



**Regione Emilia-Romagna**

Direzione Generale Cura della Persona, Salute e Welfare

**COMMISSIONE REGIONALE DEL FARMACO**

**Sintesi delle considerazioni e delle decisioni assunte nella**

**Riunione della CRF del giorno 16 ottobre 2025**

Illustriamo di seguito le considerazioni e le decisioni assunte dalla nuova CRF nella riunione del 16.10.2025.

**ANDAMENTI SPESA FARMACEUTICA 2025 E POSSIBILI AZIONI CRF**

È stato illustrato l'andamento della spesa farmaceutica (convenzionata ed acquisto ospedaliero) dei primi 8 mesi 2025, che conferma un preoccupante aumento di spesa delle principali classi di farmaci. Rispetto ai principali determinanti, è stata introdotta un'analisi per cittadini residenti al fine di descrivere in modo più puntuale gli andamenti prescrittivi nelle diverse province della Regione e consentire, così, un miglior confronto sulla variabilità prescrittiva.

**VALUTAZIONE FARMACI**

***Tumore della prostata non metastatico - ormono sensibile (nmHSPC)***

**Enzalutamide ATC L02BB04:** os, H, RNRL(specialista oncologo-urologo).

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA e RIMBORSATA SSN “come monoterapia o in associazione con terapia di deprivazione androgenica per il trattamento di uomini adulti con cancro della prostata non metastatico ormono-sensibile (nmHSPC) con recidiva biochimica (BCR) ad alto rischio non idonei alla radioterapia di salvataggio”.

**Decisione della CRF:**

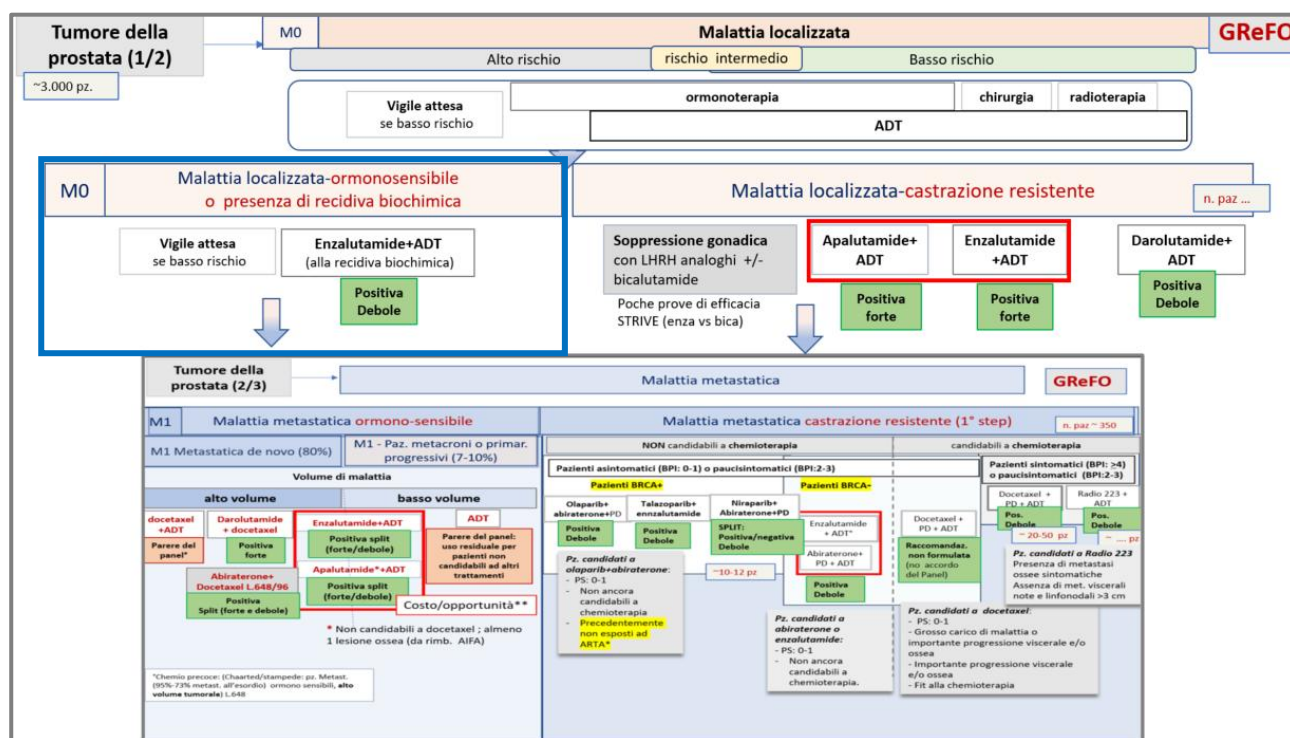
La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per enzalutamide inserisce in PTR la nuova indicazione del farmaco e approva la raccomandazione formulata dal Panel GReFO, come di seguito riportato.

**Enzalutamide – tumore della prostata non metastatico-ormono sensibile (nm-HSPC)**

**Raccomandazione CRF-GReFO:**

“Nei pazienti adulti con cancro della prostata non metastatico ormono-sensibile (nmHSPC) **con recidiva biochimica (BCR)** ad alto rischio, non idonei alla radioterapia di salvataggio, **enzalutamide** in monoterapia o in associazione con terapia di deprivazione androgenica **può essere utilizzato in pazienti selezionati e ben informati**”.

Raccomandazione **POSITIVA DEBOLE** formulata sulla base di evidenze di **qualità alta** e rapporto **benefici/rischi: favorevole**.



Flow chart e raccomandazioni CRF-GReFO: farmaci per il trattamento del tumore della prostata. Focus sul setting di pazienti con malattia non metastatica in presenza di recidiva biochimica (cornice blu).

#### Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/002639/II/0063 [Xtandi, INN-Enzalutamide](#)
- Freedland S.J et al. "Improved Outcomes with Enzalutamide in Biochemically Recurrent Prostate Cancer". N Engl J Med 2023; 389:1453-65.
- Freedland S.J et al. "Enzalutamide and Quality of Life in Biochemically Recurrent Prostate Cancer". NEJM Evid 2023; 2 (12)
- Shore N.D. et al. "Improved Survival with Enzalutamide in Biochemically Recurrent Prostate Cancer". N Engl J Med 2025

### Tumore della prostata metastatico castrazione resistente (mCRPC)

**Talazoparib ATC L01XK04:** os, H, RNRL (specialista oncologo). Registro AIFA web based.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: "Talazoparib è indicato in combinazione con enzalutamide per il trattamento di pazienti adulti con cancro della prostata metastatico resistente alla castrazione (mCRPC), con mutazioni BRCA1/2 (germinali e/o somatiche), nei quali la chemioterapia non è clinicamente indicata".

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: "Talazoparib è indicato in combinazione con enzalutamide per il trattamento di pazienti adulti con cancro della prostata metastatico resistente alla castrazione (mCRPC) nei quali la chemioterapia non è clinicamente indicata".

**Niraparib/abiraterone ATC L01XK52:** os, H, RNRL (specialista oncologo), Registro AIFA web based.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA e RIMBORSATA SSN: "Niraparib come parte del farmaco Akeega è indicato con prednisone o prednisolone per il trattamento di pazienti adulti con cancro della prostata metastatico e resistente alla castrazione (mCRPC) e con mutazioni BRCA 1/2 (germinali e/o somatiche), per i quali la chemioterapia non è clinicamente indicata".

#### Decisione della CRF:

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per talazoparib in combinazione con enzalutamide, e per niraparib/abiraterone in associazione a prednisone o prednisolone, inserisce in PTR le nuove indicazioni dei farmaci e approva le raccomandazioni formulate dal

Panel GReFO relative ai trattamenti disponibili per il setting metastatico-castrazione resistente in pazienti con mutazione BRCA 1/2, come di seguito riportato.

### Talazoparib - Enzalutamide – tumore della prostata castrazione resistente BRCA1/2 mutato.

#### Raccomandazione CRF-GReFO:

Nei pazienti adulti con cancro della prostata metastatico e resistente alla castrazione (mCRPC) e con mutazioni **BRCA 1/2** (germinali e/o somatiche), in cui la chemioterapia non è clinicamente indicata, talazoparib in associazione a enzalutide **può essere utilizzato in pazienti selezionati e ben informati**".

Raccomandazione **POSITIVA DEBOLE** formulata sulla base di evidenze di **qualità moderata** e rapporto **benefici/rischi: favorevole**.

### Olaparib – abiraterone - PD – tumore della prostata castrazione resistente BRCA1/2 mutato.

#### Raccomandazione CRF-GReFO:

"Nei pazienti adulti con cancro della prostata metastatico e resistente alla castrazione (mCRPC) e con mutazioni **BRCA 1/2** (germinali e/o somatiche), in cui la chemioterapia non è clinicamente indicata, **olaparib** in associazione a **abiraterone** e **prednisone/prednisolone** **può essere utilizzato in pazienti selezionati e ben informati**".

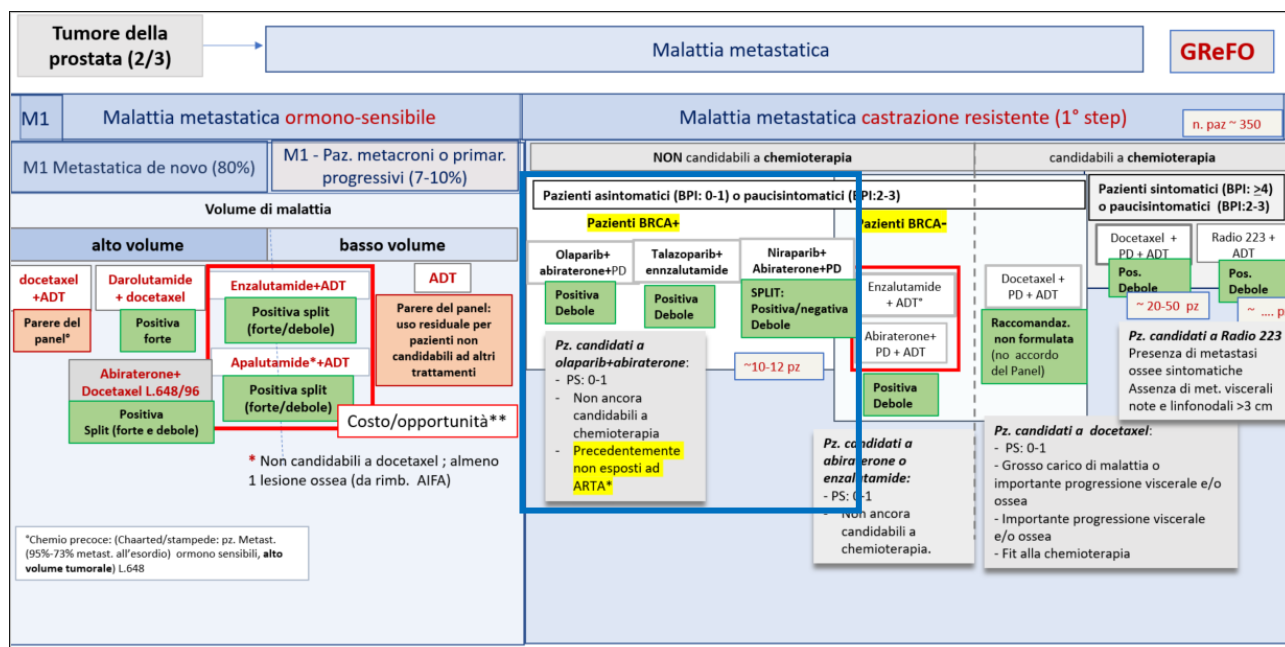
Raccomandazione **POSITIVA DEBOLE** formulata sulla base di evidenze di **qualità moderata** e rapporto **benefici/rischi: favorevole**.

### Niraparib – abiraterone - PD – tumore della prostata castrazione resistente BRCA1/2 mutato.

#### Raccomandazione CRF-GReFO:

Il panel è risultato diviso sulla direzione della raccomandazione fra positiva e negativa debole.

Raccomandazione **SPLIT fra POSITIVA e NEGATIVA DEBOLE** - sulla base di evidenze di **qualità alta** e rapporto **benefici/rischi: favorevole**.



Flow chart e raccomandazioni CRF-GReFO: farmaci per il trattamento del tumore metastatico castrazione resistente (mCRPC). Focus sui trattamenti disponibili per i pazienti non candidabili a chemioterapia con mutazione BRCA (cornice blu).

#### Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA, Procedure No EMEA/H/C/004674/X/0015/G [Talzena, INN - talazoparib](#)
- Agarwal N. “Talazoparib plus enzalutamide in men with first-line metastatic castration-resistant prostate cancer (TALAPRO-2): a randomised, placebo-controlled, phase 3 trial”. *Lancet* 2023; 402: 291–303
- Agarwal N. et Al. “Talazoparib plus enzalutamide in men with metastatic castration-resistant prostate cancer: final overall survival results from the randomised, placebo-controlled, phase 3 TALAPRO-2 trial”. *Lancet* 2025; 406: 447–6
- EPAR EMA, Procedure No. EMEA/H/C/005932/0000 [Akeega, INN-niraparib, abiraterone acetate](#)
- Chi K.N. et Al. “Niraparib and Abiraterone Acetate for Metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer”. *J Clin Oncol* 2023; 41:3339-3351.
- Chi K.N. et Al. “Niraparib plus abiraterone acetate with prednisone in patients with metastatic castration-resistant prostate cancer and homologous recombination repair gene alterations: second interim analysis of the randomized phase III MAGNITUDE trial”. *Ann Oncol.* 2023; 34(9): 772–782.
- Chi K.N. et Al. “Niraparib and Abiraterone Acetate plus Prednisone in Metastatic Castration-resistant Prostate Cancer: Final Overall Survival Analysis for the Phase 3 MAGNITUDE Trial”. European Association of Urology 2025.
- Rathkopf D.E. et Al. Patient-reported Outcomes for Patients with Metastatic Castration resistant Prostate Cancer and BRCA1/2 Gene Alterations: Final Analysis from the Randomized Phase 3 MAGNITUDE Trial.” European Association of Urology 2025.
- EPAR EMA, Procedure No EMEA/H/C/003726/II/0053 [Lynparza, INN - olaparib](#)
- Clarke N W et Al. “Abiraterone and Olaparib for Metastatic Castration-Resistant Prostate Cancer” *NEJM Evid* 2022; 1 (9)
- Saad F et Al. “Olaparib plus abiraterone versus placebo plus abiraterone in metastatic castration-resistant prostate cancer (PROpel): final prespecified overall survival results of a randomised, double-blind, phase 3 trial”. *Lancet Oncol* 2023; 24: 1094–108

### **Terapia di deprivazione androgenica nel Tumore della prostata**

**Relugolix ATC L02BX04:** os, A RR, PHT.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA e RIMBORSATA SSN: “trattamento di pazienti adulti con carcinoma prostatico in stadio avanzato sensibile agli ormoni”

**Degarelix ATC L02BX02:** s.c., A RR, PT, PHT.

INDICAZIONI TERAPEUTICHE APPROVATA EMA e RIMBORSATA SSN: “trattamento di pazienti maschi adulti con tumore della prostata ormono-dipendente in stadio avanzato;

- per il trattamento del tumore della prostata ormone-dipendente ad alto rischio localizzato e localmente avanzato in combinazione con la radioterapia;

- come trattamento neo-adiuvante prima della radioterapia in pazienti con tumore della prostata ormone dipendente localizzato o localmente avanzato ad alto rischio

#### **Decisione della CRF:**

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per la terapia di deprivazione androgenica ottenuta con gli antagonisti dell'ormone di rilascio delle gonadotropine (GnRH), **relugolix e degarelix**, nel tumore della prostata. La CRF ha osservato che:

- i dati, ad oggi disponibili, sugli antagonisti dell'ormone del rilascio delle gonadotropine mostrano un'efficacia sovrapponibile a quella degli agonisti, su diversi outcome di efficacia, fra cui il blocco androgenico totale e la progressione biochimica del tumore della prostata.
- Revisioni sistematiche della letteratura, che includono RCT pubblicati dal 2008 al 2020, sugli esiti di sicurezza degli agonisti vs gli antagonisti del GnRH, evidenziano un migliore profilo di tollerabilità per gli antagonisti, soprattutto in termini di eventi avversi cardiovascolari maggiori. Anche la Linea Guida ESC 2022 in cardio-oncologia, sviluppata dalla Società Europea di Cardiologia in collaborazione con le principali società scientifiche di ambito oncologico, raccomanda l'utilizzo degli antagonisti del GnRH in pazienti con preesistenti condizioni cardiovascolari (es.: pazienti con coronaropatie che necessitano di terapia di deprivazione androgenica).

- L'attuale costo/terapia della deprivazione androgenica ottenuta con gli antagonisti è risultato sovrapponibile a quello ottenuto con gli agonisti, modificando la valutazione del rapporto benefici/rischi-costi che negli anni era stato considerato dal GReFO come negativo. Inoltre, per relugolix, il vantaggio è rappresentato anche della disponibilità della formulazione orale.

Alla luce delle considerazioni effettuate, e sentito il parere favorevole del GReFO, la CRF inserisce in PTR **relugolix e degarelix**.

**Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)**

- EMA EPAR, Procedure No EMEA/H/C/000986/II/0039/G [Firmagon, INN-degarelix](#)
- EMA EPAR, Procedure No EMEA/H/C/005353/0000 [Orgovyx, INN-relugolix](#)
- EMA EPAR, Procedure No NICE Technology appraisal guidance: "Degarelix for treating advanced hormone-dependent prostate cancer". 24 August 2016
- Zengerling F et Al. "Degarelix for treating advanced hormone-sensitive prostate cancer (Review)". Cochrane Database of Systematic Reviews 2021, Issue 8. Art. No.: CD012548.
- Parker C. et Al. "Prostate cancer: ESMO Clinical Practice Guidelines for diagnosis, treatment and follow-up". Ann. Oncol. 2020;31 (9):1119-1134.
- NICE Technology appraisal guidance: "Relugolix for treating hormone-sensitive prostate cancer". 14 August 2024.
- Odat R.M. et al. "Risk of cardiovascular disease following degarelix versus gonadotropin-releasing hormone agonists in patients with prostate cancer: a systematic review and meta-analysis". Urologic Oncology: Seminars and Original Investigations 43(2025)359–369.
- Cirne F. et Al. "The cardiovascular effects of gonadotropin releasing hormone antagonists in men with prostate cancer". European Heart Journal - Cardiovascular Pharmacotherapy (2022) 8, 253–262

## **Selpercatinib nel tumore midollare della tiroide**

### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per selpercatinib in monoterapia per il "per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con cancro midollare della tiroide (medullary thyroid cancer, MTC) avanzato con mutazione di RET)", **inserisce il farmaco in PTR in attesa di valutare le Raccomandazioni formulate dal gruppo GReFO**.

Selpercatinib è classificato in fascia H-RNRL, prescrizione di Centri ospedalieri o specialista: oncologo. La prescrizione deve avvenire attraverso il relativo Registro web based, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

## **Osimertinib+chemioterapia in 1°linea di terapia per il tumore polmonare non a piccole cellule (NSCLC)**

### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver preso in esame le prove di efficacia e sicurezza disponibili per osimertinib in associazione a pemetrexed e chemioterapia a base di platino per "il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con NSCLC avanzato il cui tumore presenta delezioni dell'esone 19 o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R) di EGFR", **inserisce il farmaco in PTR in attesa di valutare le Raccomandazioni formulate dal gruppo GReFO**.

Osimertinib è classificato in fascia H-RNRL, prescrizione di Centri ospedalieri o specialista: oncologo.

## **ETRANACOGENE DEZAPARVOVEC (TERAPIA GENICA) NEL TRATTAMENTO DELL'EMOFILIA B CON PROFILO EMORRAGICO GRAVE**

**Etranacogene dezaparvec ATC B02BD16:** ev, H OSP, Registro web-based AIFA. AIFA ha attribuito al farmaco l'INNOVATIVITA'.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA e RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'emofilia B (deficit congenito del fattore IX) severa e moderatamente severa in pazienti adulti senza storia di inibitori del fattore IX".

### **Decisione della CRF: etranacogene dezaparvec**

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per etranacogene dezaparvec, inserisce il farmaco in PTR.

La prescrizione del farmaco da parte dei Centri per le Malattie emorragiche congenite (MEC) della Regione Emilia-Romagna deve avvenire mediante il Registro web based AIFA.

La CRF, tenuto conto della complessità del processo di valutazione dei pazienti ai fini di definirne l'eleggibilità al trattamento, in analogia al percorso già individuato al momento dell'inserimento in PTR della terapia genica per l'emofilia A (valoctogene roxaparvec, Determina n. 22672 del 29.10.2024), propone che ai fini dell'accesso al trattamento, i pazienti potenzialmente candidabili siano valutati collegialmente dal Gruppo di Lavoro MEC allargato anche ad altri esperti CRF ed ematologi della Regione Emilia-Romagna.

#### **Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)**

- Hemgenix®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/004827/0000. EMA/46569/2023, 15 December 2022. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hemgenix-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hemgenix-epar-public-assessment-report_en.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Hemgenix®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. [https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/hemgenix-epar-product-information\\_it.pdf](https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/hemgenix-epar-product-information_it.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Hemgenix®. Registro web based AIFA: [https://www.aifa.gov.it/documents/20142/3041382/Scheda\\_HEMGENIX\\_04.09.2025.zip](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/3041382/Scheda_HEMGENIX_04.09.2025.zip)
- Determina AIFA n. 1113/2025.
- Pipe SW et al. Gene Therapy with Etranacogene Dezaparvec for Hemophilia B. NEJM 2023; 388: 706-18.
- Coppens M et al. Etranacogene dezaparvec gene therapy for haemophilia B (HOPE-B): 24-month post-hoc efficacy and safety data from a single-arm, multicentre, phase 3 trial. Lancet Haematol 2024; 11: E265-E275.

## **BUROSUMAB NEL TRATTAMENTO DELL'OSTEOMALACIA ONCOGENICA**

**Burosumab ATC M05BX05:** sc H RRL (prescrizione dei Centri per la diagnosi dell'ipofosfatemia X-linked e FGF23-correlata nell'osteomalacia oncogenica), REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'ipofosfatemia FGF23-correlata nell'osteomalacia oncogenica associata a tumori mesenchimali fosfatutrici non resecabili con intenti curativi o non localizzabili, nei bambini e negli adolescenti di età compresa tra 1 e 17 anni e negli adulti".

### **Decisione della CRF: burosumab nel trattamento dell'osteomalacia oncogenica**

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili, inserisce l'estensione delle indicazioni di burosumab in PTR.

La CRF ritiene che ai fini della prescrizione nel trattamento dell'ipofosfatemia correlata ad osteomalacia oncogenica debbano essere autorizzati gli stessi Centri già individuati per il trattamento dell'ipofosfatemia X-linked.

#### **Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)**

- Crysvita®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/004275/II/0023. EMA/634749/2022, 23 June 2022. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/crysvita-h-c-4275-ii-023-epar-assessment-report-variation\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/crysvita-h-c-4275-ii-023-epar-assessment-report-variation_en.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Crysvita®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/crysvita-epar-product-information\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/crysvita-epar-product-information_en.pdf) [accesso: ottobre 2025]



- Insogna KL et al. A Randomized, Double-Blind, Placebo-Controlled, Phase 3 Trial Evaluating the Efficacy of Burosumab, an Anti-FGF23 Antibody, in Adults With X-Linked Hypophosphatemia: Week 24 Primary Analysis. *Journal of Bone and Mineral Research* 2018; 33:1383–93.
- Jan de Beur SM et al. Burosumab for the Treatment of Tumor-Induced Osteomalacia. *Journal of Bone and Mineral Research*, Vol. 36, No. 4, April 2021, pp 627-35.
- Imanishi Y et al. Interim analysis of a phase 2 open-label trial assessing burosumab efficacy and safety in patients with tumor-induced osteomalacia. *J Bone Miner Res.* 2021; 36:262–70.
- Determina AIFA 1000/2025. GU n. 169 del 23.07.2025.
- Scheda del Registro web based AIFA.  
[https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2984426/Scheda\\_Crysvyta\\_ipofosfatemia\\_FGF23\\_associata\\_24.07.2025.zip](https://www.aifa.gov.it/documents/20142/2984426/Scheda_Crysvyta_ipofosfatemia_FGF23_associata_24.07.2025.zip)  
[accesso: ottobre 2025]

## APREMILAST NELLA MALATTIA DI BEHÇET

**Apremilast ATC L04AA32:** os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialist: dermatologo, reumatologo, internista) PHT, PIANO TERAPEUTICO AIFA CARTACEO.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento di pazienti adulti con ulcere orali associate alla malattia di Behçet (BD) che sono candidati alla terapia sistemica”.

### Decisione della CRF: apremilast nella malattia di Behçet

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili, inserisce l'estensione delle indicazioni di apremilast in PTR.

La prescrizione del farmaco da parte dei Centri regionali per la diagnosi, trattamento e follow up della M. di Behçet deve avvenire mediante il Piano terapeutico cartaceo (G.U. 203 del 02.09.2025 e n. 220 del 22.09.2025), in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

In particolare, il Piano terapeutico prevede la prescrizione nei pazienti con diagnosi di malattia di Behçet secondo i criteri dell'International Study Group che:

- hanno presentato ulcere orali attive almeno tre volte nel precedente periodo di 12 mesi e che presentano ulcere orali attive nonostante l'uso precedente di almeno un medicinale non biologico, come glucocorticoidi topici o sistemici, farmaci antinfiammatori non steroidei, colchicina, immunosoppressori o talidomide e
- in assenza di un coinvolgimento attivo degli organi principali correlato alla malattia di Behçet che aveva portato al trattamento sistemico, come uveite (ad eccezione dell'uveite lieve trattata con farmaci topici) o coinvolgimento del sistema nervoso vascolare o centrale, durante i 12 mesi precedenti.

Le principali Linee Guida di riferimento (EULAR 2018, in corso di aggiornamento) considerano la colchicina come prima scelta in caso di lesioni mucocutanee ricorrenti, in particolare quando la lesione dominante è l'eritema nodoso o l'ulcera genitale (IB). Apremilast è collocato al pari di azatioprina, talidomide, interferone-alfa, inibitori del TNF-alfa come opzione da considerare in casi selezionati.

Con DGR n. 1969 del 11/11/2019 la Regione Emilia-Romagna ha incluso gli inibitori del TNF-alfa tra i medicinali erogabili in esenzione dalla partecipazione al costo per assistiti con Malattia di Behçet, in ragione delle prove di efficacia e sicurezza disponibili. Il numero di pazienti con ulcere orali che necessitano di terapie sistemiche di seconda linea dopo colchicina era stato stimato attorno ai 40 pazienti e tale dato necessita di una verifica e aggiornamento.

### Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Otezla®. Riassunto delle caratteristiche del prodotto. [https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/otezla-epar-product-information\\_it.pdf](https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/otezla-epar-product-information_it.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Det. AIFA 1101/2025. <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ricerca-rapida/dettaglio/TNF/039104f0-dd53-4ef8-8111-28498255bc6b?dataPubblicazione=2025-08-28T12:55:52Z> [accesso: ottobre 2025]
- Det. AIFA 1103/2025 <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ricerca-rapida/dettaglio/TNF/73935676-eeed-4294-83e4-2f8fe517eb16?dataPubblicazione=2025-08-28T13:02:34Z> [accesso: ottobre 2025]
- Hatemi G et al. 2018 update of the EULAR recommendations for the management of Behçet's syndrome. *Ann Rheum Dis* 2018; 77:808-18.
- Hatemi G et al. Trial of Apremilast for Oral Ulcers in Behçet's Syndrome. *NEJM* 2019; 381:1918-28.

- Hatemi G et al. Apremilast for oral ulcers associated with active Behçet's syndrome over 68 weeks: long-term results from a phase 3 randomised clinical trial. Clinical and Experimental Rheumatology 2021; S80-S87.

## ETRASIMOD NEL TRATTAMENTO DELLA COLITE ULCEROSA A PARTIRE DAI 16 ANNI

**Etrasimod ATC L04AE05:** os, H RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: gastroenterologo, pediatra, internista), SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "trattamento di pazienti di età pari o superiore a 16 anni affetti da colite ulcerosa (CU) da moderatamente a gravemente attiva che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un agente biologico\*".

\*secondo i criteri di eleggibilità al trattamento in regime SSN riportati nella Scheda di prescrizione cartacea dei farmaci per la colite ulcerosa

### Decisione della CRF: etrasimod nella colite ulcerosa

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili e tenuto conto del fatto che a oggi il farmaco rappresenta l'unica opzione terapeutica con indicazione approvata e rimborsata SSN per il trattamento della colite ulcerosa in pazienti pediatriche (a partire dai 16 anni di età), inserisce etrasimod in PTR, in attesa della definizione del posto in terapia da parte del Gruppo di Lavoro sui farmaci biologici in gastroenterologia di prossima riconvocazione.

La prescrizione da parte dei Centri ospedalieri deve avvenire in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA mediante la Scheda di prescrizione cartacea dei farmaci per la colite ulcerosa (GU n. 183 del 08.08.2025).

#### Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Velsipity®. Public Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/006007/0000. EMA/6733/2024, 14 December 2023. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/velsipy-epar-public-assessment-report\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/velsipy-epar-public-assessment-report_en.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Velsipity®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. [https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/velsipy-epar-product-information\\_it.pdf](https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/velsipy-epar-product-information_it.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Det. AIFA n. 1053/2025 <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ricerca-rapida/dettaglio/TNF/8d84116f-ebf8-4780-b1cb-e5da21033b54?dataPubblicazione=2025-08-04T09:13:48Z> [accesso: ottobre 2025]
- Scheda di prescrizione cartacea dei farmaci per la colite ulcerosa. <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ricerca-rapida/dettaglioAIFA/9de05b55-2768-4a2a-be47-3865d9a79177?dataPubblicazione=2025-08-04T00:00:00Z> [accesso: ottobre 2025]
- Sandborn WJ et al. Etrasimod as induction and maintenance therapy for ulcerative colitis (ELEVATE): two randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 studies. Lancet 2023; 401: 1159-71.

## OCRELIZUMAB SC PER IL TRATTAMENTO DELLA SCLEROSI MULTIPLA

**Ocrelizumab ATC L04AG08:** sc, H RNRL (prescrizione dei Centri individuati dalle Regioni per il trattamento della sclerosi multipla), SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA AIFA.

INDICAZIONI TERAPEUTICHE RIMBORSATE SSN:

Sclerosi multipla recidivante (SMR) ad elevata attività nei seguenti gruppi di pazienti adulti:

- **Criterio 1:** Pazienti con un'elevata attività di malattia nonostante il trattamento con almeno una terapia disease modifying.

Questi pazienti possono essere definiti come coloro che non hanno risposto ad un ciclo terapeutico completo ed adeguato (6-12 mesi di trattamento) con almeno una terapia disease modifying. I pazienti devono avere avuto almeno 1 recidiva nell'anno precedente mentre erano in terapia, e presentare almeno 1 nuova lesione captante gadolinio o una lesione T2 nuova o inequivocabilmente aumentata di volume rispetto ad un altro recente esame RM. Un paziente non responder può anche essere definito come un paziente che presenta, rispetto all'anno precedente, un tasso di recidive invariato o aumentato o che presenta recidive gravi.

Oppure

- **Criterio 2:** Pazienti con SMRR o SMR grave ad evoluzione rapida, definita da 2 o più recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o più lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto ad una precedente RM recentemente effettuata.



Oppure

- **Criterio di sicurezza/tollerabilità:** paziente in terapia con altro farmaco di II linea sospeso per problematiche di sicurezza/tollerabilità (sempre che al momento dell'inizio della terapia con il farmaco precedente esistessero i criteri di rimborsabilità per il farmaco prescritto attualmente).

**Sclerosi multipla primariamente progressiva (SMPP):**

Trattamento di pazienti adulti affetti da SMPP in fase precoce in termini di durata della malattia e livello di disabilità (in base ai principali criteri di inclusione dello studio registrativo ORATORIO, ossia età compresa tra 18 e 55 anni, punteggio EDSS allo screening compreso tra 3,0 e 6,5, durata della malattia dall'insorgenza di sintomi di SM inferiore a 10 anni nei pazienti con punteggio EDSS allo screening  $\leq 5,0$  o inferiore a 15 anni nei pazienti con punteggio EDSS allo screening  $> 5,0$ ), e con caratteristiche radiologiche tipiche di attività infiammatoria (ossia lesioni in T1 captanti Gd e/o lesioni in T2 attive [nuove o in espansione]). Le evidenze alla RM devono essere usate per confermare l'attività infiammatoria in tutti i pazienti.

INDICAZIONI TERAPEUTICHE APPROVATE EMA: "Trattamento di pazienti adulti affetti da forme recidivanti di sclerosi multipla (SMR) con malattia attiva definita in base alle caratteristiche cliniche o radiologiche.

Trattamento di pazienti adulti affetti da sclerosi multipla primariamente progressiva (SMPP) in fase precoce in termini di durata della malattia e livello di disabilità, e con caratteristiche radiologiche tipiche di attività infiammatoria".

**Decisione della CRF: ocrelizumab sottocute**

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili, inserisce la formulazione per somministrazione sottocutanea di ocrelizumab in PTR.

La prescrizione da parte dei Centri per il trattamento della sclerosi multipla deve avvenire mediante la "Scheda cartacea per la prescrizione dei farmaci disease modifying per la Sclerosi Multipla per linee di trattamento successive alla prima o per forme gravi ad evoluzione rapida".

**Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)**

- Ocrevus®. Public Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/004043/X/0039. EMA/CHMP/171408/2024, 25 April 2024. [https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/ocrevus-h-c-004043-x-0039-epar-assessment-report-variation\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/ocrevus-h-c-004043-x-0039-epar-assessment-report-variation_en.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Ocrevus®. Riassunto delle caratteristiche del prodotto. [https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/ocrevus-epar-product-information\\_it.pdf](https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/ocrevus-epar-product-information_it.pdf) [accesso: ottobre 2025]
- Newsome SD et al. Subcutaneous Ocrelizumab in Patients With Multiple Sclerosis: Results of the Phase 3 OCARINA II Study. *Neurology* 2025;104:e213574(1)- e213574(13).
- Det. AIFA 820/2025. <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ricerca-rapida/dettaglio/TNF/f15040a8-dcdf-4a64-b49e-9e69c6fa7fd8?dataPubblicazione=2025-06-12T07:19:01Z> [accesso: ottobre 2025]

### **ESTENSIONI DI INDICAZIONE PEDIATRICHE DI FARMACI GIÀ PRESENTI IN PTR**

La Commissione Regionale del Farmaco decide di inserire in PTR le seguenti estensioni di indicazioni pediatriche di farmaci già inseriti in PTR:

**Apremilast ATC L04AA32:** os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: reumatologo, dermatologo, internista, pediatra), PHT, SCHEDA DI PRESCRIZIONE CARTACEA AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “trattamento della psoriasi cronica a placche, da moderata a grave, in bambini e adolescenti di età pari o superiore a 6 anni e di peso non inferiore a 20 kg che non hanno risposto, che hanno una controindicazione o sono intolleranti ad altra terapia sistemica (comprendente ciclosporina, metotrexato o psoralene e raggi ultravioletti tipo A, PUVA) e nei quali l’uso dei farmaci biologici sia controindicato o non tollerato”.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: “trattamento della psoriasi a placche, da moderata a grave, in bambini e adolescenti di età pari o superiore a 6 anni e di peso non inferiore a 20 kg e che sono candidati alla terapia sistemica”.

#### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco ritiene che il ruolo in terapia di apremilast nei pazienti pediatrici sia analogo a quello già individuato nell’adulto con psoriasi a placche cronica moderata-grave (vedi Det. n. 11981 del 25 luglio 2018). La prescrizione da parte dei Centri di dermatologia autorizzati della Regione Emilia-Romagna deve avvenire attraverso la Scheda di prescrizione cartacea AIFA [GU n. 203 del 02.09.2025].

**Carbossimaltosio ferrico ATC B03AC:** ev, H OSP.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA E RIMBORSATA SSN: “trattamento della carenza di ferro, quando:

- i preparati a base di ferro per via orale sono inefficaci.
- i preparati a base di ferro per via orale non possono essere usati.
- si ravvisa la necessità clinica di una rapida disponibilità di ferro.

La diagnosi della carenza di ferro deve essere effettuata sulla base dei test di laboratorio”.

#### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni del carbossimaltosio ferrico al trattamento della carenza marziale nei pazienti pediatrici di età compresa tra 1 e 13 anni (GU n.114 del 19.05.2025).

**Eculizumab ATC L04AJ01:** ev, H OSP, REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “trattamento della Miastenia gravis generalizzata (MGg) refrattaria in:

- 1) pazienti a partire dai 6 anni di età e <18 anni, positivi agli anticorpi anti-recettore dell’acetilcolina (AChR);
- 2) pazienti adulti positivi agli anticorpi anti-recettore dell’acetilcolina (AChR) con le seguenti caratteristiche:
  - Severità di malattia almeno di grado III alla MGFA;
  - Punteggio MG-ADL  $\geq 6$
  - Presenza di almeno uno tra i seguenti criteri, nonostante il trattamento standard (timestomia se indicata; corticosteroidi e almeno altri due agenti immunosoppressori, utilizzati a dosaggi adeguati e per una durata adeguata):
    - Almeno una crisi miastenica o evento di esacerbazione importante per anno (eventi caratterizzati da debolezza o paralisi respiratoria o bulbare, tali da richiedere ospedalizzazione; non correlati a scarsa aderenza alla terapia, infezioni o uso di farmaci che possono indurre deterioramento della MG) con necessità di ricorrere a plasmaferesi o immunoglobuline; oppure
    - Necessità di ricorrere a plasmaferesi o immunoglobuline iv ad intervalli regolari oppure
    - Effetti collaterali non tollerabili / comorbidità che limitano o controindicano l’uso di immunosoppressori”.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: “trattamento di adulti e bambini affetti da miastenia gravis generalizzata (MGg) refrattaria in pazienti a partire dai 6 anni di età positivi agli anticorpi anti-recettore dell’acetilcolina (AChR)

**Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni di eculizumab nel trattamento della miastenia gravis a partire dai 6 anni di età (GU n.114 del 19.05.2025). La prescrizione da parte dei Centri per la diagnosi, trattamento e follow up della miastenia gravis deve avvenire mediante il Registro web based, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

**Elbasvir/grazoprevir ATC J05AP54:** os, A RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: internista, infettivologo, gastroenterologo), PHT, REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’epatite C cronica (chronic hepatitis C, CHC) nei pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 12 anni con un peso di almeno 30 kg”.

**Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni di elbasvir/grazoprevir al trattamento dell’epatite C in pazienti pediatrici a partire dai 12 anni di età e con un peso di almeno 30 kg (GU n.204 del 03.09.2025). La prescrizione da parte dei Centri individuati dalla Regione Emilia-Romagna per il trattamento dell’epatite C deve avvenire mediante il Registro web based semplificato in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

**Glecaprevir/pibrentasvir ATC J05AP57:** os, A RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: internista, infettivologo, gastroenterologo), PHT, REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’infezione cronica da virus dell’epatite C (HCV) negli adulti e nei bambini di età maggiore o uguale a 3 anni”.

**Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni di glecaprevir/pibrentasvir al trattamento dell’epatite C in pazienti pediatrici a partire dai 3 anni di età (GU n.114 del 19.05.2025). La prescrizione da parte dei Centri individuati dalla Regione Emilia-Romagna per il trattamento dell’epatite C deve avvenire mediante il Registro web based semplificato in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

## Farmaci per il trattamento della fibrosi cistica

**Ivacaftor ATC R07AX02:** os, A RRL (prescrizione dei Centri per la cura della fibrosi cistica), PHT, REGISTRO WEB BASED AIFA.

**Ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor ATC R07AX32:** os, A RRL (prescrizione dei Centri per la cura della fibrosi cistica), PHT, REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor in un regime di associazione con ivacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti pediatrici di età compresa tra 2 e meno di 6 anni che hanno almeno una mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR)”. AIFA ha attribuito all’indicazione l’**INNOVATIVITA’**.

### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni dell’associazione ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor + ivacaftor al trattamento della fibrosi cistica con almeno una mutazione F508del nel gene CFTR nella fascia d’età 2-6 anni (GU n.181 del 06.08.2025). La prescrizione da parte dei Centri per il trattamento della fibrosi cistica individuati dalla Regione Emilia-Romagna deve avvenire mediante i Registri web based AIFA in accordo con i criteri di eleggibilità definiti dall’Agenzia.

**Sacubitril/valsartan ATC C09DX04:** os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: cardiologo, internista, geriatra, pediatra), PHT, PIANO TERAPEUTICO WEB BASED AIFA:

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “in bambini ed adolescenti da un anno di età in poi per il trattamento dell’insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione sistolica ventricolare sinistra”.

### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni dell’associazione sacubitril/valsartan al trattamento dell’insufficienza cardiaca sintomatica cronica con disfunzione ventricolare sinistra in pazienti pediatrici a partire da 1 anno di età (GU n.204 del 03.09.2025). La prescrizione da parte delle UO di Cardiologia pediatrica della Regione Emilia-Romagna deve avvenire mediante il Piano terapeutico web based dedicato, in accordo con i criteri di eleggibilità definiti da AIFA.

**Teriflunomide ATC L04AK02:** os, A/65 RR, PHT, PIANO TERAPEUTICO DEI CENTRI SCLEROSI MULTIPLA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 10 anni affetti da sclerosi multipla (SM) recidivante remittente”.

### **Decisione della CRF**

La Commissione Regionale del Farmaco esprime parere favorevole all’inserimento in PTR dell’estensione di indicazioni di teriflunomide al trattamento della SM recidivante remittente secondo i criteri della Nota AIFA 65 ai pazienti pediatrici a partire dai 10 anni di età (GU n.181 del 06.08.2025). Viene aggiornato il Documento PTR n. 262 “Piano terapeutico regionale per la prescrizione dei farmaci di 1° linea per il trattamento della sclerosi multipla recidivante remittente (Nota AIFA 65)” al fine di includere il nuovo dosaggio da 7 mg di teriflunomide previsto per i bambini di peso ≤40 kg.

La riunione si è svolta in modalità mista dalle **ore 14:30** alle **ore 17:30**; il collegamento è stato assicurato attraverso piattaforma Teams.

*Presenze CRF:*

Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Alessio Bertini	assente g.
Dott. Carlo Biagetti	presente
Dott. Alberto Bortolami	assente g.
Dott.ssa Francesca Bravi	presente
Dott. Pietro Calogero	assente g.
Dott.ssa Chiara Cantarelli	presente
Dott. Giovanni Maria Centenaro	presente
Dott. Nicola Cosimo Facciolongo	presente
Dott. Marco Fusconi	assente g.
Dott. Marcello Galvani	presente
Prof. Primiano Iannone	presente
Dott. Giuseppe Longo	presente
Dott. Nicola Magrini	presente
Dott.ssa Marcora Mandreoli	presente
Dott. Marco Marietta	presente
Prof. Riccardo Masetti	assente g.
Dott. Sergio Mezzadri	assente g.
Dott. Alessandro Navazio	assente g.
Dott.ssa Giovanna Negri	presente
Prof. Venerino Poletti	presente
Dott.ssa Silvia Riccomi	presente
Dott.ssa Lucia Rossi	presente
Dott.ssa Elisa Sangiorgi	presente
Dott. Denis Savini	presente
Prof. Carlo Salvarani	presente
Dott.ssa Alessandra Sforza	presente
Dott. Matteo Volta	presente
Dott.ssa Annalisa Zini	assente g.

*Presenze esperti:*

Dott. Lorenzo Aguzzoli	assente g.
Dott. Andrea Conti	presente
Dott.ssa Rosaria Di Lorenzo	assente g.
Dott. Vittorio Laviola	assente g.
Prof.ssa Maura Pugliatti	assente g.

*Presenze Presidenti CF di Area Vasta:*

Dott. Carlo Descovich	assente g.
Dott. Giorgio Mazzi	presente
Dott. Stefano Tamberi	assente g.

*Presenze Segreteria:*

Dott.ssa Patrizia Falcone, Dott.ssa Roberta Giroladini, Dott.ssa Lucia Magnano, Dott.ssa Ilaria Mazzetti, Dott.ssa Marta Morotti, Dott.ssa Roselena Nigro, Dott.ssa, Melania Patuelli, Dott.ssa Anna Maria Potenza, Dott.ssa Francesca Rosini, Dott.ssa Julia Szyzsko, Dott.ssa Sandra Sottili.

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica  
Verbale approvato in data 01.12.2025