



COMMISSIONE REGIONALE DEL FARMACO
Sintesi delle considerazioni e delle decisioni assunte nella
Riunione della CRF del giorno 15 gennaio 2026

Illustriamo di seguito le considerazioni e le decisioni assunte dalla Commissione Regionale del Farmaco nella riunione del 15 gennaio 2026.

ANDAMENTI CONSUMI E SPESA FARMACEUTICA 2025: ANALISI E PROPOSTE DI LAVORO PER IL 2026

È stato illustrato l'andamento della spesa farmaceutica (convenzionata ed acquisto ospedaliero) relativa agli 11 mesi 2025, che mostra un trend di spesa delle principali classi di farmaci in aumento del 7% tendenziale, in leggero miglioramento rispetto all'andamento 2024 (+10%) dovuto all'effetto di moderazione dei consumi del ticket per la spesa farmaceutica convenzionata e una tendenza a un minore aumento della spesa ospedaliera, che sembrano suggerire la possibilità di portare l'aumento dell'incremento programmato intorno al 6%. Ciò confermerebbe la tendenza a una riduzione del trend di spesa registrato nel 2024. La CRF rimarca, tuttavia, come tale aumento di spesa del 6% rappresenti comunque una tendenza elevata e poco sostenibile a fronte di un aumento del FSN del 2-3% circa. Pertanto, la CRF sottolinea l'importanza di rafforzare azioni a tutti i diversi livelli per migliorare l'appropriatezza prescrittiva e le capacità di acquisto tramite gara/accordi quadro in un'ottica di sistema e di continuità assistenziale.

VALUTAZIONE FARMACI

FARMACI ONCOLOGICI E ONCOEMATOLOGICI: PROPOSTE GDL GREFO

Tumore della mammella localmente avanzato o metastatico, recettori ormonali positivi, HER2- negativo, dopo un regime di terapia a base endocrina

Capivasertib ATC L01EX27: os, H RNRL (specialista oncologo).

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "Capivasertib è indicato in associazione a Fulvestrant per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo al recettore degli estrogeni, 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".

DECISIONE DELLA CRF: capivasertib

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

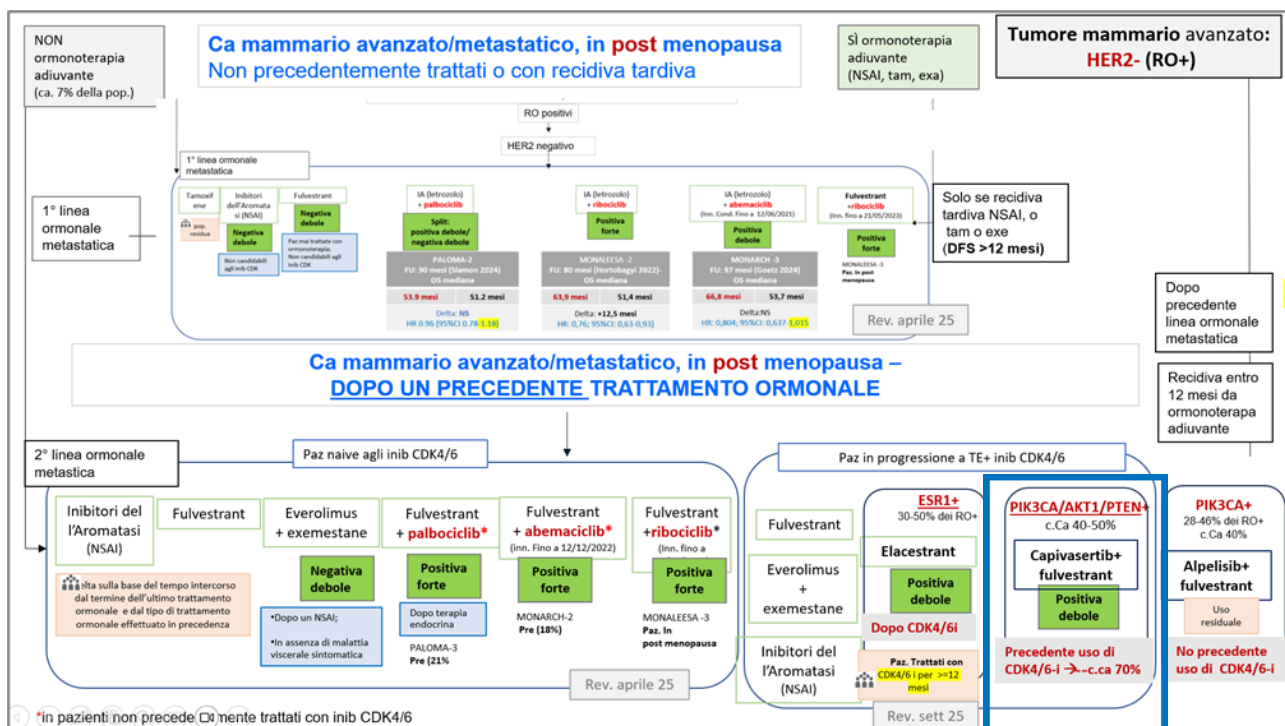
Capivasertib – tumore della mammella, ormone positivo, HER2 negativo

Raccomandazione CRF-GReFO:

"Nei pazienti adulti con carcinoma mammario localmente avanzato o metastatico positivo al recettore degli estrogeni, 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 il **trattamento con Capivasertib in associazione a Fulvestrant 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**.

N. pazienti atteso nell'anno in RER: circa 90 pazienti



Flow chart e raccomandazioni CRF-GReFO: farmaci per il trattamento del tumore della mammella localmente avanzato o metastatico positivo al recettore degli estrogeni, HER2- negativo. Focus sul setting di pazienti in progressione dopo un trattamento ormonale comprendente un inibitore delle chinasi ciclino-dipendenti 4/6 (CDK4/6-i) in presenza di una o più alterazioni di PIK3CA/AKT1/PTEN (cornice blu).

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/006017/0000 [Truqap, INN-capivasertib](#)
- Turner N.C. et Al. “Capivasertib in Hormone Receptor–Positive Advanced Breast Cancer” N Engl J Med 2023;388:2058-70.
- Oliveira M. et Al. “Capivasertib and fulvestrant for patients with hormone receptor-positive, HER2-negative advanced breast cancer (CAPtello-291): patient-reported outcomes from a phase 3, randomised, double-blind, placebo-controlled trial”. *Lancet Oncol* 2024; 25: 1231–44

Carcinoma a cellule di Merkel, recidivato localmente avanzato

Retifanlimab ATC L01FF10: ev, H OSP, Registro web based AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: “Retifanlimab è indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel (Merkel cell carcinoma - MCC) **recidivato localmente avanzato** non resecabile né candidabile a radioterapia”.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: “Retifanlimab è indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel (Merkel cell carcinoma - MCC) **metastatico o recidivato localmente avanzato** non resecabile né candidabile a radioterapia”.

DECISIONE DELLA CRF: retifanlimab

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per retifanlimab, inserisce il farmaco in PTR e approva la raccomandazione formulata dal Panel GreFO.

Retifanlimab – Carcinoma a cellule di Merkel

Raccomandazione CRF-GReFO:

Nei pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel) recidivato localmente avanzato non resecabile né candidabile a radioterapia, **retifanlimab deve/potrebbe** essere utilizzato”.

Raccomandazione **POSITIVA split fra forte e debole** formulata sulla base di evidenze di **qualità molto bassa** e rapporto **benefici/rischi: favorevole**.

N. pazienti atteso nell’anno in RER: circa 2 pazienti

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA. Procedure No. EMEA/H/C/006194/0000 [Zynyz, INN-retifanlimab](#)
- Grignani G et Al. "Phase II study of retifanlimab in patients with recurrent locally advanced or metastatic Merkel cell carcinoma (POD1UM-201)". *Journal for ImmunoTherapy of Cancer* 2025;13:e012478.

Tumore del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC), con mutazione KRAS G12C, in progressione dopo almeno una precedente terapia sistemica.

Adagrasib ATC L01XX77: os, H, RNRL (prescrizione di Centri ospedaliera o specialista: oncologo), Registro web based AIFA.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "Adagrasib è indicato in monoterapia per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con mutazione KRAS G12C e progressione della malattia dopo almeno una precedente terapia sistemica".

DECISIONE DELLA CRF: adagrasib

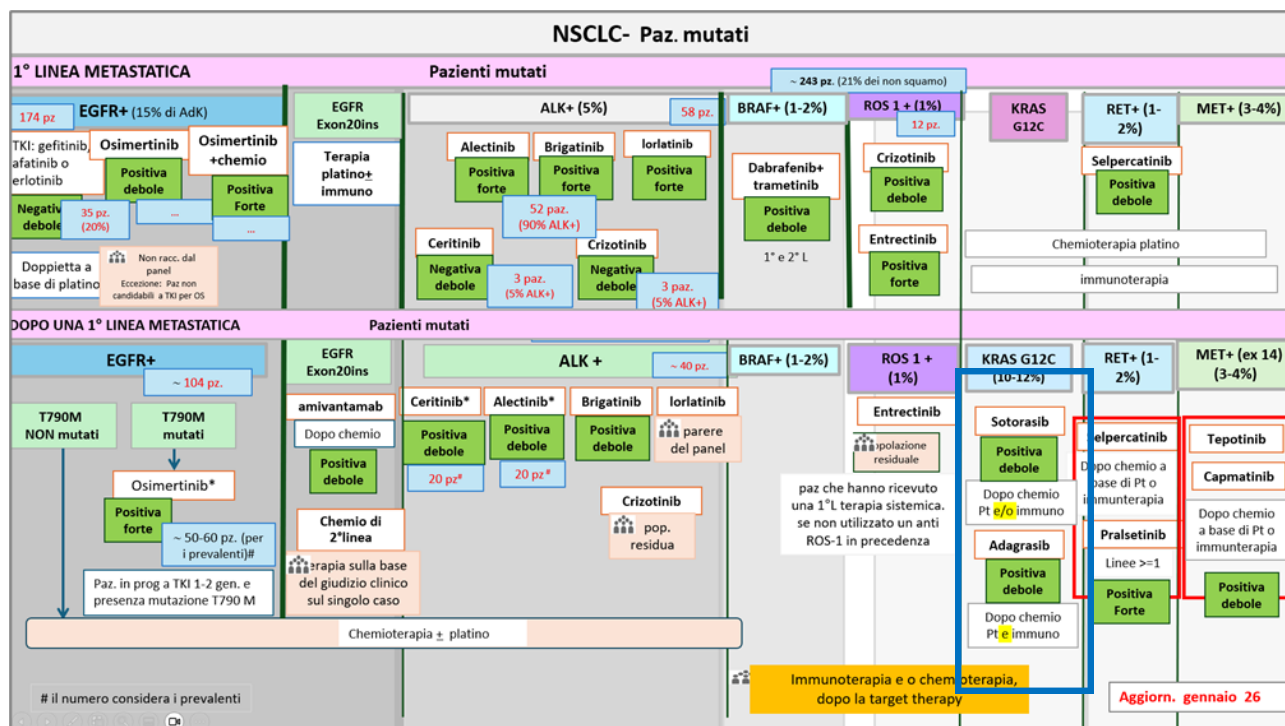
La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per adagrasib esprime parere favorevole all’inserimento in PTR e approva la raccomandazione formulata dal gruppo GREFO.

Adagrasib – Tumore del polmone non a piccole cellule (NSCLC)

Raccomandazione CRF:

“Nei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con mutazione KRAS G12C e progressione della malattia dopo almeno una precedente terapia sistemica, **adagrasib** in monoterapia **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**.



Flow chart e raccomandazioni CRF-GREFO: farmaci per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato nei pazienti mutati con progressione della malattia dopo almeno una precedente terapia sistemica; focus sulla mutazione KRAS G12C (cornice blu).

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/006013/0000. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/krazati-epar-public-assessment-report_en.pdf

- Jänne PA et Al. Adagrasib in Non–Small-Cell Lung Cancer Harboring a KRASG12C Mutation. N Engl J Med 2022; 387:120-31.
- Barlesi F. et Al. “Adagrasib versus docetaxel in KRASG12C-mutated non-small-cell lung cancer (KRYSTAL-12): a randomised, open-label, phase 3 trial”. Lancet 2025; 406: 615–26.
- Negro MV. Et Al. “Intracranial Efficacy of Adagrasib in Patients From the KRYSTAL-1 Trial With KRASG12C-Mutated Non–Small-Cell Lung Cancer Who Have Untreated CNS Metastases”. J Clin Oncol 41:4472-4477.

LETERMIVIR: PROFILASSI DELLE INFEZIONI DA CMV NEL TRAPIANTO DI RENE

Letermovir ATC J05AX18: ev, H OSP; os, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: infettivologo, ematologo, nefrologo), REGISTRO WEB BASED AIFA.

NUOVA INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “profilassi della malattia da CMV in pazienti adulti sieronegativi per CMV che hanno ricevuto un trapianto di rene da un donatore sieropositivo per CMV [D+/R-]”.

DECISIONE DELLA CRF: letermovir (profilassi della malattia da CMV nel trapianto di rene D+/R-)

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per letermovir nella profilassi della malattia da CMV in pazienti adulti sieronegativi che hanno ricevuto un trapianto di rene da donatore sieropositivo per CMV [D+/R-].

In considerazione del fatto che:

- lo studio registrativo principale (studio P002, Lymaye et al. JAMA 2023) è un RCT che ne ha dimostrato la non inferiorità rispetto a valganciclovir nel ridurre il rischio di malattia da CMV a 52 settimane dal trapianto di rene (il 10,4% dei pazienti ha sviluppato malattia da CMV nel braccio letermovir vs l'11,8% nel braccio valganciclovir, differenza assoluta: -1,4%, 95% CI da -6,5 a +3,8, margine predefinito di non inferiorità: +10%). Nello studio letermovir è stato somministrato in associazione ad aciclovir al fine della profilassi contro herpes simplex virus e virus della varicella zoster, poiché letermovir è attivo solo nei confronti di CMV. Tale associazione non è necessaria con valganciclovir;
- nello stesso studio era predefinito come esito principale di sicurezza un esito composto rappresentato dalla comparsa di uno qualsiasi dei seguenti 4 eventi durante la profilassi: leucopenia, neutropenia, una conta leucocitaria < 3.500 cellule/ μ L (certificata da un laboratorio centrale, una conta assoluta dei neutrofili (ANC) 1.000 cellule/ μ L. È stata, inoltre, valutata la necessità di somministrare > 1 dose di G-CSF per ciascun intervallo di 30 giorni consecutivi durante la profilassi. La frequenza del principale esito di sicurezza è risultata significativamente inferiore nel braccio letermovir rispetto al braccio valganciclovir: 26,0% dei pazienti vs 64,0% dei pazienti, rispettivamente, differenza assoluta: -37,9% (95% CI da - 45,1 a -30,3). Sono, inoltre, risultate significativamente inferiori nel braccio letermovir rispetto al braccio valganciclovir la frequenza di leucopenia e di neutropenia di qualunque grado a 28 settimane [leucopenia: 11,3% dei pazienti vs 37,0% rispettivamente nel braccio letermovir e valganciclovir, differenza assoluta -25,7% (95% CI da -32,3 a -19,1); neutropenia: 2,7% vs 16,5%, differenza assoluta: -13,8% (95% CI da -18,7 a -9,3)]. La neutropenia moderata/grave (ANC < 1.000 cellule/ μ L) ha interessato il 4,1% dei pazienti nel braccio letermovir e il 19,5% nel braccio valganciclovir con una differenza assoluta tra i bracci di -15,4%, 95% CI da -20,7% a -10,5%, statisticamente significativa.
- pertanto, il principale vantaggio sembra essere rappresentato dalla minor frequenza di neutropenia moderata/grave che si associa al trattamento con letermovir rispetto a valganciclovir.

La CRF tenendo conto dalla:

- difficoltà di individuare i pazienti che potrebbero maggiormente beneficiare della profilassi con letermovir rispetto all'attuale standard;
- rilevante differenza di costo rispetto all'attuale standard
- le più recenti LG che individuano come candidati alla profilassi con letermovir quei pazienti che sviluppano neutropenia in corso di profilassi con valganciclovir

ritiene utile incontrare i Centri che effettuano trapianti di rene della Regione Emilia-Romagna al fine di definire il posto in terapia del farmaco, in particolare per quanto riguarda le considerazioni sopra riportate.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Prevymis®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/004536/II/0033/G. EMA/525117/2023, 12 October 2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/prevymis-h-c-004536-ii-0033-g-epar-assessment-report-variation_en.pdf [accesso: dicembre 2025]
- Prevymis®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/prevymis-epar-product-information_it.pdf [accesso: dicembre 2025]
- Limaye AP et al. Letermovir vs Valganciclovir for Prophylaxis of Cytomegalovirus in High-Risk Kidney Transplant Recipients. A Randomized Clinical Trial. JAMA. 2023; 330:33-42.
- Santos CAQ et al. Prevention of cytomegalovirus disease in kidney transplant recipients. https://www.uptodate.com/contents/prevention-of-cytomegalovirus-disease-in-kidney-transplant-recipients?search=letermovir&source=search_result&selectedTitle=6~24&usage_type=default&display_rank=5 [accesso: gennaio 2026]
- Det. AIFA 1092/2025 G.U. n. 203 del 02.09.2025 <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/>

ACORAMIDIS: AMILOIDOSI DA TRANSTIRETINA CON CARDIOMIOPATIA (ATTR-CM),

ACORAMIDIS ATC C01EB25: os, H RRL (prescrizione di centri ospedalieri o specialista: cardiologo), REGISTRO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’amiloidosi da transtiretina wild type o variante in pazienti adulti con cardiomiopatia (ATTR-CM)”.

DECISIONE DELLA CRF: acoramidis per il trattamento della ATTR-CM

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per acoramidis nel trattamento della ATTR-CM ha inserito il farmaco in PTR.

Verranno abilitati alla prescrizione del farmaco mediante il rispettivo Registro web based AIFA gli stessi Centri già individuati nell’ambito della Rete regionale delle Malattie rare per la prescrizione di tafamidis per la stessa indicazione terapeutica.

Tenuto conto della disponibilità di acoramidis e tafamidis per il trattamento della ATTR-CM, dei relativi criteri di eleggibilità al trattamento definiti da AIFA, delle differenze di costo esistenti tra i due trattamenti, in assenza di specifiche motivazioni cliniche nell’uso prevalente, la CRF raccomanda di privilegiare l’opzione che presenta il miglior rapporto costo-opportunità.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Beyontra®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/006333/0000. EMA/66885/2025, 12 December 2024. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/beyontra-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: gennaio 2026]
- Beyontra®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/beyontra-epar-product-information_it.pdf [accesso: gennaio 2026]
- Gillmore JD et al. Efficacy and Safety of Acoramidis in Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. NEJM 2024; 390:132-42.
- Beyontra® (acoramidis). Avis sur les Médicaments. HAS, 5 novembre 2025. https://www.has-sante.fr/upload/docs/evamed/CT-21285_BEYONTRA_PIC_INS_AvisDef_CT21285.pdf [accesso: gennaio 2026]
- Det. AIFA 1540/2025 G.U. n. 271 del 21.11.2025. <https://trovanorme.aifa.gov.it/#/>

BIMEKIZUMAB : ARTRITE PSORIASICA (RUOLO RISPETTO AI FARMACI BIOLOGICI - BDMARDS: ANTI-TNF, ANTI IL-12/23, ANTI IL- 17, ANTI IL-23)

BIMEKIZUMAB L04AC21: sc, H RRL (prescrizione di Centri ospedalieri e specialisti dermatologo, reumatologo, internista), PIANO TERAPEUTICO CARTACEO AIFA.

NUOVA INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’artrite psoriasica attiva nei pazienti adulti che hanno ricevuto una risposta inadeguata o che sono intolleranti ad uno o più DMARD). Può essere somministrato in monoterapia o in associazione con metotrexato”.

DECISIONE DELLA CRF: bimekizumab per il trattamento della artrite psoriasica

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per bimekizumab nel trattamento della artrite psoriasica, ha inserito l’indicazione in PTR e rispetto alle numerose alternative disponibili nella stessa linea terapeutica (bDMARDs), ha formulato la seguente raccomandazione:

“le attuali indicazioni autorizzate e rimborsate dal SSN identificano quali bDMARDs da utilizzare in prima linea biologica dopo fallimento di csDMARDs:

- gli **anti-TNF α** (adalimumab, certolizumab, etanercept, golimumab, infliximab o un loro biosimilare);
- gli **anti IL-17** (bimekizumab, ixekizumab, secukinumab);
- gli **anti IL-23** (guselkumab*, risankizumab*);
- l'**anti IL-12/23** (ustekinumab* o un suo biosimilare),

*ustekinumab non ha dimostrato efficacia nel trattamento delle manifestazioni assiali della malattia;
guselkumab e risankizumab non hanno dati conclusivi su questa manifestazione clinica.

In assenza di studi di confronto diretto, non ci sono criteri forti per guidare la scelta fra i bDMARDs.

Dal punto di vista clinico il GdL ritiene che siano da considerare preferenzialmente:

- adalimumab, infliximab, ustekinumab in presenza di M. Crohn;
- adalimumab, golimumab, infliximab, ustekinumab in presenza di colite ulcerosa;
- adalimumab, golimumab o infliximab in presenza di manifestazioni oculari;
- etanercept, bimekizumab, ixekizumab, secukinumab, guselkumab*, risankizumab*, ustekinumab* nel caso di rischio di riattivazione della malattia tubercolare;
- certolizumab in caso di gravidanza;

In presenza di rilevante e prevalente interessamento cutaneo, la scelta dovrà essere condivisa con lo specialista dermatologo in considerazione del documento regionale Doc PTR n. 94 “Trattamento sistemico della psoriasi cronica a placche moderata-grave”

Avendo garantita la disponibilità di tutti i bDMARDs, nell’ambito delle diverse classi (anti-TNF α , inibitori dell’interleuchine o dei loro recettori) ed all’interno di ogni singola classe, in assenza di specifiche motivazioni cliniche si raccomanda di privilegiare il farmaco con il miglior rapporto costo-opportunità.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Ritchlin CT et al. Bimekizumab in patients with active psoriatic arthritis: results from a 48-week, randomised, double-blind, placebo-controlled, dose-ranging phase 2b trial. *Lancet* 2020; 395: 427-40.
- McInnes IB et al. Bimekizumab in patients with psoriatic arthritis, naive to biologic treatment: a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial (BE OPTIMAL). *Lancet* 2023; 401: 25-37.
- Merola JF et al. Bimekizumab in patients with active psoriatic arthritis and pre-vius inadequate response or intolerance to tumour necrosis factor- α inhibitors: a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial (BE COMPLETE). *Lancet* 2023; 401: 38-48.
- Bimzelx®. Assessment report. Procedure No. EMEA/H/C/005316/II/0011. EMA/235043/2023, 26 April 2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/variation-report/bimzelx-h-c-5316-ii-0011-epar-assessment-report-variation_en.pdf (accesso gennaio 2026)
- CADTH Reimbursement Recommendation Bimekizumab (Bimzelx). *Canadian Journal of Health Technologies*, June 2024, Volume 4, Issue 6. https://www.cda-amc.ca/sites/default/files/DRR/2024/SR0803%20Bimzelx%20PsA_Rec_final.pdf (accesso gennaio 2026)
- NICE Bimekizumab for treating active psoriatic arthritis Technology appraisal guidance Published: 4 October 2023. <https://www.nice.org.uk/guidance/ta916/resources/bimekizumab-for-treating-active-psoriatic-arthritis-pdf-82615490496709> (accesso gennaio 2026)
- HAS BIMZELX (bimékizumab) - Rhumatisme psoriasique. Avis sur les Médicaments - Mis en ligne le 29 avr. 2024. https://has-sante.fr/jcms/p_3505847/fr/bimzelx-bimekizumab-rhumatisme-psoriasique (accesso gennaio 2026)

FARMACI PER IL TRATTAMENTO DELL'IDROSADENITE SUPPURATIVA

BIMEKIZUMAB

BIMEKIZUMAB L04AC21: sc, H, RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialista: dermatologo).

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’Idrosadenite Suppurativa (acne inversa) attiva di grado da moderata a severo in adulti con una risposta inadeguata alla terapia sistemica convenzionale per l’HS”.

DECISIONE DELLA CRF: bimekizumab per il trattamento della Idrosadenite Suppurativa

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per bimekizumab nel trattamento della idrosadenite suppurativa, ha inserito l’indicazione in PTR e, rispetto alle alternative disponibili nella stessa linea terapeutica (bDMARDs: adalimumab e secukinumab), ha formulato la seguente raccomandazione: “avendo garantita la disponibilità di tutti i bDMARDs, in assenza di specifiche motivazioni cliniche, si raccomanda di privilegiare il farmaco con il miglior rapporto costo-opportunità”.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Glatt S et al. Efficacy and Safety of Bimekizumab in Moderate to Severe Hidradenitis Suppurativa: A Phase 2, Double-blind, Placebo-Controlled Randomized Clinical Trial. *JAMA Dermatol.* 2021;157(11):1279–1288.
- Kimball AB et al. Efficacy and safety of bimekizumab in patients with moderate-to-severe hidradenitis suppurativa (BE HEARD I and BE HEARD II): two 48-week, randomised, double-blind, placebo-controlled, multicentre phase 3 trials. *Lancet.* 2024 Jun 8;403(10443):2504-2519.
- Sayed, Christopher J. et al. Bimekizumab demonstrated a favorable safety profile and high levels of efficacy with up to 2 years of treatment in patients with moderate to severe hidradenitis suppurativa: Pooled results from two phase 3 randomized, controlled trials and their open-label extension. *JAAD* 2025, Volume 0, Issue 0.
- Bimzelx®. Assessment report. Procedure No. EMEA/H/C/005316/II/0020. EMA/145924/2024, 21 March 2024. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/bimzelx-epar-public-assessment-report_en.pdf (accesso gennaio 2026).
- NICE Bimekizumab for treating moderate to severe hidradenitis suppurativa (terminated appraisal) Technology appraisal Reference number: TA1028 Published: 15 January 2025. <https://www.nice.org.uk/guidance/ta1028> (accesso gennaio 2026).
- HAS BIMZELX (bimékizumab) - Hidradenitis suppurativa *OPINIONS ON DRUGS* - Posted on Dec 02 2024 https://www.has-sante.fr/jcms/p_3562973/en/bimzelx-bimekizumab-hidradenitis-suppurativa (accesso gennaio 2026).

SEKUKINUMAB

SECUKINUMAB L04AC10: sc, H RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialista: dermatologo).

NUOVA INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: “trattamento dell’Idrosadenite suppurativa (acne inversa) attiva di grado da moderata a severo in adulti con una risposta inadeguata alla terapia sistemica convenzionale per l’HS”.

DECISIONE DELLA CRF: secukizumab per il trattamento della Idrosadenite Suppurativa

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per secukizumab nel trattamento della idrosadenite suppurativa, ha inserito l’indicazione in PTR e, rispetto alle alternative disponibili nella stessa linea terapeutica (bDMARDs: adalimumab e bimekinubmab), ha formulato la seguente raccomandazione: “avendo garantita la disponibilità di tutti i bDMARDs, in assenza di specifiche motivazioni cliniche, si raccomanda di privilegiare il farmaco con il miglior rapporto costo-opportunità”.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Kimball AB et al. Secukinumab in moderate-to-severe hidradenitis suppurativa (SUNSHINE and SUNRISE): week 16 and week 52 results of two identical, multicentre, randomised, placebo-controlled, double-blind phase 3 trials. *Lancet.* 2023 Mar 4;401(10378):747-761. Erratum in: *Lancet.* 2024 Feb 17;403(10427):618.
- Zouboulis CC et al. Secukinumab in patients with moderate-to-severe hidradenitis suppurativa based on prior biologic exposure: an efficacy and safety analysis from the SUNSHINE and SUNRISE phase III trials. *Br J Dermatol.* 2024 May 17;190(6):836-845.
- Kimball AB et al. Long-term efficacy and safety of secukinumab in patients with moderate-to-severe hidradenitis suppurativa: week 104 results from the SUNSHINE and SUNRISE extension trial. *Br J Dermatol.* 2025 Mar 18;192(4):629-640.
- Martora F et al. Secukinumab in Hidradenitis Suppurativa Patients Who Failed Adalimumab: A 52-Week Real-Life Study. *Clin Cosmet Investig Dermatol.* 2024 Jan 23;17:159-166.

- Cosentyx®. Assessment report Procedure No. EMEA/H/C/003729/II/0090. EMA/214413/2023, 26 April 2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/bimzelx-epar-public-assessment-report_en.pdf (accesso gennaio 2026).
- NICE Cosentyx®. Secukinumab for treating moderate to severe hidradenitis suppurativa Technology appraisal guidance Published: 6 December 2023 <https://www.nice.org.uk/guidance/ta935> (accesso gennaio 2026).
- HAS Cosentyx®. Secukinumab Hidradenitis suppurativa OPINIONS ON DRUGS - Posted on Nov 09 2023. https://www.has-sante.fr/jcms/p_3470819/en/cosentyx-secukinumab-hidradenitis-suppurativa-hs-verneuil-disease

MARALIXIBAT: COLESTASI INTRAEPATICA FAMILIARE PROGRESSIVA, RUOLO IN TERAPIA RISPETTO A ODEVIXIBAT

L'argomento è stato rimandato alla prossima riunione della Commissione Regionale del Farmaco per mancanza di tempo.

ESTENSIONI DI INDICAZIONI PEDIATRICHE:

EVINACUMAB ATC C10AX17: ev, H RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti individuati dalle Regioni). AIFA ha attribuito al farmaco l'INNOVATIVITA'.

NUOVA INDICAZIONE RIMBORSATA SSN: "in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti pediatriche di età pari o superiore a 6 mesi e inferiore a 12 anni con diagnosi di ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)".

NUOVA INDICAZIONE APPROVATA EMA: "in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 6 mesi con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)".

DECISIONE DELLA CRF: Evinacumab: ipercolesterolemia familiare omozigote (a partire dai 6 mesi)

La Commissione Regionale del Farmaco ha recepito la decisione di AIFA di estendere la rimborsabilità SSN di evinacumab al trattamento della HoFH a partire dai 6 mesi di età (G.U. n. 230 del 03.10.2025).

L'indicazione a partire dai 12 anni di età è già stata inserita in PTR con Determina n. 3026 del 15/02/2024.

Sono confermati, ai fini della prescrizione attraverso il Registro AIFA, gli Ambulatori per il trattamento delle dislipidemie della Regione Emilia-Romagna.

VOSORITIDE ATC M05BX07: sc, H RRL (prescrizione dei Centri per la diagnosi e il trattamento dell'acondroplasia individuati dalle Regioni), REGISTRO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i 4 mesi e i 14 al momento dell'inizio della terapia e le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica".

INDICAZIONE APPROVATA EMA: "trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari a 4 mesi e superiore, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica".

DECISIONE DELLA CRF: vosoritide: trattamento dell'acondroplasia (bambini di età compresa tra 4 mesi e 2 anni)

La Commissione Regionale del Farmaco ha recepito la decisione di AIFA di estendere la rimborsabilità SSN di vosoritide per il trattamento dell'acondroplasia ai bambini di età compresa tra 4 mesi e 2 anni (G.U. n. 250 del 27.10.2025). Il Registro web based AIFA per la prescrizione del farmaco è stato aggiornato per includere questa fascia d'età.

I Centri per la diagnosi, trattamento e follow up dell'acondroplasia individuati dalla Regione Emilia-Romagna nell'ambito della Rete Malattie rare sono stati abilitati alla prescrizione in occasione dell'inserimento di vosoritide in PTR (Determina n. 23028 del 22.11.2022).

FARMACI CNN (NON ANCORA NEGOZIATI DA AIFA) CONCESSI TEMPORANEAMENTE A PREZZO SIMBOLICO:

GUSELKUMAB NEL TRATTAMENTO DELLA COLITE ULCEROSA E DELLA MALATTIA DI CROHN

La Commissione Regionale del Farmaco ha esaminato la proposta di cessione a prezzo simbolico delle confezioni di guselkumab attualmente in classe Cnn (ev e sc) per le indicazioni:

- “trattamento di pazienti adulti con colite ulcerosa attiva di grado da moderato a severo che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un trattamento biologico”
- “trattamento di pazienti adulti con malattia di Crohn attiva di grado da moderato a severo che hanno avuto una risposta inadeguata, hanno perso la risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un trattamento biologico”.

La CRF ha sospeso il parere rispetto alla proposta, ritenendo di incontrare il GdL sui farmaci biologici per il trattamento delle MICI al fine di valutare il bisogno clinico e definire il possibile ruolo in terapia del farmaco.

EPLONTENSEN NELL'AMILOIDOSI EREDITARIA DA TRANSTIRETINA CON POLINEUROPATIA

La Commissione Regionale del Farmaco ha esaminato la proposta di campionatura di eplontersen attualmente classificato in classe Cnn per l'indicazione “trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (hereditary transthyretin-mediated amyloidosis, ATTRv) in pazienti adulti con polineuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2. cessione a prezzo simbolico delle confezioni di 2”.

La CRF ha ritenuto di non accogliere la proposta, tenuto conto della disponibilità di alternative terapeutiche rimborsate SSN e del fatto che nella proposta non sono definite le modalità con cui la Ditta titolare AIC intende mantenere a proprio carico i trattamenti che non dovessero rientrare nei criteri di rimborsabilità che AIFA definirà al momento della rimborsabilità SSN.

VAMOROLONE PER IL TRATTAMENTO DELLA MALATTIA DI DUCHENNE

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato la proposta di cessione a prezzo simbolico del farmaco vamorolone attualmente classificato in classe Cnn per il “trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD) in pazienti di età pari o superiore a 4 anni” e ha espresso un orientamento negativo rispetto alla opportunità di garantire un accesso anticipato al farmaco, anche alla luce di quanto accaduto con ataluren e della negoziazione in corso di givinostat, rispetto alla quale è atteso a breve il completamento.

Ritiene, tuttavia, utile un confronto con il Centro regionale per la diagnosi, trattamento e follow up della malattia di Duchenne al fine di esprimere un parere definitivo sulla proposta.

POLITICHE DA ADOTTARE PER I FARMACI PER L'OBESITÀ, GLI ANTICORPI MONOCLONALI PER LA DEMENZA DI ALZHEIMER

La CRF evidenzia i ritardi di AIFA nell'affrontare il tema della rimborsabilità dei farmaci GLP-1 RA per l'obesità che rappresenta un rilevante problema di salute pubblica e che vede in questi farmaci una opzione preferibile rispetto alla chirurgia bariatrica.

L'argomento farmaci per la demenza è stato brevemente discusso per la sensibilizzazione attiva cui sono sottoposti gli specialisti neurologi e si è condivisa l'importanza che AIFA rigetti la rimborsabilità per tali farmaci alla luce delle evidenze disponibili e lo sfavorevole rapporto costo-efficacia, come avvenuto in diversi Paesi europei proprio di recente.

La riunione si è svolta in modalità mista dalle ore 14:30 alle ore 18:30; il collegamento è stato assicurato attraverso piattaforma Teams.

Presenze CRF:

Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Carlo Biagetti	assente g.
Dott. Alberto Bortolami	presente
Dott.ssa Francesca Bravi	presente
Dott. Pietro Calogero	presente
Dott.ssa Chiara Cantarelli	presente
Dott. Giovanni Maria Centenaro	presente
Dott. Marco Fusconi	presente
Dott. Marcello Galvani	assente g.
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	presente
Dott. Alessandro Navazio	presente
Dott.ssa Giovanna Negri	presente
Dott.ssa Silvia Riccomi	assente g.
Dott.ssa Lucia Rossi	presente
Prof. Carlo Salvarani	assente g.
Dott.ssa Elisa Sangiorgi	presente
Dott. Denis Savini	presente
Dott.ssa Alessandra Sforza	presente
Dott. Matteo Volta	presente
Dott.ssa Annalisa Zini	presente

Presenze esperti:

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

Presenze Presidenti CF di Area Vasta:

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

Presenze Segreteria:

Dott.ssa Roberta Giroidini, Dott.ssa Lucia Magnano, Dott. Andrea Marchi, Dott.ssa Ilaria Mazzetti, Dott.ssa Marta Morotti, Dott.ssa Roselena Nigro, Dott.ssa Anna Maria Potenza, Dott.ssa Francesca Rosini, Dott.ssa Ester Sapigni, Dott.ssa Margherita Selleri, Dott.ssa Sandra Sottili, Dott.ssa Julia Szyszko.

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica
Verbale approvato in data 24.03.2026
Il Coordinatore della CRF: Dott. Nicola Magrini