



# LE TERAPIE AVANZATE IN EUROPA E IN ITALIA



## TERAPIA GENICA








NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Glybera®	alipogene tiparvovec	deficit familiare di lipasi lipoproteica con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite	in vivo virus adeno-associato	uniQure biopharma	ottobre 2012 farmaco orfano	 da ottobre 2017	 da ottobre 2017
Imlygic®	talimogene laherparepvec	melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a)	in vivo virus herpes simplex	Amgen Europe	dicembre 2015		 Classe C(nn)* richiesta di rimborso non sottomessa
 Strimvelis®	frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ geneticamente modificate contenente la sequenza di cDNA che codifica per l'ADA umana	ADA-SCID nei casi di assenza di donatore consanguineo	ex vivo retrovirus	Orchard Therapeutics	maggio 2016 farmaco orfano		 Classe H* luglio 2016
Luxturna™	voretigene neparvovec	distrofia retinica ereditaria	in vivo virus adeno-associato	Novartis Europharm Limited	novembre 2018 farmaco orfano		 Classe H* dicembre 2020
Zynteglo®	betibeglogene autotemcel	beta talassemia trasfusione dipendente senza genotipo $\beta^0/\beta^0$ (sopra ai 12 anni)	ex vivo lentivirus	bluebird bio	maggio 2019 farmaco orfano	 da marzo 2022	

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Zolgensma®	onasemnogene abeparvovec	<b>atrofia muscolare spinale</b> (SMA) di tipo 1; oppure di pazienti con SMA che hanno fino a tre copie del gene SMN2	<b>in vivo</b> virus adeno-associato	Novartis Gene Therapies EU Limited	<b>maggio 2020</b> farmaco orfano	✓	✓  Classe H* <b>marzo 2021</b>
 Libmeldy™	cellule autologhe CD34+ che codificano il gene ARSA	<b>leucodistrofia metacromatica</b>	<b>ex vivo</b> lentivirus	Orchard Therapeutics	<b>dicembre 2020</b> farmaco orfano	✓	✓  Classe H* <b>marzo 2022</b>
Skysona™	elivaldogene autotemcel (Lenti-D™)	<b>adrenoleucodistrofia cerebrale</b> precoce con una mutazione nel gene ABCD1	<b>ex vivo</b> lentivirus	bluebird bio	<b>luglio 2021</b>	✗ da novembre 2021	✗
Upstaza™	eladocagene exuparvovec	<b>deficit della decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici</b>	<b>in vivo</b> virus adeno-associato	PTC Therapeutics	<b>luglio 2022</b> farmaco orfano	✓	✗
Roctavian™	valoctocogene roxaparvovec	<b>emofilia A grave</b> (carenza congenita di Fattore VIII)	<b>in vivo</b> virus adeno-associato	BioMarin International Limited	<b>agosto 2022</b> farmaco orfano	✓	✗

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
Kymriah®	tisagenlecleucel	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	ex vivo lentivirus	Novartis Europharm Limited	agosto 2018 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* agosto 2019
		linfoma follicolare recidivante o refrattario			maggio 2022	✓	✗
Yescarta®	axicabtagene ciloleucel	linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B refrattari o recidivanti	ex vivo retrovirus	Kite Pharma EU	agosto 2018 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* novembre 2019
		linfoma follicolare recidivante o refrattario			giugno 2022	✓	✗
Tecartus™	brexucabtagene autoleucel	linfoma a cellule mantellari recidivante o refrattario	ex vivo retrovirus	Kite Pharma EU	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✓  Classe H* marzo 2022
		leucemia linfoblastica acuta da precursori delle cellule B recidivante o refrattaria			settembre 2022	✓	✗

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	SOMMINISTRAZIONE E VETTORE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
<b>Abecma®</b>	idecabtagene vicleucel	mieloma multiplo recidivante o refrattario	<b>ex vivo</b> lentivirus	Bristol-Myers Squibb / Celgene	<b>agosto 2021</b>	✓	✗
<b>Breyanzi®</b>	lisocabtagene maraleucel	linfoma diffuso a grandi cellule B, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B e linfoma follicolare	<b>ex vivo</b> lentivirus	Bristol-Myers Squibb / Celgene	<b>aprile 2022</b>	✓	✗
<b>Carvykti™</b>	ciltacabtagene autoleucel	mieloma multiplo recidivante o refrattario	<b>ex vivo</b> lentivirus	Janssen-Cilag International	<b>maggio 2022</b> farmaco orfano	✓	✗

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
<b>Chondro-Celect®</b>	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate espansive ex vivo ed espressioni proteine marker specifiche	singole lesioni sintomatiche a carico della <b>cartilagine del condilo femorale del ginocchio</b>	TiGenix	<b>ottobre 2009</b>	 da novembre 2016	 da novembre 2016
<b>Provenge®</b>	sipuleucel-T	<b>carcinoma della prostata</b> asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale)	Dendreon UK	<b>settembre 2013</b>	 da maggio 2015	 da maggio 2015
 <b>Zalmoxis®</b>	Linfociti T allogenici geneticamente modificati con un vettore retrovirale codificante per una forma troncata del recettore umano a bassa affinità del fattore di crescita nervoso e la timidina chinasi del virus herpes simplex I	trattamento aggiuntivo nei casi di <b>trapianto di staminali per neoplasie maligne ematologiche</b> ad alto rischio	MolMed	<b>agosto 2016</b>	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
<b>Alofisel®</b>	darvadstrocel (preparato di cellule staminali mesenchimali adulte umane allogeniche espansive, estratte da tessuto adiposo)	<b>fistole perianali complesse</b> in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva	Takeda Pharma	<b>marzo 2018</b> farmaco orfano		 Classe C* <b>settembre 2018</b>

NOME COMMERCIALE	INN*	INDICAZIONE	AZIENDA	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
<b>Maci®</b>	Condrociti autologhi vitali caratterizzati, espansi ex vivo esprimendo geni marker specifici per i condrociti, seminati su una membrana di collagene di tipo I/III di origine suina con marchio CE	difetti sintomatici a tutto spessore della <b>cartilagine del ginocchio</b>	Vericel Denmark	<b>giugno 2013</b>	 da luglio 2018	 da luglio 2018
 <b>Holoclar®</b>	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali	<b>deficit di cellule staminali limbari</b> da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	Holostem Terapie Avanzate	<b>febbraio 2015</b> farmaco orfano		 Classe H* <b>febbraio 2017</b>
<b>Spherox</b>	Sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice per impianto sospesi in soluzione isotonica di cloruro di sodio	<b>difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio</b>	CO.DON AG	<b>luglio 2017</b>		 Classe C* <b>novembre 2021</b>

## LEGENDA

**INN:** international non-proprietary name

**AIC:** autorizzazione all'immissione in commercio

**Classe C(nn):** farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilità

**Classe H:** medicinali erogabili a carico del SSN solo in ambito ospedaliero


**Classe C:** farmaci a carico del cittadino

**CPR:** Comitato Prezzi e Rimborso

**CTS:** Commissione Tecnico Scientifica

(cliccare sul nome del farmaco e sui simboli per visionare i documenti EMA e AIFA e i comunicati stampa)


 : farmaco non in commercio

 : farmaco in commercio

 : richiesta di rimborso in valutazione AIFA

 : strategia terapeutica ideata in Italia

 : farmaco con innovatività AIFA

 : farmaco con innovatività AIFA scaduta