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 19 febbraio 2026

Illustriamo di seguito le considerazioni e le decisioni assunte dalla nuova CRF nella riunione del 19 febbraio 2026.

ANDAMENTI SPESA FARMACEUTICA 2025 E POSSIBILI AZIONI CRF

Viene illustrato il report predisposto che verrà inviato alle Direzioni generali con cadenza trimestrale e con preghiera di massima diffusione a tutti i prescrittori e altri operatori/stakeholders interessati. Il report illustra sinteticamente l'andamento della spesa farmaceutica, il suo impatto sul fondo sanitario e i principali determinanti di spesa e prescrizioni, comprese le due top-list per spesa e quantità al fine di individuare possibili azioni da attuare per favorire un uso ottimale dei farmaci e delle risorse. Il report illustra anche alcuni capitoli di prescrizione con dati da indicatori di appropriatezza per singoli farmaci (come rivaroxaban).

DOCUMENTO SUI NAO

Viene illustrata la proposta di Documento regionale sull'uso dei NAO/DOAC prodotta dal Gruppo di Lavoro NAO, a partire dal Documento che era stato elaborato dall'Area Vasta Romagna. La Commissione Regionale del Farmaco ne approva i contenuti e propone di confermare anche per il 2026 l'obiettivo già individuato nel 2025 rispetto all'uso dei NAO/DOAC a brevetto scaduto.

VALUTAZIONE FARMACI

LETERMOVIR PER LA PROFILASSI DELLE INFEZIONI DA CMV NEL TRAPIANTO DI RENE. COMPLETAMENTO DELLA VALUTAZIONE A SEGUITO DELL'INCONTRO CON I CENTRI PER IL TRAPIANTO DI RENE REGIONALI

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 inserisce l'estensione di indicazioni di letermovir in PTR. Saranno abilitati alla prescrizione mediante il Registro web based AIFA, con apertura dell'area clinica nefrologia, i Centri per il trapianto di rene della Regione Emilia-Romagna.
Tenuto conto:

- delle prove di efficacia e sicurezza disponibili, già valutate nella riunione del 15 gennaio us;
- del confronto con i Centri per il trapianto di rene individuati nella Regione Emilia-Romagna

la CRF raccomanda l'uso di letermovir nei pazienti che non tollerano valganciclovir per

- neutropenia (<1000/mmc) persistente o grave (<500/mmc) refrattari alle misure individualizzate per la gestione del deficit di leucociti neutrofili
- instabilità della funzione del graft che complica il dosaggio di valganciclovir

Il numero atteso di pazienti candidati al trattamento con letermovir, iniziale o in switch da valganciclovir, sulla base delle considerazioni sopra esposte è stimabile in 20-25 per anno.

FARMACI ONCOLOGICI E ONCOEMATOLOGICI: PROPOSTE GDL GREFO

Tumore polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC)

Serplulimab ATC L01FF12: ev, H OSP. Registro AIFA web based.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "Serplulimab in combinazione con carboplatino ed etoposide è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC)".

DECISIONE DELLA CRF:

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per **serplulimab** in associazione a carboplatino ed etoposide, inserisce in PTR il farmaco e approva le raccomandazioni formulate dal Panel GReFO relative ai trattamenti disponibili come di seguito riportato.

Serplulimab, atezolizumab e durvalumab – tumore polmonare a piccole cellule (SCLC-ES), 1°Linea

Raccomandazione CRF-GReFO:

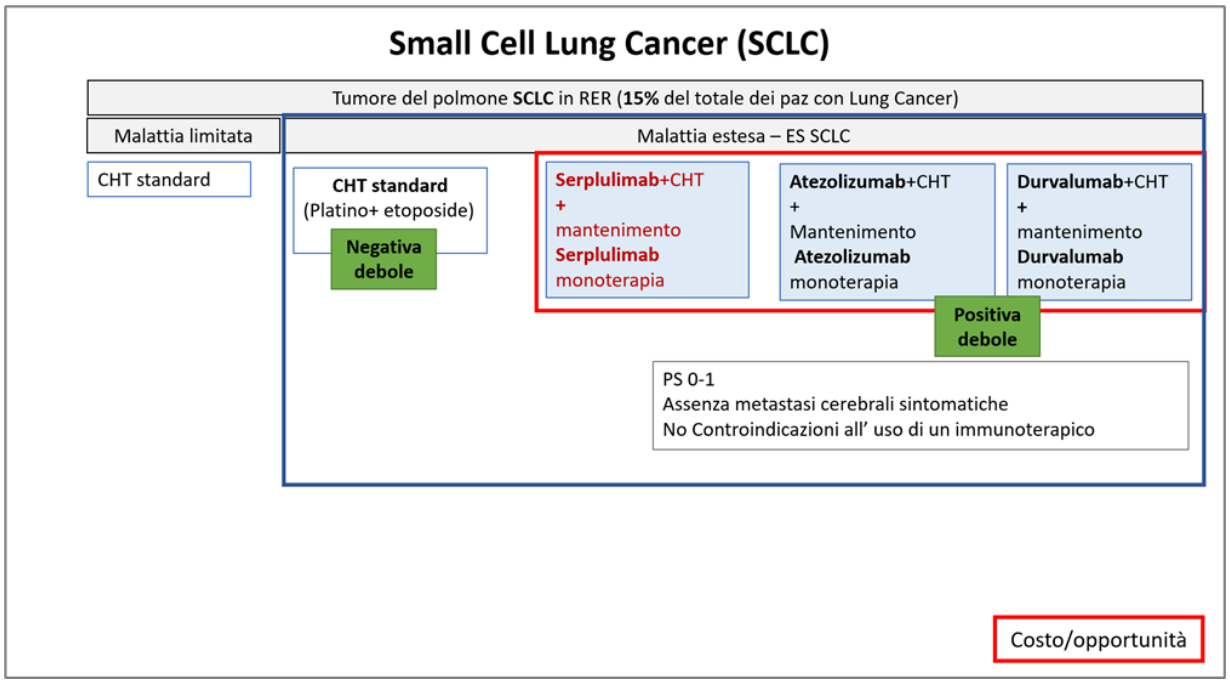
"Nei pazienti adulti con carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC) il trattamento di induzione in prima linea con un immunoterapico fra **serplulimab, atezolizumab o durvalumab** in associazione a **carboplatino ed etoposide**, seguito da mantenimento con il relativo immunoterapico in monoterapia **potrebbe essere** utilizzato (in pazienti selezionati, ben informati e motivati)".

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

N. pazienti atteso nell'anno in RER: circa 150-200 pazienti

Accordo del Panel sul costo-opportunità

Poiché ai tre farmaci immunoterapici, serplulimab, atezolizumab e durvalumab, per il trattamento di prima linea del carcinoma polmonare a piccole cellule in stadio esteso (ES-SCLC), è stata attribuita la stessa raccomandazione positiva debole, il Panel concorda che, a parità di raccomandazioni e in assenza di specifiche condizioni/comorbidità, nella scelta del trattamento si debba tener conto, per l'uso prevalente, anche del rapporto costo/opportunità o di possibili gare in sovrapponibilità terapeutica per quantitativi limitati.



Flow chart e raccomandazioni CRF-GReFO: farmaci per il trattamento del tumore polmonare a piccole cellule (SCLC -ES). Focus sul setting di pazienti in stadio esteso, in 1°Linea.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/006170/0000 Hetronifly, INN-serplulimab
- Cheng Y. et Al. "Effect of First-Line Serplulimab vs Placebo Added to Chemotherapy on Survival in Patients With Extensive-Stage Small Cell Lung Cancer The ASTRUM-005 Randomized Clinical Trial". ***JAMA* 2022;328(12):1223-1232.**
- Cheng Y. et Al. "First-line serplulimab plus chemotherapy in extensive-stage small-cell lung cancer: Updated results and biomarker analysis from the ASTRUM-005 randomized clinical trial". *Cancer Communicartions* 2025;45:990–1009**.**

Tumore uroteliale non resecabile o metastatico- 1° Linea

Pembrolizumab ATC L01FF02 + Enfortumab Vedotin ATC L01FX13: ev, H OSP. Registro AIFA web based.

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "Pembrolizumab, in associazione a Enfortumab Vedotin, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico negli adulti".

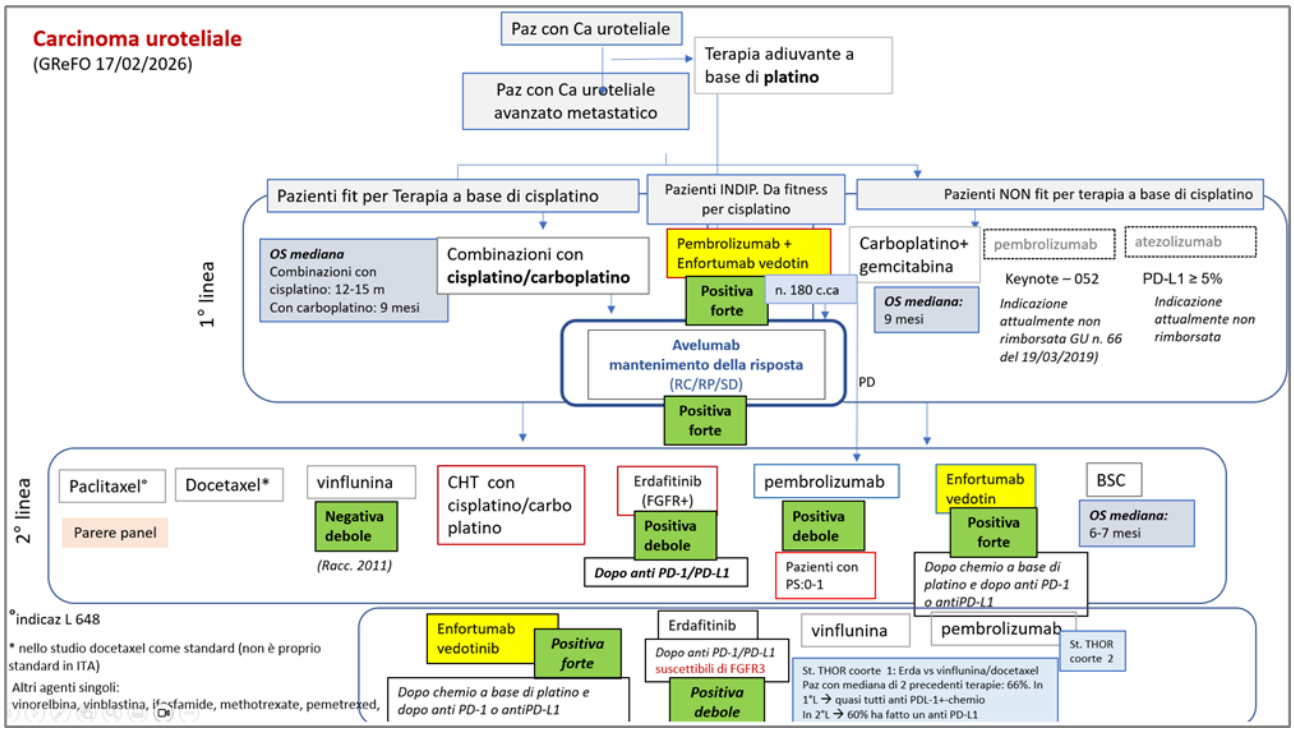
DECISIONE DELLA CRF:

La Commissione Regionale del Farmaco dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per pembrolizumab in associazione enfortimab vedotin, inserisce in PTR le nuove indicazioni dei farmaci e approva la raccomandazione formulata dal Panel GReFO. Se ne sottolinea l'importanza terapeutica in termini di entità dell'effetto ma anche il rilevante impatto economico segno di una tendenza del mercato attuale verso costi per paziente molto elevati.

Pembrolizumab + enfortumab vedotin – tumore uroteliale non resecabile metastatico

Raccomandazione CRF-GReFO:

"Nei pazienti adulti con carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico, il trattamento di prima linea con **Pembrolizumab in associazione a Enfortumab vedotin dovrebbe essere utilizzata nella maggior parte dei pazienti**".
Raccomandazione **POSITIVA FORTE** formulata sulla base di evidenze di qualità **alta** e rapporto **benefici/rischi: favorevole.**
N. pazienti atteso nell'anno in RER: circa 200 pazienti



Flow chart e raccomandazioni CRF-GReFO: farmaci per il trattamento del tumore uroteliale. Focus sul setting di pazienti in 1°Linea di terapia.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/003820/II/0150 Keytruda, INN-pembrolizumab
- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/005392/II/0013 Padcev, INN-enfortumab vedotin
- Powels T. et Al. " Enfortumab Vedotin and Pembrolizumab in Untreated Advanced Urothelial Cancer". *N. Engl. J Med* 2024;390:875-88.
- Powels T. et Al. "Enfortumab vedotin plus pembrolizumab in untreated locally advanced or metastatic urothelial carcinoma: 2.5-year median follow-up of the phase III EV-302/KEYNOTE-A39 trial5". *Annals of Oncol.* 2025; 36: 1212–19

Tumore uroteliale non resecabile o metastatico – dopo anti PD-1/PD-L1

Erdafitinib ATC L01EN01: os, H RNRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialista: oncologo).

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: *"Erdafirinib in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma uroteliale (UC) non resecabile o metastatico, portatori di alterazioni genetiche suscettibili di FGFR3, che abbiano precedentemente ricevuto almeno una linea di terapia con un inibitore di PD-1 o PD-L1 per malattia non resecabile o metastatica"*.

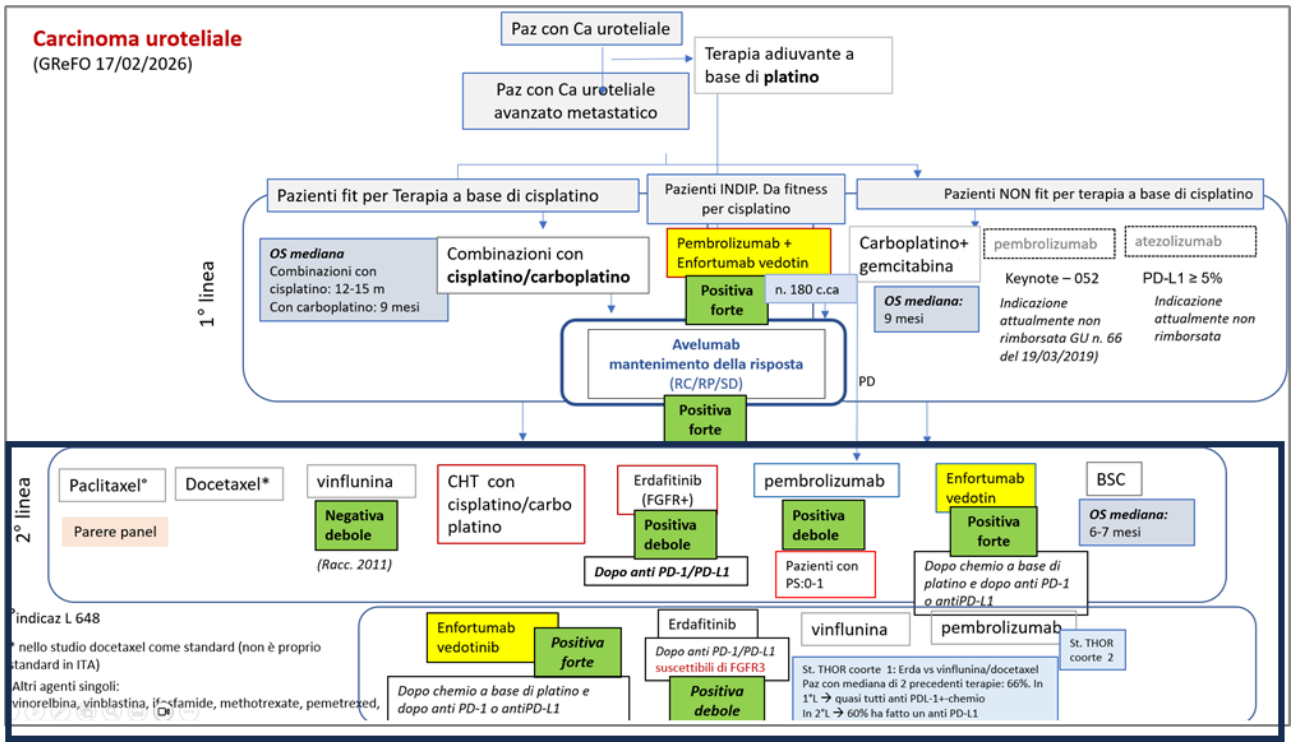
DECISIONE DELLA CRF:

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

Erdafitinib – tumore uroteliale non resecabile metastatico

Raccomandazione CRF-GReFO:
"Nei pazienti adulti con carcinoma uroteliale (UC) non resecabile o metastatico, portatori di **alterazioni genetiche suscettibili di FGFR3**, che abbiano precedentemente ricevuto almeno una linea di terapia con un inibitore di PD-1 o PD-L1 per malattia non resecabile o metastatica, **erdafitinib dovrebbe essere utilizzato nella maggior parte dei pazienti**".

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 tumore uroteliale. Focus sul setting di pazienti con alterazioni genetiche suscettibili di FGFR3 dopo almeno una linea di terapia con un inibitore di PD-1 o PD-L1 per malattia non resecabile o metastatica

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/003820/II/015
- Loriot Y. "Erdafitinib or Chemotherapy in Advanced or Metastatic Urothelial Carcinoma". **N Engl J Med 2023;389:1961-71.**

RICHIESTE DI FARMACI EARLY ACCESS/ FUORI RIMBORSABILITÀ/OFF LABEL

Vorasidenib ATC L01EN01. Fascia Cnn, in commercio in Italia, disponibile con prezzo definito da azienda farmaceutica (non disponibile a prezzo simbolico)

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: *"trattamento dell'astrocitoma o dell'oligodendroglioma di grado 2 prevalentemente non captante con mutazione IDH1 R132 o IDH2 R172 in pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 40 kg che hanno subito solo un intervento chirurgico e non necessitano immediatamente di radioterapia o chemioterapia".*

DECISIONE DELLA CRF

Rispetto alla richiesta di utilizzo del farmaco Vorasidenib, attualmente classificato da AIFA in fascia Cnn, dopo valutazione e confronto sui dati disponibili e sulle possibili strategie da adottare per l'acquisto del non ancora negoziato e non disponibile a prezzo simbolico, la CRF ha condiviso la proposta del Gruppo GReFO di formulare una richiesta di inserimento in L. 648/96.

La CRF contestualmente ha proposto di portare all'attenzione di AIFA le problematiche legate ad un equo accesso al farmaco in particolare a seguito della chiusura del programma di uso terapeutico nel periodo di tempo che intercorre alla rimborsabilità generando una rilevante problematica di accesso e di interferenza col processo negoziale in corso.

Alla luce dei dati disponibili, la CRF in accordo con il gruppo GReFO, esprime le seguenti considerazioni:

- I dati disponibili a supporto dell'utilizzo del farmaco nella popolazione di pazienti con gliomi a basso grado, come meglio dettagliato dall'indicazione terapeutica, e dai criteri di eleggibilità dello studio registrativo, mostrano un vantaggio considerato clinicamente rilevante nel ritardare il tempo al trattamento successivo (chemio-radioterapia);
- Il programma di uso terapeutico con Vorasidenib, approvato da AIFA ad aprile 2024 si è concluso a ottobre 2025, dopo la registrazione dell'indicazione terapeutica da parte di EMA, ma prima della rimborsabilità da parte di AIFA, coprendo il bisogno terapeutico per alcuni pazienti, ma non per quelli incidenti nel corso del 2026 (la rimborsabilità è attesa per l'inizio del 2027);
- l'eventuale utilizzo del farmaco, in attesa della rimborsabilità, rappresenta per le Regioni un trattamento extra-LEA, che considerato il tempo previsto alla rimborsabilità, il costo del trattamento (definito dall'azienda farmaceutica), e il numero di pazienti candidabili (stima sulla base del numero di pazienti inclusi nel programma di uso terapeutico), corrisponde all'impegno di un importante anticipo di spesa. Pur sapendo che l'azienda farmaceutica si impegna ad effettuare un payback rispetto al prezzo che verrà negoziato da AIFA alla data della rimborsabilità, si evidenziano difficoltà nell'accettazione di tale tipologia di contratto, in quanto al momento dell'accettazione l'accordo si basa su una spesa indeterminata.

  Complessivamente si evidenzia una condizione d'inequità rispetto ai pazienti che, nella stessa regione di appartenenza, potrebbero non accedere al farmaco, se non a fronte di un importante anticipo di spesa da parte della regione Emilia-Romagna come trattamento extra-LEA, generando ulteriori differenze tra regioni (sulla base dei piani di rientro in vigore in alcune regioni).

Alla luce degli elementi emersi, la CRF propone di condividere con AIFA la problematica di equo accesso alla cura e chiedere aggiornamenti sullo stato di avanzamento della rimborsabilità; infine sarebbe auspicabile trovare soluzioni adeguate a colmare la mancata disponibilità del farmaco, a prezzo simbolico o rimborsato, dal momento della chiusura del programma di uso terapeutico a quello della rimborsabilità.

In attesa dei chiarimenti richiesti il gruppo GReFO e la CRF propongono di non procedere con le valutazioni per singolo caso.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- EPAR EMA Procedure No. EMEA/H/C/006284/0000 Voranigo; INN-vorasidenib
- Cloughesy, T.F. et al. "Vorasidenib in IDH1-mutant or IDH2-mutant low-grade glioma (INDIGO): secondary and exploratory endpoints from a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial". *Lancet Oncol* 2025; 26: 1665–75
- Lista programmi per uso compassionevole AIFA, Farmaci a uso compassionevole | Agenzia Italiana del Farmaco

Tamoxifene ATC: L02BA01- Fascia A-RR

INDICAZIONE TERAPEUTICA inserita nell'elenco dei medicinali erogabili a carico del SSN ai sensi della L 648/96: Trattamento preventivo del carcinoma mammario in donne ad alto rischio (G.U. 7/12/17 n. 286)

DECISIONE DELLA CRF

La CRF dopo aver preso visione dei dati disponibili a supporto dell'utilizzo di tamoxifene a dosaggio ridotto (5 mg/die) per la prevenzione del tumore mammario ad alto rischio, concorda con il GReFO, e prende atto che l'utilizzo potrà avvenire negli ambulatori di farmaco prevenzione, con particolare riferimento all'ambulatorio di farmaco prevenzione della Ausl Romagna, in coerenza con l'indicazione già presente nell'elenco dei medicinali erogabili a carico del SSN L. 648/96 e secondo le migliori evidenze ad oggi disponibili (dosaggio ridotto).

Bibliografia principale

- Elenco dei medicinali erogabili a carico del SSN ai sensi della L 648/96- G.U. 7/12/17 n. 286
- DeCensi et al. JCO 2019
- Nelson H. et al Jama 2019
- Liu et al Cancers 2024
- NICE guideline 2013

OMAVELOXOLONE PER LA MALATTIA DI FRIEDREICH

OMAVELOXOLONE ATC N07XX25: os, H RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: Centri individuati dalle Regioni per le malattie rare), REGISTRO WEB BASED AIFA.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni".

DECISIONE DELLA CRF: omaveloxone per il trattamento dell'atassia di Friedreich

La CRF ha evidenziato che:

- le prove di efficacia e sicurezza disponibili per omavelexone (OMA) derivano principalmente dallo studio MOXIe parte 2, un RCT di fase II in cui il farmaco si è dimostrato superiore a placebo nel ridurre il punteggio sulla scala mFARS, una scala validata a 93 punti che valuta la compromissione neurologica associata all'atassia di Friedreich: in media il punteggio a 48 settimane si è ridotto di 1,55 punti nel braccio OMA mentre è aumentato di 0,85 punti nel braccio placebo, con una differenza assoluta tra i bracci di -2,4 [95% CI -4,3 a -0,5] – tale differenza di solo due punti su una scala di quasi cento punti indica un effetto minimo di dubbia rilevanza clinica;

- data la assenza di opzioni terapeutiche alternative e in considerazione dei trattamenti avviati nella regione Emilia-Romagna a partire dal 2024, a seguito dell'inserimento del farmaco nell'elenco della L. 648/96 avvenuto nel mese di luglio (GU n. 160 del 10.07.2024) – che alla luce dei dati attuali risulta poco comprensibile vista l'età dei pazienti superiore ai 16 anni di età

esprime parere favorevole all'inserimento del farmaco in PTR pur evidenziando dubbi sulla reale efficacia del farmaco a fronte di costi molto elevati per il SSN. Saranno abilitati alla prescrizione mediante il Registro web based AIFA i Centri individuati nell'ambito della Rete malattie rare per la diagnosi, trattamento e follow up dell'atassia di Friedreich. La CRF ha previsto di effettuare un monitoraggio delle prescrizioni fra 6 mesi.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Skyclarys® Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/006084/0000. EMA/43636/2024, 14 December 2023. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/skyclarys-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Skyclarys® Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/skyclarys-epar-product-information_it.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Lynch DR et al. Safety and Efficacy of Omaveloxolone in Friedreich Ataxia (MOXIe Study). Ann Neurol 2021; 89:212-25.
- Det. AIFA n. 106/2026, G.U. n. 24 del 30.01.2026. https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ [accesso: febbraio 2026]

FARMACI PER L'EMOFILIA: EFANESOCTOCOG ALFA E MARSTACIMAB

EFANESOCTOCOG ALFA ATC B02BD02: ev, A RRL **(**prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: ematologo, internista), PHT, PIANO TERAPEUTICO.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia A (deficit congenito di fattore VIII)".

DECISIONE DELLA CRF: efanesoctocog per il trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia A (deficit congenito di fattore VIII)

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per efanesoctocog alfa per il trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti con emofilia A (deficit congenito di fattore VIII), ha espresso parere favorevole all'inserimento del farmaco in PTR come ulteriore opzione tra i rFVIII a emivita prolungata (EHL). Efanesoctocog alfa prevede una posologia fissa per la profilassi dei sanguinamenti pari a 50 UI/kg 1 volta alla settimana.

La CRF tenuto conto delle numerose opzioni disponibili per la terapia sostitutiva nel trattamento e profilassi dei sanguinamenti nei pazienti con emofilia A, dà mandato al Gruppo di Lavoro sulle malattie emorragiche congenite di definire una strategia che consenta l'uso ottimale delle risorse disponibili. Si suggerisce inoltre di valutare l'opportunità di istituire un GdL per le malattie ematologiche non maligne per la gestione condivisa di tutte le numerose nuove terapie ad altissimo costo giunte recentemente sul mercato in questo ambito.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Altuvoct®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/005968/0000. EMA/459190/2024 Corr.1*, 25 April 2024. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/altuvoct-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Altuvoct®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/altuvoct-epar-product-information_it.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Det. AIFA 1808/2025, G.U. n. 7 del 10.01.2026. https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ [accesso: febbraio 2026]
- von Drygalski A et al. Efanesoctocog Alfa Prophylaxis for Patients with Severe Hemophilia A. NEJM 2023; 388:310-8.
- Maler L et al. Efanesoctocog Alfa Prophylaxis for Children with Severe Hemophilia A. NEJM 2024; 391:235-46.

MARSTACIMAB ATC B02BX11: sc, A, RRL (prescrizione di Centri ospedalieri e specialisti: ematologo, internista), PHT.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e di peso pari o superiore a 35 kg, con: emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII, oppure emofilia B severa (deficit congenito di fattore IX, FIX < 1%) senza inibitori del fattore IX".

DECISIONE DELLA CRF: marstacimab per la profilassi di routine degli episodi di sanguinamento in pazienti con emofilia A grave senza inibitori del fattore VIII, oppure emofilia B grave senza inibitori del fattore IX

La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per marstacimab esprime parere favorevole all'inserimento del farmaco in PTR.

La CRF tenuto conto delle opzioni disponibili per la terapia dell'emofilia A e dell'emofilia B, chiede che il Gruppo di Lavoro sulle malattie emorragiche congenite formuli una proposta rispetto al posto in terapia del farmaco e all'uso atteso, anche al fine della allocazione ottimale delle risorse.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Hympavzi®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/006240/0000. EMA/464842/2024, 19 September 2024. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/hympavzi-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Hympavzi®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/hympavzi-epar-product-information_it.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Matino D et al. Marstacimab prophylaxis in hemophilia A/B without inhibitors: results from the phase 3 BASIS trial. Blood 2025; 146: 1654-63.
- Det. AIFA 19/2026, G.U. n. 21 del 27.01.2026. https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ [accesso: febbraio 2026]

SOTATERCEPT PER IL TRATTAMENTO DELL'IPERTENSIONE ARTERIOSA POLMONARE

SOTATERCEPT ATC C02KX06: sc, A RRL (prescrizione di Centri ospedalieri o specialisti: cardiologo, pneumologo, reumatologo), PHT, REGISTRO WEB BASED AIFA. AIFA ha attribuito al farmaco l'INNOVATIVITA'.

INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA SSN: "in associazione ad altre terapie per l'ipertensione arteriosa polmonare (pulmonary arterial hypertension, PAH), è indicato per il trattamento della PAH in pazienti adulti di classe funzionale (Functional Class, FC) da II a III dell'OMS, per migliorare la capacità di esercizio fisico, in pazienti già precedentemente trattati per almeno 6 mesi con la triplice terapia [antagonista recettoriale dell'endotelina + Inibitori di fosfodiesterasi 5/stimolatore della guanilato ciclasi solubile (sGC) + Analoghi/Agonisti della Prostaciclina (ERA+PDE5i/ sGCs+PPA)]".

INDICAZIONE TERAPEUTICA APPROVATA EMA: "in associazione ad altre terapie per l'ipertensione arteriosa polmonare (pulmonary arterial hypertension, PAH), è indicato per il trattamento della PAH in pazienti adulti di classe funzionale (Functional Class, FC) da II a III dell'OMS, per migliorare la capacità di esercizio fisico".

DECISIONE DELLA CRF: **sotatercept per il trattamento dell'ipertensione arteriosa polmonare**

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato le prove di efficacia e sicurezza che hanno supportato la approvazione di sotatercept nel trattamento dell'ipertensione polmonare (PAH). In particolare, lo studio principale registrativo, studio STELLAR [Hoeper MM et al. NEJM 2023], è un RCT in doppio cieco che ha confrontato il farmaco con placebo in pazienti con ipertensione arteriosa polmonare, il 58% circa dei quali con malattia idiopatica e la metà circa dei quali in classe funzionale OMS III. Il 35% dei pazienti era in duplice terapia e il 61% in triplice terapia. L'esito primario di efficacia dello studio era rappresentato dalla variazione della distanza percorsa al test 6MWD a 24 settimane rispetto al baseline, che è risultata pari a una mediana di 34,4 metri con sotatercept e a 1 metro nel braccio placebo (differenza fra i bracci: 40,8 metri, 95% CI 25,5-54,1). Il tempo al decesso o al peggioramento clinico, esito combinato, è stato valutato tra gli esiti secondari. L'HR sotatercept vs placebo, a una mediana di 33 settimane, è risultata pari a 0,16, 95% Ci da 0,08 a 0,35. Tuttavia, il risultato è trascinato dalle componenti "inizio della terapia rescue o aumento della dose di prostaciclina di almeno il 10%" e "peggioramento della PAH".

La CRF ha osservato che:

- lo studio ha arruolato una popolazione mista sia rispetto alla compromissione funzionale che alla terapia assunta. Il risultato appare, pertanto, non pienamente trasferibile alla popolazione eleggibile secondo i criteri AIFA;

- il dato relativo alla mortalità è ancora immaturo, così come la possibile riduzione dei ricoveri correlati alla malattia.

Il farmaco è inserito in PTR ma se ne sottolinea la problematicità a fronte di un costo molto elevato per il SSN e benefici di limitata rilevanza clinica sinora dimostrati.

Ai fini della prescrizione verranno abilitati i Centri hub, individuati nell'ambito della Rete della Malattie rare per la diagnosi, trattamento e follow up della PAH secondo il modello hub and spoke adottato in Regione Emilia-Romagna. Verrà effettuato un monitoraggio periodico (almeno semestrale) dei trattamenti effettuati.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Winrevair®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/005647/0000. EMA/330301/2024, 27 June 2024. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/winrevair-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Winrevair®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/winrevair-epar-product-information_it.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Hoeper MM et al. Phase 3 Trial of Sotatercept for Treatment of Pulmonary Arterial Hypertension. N Engl J Med 2023;388:1478-90.
- Det. AIFA 163/2026, G.U. n. n. 38 del 16.02.2026. https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ [accesso: febbraio 2026]

FARMACI PER LA FIBROSI CISTICA:

IVACAFTOR/TEZACAFTOR/ELEXACAFTOR ATC R07AX32 + IVACAFTOR ATC R07AX02
os, A RRL (prescrizione dei Centri per la cura della fibrosi cistica), PHT.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor in associazione con ivacaftor è indicato per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 2 anni che hanno almeno una mutazione del gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR), non di Classe I".

DECISIONE DELLA CRF: **ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor in associazione con ivacaftor**
La Commissione Regionale del Farmaco ha recepito la Determina di AIFA n. 168/2026 (G.U. n. 40 del 18.02.2026), con cui:

- la rimborsabilità SSN di ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor in associazione con ivacaftor è stata estesa al trattamento di pazienti, a partire dai 2 anni di età, con almeno una mutazione del gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR), non di Classe I;

- è stato eliminato il registro web based per la prescrizione dell'associazione e ne è stato rinegoziato il prezzo

Sono confermati: la prescrizione da parte dei Centri per la cura della fibrosi cistica della Regione Emilia-Romagna e l'erogazione mediante la distribuzione diretta.

DEUTIVACAFTOR/TEZACAFTOR/VANZACAFTOR ATC R07AX33: os, A RRL (prescrizione dei Centri per la cura della fibrosi cistica), PHT.

INDICAZIONE APPROVATA EMA E RIMBORSATA SSN: "trattamento della fibrosi cistica (FC), in pazienti di età pari o superiore a 6 anni che hanno almeno una mutazione non di Classe I del gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica *(CFTR)"*.

DECISIONE DELLA CRF: deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor
La Commissione Regionale del Farmaco, dopo aver valutato le prove di efficacia e sicurezza disponibili per deutivacaftor/tezacaftor/vanzacaftor per il trattamento della fibrosi cistica, in pazienti di età pari o superiore a 6 anni che hanno almeno una mutazione non di Classe I del gene regolatore di conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR), esprime parere favorevole all'inserimento del farmaco in PTR.
La prescrizione deve avvenire da parte dei Centri per la cura della fibrosi cistica della Regione Emilia-Romagna e l'erogazione mediante la distribuzione diretta.

Bibliografia discussa e presentata (ppt agli atti)

- Alyftrek®. Assessment Report. Procedure No. EMEA/H/C/006382/0000. EMA/160870/2025, 25 April 2025. https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/alyftrek-epar-public-assessment-report_en.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Alyftrek®. Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto. https://www.ema.europa.eu/it/documents/product-information/alyftrek-epar-product-information_it.pdf [accesso: febbraio 2026]
- Hoppe J E et al. Vanzacaftor–tezacaftor–deutivacaftor for children aged 6–11 years with cystic fibrosis (RIDGELINE Trial VX21-121-105): an analysis from a single-arm, phase 3 trial. Lancet Respir Med 2025; 13: 244-55.
- Keating C et al. Vanzacaftor–tezacaftor–deutivacaftor versus elexacaftor–tezacaftor–ivacaftor in individuals with cystic fibrosis aged 12 years and older (SKYLINE Trials VX20-121-102 and VX20-121-103): results from two randomised, active-controlled, phase 3 trials. Lancet Respir Med 2025; 13: 256-71.
- Det. AIFA 167/2026, GU n. 40 del 18.02.2026. https://trovanorme.aifa.gov.it/#/ [accesso: febbraio 2026]

VALUTAZIONE DELLA RICHIESTA DA PARTE DELLE UO DI NEFROLOGIA DI ESSERE ABILITATE ALLA PRESCRIZIONE DEI PCSK9 INIBITORI IN PREVENZIONE SECONDARIA NEI PAZIENTI CON INSUFFICIENZA RENALE

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco, considerata la richiesta pervenuta dalle UU.OO. di Nefrologia e Dialisi di essere abilitate alla prescrizione dei PCSK9 inibitori in prevenzione cardiovascolare secondaria nei pazienti affetti da insufficienza renale cronica (IRC) presi in carico, accoglie favorevolmente la richiesta.
Di conseguenza nei Piani terapeutici web based dei PCSK9i. verrà abilitata l'area clinica "nefrologia".
La CRF suggerisce di individuare da parte delle Aziende sanitarie gli specialisti nefrologi da abilitare alla prescrizione.

PROSECUZIONE DELLA DISCUSSIONE RISPETTO ALLE POLITICHE DA ADOTTARE PER I FARMACI PER L'OBESITÀ E GLI ANTICORPI MONOCLONALI PER LA DEMENZA DI ALZHEIMER

Argomenti non trattati dettagliatamente per mancanza di tempo ma si è richiamata l'importanza di portare l'attenzione su farmaci molto efficaci come il GLP1 nell'obesità rispetto a farmaci con benefici al di sotto della rilevanza clinica.

NOTA AIFA N01 SUI PPI: POTENZIALE IMPATTO PRESCRITTIVO E AZIONI CONSEGUENTI

DECISIONE DELLA CRF

La Commissione Regionale del Farmaco ha valutato la nuova Nota AIFA N01 per la prescrizione in rimborsabilità SSN degli inibitori della pompa protonica (PPI) e, ritiene che il testo presenti numerose criticità in termini di assenza di evidenze a supporto delle nuove indicazioni della Nota 1 e di attribuzione di indicazioni NON alla rimborsabilità SSN suggerisce a tale riguardo un confronto con la Direzione Generale dell'Assessorato per una eventuale Nota formale da indirizzare ad AIFA.

La riunione si è svolta in modalità mista dalle **ore 14:30** alle **ore 18:10**; il collegamento è stato assicurato attraverso piattaforma Teams**.**

Presenze CRF:

Dott.ssa Maria Barbagallo	presente
Dott. Alessio Bertini	presente
Dott. Carlo Biagetti	assente g.
Dott. Alberto Bortolami	presente
Dott.ssa Francesca Bravi	assente g.
Dott. Pietro Calogero	presente
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	presente
Dott. Sergio Mezzadri	presente
Dott. Alessandro Navazio	presente
Dott.ssa Giovanna Negri	presente
Prof. Venerino Poletti	presente
Dott.ssa Silvia Riccomi	presente
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	assente g.
Dott.ssa Rosaria Di Lorenzo	assente g.
Dott. Vittorio Laviola	presente
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 Giroldini, 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.

Hanno, inoltre, partecipato alla riunione la Dott.ssa Chiara Biasoli, responsabile SSI Presa in carico Malattie emorragiche e tromboemboliche, AUSL della Romagna e il Dott. Giovanni Rizzo, UOC Clinica neurologica ISNB, referente del Centro per la diagnosi, trattamento e follow up delle atassie, AUSL di Bologna.

Verbalizzazione a cura della Segreteria Scientifica
Verbale approvato in data 11 maggio 2026
Il Coordinatore della CRF: Dott. Nicola Magrini