nAMD).			
Akantior	poliesanide	30/05/2024	SI	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: trattamento della cheratite da Acanthamoeba negli adulti e nei bambini a partire dai 12 anni di età.			
Vevizye	ciclosporina	25/07/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: trattamento della sindrome dell'occhio secco (cheratocongiuntivite secca) da moderata a severa in pazienti adulti, che non è migliorata nonostante il trattamento con lacrime artificiali.			
V - Vari				
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA	MEDICINALE ORFANO	BASE LEGALE
Theralugand	lutezio (177Lu) cloruro	19/09/2024	NO	Sostanza attiva nota
	Indicazione terapeutica: Theralugand è un precursore radiofarmaceutico. Non è destinato all'uso diretto nei pazienti. Deve essere utilizzato esclusivamente per la marcatura radioattiva di molecole carrier che siano state specificamente sviluppate e autorizzate per la marcatura con lutezio (177Lu) cloruro.			

NUOVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE DI MEDICINALI GIÀ AUTORIZZATI

Nel corso del 2024, 90 nuove indicazioni di medicinali già autorizzati hanno ricevuto un parere positivo del CHMP dell’EMA. Le estensioni di indicazione hanno coinvolto un totale di 79 medicinali già autorizzati. Nella Figura 1.4 è illustrata la distribuzione secondo il sistema di classificazione ATC delle nuove indicazioni terapeutiche approvate nel 2024.

Figura 1.4 Nuove **indicazioni terapeutiche** di medicinali già autorizzati con parere positivo dell’EMA nel 2024 divise per ATC.

90 nuove indicazioni



Il maggior numero di nuove indicazioni terapeutiche riguarda i farmaci antineoplastici e immunomodulatori (ATC L), che con 50 nuove indicazioni rappresentano il 55,6% del totale. Seguono, in ordine decrescente, le nuove indicazioni terapeutiche relative agli agenti antifettivi per uso sistemico - ATC J (15, pari al 16,7%), ai farmaci del sistema cardiovascolare - ATC C e dell’apparato gastrointestinale e metabolismo - ATC A (5, pari al 5,6% per ciascuna categoria), a quelli del sangue e organi emopoietici - ATC B e dermatologici - ATC D (3, pari al 3,3% per ciascuna categoria). In riferimento ai farmaci per il sistema nervoso (ATC N), respiratorio (ATC R) e a quelli inclusi nella categoria Vari (ATC V), il CHMP dell’EMA ha espresso parere positivo per due nuove indicazioni per ciascuna categoria, pari al 2,2%. Seguono le categorie dei farmaci del sistema genito-urinario e ormoni sessuali (ATC G), dei preparati ormonali sistemici (ATC H) e degli organi di senso (ATC S), con un medicinale ciascuna (1,1%). L’elenco completo

delle nuove indicazioni terapeutiche è riportato nella Tabella 1.7. In caso di aggiunta di una nuova indicazione terapeutica è stata riportata la formulazione come esattamente descritta nell'EPAR o nel SmPC, mentre in caso di modifica di una indicazione già autorizzata è stata indicata la tipologia della variazione/estensione.

Tabella 1.7 Elenco delle **nuove indicazioni terapeutiche** di medicinali già autorizzati che hanno ottenuto il parere positivo dell'EMA nel 2024, divise per ATC.

A - Apparato gastrointestinale e metabolismo		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Kinpeygo	budesonide	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento di adulti affetti da nefropatia primaria da immunoglobulina A (IgAN) con escrezione proteica urinaria $\geq 1,0$ g/giorno (o rapporto proteine /creatinina nelle urine $\geq 0,8$ g/g).	
Livmarli	maralixibat	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC) in pazienti di età pari e superiore a 3 mesi.	
Imcivree	setmelanotide	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: trattamento dell'obesità e controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS), deficit di pro-opiomelanocortina (POMC), compreso PCSK1, con perdita di funzione bi-allelica, o deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR) geneticamente confermati anche nei bambini tra 2 e 6 anni.	
Synjardy	empagliflozin/metformina	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento del diabete mellito di tipo 2 anche nei bambini di età pari o superiore a 10 anni.	
Cerdelga	eliglustat	17/10/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Popolazione pediatrica (da 6 a <18 anni di età) con peso ≥ 15 kg.</u> Cerdelga è indicato per i pazienti pediatrici con GD1 di età pari o superiore a 6 anni con un peso corporeo minimo di 15 kg, che sono stabili in terapia enzimatica sostitutiva (ERT) e che sono PM, IM o EM per CYP2D6.	
B - Sangue e organi ematopoietici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Reblozyl	luspatercept	22/02/2024
	Estensione dell'indicazione: nell'ambito del trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta alle sindromi mielodisplastiche, eliminazione della limitazione di utilizzo nelle forme con sideroblasti ad anello e nei pazienti con risposta insoddisfacente o non idonei alla terapia a base di eritropoietina.	

B - Sangue e organi ematopoietici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Eliquis	apixaban	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Popolazione pediatrica</u> Trattamento del tromboembolismo venoso (TEV) e prevenzione del TEV ricorrente nei pazienti pediatrici di età compresa tra 28 giorni e meno di 18 anni.	
Esperoct	turoctocog alfa pegol	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per il trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti di tutte le fasce di età affetti da emofilia A (deficit congenito di fattore VIII).	
C - Sistema cardiovascolare		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Nilemdo	acido bempedoico	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Malattia cardiovascolare</u> Nilemdo è indicato negli adulti affetti da malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata o ad alto rischio di malattia cardiovascolare aterosclerotica, per ridurre il rischio cardiovascolare riducendo i livelli di C-LDL, in aggiunta alla correzione di altri fattori di rischio: • nei pazienti in trattamento con una dose massima tollerata di una statina con o senza ezetimibe oppure • in monoterapia o in associazione a ezetimibe in pazienti intolleranti alle statine o nei quali ne è controindicato l'uso	
Nustendi	acido bempedoico / ezetimibe	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Malattia cardiovascolare</u> Nustendi è indicato negli adulti affetti da malattia cardiovascolare aterosclerotica accertata o ad alto rischio di malattia cardiovascolare aterosclerotica, per ridurre il rischio cardiovascolare riducendo i livelli di C-LDL, in aggiunta alla correzione di altri fattori di rischio: • nei pazienti in trattamento con una dose massima tollerata di una statina e non adeguatamente controllati con il trattamento con ezetimibe oppure • nei pazienti intolleranti alle statine o nei quali ne è controindicato l'uso e non adeguatamente controllati con il trattamento con ezetimibe oppure • nei pazienti già in trattamento con l'associazione di acido bempedoico ed ezetimibe sotto forma di compresse distinte.	
Opsumit	macitentan	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'utilizzo di Opsumit, sia in monoterapia che in associazione, per il trattamento a lungo termine dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH) anche nei pazienti pediatrici di età inferiore a 18 anni e peso corporeo ≥ 40 kg in classe funzionale II e III dell'OMS.	

C - Sistema cardiovascolare		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Pravafenix	fenofibrate/pravastatin sodium	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'utilizzo nel trattamento dei pazienti adulti ad alto rischio cardiovascolare con iperlipidemia mista nei casi in cui i livelli di colesterolo LDL sono adeguatamente controllati non solo con la pravastatina in monoterapia, ma anche con un'altra statina a moderata intensità.	
Evkeeza	evinacumab	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH), in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C).	
D - Dermatologici		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Cibinqo	abrocitinib	22/02/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento della dermatite atopica da moderata a severa anche negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni candidati alla terapia sistemica.	
Dupixent	dupilumab	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO)</u> Dupixent è indicato negli adulti come trattamento di mantenimento aggiuntivo per la broncopneumopatia cronica ostruttiva (BPCO) non controllata, caratterizzata da un aumento degli eosinofili ematici, in combinazione con un corticosteroide per via inalatoria (inhaled corticosteroid, ICS), un beta2-agonista a lunga durata d'azione (<i>long-acting beta2-agonist</i> , LABA) e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione (<i>long-acting muscarinic antagonist</i> , LAMA) o da un'associazione di un LABA e di un LAMA se l'ICS non è appropriato.	
Dupixent	dupilumab	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'esofagite eosinofila anche nei bambini di età pari o superiore a 1 anno, di peso pari o superiore a 15 kg.	
G - apparato genito-urinario e ormone sessuale		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Betmiga	mirabegron	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Iperattività detrusoriale neurogena nella popolazione pediatrica</u> Betmiga compresse a rilascio prolungato è indicato per il trattamento dell'iperattività detrusoriale neurogena (<i>neurogenic detrusor overactivity</i> - NDO) in pazienti pediatrici di età compresa tra 3 e meno di 18 anni.	

H - Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Yselyt	linzagolix colina	17/10/2024
	Estensione dell'indicazione: trattamento sintomatico dell'endometriosi nelle donne precedentemente trattate farmacologicamente o chirurgicamente per l'endometriosi.	
J - Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Prevenar 20	Vaccino pneumococcico polisaccaridico coniugato (20-valente, adsorbito)	25/01/2024
	Estensione dell'indicazione: Immunizzazione attiva per la prevenzione di patologie invasive, polmonite e otite media acuta causate da <i>Streptococcus pneumoniae</i> in lattanti, bambini e adolescenti di età compresa tra 6 settimane e 18 anni non compiuti.	
Sirturo	bedaquilina	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: modifica del requisito relativo alla resistenza MDR-TB, consentendo il trattamento di infezioni da <i>Mycobacterium tuberculosis</i> (TB) resistente almeno a rifampicina e isoniazide.	
Triumeq	dolutegravir / abacavir / lamivudina	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'infezione da HIV-1 anche nei bambini di età pari o superiore a 3 mesi e di peso compreso da 6 a 25 kg.	
Beyfortus	nirsevimab	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere la prevenzione della patologia delle vie respiratorie inferiori causata dal virus respiratorio sinciziale (VRS) anche bambini fino a 24 mesi di età che rimangono vulnerabili alla malattia severa da VRS durante la loro seconda stagione di VRS.	
Cresemba	isavuconazolo	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Formulazione polvere per concentrato per soluzione per infusione:</u> estensione anche ai pazienti pediatrici con età superiore a 1 anno del trattamento di aspergillosi invasiva e mucormicosi in pazienti per i quali il trattamento con amfotericina B non è appropriato. <u>Formulazione capsule rigide:</u> estensione anche ai pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 anni del trattamento di aspergillosi invasiva e mucormicosi in pazienti per i quali il trattamento con amfotericina B non è appropriato.	
Infanrix hexa	Vaccino (adsorbito) antidifterico (D), antitetanico (T), antipertossico (componente acellulare) (Pa), antiepatite B (rDNA) (HBV), antipoliomielitico (inattivato) (IPV) e anti-Haemophilus influenzae tipo b (Hib) coniugato.	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere la vaccinazione primaria e di richiamo (booster) contro difterite, tetano, pertosse, epatite B, poliomielite e malattia causata da <i>Haemophilus influenzae</i> tipo B anche nei lattanti a partire dalle 6 settimane di età.	

J - Antinfettivi ad uso sistemico		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Arexvy	Vaccino per il Virus Respiratorio Sinciziale (RSV) (ricombinante, adiuvato)	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia del tratto respiratorio inferiore (LRTD) provocata dal virus respiratorio sinciziale anche negli adulti di età compresa tra 50 e 59 anni che sono a maggior rischio di malattia da RSV.	
Edurant	rilpivirina	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'infezione da HIV-1 anche nei pazienti pediatrici di peso pari o superiore a 25kg, senza mutazioni associate alla resistenza agli inibitori non nucleosidici della trascrittasi inversa (NNRTI).	
Aflunov	Vaccino influenzale zoonotico (H5N1) (antigene di superficie, inattivato, adiuvato)	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'immunizzazione attiva contro il sottotipo H5N1 del virus A dell'influenza in soggetti a partire da 6 mesi di età.	
Imvanex	Vaccino antivaiolo (virus vaccinico vivo Ankara modificato)	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'immunizzazione attiva per la prevenzione del vaiolo, del vaiolo delle scimmie e della malattia da virus vaccinico nei soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	
Zavicefta	ceftazidima / avibactam	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere i pazienti pediatrici dalla nascita per il trattamento delle seguenti infezioni: infezione intra-addominale complicata, infezione complicata del tratto urinario, polmonite acquisita in ospedale, infezioni causate da microrganismi Gram-negativi aerobi con opzioni terapeutiche limitate.	
Hepcludex	bulevirtide	17/10/2024
	Estensione dell'indicazione: per il trattamento dell'infezione da virus dell'epatite delta (HDV) cronica anche nei pazienti pediatrici di età pari o superiore a 3 anni che pesano almeno 10 kg con malattia epatica compensata.	
Flucelvax Tetra	Vaccino antinfluenzale (antigene di superficie, inattivato)	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere la profilassi dell'influenza a partire da 6 mesi di età.	
Rekamby	rilpivirina	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'infezione da HIV-1 anche negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg.	
Vocabria	cabotegravir	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'infezione da HIV-1 anche negli adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Abecma	idecabtagene vicleucel	25/01/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante e refrattario che hanno ricevuto almeno due precedenti terapie, inclusi un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, e che hanno dimostrato progressione della malattia durante l'ultima terapia.	
Aspaveli	pegcetacoplan	25/01/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, come monoterapia, il trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica, indipendentemente dal trattamento precedente.	
Retsevmo	selpercatinib	25/01/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, come monoterapia, anche il trattamento di adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con cancro della tiroide avanzato RET fusione-positivo che sono refrattari allo iodio radioattivo (se lo iodio radioattivo è appropriato).	
Carvykti	ciltacabtagene autoleucel	16/02/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno una precedente terapia, inclusi un agente immunomodulante e un inibitore del proteasoma, nei quali si è verificata progressione della malattia durante l'ultima terapia e sono refrattari a lenalidomide.	
Keytruda	pembrolizumab	22/02/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in associazione a chemioterapia contenente platino il trattamento neoadiuvante e poi continuato in monoterapia come trattamento adiuvante del carcinoma polmonare non a piccole cellule resecabile ad alto rischio di recidiva negli adulti.	
Xromi	idrossicarbamide	22/02/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere la prevenzione delle complicanze vaso-occlusive della malattia a cellule falciformi anche nella fascia di età tra 9 mesi e 2 anni.	
Bimzelx	bimekizumab	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: trattamento dell'idrosadenite suppurativa (<i>hidradenitis suppurativa</i> , HS) attiva da moderata a severa (acne inversa) in pazienti adulti con una risposta inadeguata alla terapia sistemica convenzionale per l'HS.	
Onivyde pegylated liposomal	irinotecan cloridrato triidrato	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere anche la prima linea di trattamento dell'adenocarcinoma metastatico del pancreas negli adulti, in combinazione con oxaliplatino, 5 fluorouracile (5FU) e leucovorina (LV).	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Xtandi	enzalutamide	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in monoterapia o in combinazione con terapia di deprivazione androgenica, il trattamento di adulti affetti da cancro della prostata ormono-sensibile (nmHSPC) non metastatico ad alto rischio di recidiva biochimica (BCR) che non sono idonei alla radioterapia di salvataggio.	
Retsevmo	selpercatinib	21/03/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, come monoterapia, anche il trattamento di adulti con tumori solidi avanzati RET fusione-positivi, quando le opzioni terapeutiche non mirate a RET forniscono un beneficio clinico limitato o sono state esaurite.	
Alecensa	alectinib	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Trattamento adiuvante del cancro polmonare non a piccole cellule (NSCLC) resecabile</u> Alecensa, in monoterapia è indicato come trattamento adiuvante dopo completa resezione del tumore in pazienti adulti affetti da NSCLC ALK-positivo, ad alto rischio di recidiva.	
Opdivo	nivolumab	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere nei pazienti adulti con carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico, anche il trattamento in prima linea, in associazione a cisplatino e gemcitabina.	
Rozlytrek	entrectinib	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dei tumori solidi che esprimono una fusione genica del recettore tirosin-chinasico neurotrofico (NTRK) anche nei pazienti pediatrici di età superiore a 1 mese.	
Rybrevant	amivantamab	25/04/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in combinazione con carboplatino e pemetrexed, anche il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato con mutazioni attivanti l'inserzione dell'esone 20 dell'EGFR.	
Skyrizi	risankizumab	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Colite ulcerosa</u> Skyrizi è indicato per il trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a severo, che hanno manifestato una risposta inadeguata, una perdita di risposta o un'intolleranza alla terapia convenzionale o a una terapia biologica.	
Tagrisso	osimertinib	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in associazione con pemetrexed e chemioterapia a base di platino, il trattamento di prima linea di pazienti adulti con NSCLC avanzato con delezione dell'esone 19 dell'EGFR o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R).	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Tevimbra	tislelizumab	30/05/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC)</u> Tevimbra, in combinazione con pemetrexed e chemioterapia contenente platino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da NSCLC non squamoso i cui tumori presentano l'espressione di PDL1 su ≥50% di cellule tumorali senza mutazione positiva di EGFR o di ALK e che hanno: • NSCLC localmente avanzato e non sono candidabili alla resezione chirurgica o alla radiochemioterapia a base di platino, o • NSCLC metastatico. Tevimbra, in combinazione con carboplatino e paclitaxel o nab-paclitaxel, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da NSCLC squamoso che hanno: • NSCLC localmente avanzato e non sono candidabili alla resezione chirurgica o alla radiochemioterapia a base di platino, o • NSCLC metastatico. Tevimbra come monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da NSCLC localmente avanzato o metastatico, dopo una precedente chemioterapia a base di platino. I pazienti affetti da NSCLC EGFR mutato o ALK positivo devono aver ricevuto anche terapie mirate prima di assumere tislelizumab.	
Imfinzi	durvalumab	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Carcinoma dell'endometrio</u> Imfinzi in associazione a carboplatino e paclitaxel è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulte con carcinoma dell'endometrio primario avanzato o recidivante che sono candidate alla terapia sistemica, seguito dal trattamento di mantenimento con: • Imfinzi in monoterapia nel carcinoma dell'endometrio <i>mismatch repair deficient</i> (dMMR) • Imfinzi in associazione a olaparib nel carcinoma dell'endometrio <i>mismatch repair proficient</i> (pMMR).	
Lynparza	olaparib	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Carcinoma dell'endometrio</u> Lynparza in associazione a durvalumab è indicato per il trattamento di mantenimento di pazienti adulte con carcinoma dell'endometrio primario avanzato o recidivante <i>mismatch repair proficient</i> (pMMR) la cui malattia non è progredita durante il trattamento di prima linea con durvalumab in associazione a carboplatino e paclitaxel.	
Pegasy	peginterferone alfa-2a	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Policitemia vera</u> : indicato in monoterapia negli adulti per il trattamento della policitemia vera. <u>Trombocitemia essenziale</u> : indicato in monoterapia negli adulti per il trattamento della trombocitemia essenziale.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Tepkinly	epcoritamab	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: Tepkinly, in monoterapia, è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma follicolare (FL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.	
Xalkori	crizotinib	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento del linfoma anaplastico a grandi cellule (ALCL), recidivante o refrattario, ALK positivo e il trattamento del tumore miofibroblastico infiammatorio (IMT), recidivante o refrattario, ALK positivo anche nei pazienti pediatrici di età pari o superiore a 1 anno.	
Mektovi	binimetinib	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)</u> Binimetinib in associazione ad encorafenib è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio avanzato positivo alla mutazione BRAF V600E.	
Braftovi	encorafenib	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC)</u> Encorafenib in associazione a binimetinib è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio avanzato positivo alla mutazione BRAF V600E.	
Keytruda	pembrolizumab	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in associazione a enfortumab vedotin, anche il trattamento di prima linea del carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico negli adulti.	
Padcev	enfortumab vedotin	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in associazione a pembrolizumab, anche il trattamento di prima linea di pazienti adulti con cancro uroteliale non resecabile o metastatico che possono essere sottoposti a chemioterapia contenente platino.	
Rybrevant	amivantamab	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere, in associazione con carboplatino e pemetrexed, il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (<i>non-small cell lung cancer</i> , NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR dopo fallimento di una precedente terapia comprendente un inibitore della tirosin-chinasi (<i>tyrosine kinase inhibitor</i> , TKI) dell'EGFR.	
Spevigo	spesolimab	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere la prevenzione delle riacutizzazioni della psoriasi pustolosa generalizzata (GPP) negli adulti e negli adolescenti a partire dai 12 anni di età.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Tecentriq	atezolizumab	25/07/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere nell’ambito del carcinoma polmonare non a piccole cellule (<i>non small cell lung cancer</i> , NSCLC) in fase avanzata anche il trattamento in monoterapia di prima linea per i pazienti adulti che non sono idonei a ricevere una terapia a base di platino.	
Darzalex	daratumumab	19/09/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere l’utilizzo, in combinazione con bortezomib, lenalidomide e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con una nuova diagnosi di mieloma multiplo eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali.	
Keytruda	pembrolizumab	19/09/2024
	Estensione dell’indicazione: Carcinoma cervicale: in combinazione con chemioradioterapia per il trattamento delle donne con il carcinoma cervicale localmente avanzato (FIGO 2014 Stadio III – IVA), precedentemente non trattate.	
Keytruda	pembrolizumab	19/09/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere, nell’ambito del carcinoma endometriale, in associazione con carboplatino e paclitaxel, il trattamento di prima linea del carcinoma endometriale primario avanzato o ricorrente nelle donne candidate alla terapia sistemica.	
Otezla	apremilast	19/09/2024
	Estensione dell’indicazione: per estendere il trattamento della psoriasi a placche, da moderata a grave, ai bambini e agli adolescenti di età pari o superiore a 6 anni e di peso non inferiore a 20 kg, candidati alla terapia sistemica.	
Kevzara	sarilumab	17/10/2024
	Estensione dell’indicazione: <u>Polimialgia reumatica</u> Kevzara è indicato per il trattamento della polimialgia reumatica (PMR) in pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata ai corticosteroidi o che presentano una ricaduta durante la riduzione graduale della posologia dei corticosteroidi.	
Kisqali	ribociclib	17/10/2024
	Estensione dell’indicazione: <u>Carcinoma della mammella in fase iniziale</u> Kisqali in combinazione con un inibitore dell’aromatasi, è indicato per il trattamento adiuvante dei pazienti con carcinoma mammario in fase iniziale positivo per i recettori ormonali (HR) e negativo per il recettore 2 del fattore di crescita epidermico umano (HER2) ad alto rischio di recidiva.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Tevimbra	tislelizumab	17/10/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere nell'ambito del carcinoma a cellule squamose dell'esofago (OSCC), l'utilizzo in combinazione con chemioterapia a base di platino, per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con OSCC non resecabile, localmente avanzato o metastatico che esprime PDL1 .	
Tevimbra	tislelizumab	17/10/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea (G/GEJ)</u> Tevimbra, in combinazione con chemioterapia a base di platino e fluoropirimidine, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea (G/GEJ), HER-2-negativo localmente avanzato, non resecabile o metastatico, che esprime PD L1.	
CellCept	micofenolato mofetil	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'utilizzo in associazione con ciclosporina e corticosteroidi per la profilassi del rigetto acuto anche nei pazienti pediatrici di età compresa tra 1 e 18 anni che ricevono un allotrapianto renale, cardiaco o epatico.	
Jakavi	ruxolitinib	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Malattia del trapianto contro l'ospite (Graft versus host disease, GvHD) GvHD acuta</u> Jakavi è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore ai 28 giorni con malattia del trapianto contro l'ospite acuta che presentano una risposta inadeguata al trattamento con corticosteroidi o altre terapie sistemiche. <u>GvHD cronica</u> Jakavi è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore ai 6 mesi con malattia del trapianto contro l'ospite cronica che presentano una risposta inadeguata al trattamento con corticosteroidi o altre terapie sistemiche.	
Kevzara	sarilumab	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Artrite idiopatica giovanile poliarticolare</u> Kevzara è indicato per il trattamento dell'artrite idiopatica giovanile poliarticolare attiva (pJIA; poliartrite positiva o negativa per il fattore reumatoide e oligoartrite estesa) in pazienti di età pari o superiore a 2 anni, che hanno risposto in modo inadeguato alla precedente terapia con DMARD sintetici convenzionali (csDMARD).	
Keytruda	pembrolizumab	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Mesotelioma pleurico maligno (MPM)</u> Keytruda, in combinazione con pemetexed e chemioterapia a base di platino, è indicato per il trattamento di prima linea di adulti affetti da mesotelioma pleurico maligno non epitelioidale non resecabile.	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Opdivo	nivolumab	14/11/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere nell’ambito del carcinoma del colon-retto (CRC) con deficit di riparazione del <i>mismatch</i> (dMMR) o elevata instabilità dei microsatteliti (MSI-H) anche il trattamento di prima linea del carcinoma del colon-retto non resecabile o metastatico, in associazione ad ipilimumab.	
Rybrevant	amivantamab	14/11/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere, in combinazione con lazertinib, il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato con delezioni dell’esone 19 dell’EGFR o mutazioni con sostituzione dell’esone 21 L858R.	
Sarclisa	isatuximab	14/11/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere l’utilizzo, in combinazione con bortezomib, lenalidomide e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non idonei al trapianto autologo di cellule staminali.	
Tagrisso	osimertinib	14/11/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere il trattamento di pazienti adulti con NSCLC localmente avanzato, non resecabile, con delezione dell’esone 19 dell’EGFR o mutazione sostitutiva dell’esone 21 (L858R) e la cui malattia non è progredita durante o dopo chemioradioterapia a base di platino.	
Yervoy	ipilimumab	14/11/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere il trattamento di pazienti adulti con carcinoma del colon-retto con deficit di riparazione del <i>mismatch</i> o elevata instabilità dei microsatteliti anche nel <i>setting</i> di trattamento in prima linea del carcinoma del colon-retto non resecabile o metastatico.	
Blinicyto	blinatumomab	12/12/2024
	Estensione dell’indicazione: per includere: • il trattamento, in monoterapia, di pazienti pediatrici a partire da 1 mese di età con LLA da precursori delle cellule B, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia, refrattaria o in recidiva dopo aver ricevuto almeno due precedenti terapie o in recidiva dopo allotrapianto di cellule staminali ematopoietiche. • il trattamento, in monoterapia, di pazienti pediatrici a partire da 1 mese di età con LLA da precursori delle cellule B in prima recidiva ad alto rischio, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia, come parte della terapia di consolidamento. • in monoterapia come parte della terapia di consolidamento per il trattamento di pazienti adulti con LLA da precursori delle cellule B di nuova diagnosi, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia.	
Jemperli	dostarlimab	12/12/2024
	Estensione dell’indicazione: per eliminare la condizione di utilizzo riguardante la positività per riparazione del <i>mismatch</i> carente (dMMR)/instabilità microsattelitare elevata (MSI-H), per il trattamento di prima linea, in combinazione con carboplatino e paclitaxel, del cancro endometriale primario avanzato o ricorrente (EC).	

L - Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Ofev	nintedanib	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere: • il trattamento delle malattie polmonari interstiziali fibrosanti progressive (ILD) clinicamente significative anche nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 6 e 17 anni. • il trattamento della malattia polmonare interstiziale associata alla sclerosi sistemica (SSc-ILD) anche nei bambini di età pari o superiore a 6 anni.	
OmvoH	mirikizumab	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Malattia di Crohn</u> OmvoH è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da malattia di Crohn attiva, da moderata a severa, che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o al trattamento biologico.	
N - Sistema nervoso		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Slenyto	melatonina	25/07/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'insonnia in bambini e adolescenti con disturbi neurogenetici con anomala secrezione diurna di melatonina e/o risvegli notturni, laddove le misure di igiene del sonno non siano state sufficienti.	
Buccolam	midazolam	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento di crisi convulsive acute prolungate anche negli adulti.	
R - Sistema respiratorio		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Kalydeco	ivacaftor	22/02/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento della fibrosi cistica nei bambini di età pari o superiore a 1 mese, di peso pari o superiore a 3 kg, con una mutazione R117H CFTR o una delle seguenti mutazioni di <i>gating</i> (classe III) nel gene CFTR: G551D, G1244E, G1349D, G178R, G551S, S1251N, S1255P, S549N o S549R.	
Fasenra	benralizumab	19/09/2024
	Estensione dell'indicazione: <u>Granulomatosi eosinofila con poliangite (<i>Eosinophilic granulomatosis with polyangiitis</i>, EGPA)</u> Fasenra è indicato come trattamento aggiuntivo per pazienti adulti con granulomatosi eosinofila con poliangite recidivante o refrattaria.	

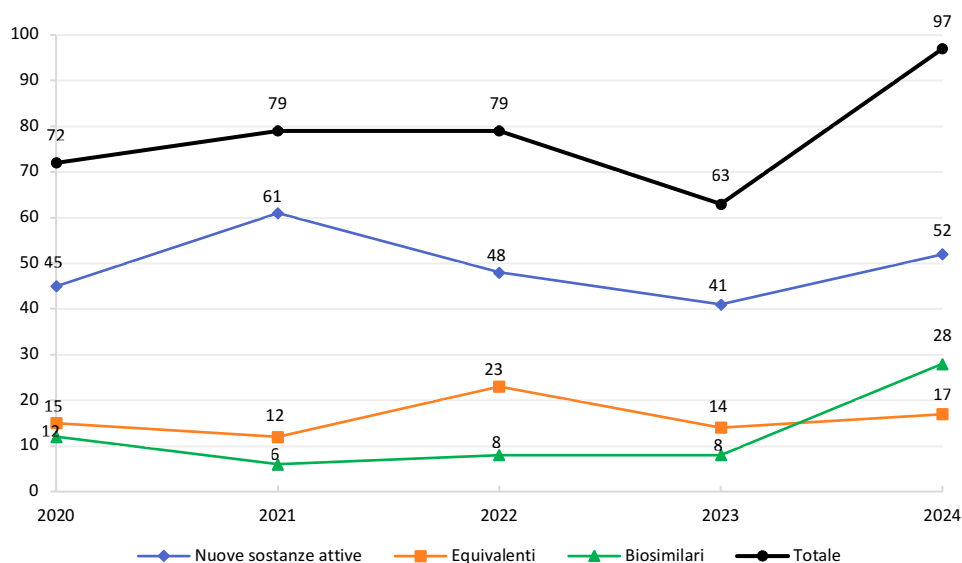
S - Organi di senso		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Vabysmo	faricimab	27/06/2024
	Estensione dell'indicazione: Trattamento del deficit visivo dovuto a edema maculare secondario all'occlusione della vena retinica (RVO di ramo o RVO centrale).	
V - Vari		
NOME COMMERCIALE	PRINCIPIO ATTIVO	PARERE EMA
Palforzia	polvere sgrassata di semi di <i>Arachis hypogaea</i> L. (arachidi)	14/11/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere il trattamento dell'allergia alle arachidi anche nei bambini di età pari o superiore a 1 anno.	
Bridion	sugammadex	12/12/2024
	Estensione dell'indicazione: per includere l'antagonismo di routine del blocco indotto da rocuronio anche nei pazienti pediatrici dalla nascita fino a 17 anni di età.	

MEDICINALI AUTORIZZATI NEL PERIODO 2020-2024

Nel quinquennio 2020-2024 390 nuovi medicinali hanno ricevuto un parere positivo del CHMP, escluse alcune tipologie (medicinali contenenti sostanze attive note, combinazioni a dose fissa contenenti sostanze attive note, medicinali con procedura ibrida e medicinali sottoposti a procedura di consenso informato) e i medicinali ritirati dopo il parere favorevole all'AIC. I medicinali contenenti nuove sostanze attive rappresentano il 63% di tutti i medicinali autorizzati, seguiti dagli equivalenti (21%) e dai biosimilari (16%) (Figura 1.5).

Nel complesso, è stato osservato un trend in crescita del numero di medicinali autorizzati dal 2020 al 2024, eccetto per un decremento nell'anno 2023.

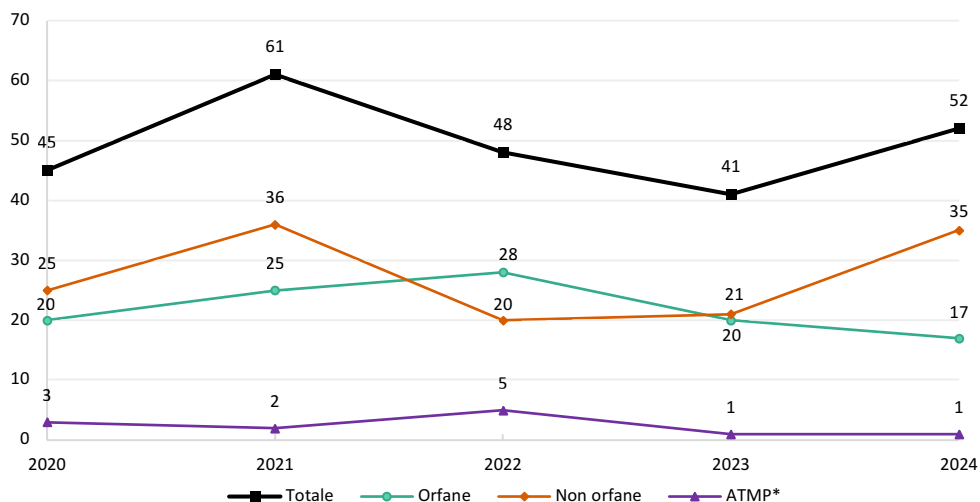
Figura 1.5 Numero di medicinali che hanno ricevuto un parere positivo da parte dell'EMA nel quinquennio 2020-2024, suddivisi per tipologia.



In dettaglio, nel quinquennio è stato osservato un aumento del numero assoluto dei medicinali contenenti nuove sostanze attive (45 nel 2020 vs. 52 nel 2024), che costituiscono sempre la quota maggiore dei nuovi medicinali autorizzati, pur con qualche deflessione intermedia. Tuttavia, rispetto al totale dei medicinali autorizzati per anno, la percentuale costituita dalle nuove sostanze attive si è ridotta, dal 62,5% nel 2020 al 53,6% nel 2024, a fronte di un aumento della percentuale dei biosimilari (dal 16,7% nel 2020 al 28,9% nel 2024), il cui incremento si è osservato particolarmente nell'ultimo anno.

Tra le nuove sostanze attive, dopo un progressivo incremento del numero dei farmaci orfani e dei medicinali per terapie avanzate (ATMP) fino al 2022, negli ultimi due anni si è osservata un'inversione di tendenza a fronte di un aumento del numero dei farmaci non orfani, prevalentemente nel 2024 (Figura 1.6).

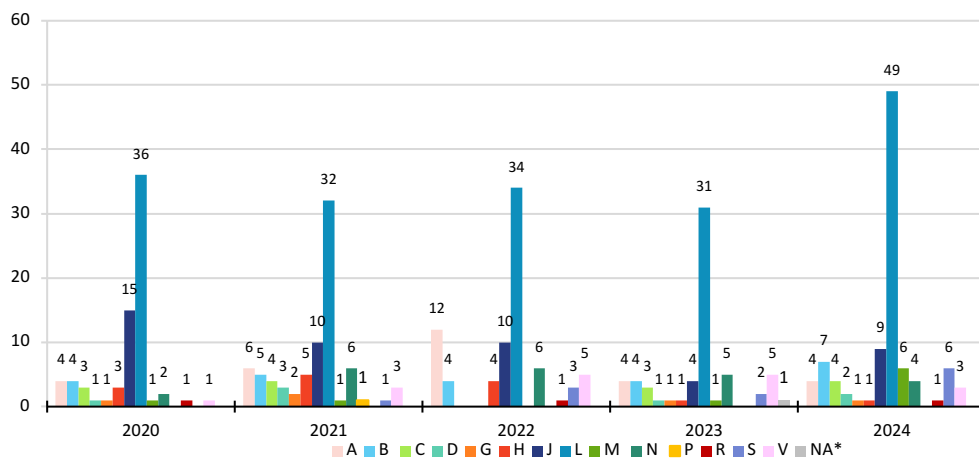
Figura 1.6 Nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo da parte dell'EMA nel quinquennio 2020-2024, suddivisi per tipologia.



Nella Figura 1.7 è rappresentata la distribuzione dei medicinali (nuove sostanze attive, biosimilari e equivalenti) che hanno ricevuto un parere positivo dal CHMP nel periodo 2020-2024, suddivisi per anno e per classificazione ATC.

Complessivamente, tra le prime 5 categorie ATC dei medicinali approvati, gli agenti antineoplastici e immunomodulatori (ATC L) rappresentano il gruppo più numeroso, con 182 nuovi medicinali (il 46,7% del totale dei medicinali autorizzati nel periodo di riferimento). Seguono, in ordine decrescente, i farmaci antinfettivi per uso sistemico - ATC J (48, pari al 12,3%), i farmaci dell'apparato gastrointestinale e metabolismo - ATC A (30, pari al 7,7%), i farmaci per le patologie del sangue e organi emopoietici - ATC B (24, pari al 6,2%) e quelli del sistema nervoso centrale - ATC N (23, pari al 5,9%). Le restanti categorie ATC sono rappresentate da percentuali inferiori al 5% (Figura 1.7).

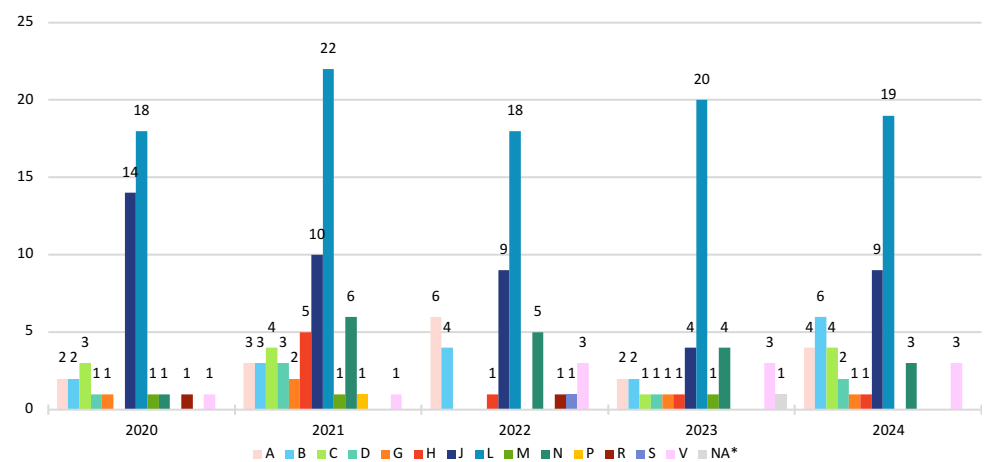
Figura 1.7 Medicinali (nuove sostanze attive, biosimilari, equivalenti) che hanno ricevuto un parere positivo da parte dell'EMA nel periodo 2020-2024, suddivisi per ATC e anno.



*ATC non assegnato

La Figura 1.8 si riferisce, invece, all’andamento dei soli medicinali contenenti nuove sostanze attive (247) che hanno ricevuto un parere positivo dal CHMP nel quinquennio 2020-2024, in base alla classificazione ATC. Complessivamente, le categorie maggiormente rappresentate restano le ATC L (antineoplastici ed immunomodulatori), ATC J (antinfettivi ad uso sistemico), ATC B (sangue e organi emopoietici) e ATC A (apparato gastrointestinale e metabolismo). In particolare, rispetto al 2020, nel 2024 si è osservato un aumento dei farmaci appartenenti alle ATC B (da 4,4% a 11,5%), ATC A (da 4,4% a 7,7%), ATC C (da 6,7% a 7,7%) e ATC N (da 2,2 a 5,8%), a fronte di una diminuzione dei farmaci appartenenti all’ATC J (da 31,1% a 17,3%) (Figura 1.8).

Figura 1.8 Medicinali contenenti nuove sostanze attive che hanno ricevuto un parere positivo da parte dell’EMA nel quinquennio 2020-2024, suddivisi per ATC e anno.



*ATC non assegnato

Parte II

Medicinali in valutazione nel 2025

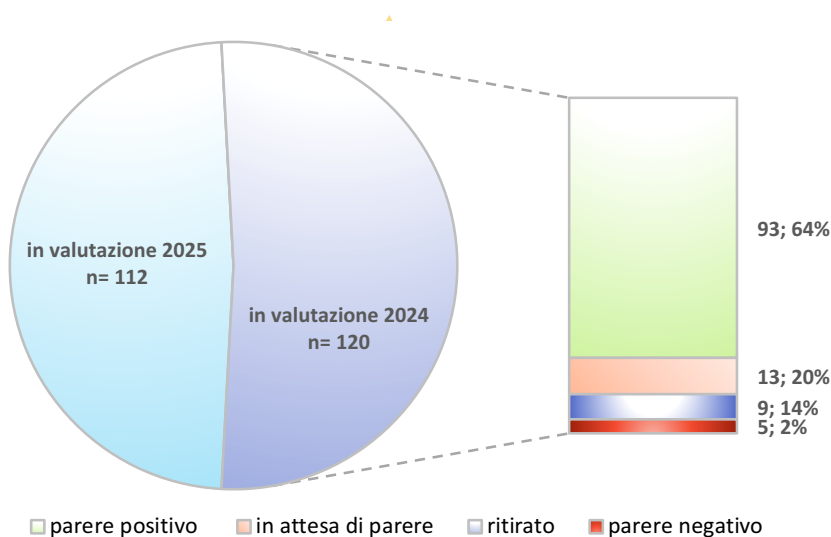
**Horizon
Scanning**
scenario dei medicinali in arrivo
Rapporto 2025

NUOVI MEDICINALI

I nuovi medicinali che risultano in valutazione presso il CHMP dell'EMA all'inizio del 2025 e con parere atteso nel corso dell'anno sono 112. Tale numero potrebbe variare con la sottomissione di nuove richieste di AIC presso l'EMA.

All'inizio del 2024 erano in valutazione 120 nuovi medicinali (inclusi nuove sostanze, biosimilari, equivalenti e altre basi legali) con parere atteso entro lo stesso anno. Di questi ultimi, 93 nuovi medicinali (pari al 64% del totale in valutazione all'inizio del 2024) sono stati successivamente approvati, 9 (14%) sono stati ritirati, 5 (2%) hanno ricevuto il parere negativo, mentre 13 (pari al 20% del totale dei nuovi medicinali in valutazione all'inizio del 2024) erano ancora in attesa di ricevere un parere del CHMP al momento della chiusura del database e dell'analisi (Figura 2.1).

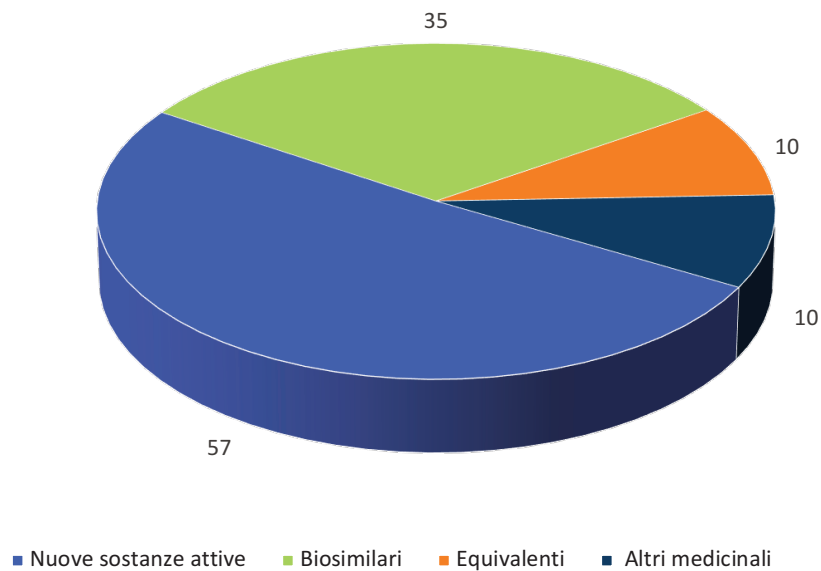
Figura 2.1 Nuovi medicinali in valutazione del CHMP dell'EMA all'inizio del 2024 e del 2025.



Dei 112 nuovi medicinali in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, 57 sono farmaci contenenti nuove sostanze attive (50,9%), 35 sono medicinali biosimilari (31,2%), 10 sono medicinali equivalenti, al pari di altri medicinali (8,9% per ciascuna categoria) (Figura 2.2).

Figura 2.2 Nuovi medicinali in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per tipologia.

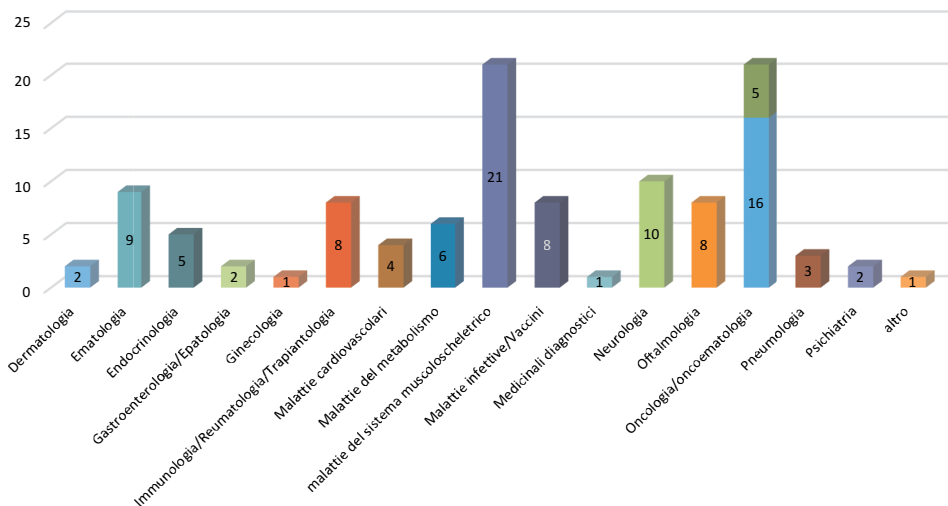
Totale: 112 nuovi medicinali



La Figura 2.3 mostra il numero di nuovi medicinali in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, suddivisi per area terapeutica. Si osserva la prevalenza dei nuovi medicinali in area oncologica/oncoematologica, complessivamente 21, al pari dei medicinali per le malattie del sistema muscoloscheletrico (18,8% del totale, per ciascuna area), seguiti dai medicinali coinvolti nelle aree neurologica (8,9%), ematologica (8%), immunologica/reumatologica/trapiantologica, infettivologica (inclusi i vaccini) e oftalmologica (7,1%, per area). Le restanti aree terapeutiche, rappresentate singolarmente nel grafico, presentano un numero inferiore di nuovi medicinali in valutazione, che varia da un minimo di 1 a un massimo di 6 (rispettivamente pari allo 0,9% e al 5,4% del totale).

Figura 2.3 Nuovi medicinali in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

Nuovi medicinali in valutazione = 112

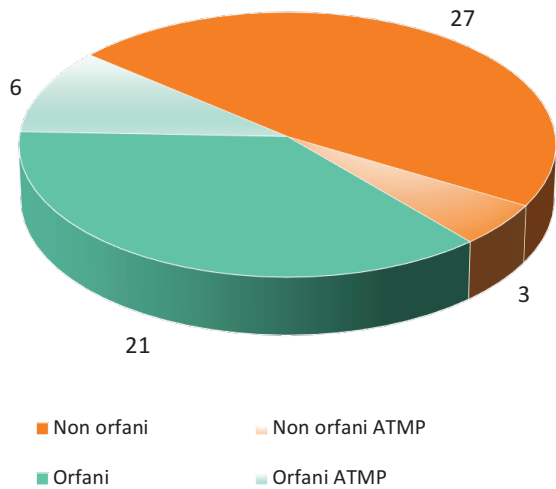


Medicinali contenenti nuove sostanze attive

Dei 57 medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, 30 sono medicinali non orfani (53%), mentre 27 sono medicinali orfani (47%) (Figura 2.4). Inoltre, sono in valutazione 9 prodotti per terapie avanzate (15,8% delle nuove sostanze attive), 6 tra i medicinali orfani (obecabtagene autoleucel, delandistrogene moxeparvovec, mozafancogene autotemcel, beremagene geperpavec, cellule staminali per la sindrome di Wiskott-Aldrich, dorocubicel/cellule allogeniche CD34- derivate dal cordone ombelicale) e 3 tra i non orfani (nadofaragene firadenovect, lifileucel, condrociti autologhi di cartilagine articolare).

Figura 2.4 Medicinali contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per designazione orfana.

Nuove sostanze attive = 57



ATMP: advanced therapy medicinal product

Nella Figura 2.5 è illustrata la categorizzazione dei medicinali **non orfani** in valutazione, divisi per area terapeutica. Il maggior numero dei medicinali non orfani è costituito da medicinali per l'area terapeutica oncologica/oncoematologica (9, pari al 30%), infettivologica, inclusi i vaccini (5, pari a 16,7%) e neurologica (4, pari al 13,3%). Seguono le aree terapeutiche di ematologia e psichiatria, con 2 medicinali ciascuna (6,7%). Le restanti aree terapeutiche, come indicato in Figura 2.5, presentano un unico medicinale in valutazione. L'elenco completo dei medicinali non orfani in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025 è riportato nella Tabella 2.1.

Figura 2.5 Medicinali **non orfani** in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

Nuove sostanze = 30

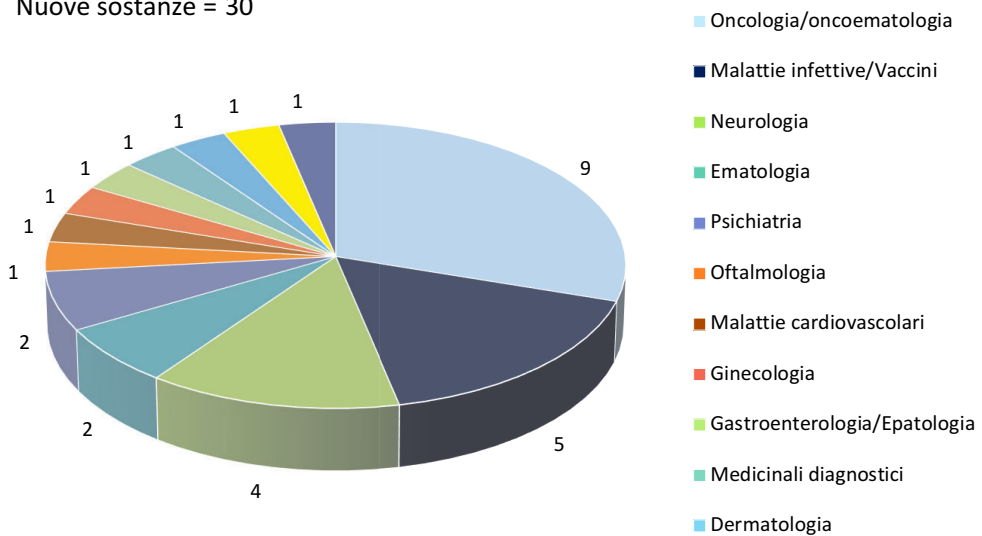


Tabella 2.1 Elenco dei medicinali **non orfani** contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Dermatologia	
Clascoterone	Acne vulgaris
Ematologia	
Complesso di coordinazione del citrato ferrico*	Anemia da deficit di ferro
Sargramostim	Mielosoppressione da radiazioni
Gastroenterologia/Epatologia	
Resmetirom	Steatoepatite non alcolica (NASH); Steatoepatite associata a disfunzione metabolica (MASH)
Ginecologia	
Elinzanetant	Menopausa
Malattie cardiovascolari	
Aficamten	Cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva
Malattie del sistema muscoloscheletrico	
Condrociti articolari autologhi di derivazione cartilaginea, espansi <i>in-vitro</i>	Difetti della cartilagine del ginocchio
Malattie infettive/Vaccini	
Vaccino acellulare della pertosse	Pertosse
Clesrovimab	Malattia da virus respiratorio sinciziale
mRNA-1283	Malattia da COVID-19
Vaccino coniugato polisaccaridico pneumococcico (21-valent)*	Malattia invasiva da <i>Streptococcus pneumoniae</i>
Vaccino contro la chikungunya (ricombinante, adsorbito)*	Chikungunya
Medicinali diagnostici	
Germanio (68Ge) cloruro/Gallio (68Ga) cloruro	Tomografia a emissione di positroni (PET)
Neurologia	
Blarcamesine	Malattia di Alzheimer
Deutetrabenazina	Discinesia tardiva
Donanemab	Malattia di Alzheimer
Nipocalimab	Miastenia gravis
Oftalmologia	
Teprotumumab	Malattia tiroidea dell’occhio
Oncoematologia	
Linvoseltamab*	Mieloma multiplo

**medicinali che hanno ricevuto il parere dell’EMA durante la stesura del presente rapporto.*

PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Oncologia	
Aumolertinib	Tumore polmonare
Bifikafusp alfa / onfekafusp alfa	Melanoma
Datopotamab deruxtecan*	Tumore polmonare
Imlunestrant	Tumore della mammella
Inavolisib	Tumore della mammella
Lifileucel	Melanoma
Nadofaragene firadenovec	Tumore della vescica
Tisotumab vedotin*	Cancro della cervice
Psichiatria	
Iloperidone	Schizofrenia
Zuranolone	Depressione postpartum
Altro	
Doxecitina	Deficit di timidina chinasi 2

**medicinali che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.*

Nella Figura 2.6 è illustrata la categorizzazione dei medicinali **orfani** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica. Le aree terapeutiche più interessate sono l’area oncologica/oncoematologica (9, pari al 33,3%), quella delle malattie del metabolismo e della neurologia (entrambe con 5 medicinali, pari al 18,5%) e quelle della immunologia/reumatologia/trapiantologia e della dermatologia (3, pari all’11,1% per ciascuna area). Le restanti aree terapeutiche sono rappresentate da un numero minore di medicinali (1, pari al 3,7%). L’elenco completo dei medicinali orfani in valutazione è riportato nella Tabella 2.2.

Figura 2.6 Medicinali **orfani** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

Nuovi medicinali orfani = 27

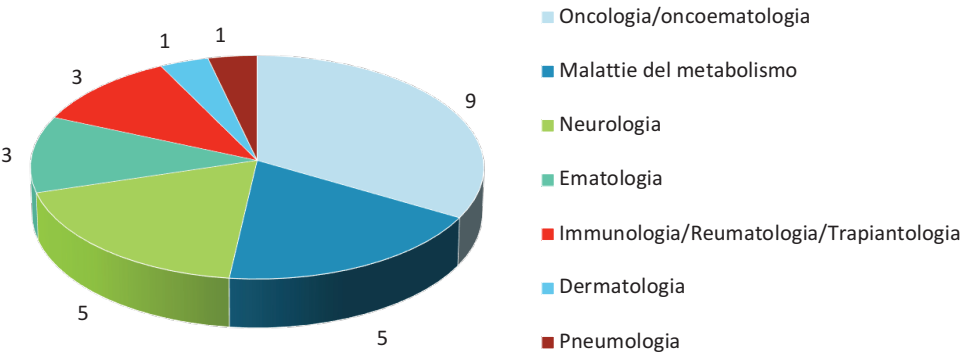


Tabella 2.2 Elenco dei medicinali **orfani** contenenti nuove sostanze attive in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Dermatologia	
Beremagene geperpavec*	Epidermolisi bollosa distrofica
Ematologia	
Cellule staminali ematopoietiche autologhe CD34+ trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale codificante la proteina umana della sindrome di Wiskott-Aldrich	Sindrome di Wiskott-Aldrich
Mozafancogene autotemcel	Anemia di Fanconi
Rilzabrutinib	Trombocitopenia
Immunologia/Reumatologia/Trapiantologia	
Belumosudil	Malattia del trapianto contro l'ospite
Donidalorsen	Angioedema ereditario
Sebetralstat	Angioedema ereditario
Malattie del metabolismo	
Diflunisal	Amiloidosi con neuropatia
L-acetilleucina	Malattia di Niemann-Pick di tipo C
Leniolisib	Sindrome da attivazione PI3K-delta
Olezarsen	Sindrome da chilomicronemia familiare
Sepiapterin	Fenilchetonuria
Neurologia	
Delandistrogene moxeparvovec	Distrofia muscolare di Duchenne
Givinostat	Distrofia muscolare di Duchenne
Girdametininib	Neurofibromatosi di tipo 1
Pridopidine	Malattia di Huntington
Troriluzole	Atassia spinocerebellare
Oncoematologia	
Belantamab mafodotin	Mieloma multiplo
Dorocubicel (cellule allogeniche CD34 derivanti da cordone ombelicale, non espanse)	Neoplasie ematologiche che richiedono trapianto di cellule staminali allogeniche ematopoietiche
Obecabtagene autoleucel	Leucemia Linfoblastica Acuta
Resminostat	Micosi fungoide; Sindrome di Sézary
Oncologia	
Eflornitina	Neuroblastoma
Nirogacestat	Tumori desmoidi
Vimseltinib	Tumore tenosinoviale a cellule giganti
Vorasidenib	Astrocitoma; oligodentrogloma
Zanidatamab	Tumore delle vie biliari
Pneumologia	
Deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor	Fibrosi cistica

*medicinali che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.

I nove medicinali per terapie avanzate in valutazione riguardano l’area oncologica/oncoematologica (4 ATMP), ematologica (2 ATMP), dermatologica, neurologica e patologie del muscoloscheletrico (1 ATMP per ciascuna) (Tabella 2.3).

Tabella 2.3 Elenco dei medicinali per **terapie avanzate** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025.

PRINCIPIO ATTIVO	MEDICINALE ORFANO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Beremagene geperpavec	SI	Epidemolisi bollosa distrofica
Cellule staminali ematopoietiche autologhe CD34+ trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale codificante la proteina umana della sindrome di Wiskott-Aldrich	SI	Sindrome di Wiskott-Aldrich
Condrociti articolari autologhi di derivazione cartilaginea	NO	Difetti della cartilagine del ginocchio
Delandistrogene moxeparvovec	SI	Distrofia muscolare di Duchenne
Dorocubicel (cellule allogeniche CD34 derivanti da cordone ombelicale, non espanse)	SI	Neoplasie ematologiche che richiedono trapianto di cellule staminali allogeniche ematopoietiche
Lifileucel	NO	Melanoma
Mozafancogene autotemcel	SI	Anemia di Fanconi
Nadofaragene firadenovec	NO	Tumore della vescica
Obecabtagene autoleucel	SI	Leucemia linfoblastica acuta

Medicinali biosimilari

Nel 2025 è atteso un parere del CHMP dell’EMA all’AIC di 35 medicinali biosimilari. Nella Figura 2.7 è riportata la categorizzazione secondo l’area terapeutica, da cui emerge che oltre la metà dei biosimilari in valutazione è destinata alla cura di malattie del sistema muscoloscheletrico (20, 57,1%). Seguono i medicinali per l’area terapeutica oftalmologica (5, pari al 14,3%) e i medicinali per l’area di immunologia/reumatologia/trapiantologia (4, pari all’11,4%). Le aree di ematologia e oncologia/oncoematologia sono presenti, rispettivamente, con due (5,7%) e un medicinale (2,9%). L’elenco completo dei medicinali biosimilari in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025 è riportato nella Tabella 2.4.

Figura 2.7 Medicinali **biosimilari** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

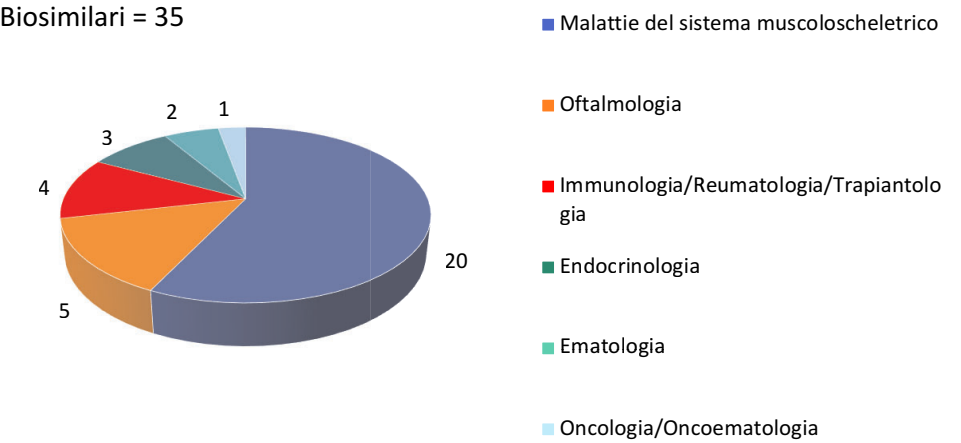


Tabella 2.4 Elenco dei medicinali **biosimilari** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

PRINCIPIO ATTIVO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ematologia	
Pegfilgrastim	2 (di cui 1*)
Endocrinologia	
Insulina aspart	1
Insulina umana	1
Insulina lispro	1
Immunologia/Reumatologia/Trapiantologia	
Golimumab	1
Ustekinumab	3 (di cui 1*)
Malattie del sistema muscoloscheletrico	
Denosumab	19 (di cui 2*)
Teriparatide	1
Oftalmologia	
Aflibercept	5 (di cui 1*)
Oncologia	
Trastuzumab	1

**medicinali che hanno ricevuto il parere dell’EMA durante la stesura del presente rapporto.*

Medicinali equivalenti

Nel 2025 è atteso un parere del CHMP dell’EMA all’AIC di 10 medicinali equivalenti. Nella Figura 2.8 è riportata la categorizzazione secondo l’area terapeutica, da cui non emergono differenze per le quattro aree terapeutiche di ematologia, malattie cardiovascolari e infettive e oncologia, che sono presenti con 2 medicinali equivalenti in valutazione (20%, per ciascuna area terapeutica), seguite dalle aree terapeutiche di gastroenterologia/epatologia e pneumologia, con un medicinale (10%, per ciascuna area). L’elenco dei medicinali equivalenti in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025 è riportato nella Tabella 2.5.

Figura 2.8 Medicinali **equivalenti** in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

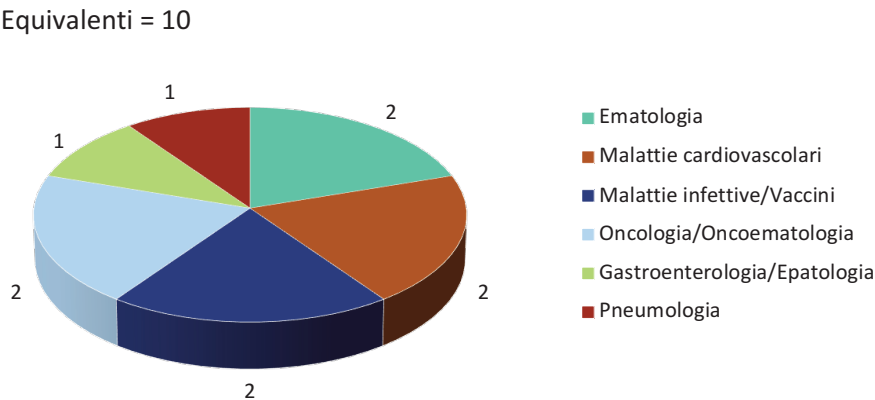


Tabella 2.5 Elenco medicinali **equivalenti** in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

PRINCIPIO ATTIVO	NUMERO MEDICINALI IN ARRIVO
Ematologia	
Eltrombopag	1*
Rivaroxaban	1
Gastroenterologia/Epatologia	
Teduglutide	1
Malattie cardiovascolari	
Macitentan	2
Malattie infettive/Vaccini	
Emtricitabine/rilpivirine/tenofovir alafenamide	1
Emtricitabine/tenofovir alafenamide	1
Oncologia	
Enzalutamide	1
Trabectedin	1*
Pneumologia	
Nintedanib	1

* medicinali che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.

Medicinali con altre basi legali

Nel 2025 è atteso un parere del CHMP dell’EMA anche alle AIC di 10 medicinali con altre basi legali, inclusi i medicinali con procedura ibrida, quelli contenenti sostanze attive note, quelli ad uso consolidato e in combinazione a dose fissa.

Nella Figura 2.9 sono riportate le diverse aree terapeutiche coinvolte, con un numero di medicinali in valutazione da 2 (endocrinologia e oftalmologia, pari al 20% per ciascuna area) a 1 (immunologia/reumatologia/trapiantologia, malattie cardiovascolari e del metabolismo, infettivologia, neurologia, pneumologia, 10% per ciascuna area terapeutica). L’elenco dei medicinali inclusi in altre categorie di diversa base legale in valutazione e con parere EMA atteso nel 2025 è riportato nella Tabella 2.6.

Figura 2.9 Medicinali con altre basi legali in valutazione e con parere dell’EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

Medicinali con altre basi legali = 10

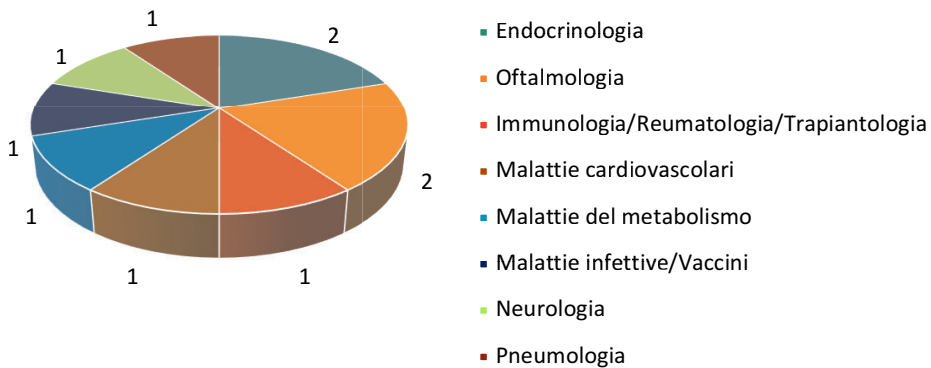


Tabella 2.6 Elenco dei **medicinali con altre basi legali** in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, divisi per area terapeutica.

PRINCIPIO ATTIVO	MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA
Endocrinologia	
Insulina icodec/semaglutide	Diabete mellito
Octreotide	Acromegalia
Immunologia/Reumatologia/Trapiantologia	
Immunoglobulina umana normale*	Immunodeficienze primitive e secondarie/Trombocitopenia/Guillain Barré
Malattie cardiovascolari	
Rilonacept	Pericardite idiopatica
Malattie del metabolismo	
Amminoacidi	Malattia delle urine a sciroppo d'acero (MSUD)
Malattie infettive/Vaccini	
Ivermectina/albendazolo*	Filariasi linfatica, infezioni da nematodi, ascaridiasi, trichuriasi, strongiloidosi
Neurologia	
Tegomil fumarato	Sclerosi multipla
Oftalmologia	
Atropina solfato*	Miopia
Atropina solfato	Miopia
Pneumologia	
Idrocortisone	Displasia broncopolmonare

**medicinali che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.*

Nuove indicazioni terapeutiche

Nella Figura 2.10 sono rappresentate le nuove indicazioni terapeutiche in valutazione presso il CHMP dell'EMA (estensioni dell'indicazione dei medicinali già autorizzati) con parere atteso nel corso del 2025. Complessivamente si tratta di 61 indicazioni terapeutiche relative a 53 medicinali già autorizzati. L'area oncologica e quella oncoematologica sono maggiormente rappresentate con il più alto numero di nuove opzioni terapeutiche potenzialmente in arrivo (26, pari al 42,6%, di cui 14 relative alla cura dei tumori solidi e 12 per quelli del sangue).

Le altre aree terapeutiche oggetto di interesse per nuove indicazioni sono costituite da malattie infettive/vaccini (12, pari al 19,7%), ematologia, gastroenterologia, immunologia/reumatologia/trapianto, malattie del metabolismo e neurologia (3, pari al 4,9% per ciascuna area), seguite dalle aree terapeutiche endocrinologica, pneumologica e psichiatrica (con 2 medicinali per area, pari al 3,3%) e dermatologica e nefrologica/urologica (1, 1,6% per area).

Figura 2.10 Nuove **indicazioni terapeutiche** in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025, dei medicinali già autorizzati, divise per area terapeutica.

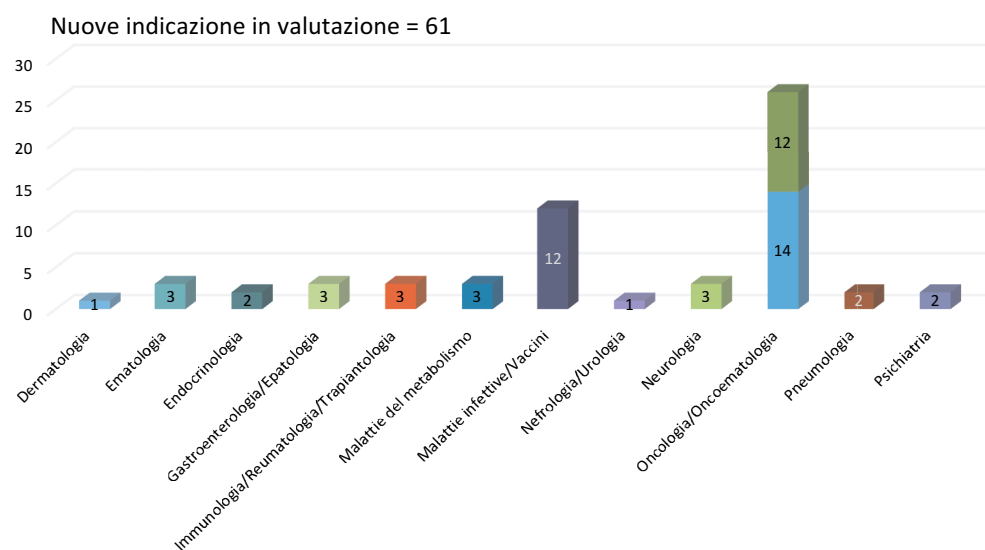


Tabella 2.7 Elenco delle **nuove indicazioni terapeutiche** in valutazione e con parere dell'EMA atteso nel 2025 dei medicinali già autorizzati, divisi per area terapeutica.

MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA	NUMERO
Dermatologia	
Orticaria spontanea cronica	1
Ematologia	
Anemia aplastica	1
Emofilia A	1
Talassemia	1
Endocrinologia	
Diabete mellito	1
Insufficiente secrezione dell'ormone della crescita	1
Gastroenterologia/Epatologia	
Malattia di Crohn	2*
Colite ulcerosa	1*
Immunologia/Reumatologia/Trapiantologia	
Arterite a cellule giganti	1*
Artrite Idiopatica giovanile	1
Lupus eritematoso sistemico	1
Malattie del metabolismo	
Amiloidosi cardiaca da transtiretina	1
Cistinosi	1
Gestione del peso corporeo	1
Malattie infettive/Vaccini	
Influenza	3 (di cui 2*)
Infezioni batteriche acute della cute e della struttura cutanea	2*
Infezione da HIV	2
Malattia da coronavirus 2019 (COVID-19)	2 (di cui 1*)
Malattia da Citomegalovirus	1*
Malattia da Virus Chikungunya	1*
Malattia da Virus Respiratorio Sinciziale	1*
Nefrologia/Urologia	
Glomerulopatia da depositi C3	1*
Neurologia	
Malattia di Alzheimer	1
Polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica	1
Sindrome di Smith-Magenis	1

*nuove indicazioni terapeutiche che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.

MALATTIA/CONDIZIONE CLINICA	NUMERO
Oncoematologia	
Leucemia linfocitica cronica	2 (di cui 1*)
Linfoma a cellule mantellari	2*
Mieloma multiplo	2 (di cui 1*)
Leucemia mieloide acuta	1
Leucemia mieloide cronica	1*
Linfoma di Hodgkin	1
Linfoma diffuso a cellule B	1*
Linfoma follicolare	1*
Neoplasie mieloidi/linfoidi	1
Oncologia	
Tumore del polmone	5 (di cui 4*)
Carcinoma epatocellulare	2*
Tumori neuroendocrini gastro-entero-pancreatici	2
Carcinoma del naso-faringe	1
Tumore della vescica	1
Tumore della mammella	1*
Tumore della prostata	1
Tumori neuroendocrini	1
Pneumologia	
Fibrosi cistica	2*
Psichiatria	
Schizofrenia	1*
Sindrome da iperattività/deficit di attenzione (ADHD)	1*

**nuove indicazioni terapeutiche che hanno ricevuto il parere dell'EMA durante la stesura del presente rapporto.*

Parte III

Medicinali ammessi al programma PRIME

**Horizon
Scanning**
scenario dei medicinali in arrivo
Rapporto 2025

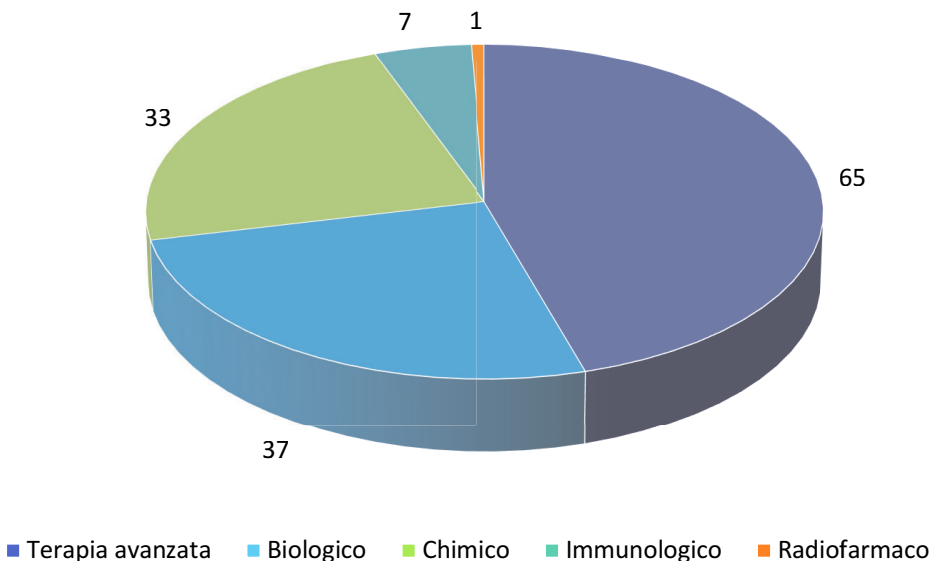
I medicinali ammessi al programma PRIME sono medicinali a elevato interesse per la salute pubblica dal punto di vista dell'innovazione terapeutica e destinati a pazienti con esigenze di cura insoddisfatte. In tale contesto, l'EMA offre alle aziende farmaceutiche un supporto precoce allo sviluppo di questi farmaci, per facilitare e accelerare l'iter autorizzativo.

I dati sono organizzati in tabelle, con informazioni sui singoli medicinali (area terapeutica, principio attivo, tipologia di principio attivo, indicazione terapeutica, data di ammissione al programma).

Alla chiusura del Rapporto, sono state registrate complessivamente 143 designazioni PRIME, due delle quali attribuite ad un unico medicinale, relative a due patologie differenti e tempistiche differenti. Come mostrato nella Figura 3.1, facendo riferimento alla totalità delle designazioni PRIME, la maggioranza dei medicinali riguarda le terapie avanzate, con il 45,4% (65), mentre i medicinali di natura chimica e biologica rappresentano rispettivamente il 25,9% (37) e il 23,1% (33) del totale. Una percentuale limitata di medicinali del programma PRIME riguarda medicinali immunologici, vaccini (7, pari al 4,9%) e radiofarmaci (1, pari allo 0,7%).

Figura 3.1 Designazioni PRIME, divise per tipologia.

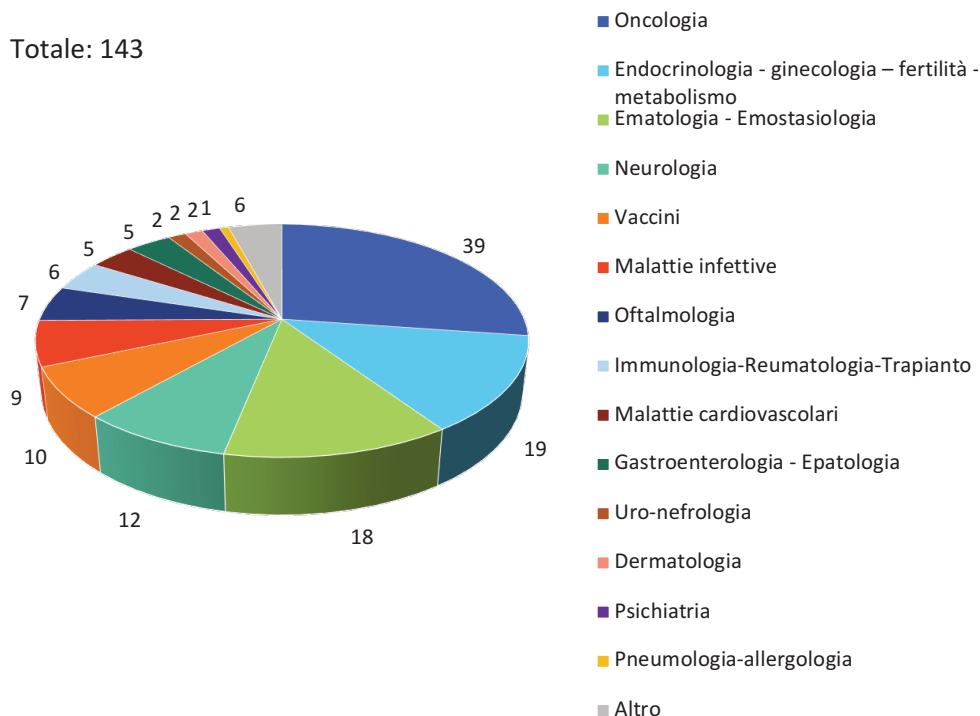
Totale: 143



La Figura 3.2 mostra le designazioni PRIME divise per area terapeutica.

L'area di oncologia è quella maggiormente rappresentata, con un totale di 39 designazioni (27,3%). Seguono le aree di: endocrinologia-ginecologia-fertilità-metabolismo con 19 designazioni (13,3%), ematologia con 18 (12,3%), neurologia con 12 (8,4%), vaccini con 10 (6,7%), malattie infettive con 9 (6,3%), oftalmologia con 7 (4,9%), immunologia-reumatologia-trapianto con 6 (4,2%). Meno rappresentate sono le aree terapeutiche cardiovascolare e gastroenterologica-epatologica (con 5 medicinali ciascuna 3,5%), uro-nefrologica, psichiatrica e dermatologica (con 2 medicinali ciascuna, 1,4%) e pneumologica-allergologica (con 1 solo medicinale, 0,7%); in 6 casi (4,2%) i medicinali con la designazione PRIME sono stati classificati come "Altro".

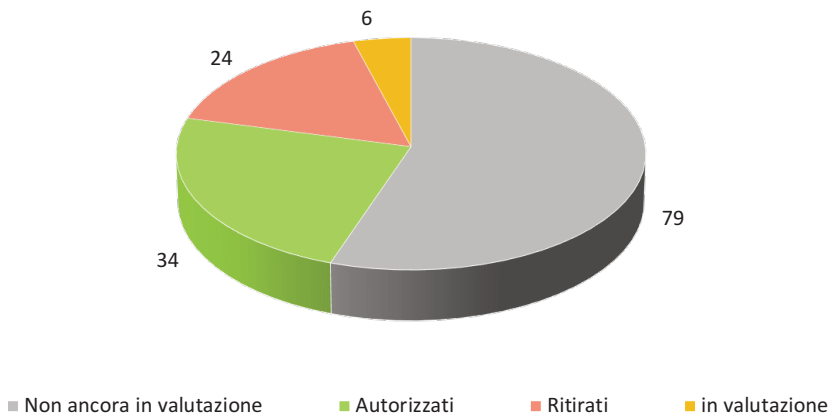
Figura 3.2 Designazioni PRIME, divise per area terapeutica.



La Figura 3.3 mostra i medicinali ammessi al programma PRIME suddivisi in base allo status regolatorio (parere positivo dell'EMA, in valutazione, ritirato/escluso/parere negativo dell'EMA, non ancora in valutazione al fine dell'AIC).

Figura 3.3 Medicinali ammessi al programma PRIME, divisi per *status* regolatorio.

Totale: 143



Complessivamente 34 designazioni riferite a 33 medicinali della lista PRIME (23,3%) hanno ricevuto il parere positivo da parte del CHMP dell'EMA entro il 2024. I medicinali in valutazione da parte del CHMP dell'EMA con parere atteso nel 2025 erano 6 (4,2%): beremagene geperpavec, deossicitidina/deossitimidina, mozafancogene autotemcel, obecabtagene autoleucel, dorocubicel, vaccino per virus Chikungunya. Si fa presente che due di essi hanno ricevuto il parere del CHMP durante la stesura del presente Rapporto. Sono, invece, 24 (16,8%) i medicinali esclusi dal programma PRIME (richiesta dell'azienda, parere negativo da parte dell'EMA, sospensione o ritiro dell'AIC dopo un parere positivo dell'EMA).

Tabella 3.1 Elenco dei medicinali ammessi al programma PRIME (Fonte: EMA¹).

- medicinali che hanno ricevuto il parere positivo del CHMP dell'EMA
- medicinali che sono in valutazione da parte del CHMP dell'EMA
- medicinali che sono stati ritirati su richiesta dell'azienda, esclusi dal programma PRIME, oppure con parere negativo da parte di EMA
- medicinali non ancora in valutazione da parte del CHMP dell'EMA al fine dell'AIC

Dermatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Proteina di fusione della regione costante dell'immunoglobulina umana G1 con il dominio di legame del recettore dell'ectodisplasina-A1 umana (EDI200)	Biologico	12/10/2017
Indicazione terapeutica: trattamento della displasia ectodermica ipodrotica legata all'X.		
Beremagene geperpavec, KB103 (Vyjuvek) (parere favorevole dell'EMA all'AIC durante la stesura del presente rapporto)	Terapia avanzata	28/03/2019
Indicazione terapeutica: trattamento dell'epidermolisi bollosa distrofica.		
Ematologia - Emostasiologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Emapalumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della linfocitopenia emofagocitica primaria.	
Cellule autologhe CD34+ che codificano per il gene della β A-T87Q globina) (Zynteglo)	Terapia avanzata	15/09/2016
Indicazione terapeutica: trattamento della beta-talassemia trasfusione-dipendente (talassemia major).		
Tabelecleucel (Ebvallo)	Terapia avanzata	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti con disturbo linfoproliferativo post trapianto del virus di Epstein-Barr nel trapianto di cellule ematopoietiche allogeniche che hanno fallito il rituximab.	
Valoctocogene roxaparvec (Roctavian)	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	
Fidanacogene elaparvec (Beqvez)	Terapia avanzata	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B.	
Etranacogene dezaparvec (Hemgenix)	Terapia avanzata	21/04/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B severa.	
Voxelotor (Oxbryta)	Chimico	22/06/2017 sospeso da EMA
	Indicazione terapeutica: trattamento della anemia falciforme.	

¹ <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines>

Ematologia - Emostasiologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Cellule autologhe CD34+ geneticamente modificate con un vettore lentivirale codificante per il gene della beta-globina umana (OTL-300)	Terapia avanzata	20/09/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della β -talassemia trasfusione dipendente	
Verbrinacogene setparvovec (FLT180a)	Terapia avanzata	28/02/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia B.	
Pebotocogene camaparvovec (BAY2599023)	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emofilia A.	
Danicopan (Voydeya)	Chimico	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'emoglobinuria parossistica notturna, che non risponde adeguatamente a un C5-inibitore.	
Mozafancogene autotemcel (RP-L102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia di Fanconi di Tipo A.	
Bomedemstat (IMG-7289)	Chimico	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della mielofibrosi.	
bb1111	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme.	
Exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'anemia falciforme grave.	
ARU-1801	Terapia avanzata	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della anemia falciforme.	
Exagamglogene autotemcel (Casgevy)	Terapia avanzata	22/04/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della β -talassemia trasfusione-dipendente.	
Glenocizumab (ACT017)	Biologico	21/07/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'ictus ischemico acuto.	

Endocrinologia - ginecologia – fertilità - metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Givosiran (Givlaari)	Chimico	23/02/2017
	Indicazione terapeutica: prevenzione di attacchi acuti di porfiria epatica.	
Olipudase alfa (Xenpozyme)	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di manifestazioni non neurologiche di deficit di sfingomielinasi acida.	
Deossicitidina (dc) deossitimidina (dt)	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della carenza di timidina chinasi 2.	
Setmelanotide (Imcivree)	Chimico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'obesità e controllo della fame associati ai disturbi da carenza della via del recettore MC4R.	
Teplizumab	Biologico	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento per ritardare o prevenire il diabete di tipo I nei pazienti a rischio.	
Rebisufligene etisparvovec (ABO-102)	Terapia avanzata	12/12/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di mucopolisaccaridosi di tipo IIIA (MPS IIIA, Sindrome di San Filippo A).	
Cellule staminali e progenitrici ematopoietiche autologhe CD34+ geneticamente modificate con il vettore lentivirale (IDUA LV) che codifica il gene dell'alfa-L-iduronidasi (OTL-203)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: mucopolisaccaridosi di tipo I (MPS-1).	
Iptacopan idrocloride (Fabhalta)	Chimico	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: glomerulopatia C3 (malattia renale mediata dal complemento).	
Pabinafusp alfa (JR-141)	Biologico	14/10/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II).	
DNL310	Biologico	19/05/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento di mucopolisaccaridosi di tipo II (MPS II).	
Pariglasgene breccaparovvec (DTX401)	Terapia avanzata	15/09/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia da accumulo di glicogeno di tipo 1A (malattia di von Gierke).	
VX-880	Terapia avanzata	30/03/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento del diabete mellito di tipo 1 (T1D) con ridotta percezione dell'ipoglicemia e ipoglicemia grave.	

Endocrinologia - ginecologia – fertilità - metabolismo		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
RP-L301	Terapia avanzata	27/07/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento del deficit di piruvato chinasi.	
Anticorpo monoclonale umano anti-recettore per l’insulina	Biologico	12/10/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’ipoglicemia iperinsulinemica dovuta a iperinsulismo congenito.	
RGX-121	Terapia avanzata	14/12/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo II.	
Rememulgene arelactibac (AUP1602-C)	Terapia avanzata	22/02/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’ulcera del piede diabetico che non cicatrizza	
GD2-CART01	Chimico	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della iperfenilalaninemia	
WU-CART-007	Terapia avanzata	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Gaucher	
Gallium (68Ga) boclatixafortide	Chimico	17/10/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’iperaldosteronismo primario	
Gastroenterologia - Epatologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Odevixibat (Bylvay)	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva.	
Seladelpar (Livdelzi)	Chimico	13/10/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della colangite biliare primaria.	
Efruxifermin	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: steatoepatite non alcolica.	
BI 456906	Chimico	09/11/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della steatoepatite non alcolica e della steatosi epatica non alcolica (NASH/NAFLD) con fibrosi.	
Pegozafermin	Biologico	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento steatoepatite associata a disfunzione metabolica (MASH) con fibrosi e MASH con cirrosi compensata	

Immunologia-Reumatologia-Trapiantologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Avacopan (Tavneos)	Chimico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con vasculite ANCA associata (inclusa granulomatosi con poliangioite e poliangite microscopica).	
Imlifidase (Idefirix)	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di desensibilizzazione di pazienti adulti altamente sensibilizzati che necessitano di trapianto di rene con un crossmatch positivo contro un donatore deceduto disponibile.	
Cellule allogeniche CD34+ dal sangue del cordone ombelicale, coltivate ex vivo con ligando Notch Delta1 (NLA101)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento nel trapianto di cellule staminali ematopoietiche.	
PF-06823859	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della dermatomiosite.	
Marnetegrane autotemcel(RP-L201)	Terapia avanzata	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento del deficit di adesione leucocitaria tipo I.	
Firolimogene autotemcel (MB-107)	Terapia avanzata	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’immunodeficienza combinata grave legata al cromosoma X (XSCID) nei neonati appena diagnosticati.	
Malattie cardiovascolari		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Bentracimab (PB2452)	Biologico	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: inversione degli effetti antiplateletici di ticagrelor in pazienti con sanguinamento maggiore o potenzialmente fatale non controllato o che richiedono un intervento chirurgico urgente o una procedura invasiva.	
Sotatercept (Winrevair)	Biologico	30/04/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’ipertensione arteriosa polmonare (PAH).	
ApTOLL	Chimico	26/01/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’ictus cerebrale ischemico acuto.	
RP-A501 (AAV9.LAMP2B)	Terapia avanzata	25/05/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Danon.	
RNA messaggero che codifica per la Cas9, RNA a guida singola diretto verso il gene umano della KLKB1	Terapia avanzata	12/10/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’angioedema ereditario.	

Malattie infettive		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Bulevirtide (Hepcludex)	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’infezione cronica da virus dell’ epatite D.	
Nangibotide (LR12)	Chimico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dello shock settico.	
Isonafarnib	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’infezione da virus dell’epatite D.	
Nirsevimab (Beyfortus)	Biologico	31/01/2019
	Indicazione terapeutica: prevenzione dell’infezione del tratto respiratorio inferiore causata dal virus respiratorio sinciziale.	
Vaccino per virus Chikungunya(parere favorevole dell’EMA all’AIC durante la stesura del presente rapporto)	Biologico	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per prevenire la malattia causata dall’infezione da virus chikungunya in soggetti di età pari o superiore a 12 anni.	
Posoleucel (ALVR-105)	Terapia avanzata	30/01/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di infezioni gravi da virus BK, citomegalovirus, herpes virus umano-6, virus di Epstein Barr e/o adenovirus in riceventi trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) allogenic.	
Vaccino GBS-NN/NN2	Immunologico	15/09/2022
	Indicazione terapeutica: prevenzione della malattia invasiva da streptococco di gruppo B nei neonati mediante immunizzazione attiva delle donne in gravidanza.	
BJT-778	Biologico	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della infezione cronica da virus dell’epatite D.	
Tobevibart e Elebsiran	Biologico	18/12/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’infezione epatitica cronica da virus dell’epatite D (HDV).	
Neurologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Aducanumab	Biologico	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Alzheimer.	
Onasemnogene abeparvovec (Zolgensma)	Terapia avanzata	26/01/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con diagnosi di atrofia muscolare spinale di tipo 1.	
Elivaldogene autotemcel (Skysona)	Terapia avanzata	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di adrenoleucodistrofia cerebrale (CALD).	

Neurologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Tominersen (RO7234292)	Chimico	26/07/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Huntington (HTT).	
Risdiplam (Evrysdi)	Chimico	13/12/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’atrofia muscolare spinale 5q in pazienti con diagnosi clinica di SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o aventi da 1 a 4 copie di SMN2.	
Sesiclenegene cosaparvovec (AT-GTX-501)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: rallentamento della progressione della malattia nei pazienti pediatrici con la variante tardo-infantile della lipofusinosi ceroidi neuronale 6 (vLINCL6).	
Apitegromab	Biologico	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’atrofia muscolare spinale.	
nomlabofusp (CTI-1601)	Biologico	20/05/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’atassia di Friedreich.	
Firazorexton (TAK-994)	Chimico	16/09/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della narcolessia con cataplessia.	
Nicardipina	Chimico	13/10/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’emorragia sub-aracnoidea non traumatica in pazienti sottoposti a intervento chirurgico.	
FBX-101	Terapia avanzata	21/12/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Krabbe/leucodistrofia a cellule globoidi.	
PRAX-222	Chimico	09/11/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’encefalopatia SCN2A epilettica e di sviluppo.	
Oftalmologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Entacinegene turiparvovec (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzata	22/02/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’acromatopsia associata a difetti nel CNGB3.	
Sepofarsen (QR-110)	Chimico	25/07/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’amaurosi congenita di Leber.	

Oftalmologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Vettore virale adenovirus-associato del serotipo 5 contenente il gene umano RPGR	Terapia avanzata	27/02/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento della retinite pigmentosa legata all’X.	
Ixoberogene soroparvovec (ADVM-022)	Terapia avanzata	23/06/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento della degenerazione maculare neovascolare (essudativa) correlata all’età.	
Laruparetigene zovaparvovec (GTC-501)	Terapia avanzata	26/04/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della retinite pigmentosa associata al cromosoma X (XLRP).	
4D-150	Terapia avanzata	12/10/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della degenerazione maculare neovascolare (essudativa) correlata all’età (AMD).	
ANX007	Biologico	12/10/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dell’Atrofia Geografica (GA) secondaria alla degenerazione maculare correlata all’età (AMD).	
Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Axicabtagene ciloleucel (Yescarta)	Terapia avanzata	26/05/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B che non hanno risposto alla terapia precedente o hanno avuto progressione della malattia dopo trapianto autologo di cellule staminali.	
Tisagenlecleucel (Kymriah)	Terapia avanzata	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti pediatrici con leucemia linfoblastica acuta recidivante o refrattaria a cellule B.	
Letetresgene autoleucel (NY-ESO-1c259T)	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti alleli positivi HLA-A*0201, HLA-A*0205 o HLA-A*0206 con sarcoma sinoviale non operabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e il cui tumore esprime l’antigene tumorale NY-ESO-1.	
Tasadenoturev	Terapia avanzata	21/07/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma ricorrente in pazienti per i quali non è possibile o consigliabile una resezione totale lorda o per coloro che rifiutano un ulteriore intervento chirurgico.	
Cellule T CD3+ che esprimono il recettore antigenico chimerico CD19 (JCAR015)	Terapia avanzata	15/09/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta B-cellulare recidivante / refrattaria.	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Lisocabtagene maraleucel (Breyanzi)	Terapia avanzata	15/12/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante/refrattario.	
Asunercept	Biologico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del glioblastoma.	
Polatuzumab vedotin (Polivy)	Biologico	22/06/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante e refrattario.	
Vocimagene amiretrorepevec	Terapia avanzata	20/07/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di glioma ad alto grado.	
Belantamab mafodotin (Blenrep)	Biologico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e refrattario la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Entrectinib (Rozlytrek)	Chimico	12/10/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento di tumori solidi positivi per la fusione genica NTRK, localmente avanzati o metastatici in pazienti adulti e pediatrici che hanno progredito in seguito a precedenti terapie o che non hanno una terapia standard accettabile.	
Idecabtagene vicleucel (Abecma)	Terapia avanzata	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante e refrattario, la cui precedente terapia includeva un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Brexucabtagene autoleucel (Tecartus)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario.	
Ciltacabtagene autoleucel (Carvykti)	Terapia avanzata	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, i cui regimi precedenti comprendevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38 e che presentavano una progressione.	
Linfociti T citotossici allogenici specifici per EBV	Terapia avanzata	29/05/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del disturbo linfoproliferativo post-trapianto refrattario al rituximab (PTLD).	
Ninnetinib (CT053)	Terapia avanzata	19/09/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con mieloma multiplo recidivante e/o refrattario (MM), i cui regimi precedenti includevano un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale anti-CD38.	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Zamtocabtagene autoleucel (MB-CART2019.1)	Terapia avanzata	17/10/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con linfoma diffuso a grandi cellule B recidivante e refrattario (DLBCL) dopo terapia di prima linea e non idonei al trapianto di cellule staminali autologhe.	
Popolazioni di cellule T CD4+ e CD8+ autologhe geneticamente modificate trasdotte con un vettore lentivirale incompetente alla replicazione, auto-inattivante in grado di esprimere un recettore antigenico chimerico (CAR) specifico per l'antigene di maturazione delle cellule B (JCAR125)A	Terapia avanzata	14/11/2019
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo recidivante refrattario, le cui precedenti terapie includevano il trapianto di cellule staminali autologhe se erano ammissibili, un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo anti-CD38.	
Afamitresgene autoleucel (ADP-A2M4)	Terapia avanzata	23/07/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti positivi per HLA-A *02 con sarcoma sinoviale inoperabile o metastatico che hanno ricevuto una precedente chemioterapia e il cui tumore esprime l'antigene tumorale MAGE-A4.	
Cellule T autologhe geneticamente modificate dirette da CD30 (CD30.CAR-T)	Terapia avanzata	17/09/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento del linfoma di Hodgkin classico.	
Magrolimab	Biologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: sindromi mielodisplastiche.	
Lacutamab	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con sindrome di Sézary che hanno ricevuto almeno due precedenti terapie sistemiche.	
Dorocubicel (Zemcelpro) ECT-001-CB	Terapia avanzata	10/12/2020
	Indicazione terapeutica: trapianto urgente di cellule staminali ematopoietiche allogeniche.	
Talquetamab (Talvey)	Biologico	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, che in precedenza avevano ricevuto ≥ 3 linee terapeutiche precedenti.	
Teclistamab (Tecvayli)	Biologico	29/01/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante o refrattario, che in precedenza hanno ricevuto ≥ 3 linee terapeutiche precedenti.	
Elranatamab (Elrexio)	Biologico	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento del mieloma multiplo.	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Obecabtagene autoleucel (AUTO1)	Terapia avanzata	25/03/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta a cellule B recidivante o refrattaria.	
CT041 (cellule CAR-CLDN18.2T)	Terapia avanzata	11/11/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti con carcinoma gastrico avanzato che hanno fallito almeno 2 precedenti linee di terapia sistemica.	
ARI-0001	Terapia avanzata	16/12/2021
	Indicazione terapeutica: trattamento di pazienti di età superiore a 25 anni con leucemia linfoblastica acuta recidivante/refrattaria.	
BNT211	Terapia avanzata	23/06/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento dei tumori testicolari delle cellule germinali.	
AMB-05X	Biologico	21/12/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento del tumore tenosinoviale a cellule giganti.	
mRNA-4157 (V940)	Terapia avanzata	30/03/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento del melanoma.	
ABSK021	Chimico	25/05/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento del tumore tenosinoviale a cellule giganti.	
Iopofosine I-131	Radiofarmaco	14/09/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti con macroglobulinemia di Waldenstrom (WM) che hanno ricevuto almeno due precedenti linee di terapia.	
Esepapogene zalarnarepvec	Terapia avanzata	21/03/2024
	Indicazione terapeutica: carcinoma orofaringeo a cellule squamose ricorrente o metastatico, HPV 16 positivo, con PD-L1 CPS ≥20.	
WU-CART-007	Terapia avanzata	25/04/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della leucemia linfoblastica acuta a cellule T recidivata/refrattaria e del linfoma linfoblastico a cellule T.	
GD2-CART01	Terapia avanzata	25/07/2024
	Indicazione terapeutica: neuroblastoma ad alto rischio recidivato/refrattario.	
NX-5948	Chimico	20/11/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento dei pazienti adulti con leucemia linfocitica cronica recidivata o refrattaria o linfoma a piccole cellule (CLL/SLL) dopo almeno un inibitore BTK e un inibitore BCL-2.	

Oncologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
GSK5764227	Biologico	18/12/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento del carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso, recidivato.	
Pneumologia-allergologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Brensocatib	Chimico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: trattamento delle bronchiectasie da fibrosi non cistica.	
Psichiatria		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Allopregnanolone (SAGE-547)	Chimico	10/11/2016
	Indicazione terapeutica: trattamento della depressione postpartum.	
Rapastinel	Chimico	18/05/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento aggiuntivo del disturbo depressivo maggiore.	
Uro-nefrologia		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Lumasiran (Oxlumo)	Chimico	22/03/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento di iperossaluria primaria di tipo 1.	
Inaxaplin (VX-147)	Chimico	19/05/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia renale cronica proteinurica mediata dall'apolipoproteina L1 (APOL1) in pazienti con due mutazioni genetiche APOL1 (G1/G1, G1/G2 o G2/G2).	
Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Vaccino contro il virus Ebola Zaire (Ervebo)	Immunologico	23/06/2016
	Indicazione terapeutica: vaccinazione contro l'Ebola (ceppo Zaire).	
Vaccino MV-CHIK	Biologico	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: prevenzione della febbre da Chikungunya.	
Mycobacterium tuberculosis (MTBVAC)	Immunologico	28/06/2018
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva contro la tubercolosi nei neonati (obiettivo primario) e adolescenti e adulti (obiettivo secondario).	

Vaccini		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Vaccino inattivato purificato dal virus Zika (TAK-426)	Immunologico	28/03/2019
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia causata dal virus Zika.	
VLA1553 (Ixchiq)	Immunologico	15/10/2020
	Indicazione terapeutica: profilassi della malattia da virus Chikungunya.	
VAC18193	Biologico	12/11/2020
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia delle basse vie respiratorie causata da virus respiratorio sinciziale (RSV) negli adulti.	
Vaccino polisaccaridico coniugato 6-valente per Streptococco di gruppo B (GBS6)	Immunologico	22/04/2022
	Indicazione terapeutica: prevenzione della malattia invasiva da streptococco di gruppo B (sierotipi del vaccino) neonatale mediante immunizzazione materna durante la gravidanza.	
MVA-BN-RSV	Immunologico	23/06/2022
	Indicazione terapeutica: immunizzazione attiva per la prevenzione della malattia delle basse vie respiratorie causata da virus respiratorio sinciziale (RSV) negli adulti con età ≥60 anni.	
Vaccino ChAdOx1 per MERS	Biologico	14/12/2023
	Indicazione terapeutica: prevenzione della Middle East Respiratory Syndrome (MERS).	
Vaccino per il virus respiratorio sinciziale	Biologico	14/12/2023
	Indicazione terapeutica: prevenzione della malattia da virus respiratorio sinciziale (RSV).	
Altro		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
Setrusumab (anticorpo monoclonale lambda IgG2 umanizzato ricombinante contro la sclerostina umana, BPS804)	Biologico	09/11/2017
	Indicazione terapeutica: trattamento dell'osteogenesi imperfetta di tipo I, III e IV.	
Resamirigene bilparvovec (AT132)	Terapia avanzata	31/05/2018
	Indicazione terapeutica: trattamento della miopatia miotubulare legata al cromosoma X.	
BCX9250	Chimico	22/04/2022
	Indicazione terapeutica: trattamento della fibrodisplasia ossificante progressiva.	
GNT0003	Terapia avanzata	26/01/2023
	Indicazione terapeutica: trattamento della sindrome grave Crigler-Najjar in adulti e bambini con età superiore a 10 anni, che richiedono fototerapia.	

Altro		
PRINCIPIO ATTIVO	TIPOLOGIA	DATA DI AMMISSIONE
GTX 102	Chimico	25/01/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della sindrome di Angelman.	
Isaralgagene civaparvovec	Terapia avanzata	25/01/2024
	Indicazione terapeutica: trattamento della malattia di Fabri.	

Glossario

ATC

AREA TERAPEUTICA

A	Apparato gastrointestinale e metabolismo
B	Sangue e organi emopoietici
C	Sistema cardiovascolare
D	Dermatologici
G	Sistema genito-urinario e ormoni sessuali
H	Preparati ormonali sistemici, esclusi gli ormoni sessuali
J	Antinfettivi ad uso sistemico
L	Farmaci antineoplastici ed immunomodulatori
M	Sistema muscolo-scheletrico
N	Sistema nervoso
P	Farmaci antiparassitari, insetticidi e repellenti
R	Sistema respiratorio
S	Organi di senso
V	Vari

MEDICINALE BIOSIMILARE

Un medicinale biosimilare è un medicinale sviluppato in modo da essere simile per qualità, efficacia e sicurezza a un medicinale biologico già approvato e utilizzato nell'UE (il cosiddetto "biologico di riferimento") e per il quale sia scaduta la copertura brevettuale. Un biosimilare e il suo prodotto di riferimento, pur essendo di fatto la stessa sostanza biologica, possono presentare differenze minori dovute a un certo grado di variabilità naturale, alla loro natura complessa e alle tecniche di produzione. Una volta che il medicinale biologico di riferimento ha perso la copertura brevettuale e il suo periodo di esclusività di mercato è terminato, il medicinale biosimilare può essere commercializzato.

MEDICINALE EQUIVALENTE

È un medicinale che contiene lo stesso principio attivo e nella stessa concentrazione di un farmaco di marca non più coperto da brevetto (definito medicinale di riferimento o originator). I medicinali equivalenti hanno, inoltre, la stessa forma farmaceutica e le stesse indicazioni del farmaco di riferimento. Sono dunque, dal punto di vista terapeutico, equivalenti al prodotto da cui hanno origine e possono quindi essere utilizzati in sua sostituzione. Per valutare la stretta somiglianza tra medicinale equivalente e medicinale di riferimento vengono realizzati studi che analizzano la biodisponibilità del medicinale, un parametro che indica a che velocità e in che quantità il principio attivo si distribuisce (e viene

quindi reso disponibile) nell'organismo. Se la biodisponibilità del medicinale equivalente ha gli stessi valori del medicinale di riferimento, si può affermare che i due medicinali sono bioequivalenti.

ATC

Il sistema ATC (Anatomical Therapeutic Chemical classification system) è un sistema di classificazione anatomico, terapeutico e chimico usato per la classificazione sistematica dei farmaci. È un sistema di tipo alfanumerico che suddivide i farmaci in base a uno schema costituito da 5 livelli gerarchici, controllato dall'Organizzazione Mondiale della Sanità. Il primo livello contiene il gruppo anatomico principale, contraddistinto da 14 lettere A, B, C, D, G, H, J, L, M, N, P, R, S, V. In particolare, con la lettera V vengono identificate varie tipologie di principi attivi non rientranti nelle altre categorie, tra cui allergeni, antidoti, diagnostici, mezzi di contrasto e radiofarmaci.

AREA TERAPEUTICA

Raggruppamento di medicinali indicati per aree specialistiche.

PARERE EMA

Si intende il parere rilasciato dal Comitato per i Medicinali per Uso umano (CHMP-Committee for Medicinal Products for Human Use) dell'EMA (Agenzia Europea per i Medicinali), in merito all'autorizzazione all'immissione in commercio di un medicinale o di una nuova indicazione terapeutica di un medicinale già autorizzato.

PROCEDURA CENTRALIZZATA

La procedura centralizzata è la procedura di autorizzazione all'immissione in commercio che si svolge presso l'EMA. È obbligatoria per medicinali derivati da procedimenti biotecnologici, medicinali per terapie avanzate, medicinali orfani, medicinali per il trattamento della sindrome da immunodeficienza acquisita, del cancro, dei disordini neurodegenerativi, del diabete, per i medicinali per malattie autoimmuni e altre disfunzioni immunitarie e per le malattie virali. Inoltre, è previsto un accesso facoltativo alla procedura centralizzata anche per medicinali che non rientrano nelle classi menzionate, ma che siano giudicati innovativi sul piano terapeutico, scientifico o tecnologico o la cui autorizzazione comunitaria sia ritenuta utile per i pazienti.

PRIME

Il PRIME (PRiority MEDicines scheme) è un programma previsto dall'EMA per sostenere e ottimizzare lo sviluppo dei medicinali in aree terapeutiche con i più urgenti bisogni di salute insoddisfatti. Il PRIME si basa sul contesto regolatorio esistente, nonché su strumenti già disponibili, come la consulenza scientifica e la valutazione accelerata.

MEDICINALE ORFANO

Nell'UE la qualifica di "medicinale orfano" viene attribuita dal Comitato per i Medicinali Orfani (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) dell'EMA a un medicinale che risponde ai seguenti criteri:

- 1) deve essere indicato per una patologia che mette in pericolo la vita, o per un'affezione seriamente debilitante o un'affezione grave e cronica;
- 2) deve essere indicato per una condizione clinica rara, definita da una prevalenza di non più di 5 soggetti ogni 10.000 individui, calcolata a livello UE;
- 3) non devono essere disponibili trattamenti validi o, se sono già disponibili dei trattamenti, il nuovo farmaco deve rappresentare un beneficio clinico significativo.

MEDICINALI PER TERAPIE AVANZATE

I medicinali per terapie avanzate (Advanced Therapeutic Medicinal Products - ATMPs), rientrano nella definizione di "medicinale biologico", ovvero un prodotto il cui principio attivo è una sostanza biologica. Una sostanza biologica è una sostanza prodotta, o estratta, da una fonte biologica e che richiede per la sua caratterizzazione e per la determinazione della sua qualità una serie di esami fisico-chimico-biologici, nonché le indicazioni sul processo di produzione e il suo controllo. I medicinali per terapie avanzate possono essere classificati in quattro gruppi principali:

- **Medicinali di terapia genica:** contengono geni che portano ad un effetto terapeutico, profilattico o diagnostico. Funzionano attraverso l'utilizzo di DNA "ricombinante", di solito per il trattamento di una varietà di malattie, tra cui malattie genetiche, cancro o malattie a lunga prognosi. Un gene ricombinante è

un tratto di DNA che viene creato in laboratorio, riunendo DNA da fonti diverse;

- **Medicinali di terapia cellulare somatica:** contengono cellule o tessuti che sono stati manipolati per cambiare le loro caratteristiche biologiche ovvero cellule o tessuti non destinati ad essere utilizzati per le stesse funzioni essenziali originali. Possono essere utilizzati per curare, diagnosticare o prevenire le malattie;
- **Medicinali di ingegneria tissutale:** contengono cellule o tessuti che sono stati modificati in modo da poter essere utilizzati per riparare, rigenerare o sostituire tessuti umani;
- **Medicinali di terapia avanzata combinati:** contengono uno o più dispositivi medici come parte integrante del medicinale. Un esempio sono le cellule fatte crescere su matrici biodegradabili o supporti sintetici.

CLASSIFICAZIONE AI FINI DEL REGIME DI FORNITURA

Modalità in cui un farmaco può essere dispensato al pubblico (in farmacia, al supermercato o in ospedale, con ricetta del medico o senza).

I medicinali sono classificati in una o più delle seguenti categorie:

- a) medicinali soggetti a prescrizione medica (RR);
- b) medicinali soggetti a prescrizione medica da rinnovare volta per volta (RNR);
- c) medicinali soggetti a prescrizione medica speciale o a ricalco (RMR o RMS);
- d) medicinali soggetti a prescrizione medica limitativa, comprendenti:

- medicinali vendibili al pubblico su prescrizione di centri ospedalieri o di specialisti (RRL);
- medicinali utilizzabili esclusivamente in ambiente ospedaliero o in ambiente ad esso assimilabile (OSP);
- e) medicinali non soggetti a prescrizione medica comprendenti:
 - medicinali da banco o di automedicazione (SOP e OTC);

CLASSIFICAZIONE

AI FINI DELLA RIMBORSABILITÀ

Tutti i farmaci, ai fini dell'attribuzione della classe di rimborsabilità, sono classificati in:

CLASSE A/H: rimborsati totalmente dal Servizio Sanitario Nazionale;

CLASSE C: non rimborsati dal Servizio Sanitario Nazionale; il prezzo è liberamente fissato dall'azienda farmaceutica e può essere aumentato solo negli anni dispari.

I farmaci prescrivibili senza obbligo di ricetta, fascia C-bis (SOP e OTC), possono essere acquistati, oltre che in farmacia, anche nelle parafarmacie e nei cosiddetti "corner" della grande distribuzione.

