

LISTA PROGRAMMI DI USO TERAPEUTICO

Aggiornamento 11 marzo 2026

Azienda Farmaceutica	Principio attivo (Nome commerciale)	Indicazione terapeutica	Inizio Programma UC
Adienne	Begelomab (Begedina)	GvHD resistente a precedenti trattamenti	Anno 2015
Pfizer	Lorlatinib	Pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato, positivo per ALK o ROS1. <u>Pazienti ALK positivi</u> : precedente trattamento con almeno un ALK TKI (sono richiesti due ALK TKI se il primo trattamento è stato con crizotinib). <u>Pazienti ROS1 positivi</u> : precedente trattamento almeno con crizotinib	Anno 2017
Janssen-Cilag	Rilpivirina (programma in combinazione con Cabotegravir)	trattamento dell'infezione da HIV in pazienti adulti senza alternative terapeutiche autorizzate e che richiedano l'utilizzo di un regime parenterale a causa di condizioni cliniche concomitanti	Anno 2018
ViiV Healthcare	Cabotegravir (programma in combinazione Rilpivirina)	Trattamento dell'infezione da HIV in pazienti adulti senza alternative terapeutiche e che richiedano l'utilizzo di un regime parenterale a causa di condizioni cliniche concomitanti	Anno 2018
GW Pharma Ltd	Cannabidiolo soluzione orale (Epidyolex)	Trattamento di pazienti con sindrome di Dravet e sindrome di Lennox-Gastaut	Anno 2018
Kyowa Kirin	Burosumab (Crysvita)	Trattamento dell'ipofosfemia X-linked (XLH) in pazienti adulti con evidenza radiografica di malattia ossea	Anno 2019

Astra Zeneca	Olaparib (Lynparza)	Trattamento di pazienti affette da carcinoma mammario triplo negativo (TNBC) o carcinoma mammario HER2-/ HR+ con mutazione deleteria confermata o sospetta di BRCA1 o BRCA2 nella linea germinale, precedentemente trattate con chemioterapia nel setting adiuvante, neoadiuvante o metastatico, non candidabili ad ulteriore terapia anti-ormonale	Anno 2019
Pfizer	Talazoparib	Pazienti con tumore della mammella avanzato o metastatico, con una mutazione BRCA1 o BRCA2, negativo per HER2 (HER2-) e con nessuna o altra opzione terapeutica autorizzata disponibile	Anno 2019
Novartis	Crizanlizumab	Trattamento di pazienti con anemia falciforme (sickle cell disease SCD) e ricorrenti crisi vaso-occlusive (VOC) per i quali non sia disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2019
PTC Therapeutics	Translarna (Ataluren)	Trattamento di pazienti deambulanti di età compresa tra 2 e 5 anni, affetti da distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsenso del gene della distrofina (nmDMD)	Anno 2019
Novartis	Asciminib (ABL001)	Leucemia Mieloide Cronica già trattati con le terapie farmacologiche commercialmente disponibili e per i quali, a giudizio del medico, non sussistono ulteriori alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2019
Eli Lilly	Lartruvo (Olaratumab)	Programma riservato ai pazienti attualmente in trattamento con Lartruvo in associazione a doxorubicina per il trattamento dei pazienti adulti affetti da sarcoma dei tessuti molli in fase avanzata che non sono candidabili a trattamenti curativi di tipo chirurgico o radioterapico e che non sono stati precedentemente trattati con doxorubicina	Anno 2019
Roche	Kadcyla (Trastuzumab emtansine)	Trattamento adiuvante, in monoterapia, di pazienti adulti affetti da tumore mammario in stadio iniziale HER2-positivo con malattia invasiva residua a livello della mammella e/o dei linfonodi dopo trattamento sistemico preoperatorio che abbia incluso almeno trastuzumab e taxano (terapia mirata contro HER2)	Anno 2019

Roche	Entrectinib	Trattamento, in monoterapia, di pazienti adulti e pediatrici con tumore solido localmente avanzato o metastatico con positività per la fusione genica di un recettore tirosin-chinasico neurotrofico (NTRK) in progressione dopo terapia oppure come terapia iniziale in pazienti non candidabili a nessuna terapia standard approvata.	Anno 2019
Roche	Entrectinib	Trattamento, in monoterapia, di carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato, ROS1-positivo, in pazienti non candidabili al trattamento con Crizotinib	Anno 2019
Novartis	Dabrafenib (Tafinlar)/Trametinib (Mekinist)	carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio metastatico positivo alla mutazione BRAF V600E e per la quale, a giudizio del medico, non vi sono ulteriori alternative terapeutiche autorizzate che consentano di migliorarne il decorso clinico	Anno 2019
Astra Zeneca	Olaparib (Lynparza)	Trattamento di mantenimento in monoterapia, in pazienti con adenocarcinoma pancreatico metastatico BRCA mutato, in risposta dopo una terapia di prima linea con chemioterapia a base di platino	Anno 2019
Novartis	Siponimod (BAF312)	Trattamento di pazienti adulti affetti da sclerosi multipla secondariamente progressiva, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2019
Shionogi B.V.	Cefiderocol (Fetcroja)	Trattamento delle infezioni causate da organismi gram-negativi, con evidenza o sospetto di resistenza ai carbapenami, nei pazienti adulti privi di appropriate alternative terapeutiche	Anno 2020
Astra Zeneca	Durvalumab (Imfinzi)	In combinazione con platino ed etoposide per il trattamento di prima linea del carcinoma polmonare a piccole cellule (SCLC) in stadio esteso	Anno 2020

Pfizer	Tafamidis (Vyndaqel)	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild-type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM).	Anno 2020
GlaxoSmithKline	Niraparib (Zejula)	Trattamento di mantenimento di pazienti con carcinoma dell'ovaio avanzato in risposta dopo trattamento di prima linea con chemioterapia a base di platino, che non possono essere trattate con alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2020
Menarini Industrie Farmaceutiche Riunite	Vaborem (meropenem-vaborbactam)	trattamento dell'infezione da Enterobacteriaceae-Klebsiella pneumoniae, resistente ai carbapenemi (CRE-KPC), in pazienti adulti affetti da polmonite batterica acquisita in ospedale, inclusa polmonite batterica associata a ventilazione, pazienti con batteriemia primaria o secondaria o altre infezioni da CRE-KPC con opzioni terapeutiche limitate	Anno 2020
Roche	Risdiplam	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 1, in pazienti non candidabili a terapie autorizzate o che, a giudizio del medico curante, non siano in grado di continuare il trattamento in corso con la terapia autorizzata	Anno 2020
Roche	Risdiplam	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 2, in pazienti non candidabili a terapie autorizzate o che, a giudizio del medico curante, non siano in grado di continuare il trattamento in corso con la terapia autorizzata	Anno 2020
Incyte	Pemigatinib	Trattamento di pazienti adulti con colangiocarcinoma metastatico o localmente avanzato	Anno 2020
Glaxosmithkline	Belantamab Mafodotin	In monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato/refrattario, che hanno ricevuto almeno quattro precedenti terapie, la cui malattia è refrattaria ad almeno un inibitore del proteasoma, un agente immunomodulatore e un anticorpo monoclonale anti-CD38.	Anno 2020

Novartis	Dabrafenib (Tafinlar) e/o Trametinib (Mekinist)	Trattamento di pazienti adulti o pediatrici, affetti da tumori con mutazioni di BRAFV600	Anno 2020
Anylam Pharmaceuticals	Lumasiran	Trattamento di pazienti con iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1), privi di una valida alternativa terapeutica	Anno 2020
Takeda	Pevonedistat	Trattamento di prima linea di pazienti con Sindromi mielodisplastiche acute ad alto rischio, o Low Blast Acute Myelogenous Leukemia	Anno 2020
Bristol-Myers Squibb	Luspatercept (Reblozyl)	Trattamento di anemia trasfusione-dipendente, associata a beta-talassemia	Anno 2020
Bristol-Myers Squibb	Luspatercept (Reblozyl)	Trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindrome mielodisplastica (SMD) a rischio molto basso, basso e intermedio, nei pazienti che presentano sideroblasti ad anello con risposta insoddisfacente o non idonei a terapia basata su eritropoietina	Anno 2020
Merck Sharp & Dohme	Pembrolizumab (Keytruda)	Trattamento in monoterapia del carcinoma del colon-retto di stadio IV con elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H) o difetto del mismatch repair (dMMR)	Anno 2020
Albireo AB	Odevixibat (Bylvay)	Trattamento della colestasi intraepatica progressiva familiare	Anno 2020

Abbvie	Upadacitinib (Rinvoq)	Trattamento di pazienti adolescenti ($12 \leq \text{età} < 18$ anni) con dermatite atopica da moderata a grave, che si sono sottoposti a tutte le terapie autorizzate senza miglioramento, e che hanno esaurito le alternative terapeutiche, a causa di intolleranze, o di mancanza di risposta alle terapie locali e sistemiche autorizzate, o che a causa di importanti reazioni avverse o rischi che precludono l'utilizzo di terapie autorizzate	Anno 2021
Merck Serono	Avelumab (Bavencio)	In monoterapia per il trattamento di mantenimento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma uroteliale localmente avanzato o metastatico, che sono liberi da progressione a seguito di chemioterapia a base di platino	Anno 2021
GlaxoSmithKline	Dostarlimab	Trattamento di pazienti adulte affette da carcinoma endometriale avanzato o ricorrente, con deficit del sistema di Mismatch Repair (dMMR)/elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H), progredito durante o dopo un precedente trattamento chemioterapico con un regime a base di platino	Anno 2021
Mirum Pharmaceuticals	Maralixibat	Trattamento di pazienti con prurito colestatico associato a sindrome di Alagille	Anno 2021
Fondazione Tettamanti Menotti De Marchi Onlus	CARCIK-CD19 (Linfociti T allogenici modificati geneticamente per esprimere un recettore CAR CD19 specifico)	Trattamento di pazienti adulti e pediatrici affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta a precursori B (BCP-LLA) recidivata o refrattaria (r/r), dopo Trapianto allogenico di Cellule Staminali Ematopoietiche (allo-HSCT), per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2021
Angelini Pharma S.p.A.	Cenobamato (Ontozry)	Trattamento aggiuntivo di pazienti adulti affetti da epilessia con crisi focali, con o senza generalizzazione secondaria, non controllata dal precedente trattamento con almeno due medicinali antiepilettici	Anno 2021
Seagen Inc.	Tucatinib (Tukysa)	In combinazione con capecitabina e trastuzumab per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma mammario metastatico HER2+ precedentemente trattato	Anno 2021

Sanofi	Dupilumab (Dupixent)	Trattamento della dermatite atopica grave in bambini di età compresa tra 6 e 11 anni, eleggibili per la terapia sistemica, con malattia non adeguatamente controllata dal trattamento con terapie approvate	Anno 2021
AstraZeneca	Osimetinib (Tagrisso)	Trattamento in monoterapia, o in associazione a chemioterapia adiuvante, di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) positivo per la mutazione del recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR), a seguito di resezione completa del tumore	Anno 2021
Janssen-Cilag	Amivantamab	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) metastatico che presenta mutazioni dell'inserzione dell'esone 20 dell'EGFR (Exon20ins) e la cui malattia è progredita durante o dopo l'attuale standard di cura rappresentato da chemioterapia a base di platino	Anno 2021
Novartis	Alpelisib	Trattamento di pazienti con tumori solidi con mutazione di PI3KCA, per cui non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2021
Roche	Pralsetinib (Gavreto)	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) non resecabile o metastatico, positivo per la fusione del gene RET, non candidabili al trattamento con alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2021
Roche	Pralsetinib (Gavreto)	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma midollare della tiroide (MTC), avanzato o metastatico, RET mutato, o da carcinoma della tiroide positivo per la fusione del gene RET, che richiede di terapia sistemica, non candidabili al trattamento con alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2021
Immunocore Ltd	Tebentafusp	Trattamento di pazienti adulti HLA-A*02:01 positivi affetti da melanoma uveale metastatico	Anno 2021

BeiGene Switzerland GmbH	Zanubrutinib (Brukinsa)	Trattamento di pazienti adulti affetti da macroglobulinemia di Waldenström, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2021
Incyte Biosciences Italy Srl	Retifanilimab	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma squamoso del canale anale (SCAC) che hanno registrato progressione dopo l'chemioterapia a base di platino	Anno 2021
Janssen-Cilag	Rilematovir	Trattamento di pazienti, pediatrici o adulti, immunocompromessi a rischio di malattia severa/morte da infezione da virus respiratorio sinciziale (RSV)	Anno 2021
Argenx	Efgartigimod	Trattamento dei pazienti con Miastenia Gravis generalizzata (gMG), che non traggono beneficio dalle terapie attualmente disponibili	Anno 2021
Sanofi S.r.l.	Avalglucosidasi alfa (Nexviadyme)	Terapia enzimatica sostitutiva per pazienti affetti da malattia di Pompe, che abbiano manifestato declino clinico in corso di trattamento con alglucosidasi alfa	Anno 2021
Gilead Sciences S.r.l.	Sacituzumab govitecan (Trodelvy)	Trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella triplo negativo, metastatico o non resecabile localmente avanzato, che abbiano ricevuto in precedenza almeno due terapie sistemiche, almeno una delle quali per la malattia localmente avanzata o metastatica, e che abbiano esaurito le alternative terapeutiche disponibili	Anno 2021
Vifor Pharma	Difelikefalin	Trattamento del prurito associato a malattia renale cronica in pazienti adulti sottoposti ad emodialisi	Anno 2021

Sanofi S.r.l.	Olipudase alfa	Terapia enzimatica sostitutiva per pazienti adulti e pediatrici (a partire dai 3 anni di età) affetti da deficit cronico di sfingomielinasi acida (ASMD)	Anno 2021
Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma Ltd.	Avacopan (Tavneos)	In associazione ad un regime a base di rituximab o ciclofosfamide, per il trattamento di pazienti adulti con granulatosi con poliangioite (GPA) o poliangioite microscopica (MPA) in fase attiva e severa	Anno 2022
Sanofi	Cemiplimab (Libtayo)	In monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma del polmone non a piccole cellule (NSCLC), con espressione di PD-L1 (in $\geq 50\%$ delle cellule tumorali), senza aberrazioni EGFR, ALK o ROS1, che presentano NSCLC localmente avanzato e non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva	Anno 2022
Daiichi Sankyo	Trastuzumab deruxtecan (Enhertu)	In monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella HER2-positivo non resecabile e/o metastatico, che non possano essere trattati con alcuna alternativa terapeutica autorizzata, e che abbiano ricevuto un precedente trattamento a base di trastuzumab e un taxano e non più di una linea precedente per il setting metastatico	Anno 2022
Roche	Glofitamab (Columvi)	Trattamento di pazienti con diagnosi di linfoma diffuso a grandi cellule B recidivato/refrattario (R/R DLBCL), linfoma ad alto grado recidivato/refrattario (R/R HGL), linfoma follicolare trasformato recidivato/refrattario (R/R trFL), linfoma primitivo del mediastino recidivato/refrattario (R/R PMBCL).	Anno 2022
Novartis	Capmatinib	Trattamento di pazienti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico (NSCLC) con mutazione c-MET	Anno 2022
MSD Italia S.r.l.	Pembrolizumab (Keytruda)	Trattamento neoadiuvante (in combinazione con chemioterapia), e successivamente trattamento adiuvante dopo chirurgia (in monoterapia), di pazienti adulti con carcinoma mammario triplo negativo localmente avanzato, infiammatorio o in stadio iniziale ad alto rischio di recidiva.	Anno 2022

Roche	Mosunetuzumab	Trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma follicolare recidivato/refrattario	Anno 2022
Albireo AB	Odevixibat (Bylvay)	Trattamento della Sindrome di Alagille	Anno 2022
Incyte Biosciences Italy & Mylan Italia	Tafasitamab (Minjuvi) in associazione a Lenalidomide Mylan	Trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma diffuso a grandi cellule B (Diffuse Large B-Cell Lymphoma, DLBCL) recidivato o refrattario e non idonei a trapianto autologo di cellule staminali (Autologous Stem Cell Transplant, ASCT), non candidabili alle alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2022
Astra Zeneca	Durvalumab (Imfinzi)	In associazione a gemcitabina e cisplatino per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari metastatico o localmente avanzato	Anno 2022
Astra Zeneca	Olaparib (Lynparza)	Trattamento di pazienti adulte affette da cancro della mammella HER2 negativo, portatrici di mutazioni BRCA1/2 patogenetiche o ad alto rischio di patogenicità, e con fattori ad alto rischio clinico-patologico, che abbiano ricevuto trattamento locale e chemioterapia adiuvante o neoadiuvante	Anno 2022
Janssen-Cilag	Teclistamab	Trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato o refrattario per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2022
Janssen-Cilag	Niraparib e Abiraterone (combinazione)	Trattamento in prima linea in pazienti con carcinoma prostatico metastatico resistente alla castrazione e con alterazione dei geni HRR (Homologous Recombination Repair)	Anno 2022

Roche	Atezolizumab (Tecentriq)	In monoterapia come trattamento adiuvante, dopo resezione chirurgica completa del tumore e chemioterapia contenente platino, in pazienti adulti affetti da NSCLC ad alto rischio di recidiva, i cui tumori presentano un'espressione di PD-L1 $\geq$ 50% sulle cellule tumorali e sono negativi per mutazioni di EGFR o riarrangiamenti di ALK	Anno 2022
Sifi S.p.A.	Polihexanide 0,8 mg/ml collirio	Trattamento della cheratite da acanthamoeba	Anno 2022
Mundipharma Pharmaceuticals S.r.l.	Rezafungin	Trattamento della candidemia e/o della candidosi invasiva	Anno 2022
MSD Italia S.r.l.	Pembrolizumab (Keytruda)	In associazione a chemioterapia con o senza bevacizumab, nel trattamento del carcinoma della cervice persistente, ricorrente o metastatico negli adulti il cui tumore esprime PD-L1 con un CPS $\geq$ 1.	Anno 2022
Boehringer Ingelheim	Spesolimab (Spevigo)	Trattamento della psoriasi pustolosa generalizzata (GPP) in fase di ricutizzazione	Anno 2022
BeiGene Switzerland GmbH	Zanubrutinib (Brukinsa)	Trattamento della Leucemia Linfatica Cronica (LLC) in pazienti non candidabili al trattamento con alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2022
Sanofi	Sutimlimab (Enjaymo)	Trattamento di pazienti adulti (> 18 anni) affetti da anemia da agglutinine fredde primaria (Cold Agglutinin Disease - CAD), limitatamente al trattamento dell'anemia emolitica di grado da moderato a grave, unfit, non-responder o ricaduti dopo un precedente trattamento con rituximab.	Anno 2023

Vertex	Ivacaftor/tezacaftor /elexacaftor (Kaftrio)	Trattamento di pazienti dai 2 ai 5 anni di età affetti da fibrosi cistica che hanno almeno una mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR)	Anno 2023
Astra Zeneca	Olaparib (Lynparza)	Trattamento in associazione con abiraterone e prednisone o prednisolone per il trattamento di pazienti adulti con cancro della prostata metastatico resistente alla castrazione (mCRPC) in cui la chemioterapia non è clinicamente indicata	Anno 2023
Chiesi Farmaceutici	Pegunigalsidase alfa (Elfabrio)	Trattamento della malattia di Fabry	Anno 2023
Takeda	TAK-755 (rADAMTS13)	Trattamento e profilassi della Porpora trombocitopenica trombotica grave, ereditaria o congenita	Anno 2023
Janssen-Cilag	Talquetamab	Trattamento del mieloma multiplo recidivante o refrattario in pazienti per i quali non sussitano alternative terapeutiche approvate	Anno 2023
Alexion Pharma	Ravulizumab (Ultomiris)	Terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata (MGg), positivi per gli anticorpi contro il recettore dell'acetilcolina (AChR+) e per i quali non sussitano alternative terapeutiche approvate	Anno 2023
Bristol-Myers Squibb	Repotrectinib	Trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con riarrangiamenti ROS1: - in pazienti pretrattati con TKI che non hanno riscontrato benefici o hanno mostrato evidenze di progressione della patologia oppure - in pazienti non eleggibili ai trattamenti autorizzati.	Anno 2023

BioCryst Ireland Limited	Berotrastat (Orladeyo)	Prevenzione degli attacchi ricorrenti di angioedema ereditario (AEE) in pazienti adulti e adolescenti a partire dai 12 anni di età.	Anno 2023
Sanofi	Dupilumab (Dupixent)	Trattamento dell'esofagite eosinofila in adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni, con un peso di almeno 40 kg, non adeguatamente controllati da, intolleranti a, o che non sono candidati per la terapia farmacologica convenzionale (TCS da ingerire o PPI).	Anno 2023
Pfizer	Ritlecitinib	Trattamento dell'alopecia areata grave in pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni che hanno esaurito le alternative terapeutiche autorizzate.	Anno 2023
Bionical Emas	Sparsentan	Trattamento di pazienti adulti affetti da nefropatia da Immunoglobulina A	Anno 2023
Bionical Emas	Zilucoplan	Terapia aggiuntiva alla terapia standard per il trattamento di pazienti adulti sintomatici affetti da miastenia gravis generalizzata (MGg) positivi per gli anticorpi contro il recettore dell'acetilcolina (AChR+) che non rispondono, sono intolleranti o non eleggibili alle alternative terapeutiche autorizzate.	Anno 2023
Sanofi	Dupilumab (Dupixent)	Trattamento della dermatite atopica severa in bambini di età compresa tra 6 mesi e 5 anni con malattia non adeguatamente controllata dal trattamento con le terapie approvate ed eleggibili alla terapia con farmaci sistemici	Anno 2023
Novartis	Iptacopan	Trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (PNH) per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2023

Novartis	Iptacopan	Trattamento di pazienti adulti affetti da glomerulopatia da C3 (C3G), trapiantati e non trapiantati, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2023
Bristol-Myers Squibb	Mavacamten (Camzyos)	Trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO) sintomatica (classe II-III secondo la classificazione della New York Heart Association, NYHA) in pazienti adulti che hanno esaurito le alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2023
Novartis	Secukinumab	Trattamento di pazienti adulti con idrosadenite suppurativa, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2023
UCB Pharma	Rozanolixizumab (Rystiggo)	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata, positivi agli autoanticorpi contro il recettore dell'acetilcolina (AChR-ab+) o positivi agli autoanticorpi tirosina chinasi muscolo-specifici (MuSK-ab+), che non rispondono o sono intolleranti o non idonei alle terapie attualmente disponibili, come terapia aggiuntiva alla terapia standard	Anno 2024
Otsuka Pharmaceutical Italy	Decitabina/cedazuridina (Inaqovi)	Trattamento di pazienti adulti affetti da leucemia mieloide acuta di nuova diagnosi non idonei alla chemioterapia di induzione standard e non eleggibili alle alternative terapeutiche disponibili	Anno 2024
Merck Sharp & Dohme LLC	Sotatercept	Trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare (PAH) in pazienti per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
GlaxoSmithKline	Momelotinib (Omjjara)	Trattamento della splenomegalia o dei sintomi correlati alla malattia in pazienti adulti con anemia da moderata a severa che sono affetti da mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitemia essenziale, che sono già stati trattati con ruxolitinib e per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024

GlaxoSmithKline	Dostarlimab (Jemperli)	Trattamento di prima linea nelle pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente dMMR/MSI-H non eleggibili alle alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
Stemline Therapeutics Switzerland GmbH	Elacestrant (ORSERDU)	Trattamento di donne in postmenopausa, e di uomini, con carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo per i recettori degli estrogeni (ER) e negativo per HER2, con una mutazione attivante di ESR1, che mostrano progressione della malattia in seguito ad almeno una linea di terapia endocrina, ma non a più di 2 linee, comprendente un inibitore di CDK 4/6.	Anno 2024
Novartis	Ribociclib (Kisqali)	Trattamento di pazienti con carcinoma mammario HR+, HER2- in stadio iniziale (stadi II e III) che richiedono un trattamento adiuvante, in combinazione con terapia endocrina, per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	Anno 2024
Takeda	Fruquintinib	Trattamento di pazienti con carcinoma coloretale metastatico in progressione dopo la terapia standard di terza o quarta linea e per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	Anno 2024
Roche	Alectinib (Alecensa)	Trattamento adiuvante di pazienti con carcinoma polmonare non a piccole cellule ALK + resecato per i quali, a giudizio del medico, non sussista alcuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	Anno 2024
F2G Ltd	F901318 (Olorofim)	Trattamento delle infezioni fungine invasive per le quali non siano possibili alternative terapeutiche	Anno 2024
Novartis	sacubitril/valsartan (Entresto)	Trattamento di pazienti pediatriche con insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione sistolica ventricolare sinistra, per i quali, a giudizio del medico, non sussiste nessuna ulteriore alternativa terapeutica autorizzata	Anno 2024

Janssen-Cilag	Amivantamab (Rybrevant)	Trattamento di pazienti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato, non precedentemente trattati, che presentano mutazioni Exon20ins, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
Abbvie	Epcoritamab	Trattamento di pazienti affetti da linfoma a cellule B di alto grado recidivato/refrattario (R/R), linfoma primitivo a cellule B del mediastino R/R e linfoma follicolare R/R, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
Ipsen	Elafibranor	Trattamento di pazienti affetti da colangite biliare primitiva, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
AstraZeneca SpA	Durvalumab (Imfinzi)	Trattamento in combinazione con chemioterapia a base di platino prima dell'intervento chirurgico (neoadiuvante), seguito da durvalumab dopo l'intervento chirurgico (adiuvante) per pazienti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule in stadio II – IIIB resecabile (N2), per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
Servier	Vorasidenib	Trattamento di pazienti affetti da Glioma IDH1 o IDH2 mutato, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024
Italfarmaco S.p.A	Givinostat	Trattamento di pazienti deambulanti di età dai 6 anni in su affetti da distrofia muscolare di Duchenne (DMD)	Anno 2024
UCB Biopharma	Bimekizumab	Trattamento di pazienti adulti con idrosadenite suppurativa, per i quali non sussistano alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2024

Astra Zeneca	Durvalumab o Duvralumab + Olaparib	Trattamento di prima linea con chemioterapia a base di platino in combinazione con Durvalumab, seguito da Durvalumab o Durvalumab+Olaparib, in pazienti con cancro endometriale di nuova diagnosi o ricorrente in base allo MMR status, per le quali non siano disponibili alternative terapeutiche	Anno 2024
Sanofi	Dupilumab (Dupixent)	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 (ICS), un beta2-agonista a lunga durata d'azione (LABA) e un antagonista muscarinico a lunga durata d'azione (LAMA) o da un'associazione di un LABA e di un LAMA se l'ICS non è appropriato	Anno 2024
Arrowhead Pharmaceuticals	Plozasiran	Trattamento di pazienti adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS) per i quali non sia possibile il trattamento con le alternative autorizzate	Anno 2024
Astra Zeneca	Durvalumab (Imfinzi)	In monoterapia per il trattamento di pazienti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio limitato (LS-SCLC) che non hanno presentato progressione dopo terapia chemioradioterapica a base di platino e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche.	Anno 2024
Advanz Pharma Specialty Medicine Italia S.r.l.	Cefepime/enmetazobactam (Exblifep)	Infezioni complicate del tratto urinario (cUTI), inclusa pielonefrite, polmonite acquisita in ospedale (HAP), 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, per le quali non siano disponibili alternative terapeutiche	Anno 2025
Alnylam Netherlands BV	Vutrisiran (Amvuttra)	Trattamento di pazienti adulti con diagnosi accertata di amiloidosi da transtiretina (ATTR) e cardiomiopatia (classe NYHA I e II), classificata come amiloidosi da transtiretina ereditaria (hrATTR) con cardiomiopatia o amiloidosi da transtiretina wild type (wtATTR), che hanno mostrato una risposta inadeguata alla terapia standard o che sono intolleranti a questa, secondo il giudizio del medico.	Anno 2025
Iperboreal Pharma	Soluzione per dialisi peritoneale XyloCore	Trattamento per dialisi peritoneale dei pazienti con malattia renale allo stadio terminale per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche	Anno 2025

Bristol-Myers Squibb	Adagrasib	Trattamento di pazienti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazione KRAS G12C precedentemente trattati, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche.	Anno 2025
Astra Zeneca	Osimertinib	Trattamento di pazienti adulti con nuova diagnosi di carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato, non resecabile (stadio III), che presenta delezioni dell'esone 19 dell'EGFR o mutazioni di sostituzione dell'esone 21 (L858R) e la cui malattia non è progredita durante o dopo una chemio-terapia a base di platino, e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche	Anno 2025
Gilead Sciences S.r.l.	Seladelpar	Trattamento di pazienti adulti con Colangite biliare primaria (PBC), con o senza prurito, non cirrotici o con cirrosi compensata, che hanno fallito, sono intolleranti o sono stati considerati non idonei per le alternative terapie attualmente disponibili, e che non hanno opzioni terapeutiche alternative.	Anno 2025
Savara ApS	Molgramostim soluzione per nebulizzazione	Trattamento di pazienti adulti con proteinosi alveolare polmonare autoimmune (aPAP) per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
GlaxoSmithKline	Dostarlimab (Jemperli)	Trattamento di prima linea nelle pazienti adulte affette da cancro endometriale primario avanzato o ricorrente senza deficit di MMR (MMRp)/ con stabilità dei microsatelliti (MSS) e per le quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Astra Zeneca	Acalabrutinib	In combinazione con Rituximab e Bendamustina per il trattamento di prima linea di pazienti adulti, (> 65 anni) affetti da linfoma mantellare precedentemente non trattato e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Nuvalent, Inc.	Zidesamtinib	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) ROS1+ o da altri tumori solidi ROS1+ per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025

Argenx	Efgartigimod alfa (Vyvgart)	Trattamento in monoterapia di pazienti adulti con polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP) attiva, progressiva o recidivante, dopo precedente trattamento con corticosteroidi o immunoglobuline, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
MSD Italia S.r.l.	Pembrolizumab (Keytruda)	In associazione a carboplatino e paclitaxel, nel trattamento di prima linea del carcinoma dell'endometrio mismatch repair proficient (pMMR) primario avanzato o ricorrente negli adulti che sono candidati a terapia sistemica e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
MSD Italia S.r.l.	Pembrolizumab (Keytruda)	In associazione a chemioradioterapia (radioterapia a fasci esterni seguita da brachiterapia), nel trattamento del carcinoma della cervice localmente avanzato in Stadio III – IVA secondo FIGO 2014 negli adulti che non hanno ricevuto una precedente terapia definitiva e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
BeOne Medicines Italia S.r.l.	Tislelizumab (Tevimbra)	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma a cellule squamose dell'esofago (OSCC) non resecabile localmente avanzato o metastatico, dopo precedente chemioterapia a base di platino, non eleggibili al trattamento con le alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Astra Zeneca	Durvalumab (Imfinzi)	Trattamento neoadiuvante con durvalumab in associazione a gemcitabina e cisplatino, seguito da trattamento adiuvante con durvalumab in monoterapia, in pazienti con cancro della vescica muscolo infiltrante resecabile, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Eli Lilly Italia S.p.A	Donanemab (Kisunla)	Trattamento di pazienti adulti con una diagnosi clinica di disturbo cognitivo lieve e demenza lieve dovuti alla malattia di Alzheimer (malattia di Alzheimer sintomatica (in fase iniziale) che sono eterozigoti per l'apolipoproteina E ε4 (ApoE ε4) o non portatori, con patologia amiloide confermata, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Sanofi	Tolebrutinib	Trattamento di pazienti adulti affetti da sclerosi multipla secondariamente progressiva non recidivante (nrSPMS)	Anno 2025

Ipsen	Tovorafenib	Trattamento di pazienti pediatrici con glioma di basso grado (LGG) recidivante o refrattario, che presenta una fusione o riarrangiamento del gene BRAF, oppure una mutazione BRAF V600	Anno 2025
Astra Zeneca	Durvalumab (Imfinzi)	In associazione a chemioterapia a base di FLOT come trattamento neoadiuvante-adiuvante seguito da durvalumab adiuvante per il trattamento di pazienti con cancro gastrico e della giunzione gastroesofagea (GC/GEJC) resecabile, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2025
Boehringer Ingelheim Italia S.p.A.	Nerandomilast	Trattamento di pazienti adulti affetti da fibrosi polmonare idiopatica o da fibrosi polmonare progressiva, per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2026
Nuvalent Inc.	Neladalkib	Trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico ALK-positivo, che hanno precedentemente ricevuto almeno un inibitore della tirosin-chinasi (TKI) dell'ALK e per i quali non siano disponibili alternative terapeutiche autorizzate	Anno 2026
AbbVie S.r.l.	Upadacitinib (Rinvoq)	Trattamento di pazienti adulti affetti da arterite gigantomucosa (GCA) che hanno esaurito tutte le opzioni di trattamento standard disponibili e che non possono essere inclusi nelle sperimentazioni cliniche	Anno 2026

Stato del programma (Aperto/Chiuso)	Note
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

[illegible]

Programma in corso per la sola popolazione adolescente	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazineti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazient	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazineti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	

Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma in corso	

Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma in corso	

Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma in corso	

Programma in corso	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma chiuso all'inclusione di nuovi pazienti	
Programma in corso	
Programma in corso	
Programma in corso	
Programma in corso	

Programma in corso	
Programma in corso	
Programma in corso	
Programma in corso	
Programma in corso	