



**COMMISSIONE TECNICA REGIONALE FARMACI
ORDINE DEL GIORNO
Seduta in Teleconferenza del 20.4.2023**

1. Individuazione Centri prescrittori:

1.1. AVYAKYT - avapritinib come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva (ASM), mastocitosi sistemica associata a neoplasia ematologica (SM-AHN) o leucemia mastocitaria (MCL), in seguito ad almeno una terapia sistemica

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.2. CRYSVITA - burosumab è indicato per il trattamento dell'ipofosfatemia X-linked, nei bambini e adolescenti di età compresa tra uno e diciassette anni con evidenza radiografica di malattia ossea, e negli adulti

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.3. REFIXIA- fattore IX di coagulazione del sangue indicato nel trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti da 12 anni in su affetti da emofilia B (deficit congenito di fattore IX)

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.4. UPLIZNA - inebilizumab indicato in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) sieropositivi per le immunoglobuline G anti-aquaporina-4 (IgG AQP4)

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.5. SAPHNELO - anifrolumab indicato come terapia aggiuntiva per il trattamento di pazienti adulti affetti da lupus eritematoso sistemico (LES) attivo, autoanticorpi-positivo, in forma da moderata a severa, nonostante la terapia standard

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.6. AVYAKYT - avapritinib come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con tumori stromali gastrointestinali (GIST) non resecabili o metastatici che presentano la mutazione del recettore alfa del fattore di crescita derivato dalle piastrine (PDGFRA) D842V

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero



1.7. Venclyxto - venetoclax indicato, in combinazione con azacitidina, per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (AML - acute myeloid leukaemia) di nuova diagnosi non idonei alla chemioterapia intensiva – **innovatività piena**

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.8. BYANLI - paliperidone per la terapia di mantenimento della schizofrenia in pazienti adulti che sono clinicamente stabili con le formulazioni di paliperidone palmitato iniettabile a somministrazione mensile o trimestrale

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.9. JYSELECA – filgotinib per il trattamento della colite ulcerosa in fase attiva da moderata a severa in pazienti adulti che hanno manifestato una risposta inadeguata, hanno avuto una perdita di risposta o sono risultati intolleranti alla terapia convenzionale o a un medicinale biologico

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

1.10. FETCROJA - cefiderocol indicato per il trattamento delle infezioni dovute a organismi aerobi gram-negativi negli adulti con opzioni terapeutiche limitate

Istruttoria: UOC HTA – Azienda Zero

2. Richieste integrazione Centri prescrittori sospese dalla valutazione telematica:

- **DDR 140/2022:** NAO;
- **DDR 141/2022:** iPCSK9;
- **DDR 66/2021:** Dupixent® - dupilumab (CRSwNP).

Istruttoria: Segreteria CTRF

3. Varie ed eventuali