



Duchenne e mieloma multiplo: il SSN rimborsa due terapie innovative

Via libera del CdA AIFA a 6 nuovi medicinali (4 per malattie rare) e a nuove indicazioni in oncologia

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA ha dato il via libera alla rimborsabilità di sei nuovi farmaci, quattro dei quali destinati a malattie rare, e a numerose estensioni di indicazione in ambito oncologico. Le decisioni assunte rafforzano l'accesso alle terapie innovative e ampliano le opzioni disponibili nel Servizio Sanitario Nazionale per persone affette da patologie oncologiche e pazienti con malattie rare ad alto bisogno clinico.

FARMACI PER LE MALATTIE RARE

I farmaci orfani innovativi che saranno rimborsati dal SSN sono **Duvyzat** (givinostat), per la distrofia muscolare di Duchenne (DMD) e **Carvykti** (ciltacabtagene autoleucel) per il mieloma multiplo.

Duvyzat (givinostat) è una molecola autorizzata nell'Unione Europea a giugno 2025. L'Italia sarà tra i primi Paesi europei a renderla rimborsabile. Si tratta di un farmaco molto atteso dalla comunità dei pazienti affetti dalla distrofia di Duchenne, soprattutto dopo la decisione della Commissione europea di marzo 2025 di non rinnovare l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata del medicinale Translarna (ataluren) per la stessa indicazione terapeutica, a causa di un rapporto benefici/rischi negativo.

L'altro farmaco orfano innovativo è Carvykti (ciltacabtagene autoleucel), CAR-T rimborsata per il trattamento dei pazienti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno una precedente terapia e sono refrattari a lenalidomide. Negli studi sperimentali, Carvykti ha dimostrato di riuscire a ridurre significativamente il rischio di progressione o di morte rispetto ai trattamenti del braccio di controllo.

Gli altri due farmaci orfani ammessi alla rimborsabilità sono **Akantior** (poliesanide), prima terapia autorizzata in Europa per il trattamento della cheratite da Acanthamoeba, e **Yorvipath** (palopegteriparatide), per la terapia sostitutiva dell'ormone paratiroideo (PTH) indicata nel trattamento di adulti con ipoparatiroidismo cronico, rara malattia metabolica caratterizzata da una carenza di paratormone (PTH).

Il via libera del CdA ha riguardato anche 2 nuove molecole indicate per l'uso in ambito oncologico, 14 estensioni di indicazione terapeutica e 2 generici.

FARMACI ONCOLOGICI

I 2 nuovi **oncologici** sono:

- **Lazcluze** (lazertinib), per il trattamento, in combinazione con amivantamab, del carcinoma polmonare non a piccole cellule avanzato.
- **Tevimbra** (tislelizumab), indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma a cellule squamose dell'esofago non resecabile, localmente avanzato o metastatico.

ESTENSIONI DI INDICAZIONI TERAPEUTICHE

Le estensioni di indicazione terapeutica di farmaci già rimborsati per altre indicazioni riguardano i seguenti farmaci:

- **Darzalex** (daratumumab), due estensioni di indicazione terapeutica per il trattamento del mieloma multiplo.
- **Eltrombopag Krka** (eltrombopag), per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP).
- **Jaypirca** (pirtobrutinib), per il trattamento della leucemia linfatica cronica.
- **Opdivo** (nivolumab), 3 estensioni di indicazioni: 2 nel trattamento del carcinoma uroteliale e 1 nel trattamento del carcinoma del colon retto in associazione a **Yervoy** (ipilimumab).
- **Rybrevant** (amivantamab), 3 estensioni di indicazione nel trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule.
- **Tevimbra** (tislelizumab), 3 estensioni per il trattamento dell'adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea, del carcinoma polmonare non a piccole cellule e del carcinoma squamocellulare del cavo orale.

FARMACI GENERICI

I 2 generici che saranno rimborsati dal SSN sono:

- **Lorazepam Macure** (lorazepam), benzodiazepina in soluzione iniettabile indicata come premedicazione, prima di procedure chirurgiche o diagnostiche o per il trattamento sintomatico di ansia patologica e tensione in pazienti non in grado di assumere il medicinale orale.
- **Nintedanib Accordpharma** (Nintedanib esilato) indicato in associazione con docetaxel per il trattamento dei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule.

Infine è stato negoziato il prezzo di **Beleodaq** (belinostat), farmaco non autorizzato in Italia, per l'inserimento nella lista della **Legge 648/1996** con l'indicazione per il trattamento di pazienti adulti con linfoma periferico a cellule T (PTCL) recidivato o refrattario. Anche Beleodaq sarà quindi rimborsato dal SSN.

In calce al comunicato la tabella riassuntiva con i farmaci autorizzati e ammessi alla rimborsabilità da parte del Ssn e le indicazioni terapeutiche per esteso.

TABELLA DI SINTESI NUOVI FARMACI ED ESTENSIONE DELLE INDICAZIONI - CdA 25 febbraio 2026*

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	Poliesanide	AKANTIOR	trattamento della cheratite da Acanthamoeba negli adulti e nei bambini a partire dai 12 anni di età fino ad un massimo di 12 confezioni/paziente da 30 flaconcini, con fornitura gratuita delle successive confezioni fino alla conclusione del trattamento
	Ciltacabtagene autoleucel	CARVYKTI	Carvykti è indicato per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo recidivato e refrattario che hanno ricevuto almeno una precedente terapia, inclusi un agente immunomodulante e un inibitore del proteasoma, nei quali si è verificata progressione della malattia durante l'ultima terapia e sono refrattari a lenalidomide
	Givinostat	DUVYZAT	Duvyzat (givinostat) è indicato per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD) in pazienti deambulanti, di età pari o superiore a 6 anni, e con trattamento concomitante con corticosteroidi
	Palopegteriparatide	YORVIPATH	Yorvipath è una terapia sostitutiva dell'ormone paratiroideo (PTH) indicata per il trattamento di adulti con ipoparatiroidismo cronico che non sono adeguatamente controllati con la terapia convenzionale o non la tollerano
Nuove molecole	Lazertinib	LAZCLUZE	Lazcluze in associazione con amivantamab è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR
	Tislelizumab	TEVIMBRA	Tevimbra in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma a cellule squamose dell'esofago (OSCC) non resecabile, localmente avanzato o metastatico, dopo una precedente chemioterapia a base di platino
Farmaci generici, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	Lorazepam	LORAZEPAM MACURE	Lorazepam Macure è indicato negli adulti e adolescenti con età superiore a 12 anni: •Come premedicazione, prima di procedure chirurgiche o prima di procedure diagnostiche. •Per il trattamento sintomatico di ansia patologica e tensione in pazienti che, per qualche motivo, non sono in grado di assumere il medicinale orale.
	Nintedanib esilato	NINTEDANIB ACCORDPHARMA	Nintedanib Accordpharma è indicato in associazione con docetaxel per il trattamento dei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato, metastatico o localmente ricorrente con istologia adenocarcinoma dopo chemioterapia di prima linea
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	Daratumumab	DARZALEX	in associazione con bortezomib, lenalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali
	Daratumumab	DARZALEX	Darzalex è indicato in associazione con bortezomib, lenalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi
	Eltrombopag	ELTROMBOPAG KRKA	Eltrombopag Krka è indicato per il trattamento di pazienti adulti con trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)
	Pirtobrutinib	JAYPIRCA	Jaypirca in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da leucemia linfatica cronica (chronic lymphocytic leukaemia, CLL) recidivante o refrattaria che sono stati precedentemente trattati con un inibitore di BTK

	Nivolumab	OPDIVO	OPDIVO in associazione a cisplatino e gemcitabina per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico
	Nivolumab	OPDIVO	OPDIVO in monoterapia per il trattamento adiuvante di adulti con carcinoma uroteliale muscolo invasivo (MIUC) con espressione tumorale di PD-L1 $\geq$ 1%, che sono ad alto rischio di recidiva dopo resezione radicale del MIUC e non eleggibili a chemioterapia adiuvante con platino
	Nivolumab	OPDIVO	OPDIVO in associazione a ipilimumab è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma del colon-retto metastatico con deficit di riparazione del mismatch o elevata instabilità dei microsatelliti
	Ipilimumab	YERVOY	YERVOY in associazione a nivolumab è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma del colon-retto metastatico con deficit di riparazione del mismatch o elevata instabilità dei microsatelliti
	Amivantamab	RYBREVANT	Rybrevent è indicato in associazione con carboplatino e pemetrexed per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR dopo fallimento di una precedente terapia comprendente un inibitore della tirosin-chinasi (tyrosine kinase inhibitor, TKI) dell'EGFR
	Amivantamab	RYBREVANT	Rybrevent è indicato in associazione con carboplatino e pemetrexed per il trattamento di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR dopo fallimento di una precedente terapia comprendente un inibitore della tirosin-chinasi (tyrosine kinase inhibitor, TKI) dell'EGFR
	Amivantamab	RYBREVANT	Rybrevent è indicato in associazione con lazertinib per il trattamento di prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) avanzato con delezioni nell'esone 19 o mutazioni di sostituzione L858R nell'esone 21 dell'EGFR
	Tislelizumab	TEVIMBRA	come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da NSCLC localmente avanzato o metastatico, dopo una precedente chemioterapia a base di platino. I pazienti affetti da NSCLC EGFR mutato o ALK positivo devono aver ricevuto anche terapie mirate prima di assumere tislelizumab
	Tislelizumab	TEVIMBRA	Tevimbra, in combinazione con chemioterapia a base di platino, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con OSCC non resecabile, localmente avanzato o metastatico i cui tumori esprimono PD-L1 con un punteggio TAP $\geq$ 5%.
	Tislelizumab	TEVIMBRA	Adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea (G/GEJ) Tevimbra, in combinazione con chemioterapia a base di platino e fluoropirimidina, è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con adenocarcinoma gastrico o della giunzione gastroesofagea (G/GEJ) non resecabile, localmente avanzato o metastatico HER-2 negativo, i cui tumori esprimono PD-L1 con un punteggio di Positività dell'Area Tumorale (TAP) $\geq$ 5%.
Altro	Belinostat	BELEODAQ*	Inserimento del medicinale «BELEODAQ» (belinostat) nell'elenco di cui alla legge n. 648/1996 per l'indicazione "Beleodaq è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma periferico a cellule T (PTCL) recidivato o refrattario

* N.B. Per altre informazioni (classe e regime di fornitura, innovatività, registro, numero procedura) si veda l'allegato al presente comunicato