

# LE TERAPIE AVANZATE IN EUROPA E IN ITALIA



	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
TERAPIA GENICA	Glybera®	alipogene tiparvovec	uniQure biopharma B.V.	deficit familiare di lipasi lipoproteica con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite	ottobre 2012 farmaco orfano	da ottobre 2017	da ottobre 2017
	Imlygic®	talimogene laherparepvec	Amgen Europe B.V.	melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a)	dicembre 2015		Classe C(nn)* richiesta di rimborso non sottomessa
	Strimvelis®	Frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ geneticamente modificate con un vettore retrovirale contenente la sequenza di cDNA che codifica per l'ADA umana	Orchard Therapeutics BV	ADA-SCID nei casi di assenza di donatore consanguineo	maggio 2016 farmaco orfano		Classe H* luglio 2016
	Kymriah®	tisagenlecleucel	Novartis Europharm Limited	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	agosto 2018 farmaco orfano		Classe H* agosto 2019
				linfoma follicolare recidivante o refrattario	maggio 2022		
	Yescarta®	axicabtagene ciloleucel	Kite Pharma EU B.V.	linfoma diffuso a grandi cellule B e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B refrattari o recidivanti	agosto 2018 farmaco orfano		Classe H* novembre 2019
			linfoma follicolare recidivante o refrattario	giugno 2022			








	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
TERAPIA GENICA	Luxturna™	voretigene neparvovec	Novartis Europharm Limited	<b>distrofia retinica ereditaria</b>	<b>novembre 2018</b> farmaco orfano	✓	✓ Classe H* dicembre 2020
	Zynteglo®	Cellule autologhe CD34+ codificanti per il gene della βA-T87Q globina	bluebird bio B.V.	<b>beta talassemia trasfusione dipendente</b> senza genotipo β0/β0 (sopra ai 12 anni)	<b>maggio 2019</b> CMA* farmaco orfano	✗ da marzo 2022	✗
	Zolgensma®	onasemnogene abeparvovec	Novartis Gene Therapies EU Limited	<b>atrofia muscolare spinale</b> (SMA) di tipo 1; oppure di pazienti con SMA che hanno fino a tre copie del gene SMN2	<b>maggio 2020</b> CMA* farmaco orfano	✓	✓ Classe H* marzo 2021
	Tecartus™	brexucabtagene autoleucel	Kite Pharma EU B.V.	<b>linfoma a cellule mantellari</b> (MCL) recidivante o refrattario	<b>dicembre 2020</b> CMA* farmaco orfano	✓	✓ Classe H* marzo 2022
	 Libmeldy™	cellule autologhe CD34+ che codificano il gene ARSA	Orchard Therapeutics BV	<b>leucodistrofia metacromatica</b>	<b>dicembre 2020</b> farmaco orfano	✓	✓ Classe H* marzo 2022
	Skysona™	elivaldogene autotemcel (Lenti-D™)	bluebird bio, Inc.	<b>adrenoleucodistrofia cerebrale</b> precoce con una mutazione genetica ABCD1	<b>luglio 2021</b>	✗ da novembre 2021	✗
	Abecma®	idecabtagene vicleucel	Bristol-Myers Squibb / Celgene	<b>mieloma multiplo recidivante o refrattario</b>	<b>agosto 2021</b>	✓	✗

<b>Breyanzi®</b>	lisocabtagene maraleucel	Bristol-Myers Squibb / Celgene	linfoma diffuso a grandi cellule B, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B e linfoma follicolare	<b>aprile 2022</b>	✓	✗
<b>Carvykti™</b>	ciltacabtagene autoleucel	Janssen-Cilag International NV	mieloma multiplo recidivante o refrattario	<b>maggio 2022</b> farmaco orfano	✓	✗
<b>Upstaza™</b>	eladocagene exuparvec	PTC Therapeutics	deficit della decarbossilasi degli L aminoacidi aromatici	<b>luglio 2022</b> farmaco orfano	✓	✗





TERAPIA CELLULARE

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	APPROVAZIONE EUROPEA	AIC* IN EUROPA	AIC* IN ITALIA
<b>Chondro-Celect®</b>	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate da espansione ex vivo ed espressione di proteine specifiche	TiGenix N.V.	lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	ottobre 2009	 da novembre 2016	 da novembre 2016
<b>Provenge®</b>	sipuleucel-T	Dendreon UK Ltd	carcinoma della prostata asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale)	settembre 2013	 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	MolMed	trattamento aggiuntivo nei casi di trapianto di staminali per neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio	agosto 2016 CMA*	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
<b>Alofisel®</b>	darvadstrocel	Takeda Pharma A/S	fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva	marzo 2018 farmaco orfano		 Classe C* settembre 2018



INGEGNERIA  
TESSUTALE

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	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	Vericel Denmark ApS	difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio	giugno 2013	 da luglio 2018	 da luglio 2018
 <b>Holoclar®</b>	Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali	Holostem Terapie Avanzate S.r.l.	deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici	febbraio 2015 CMA* farmaco orfano		 Classe H* febbraio 2017
<b>Spherox</b> (chondrosphere®)	Sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice per impianto sospesi in soluzione isotonica di cloruro di sodio	CO.DON AG	difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio	luglio 2017		 Classe C(nn)* febbraio 2021

### LEGENDA

**INN:** international non-proprietary name

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

**CMA:** conditional marketing authorisation

**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


 : 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

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