

**Farmaci orfani e principi attivi autorizzati a livello centralizzato dall'EMA, data di autorizzazione dell'EMA e Gazzetta Ufficiale per l'immissione in commercio in Italia (aggiornati a luglio 2013)**

Farmaco	Principio attivo	Data di autorizzazione centralizzata	G.U.	Indicazione	fascia
<b>Adcetris</b>	brentuximab vedotin	25/10/2012	<b>G.U. n. 255 31/10/2012</b>	trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma di Hodgkin (HL) CD30+ recidivante o refrattario: 1. in seguito a trapianto autologo di cellule staminali (ASCI) oppure 2. in seguito ad almeno due precedenti regimi terapeutici quando l'ASCT o la polichemioterapia non e' un'opzione terapeutica. trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma anaplastico a grandi cellule sistemico recidivante o refrattario», nel rispetto condizioni per esso indicate all'art. 4	
<b>Aldurazyme</b>	laronidase	10/06/2003	G.U. n. 277 25/11/2004	terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi I (MPS I; deficit di $\alpha$ -L-iduronidasi), per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche della patologia	H
<b>Arzerra</b>	ofatumumab	19/04/2010	G.U. n.124 30/5/2011 G.U. n.12 16/1/2012	trattamento della leucemia linfatica cronica (LLC) nei pazienti refrattari a fludarabina e alemtuzumab	H
<b>Atriance</b>	nelarabine	22/08/2007	G.U. n.129 4/6/08	trattamento di pazienti affetti da leucemia linfoblastica acuta a cellule T (T-ALL) e da linfoma linfoblastico a cellule T (T-LBL) che non hanno risposto o hanno avuto recidive dopo trattamento con almeno due regimi di chemioterapia	H
<b>Bosulif</b>	bosutinib (as monohydrate)	27/03/2013	GU n.162 12/7/2013	trattamento di pazienti adulti affetti da leucemia mieloide cronica con cromosoma Philadelphia positivo (LMC Ph+), in fase cronica (FC), in fase accelerata (FA) e in fase blastica (FB), trattati in precedenza con uno o più inibitori della tirosin-chinasi e per i quali l'imatinib, il nilotinib e il dasatinib non sono considerati opzioni terapeutiche appropriate	C (nn) dedicata ai farmaci non ancora valutati ai fini della rimborsabilita'
<b>Bronchitol</b>	mannitol	13/04/2012	<b>Non disponibile</b>	trattamento della fibrosi cistica (FC) negli adulti a partire dai 18 anni di età come terapia aggiuntiva al migliore standard terapeutico	

<b>Busilvex</b>	busulfan	09/07/2003	G.U. n.145 24/6/2005 G.U. n. 35 11/2/2013	Busilvex, seguito da ciclofosfamide (BuCy2) e' indicato nel trattamento di condizionamento precedente al convenzionale trapianto di cellule emopoietiche progenitrici (HPCT) in pazienti adulti quando l'associazione e' considerata la migliore scelta disponibile. Busilvex, seguito da ciclofosfamide (BuCy4) o da Melfalan (BuMel), e' indicato come trattamento di condizionamento precedente al convenzionale trapianto di cellule emopoietiche progenitrici in pazienti in eta' pediatrica.	H
<b>Carbaglu</b>	carglumic acid	24/01/2003	G.U. n.278 26/11/2004	trattamento dell'iperammonemia dovuta al deficit di N-acetilglutammato sintasi. iperammonemia dovuta ad acidemia isovalerica; iperammonemia dovuta ad acidemia metilmalonica; iperammonemia dovuta ad acidemia propionica.	H
<b>Cayston</b>	aztreonam lysine	21/09/2009	G.U. n. 109 11/05/2012	terapia soppressiva delle infezioni polmonari croniche dovute a Pseudomonas aeruginosa nei pazienti affetti da fibrosi cistica (FC) di eta' pari o superiore a 18 anni. Il sostegno fondamentale di questa indicazione si basa su due studi controllati verso placebo a ciclo singolo di 28 giorni. I dati a sostegno del mantenimento del beneficio, osservato a breve termine, nel corso di cicli successivi di trattamento sono limitati. Fare riferimento alle linee guida ufficiali per il corretto uso degli agenti antibatterici.	C
<b>Ceplene</b>	histamine dihydrochloride	07/10/2008	G.U. n. 289 13/12/2011	nei pazienti adulti con leucemia mieloide acuta in prima remissione trattati contemporaneamente con interleuchina-2 (IL-2). L'efficacia di Ceplene non è stata pienamente dimostrata nei pazienti di età superiore ai 60 anni	C
<b>Cystadane</b>	betaine anhydrous	15/02/2007	G.U. n.106 7/5/2008	trattamento aggiuntivo dell'omocistinuria, che comporta deficit o difetti di cistationina beta-sintasi (CBS), 5, 10 metilentetraidrolato reductasi (MTHFR) o del metabolismo del cofattore cobalamina (cbl)	H
<b>Dacogen</b>	decitabine	20/09/2012	<b>Non disponibile</b>	trattamento di pazienti adulti di età uguale o superiore ai 65 anni con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta (LAM) " de novo " o secondaria in base alla classificazione dell'Organizzazione Mondiale della Sanità (OMS), e che non siano candidabili alla chemioterapia di induzione standard.	
<b>Diacomit</b>	stiripentol	04/01/2007	G.U. n. 271 20/11/2009	in associazione con clobazam e valproato nella terapia aggiuntiva delle crisi tonico-cloniche refrattarie al trattamento con clobazam e valproato in pazienti con epilessia mioclonica severa dell'infanzia (EMSI, sindrome di Dravet)	C

<b>Elaprase</b>	idursulfase	08/01/2007	G.U n. 69 25/3/2011	trattamento a lungo termine dei pazienti con sindrome di Hunter (mucopolisaccaridosi II, MPS II)	H
<b>Esbriet</b>	pirfenidone	28/02/2011	<b>Non disponibile</b>	trattamento della fibrosi idiopatica polmonare di grado medio-moderato dell'adulto	
<b>Evoltra</b>	clofarabine	29/05/2006	G.U. n. 67 21/3//2007	trattamento della leucemia linfoblastica acuta (LLA) in pazienti pediatrici in recidiva o refrattari dopo aver ricevuto almeno due precedenti regimi terapeutici e qualora non vi siano altre possibilità di trattamento prevedibilmente in grado di offrire una risposta duratura. La sicurezza e l'efficacia sono state valutate in studi condotti su pazienti di 21 anni alla diagnosi iniziale	H
<b>Exjade</b>	deferasirox	28/08/2006	GU n.85 12/04/2007	trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a frequenti emotrasfusioni (7ml/kg/mese di globuli rossi concentrati) in pazienti con beta talassemia major di età pari e superiore a sei anni. trattamento del sovraccarico cronico di ferro dovuto a emotrasfusioni quando la terapia con deferoxamina è controindicata o inadeguata nei seguenti gruppi di pazienti: in pazienti con altre anemie; in pazienti di età compresa tra due e cinque anni; in pazienti con beta talassemia major con sovraccarico di ferro dovuto a emotrasfusioni non frequenti (7l/kg/mese di globuli rossi concentrati).	H
<b>Firazyr</b>	icatibant	11/07/2008	G.U. n. 139 18/6/2009	terapia sintomatica degli attacchi acuti di angioedema ereditario (AEE) negli adulti (con carenza di inibitore esterasi C1)	H
<b>Firdapse (previously Zenas)</b>	amifampridine	23/12/2009	G.U. n. 21 del 26/1/2012	trattamento sintomatico della Sindrome Miastenica di Lambert-Eaton (LEMS) negli adulti	C
<b>Gliolan</b>	5-aminolevulinic acid hydrochloride	07/09/2007	<b>Non disponibile</b>		
<b>Glybera</b>	alipogene tiparovec	25/10/2012	<b>Non disponibile</b>	pazienti adulti con diagnosi di deficit familiare di lipasi lipoproteica (Lipoproteinlipase deficiency, LPLD) e con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite nonostante la dieta a ridotto contenuto di grassi. La diagnosi di LPLD deve essere confermata da test genetici. L'indicazione è limitata a pazienti con livelli dosabili di proteina LPL.	
<b>Iclusig</b>	ponatinib	01/07/2013	<b>Non disponibile</b>		

<b>Increlex</b>	mecasermin	03/08/2007	G.U n. 106 7/5/2008	per il trattamento a lungo termine del deficit di accrescimento nei bambini e negli adolescenti con grave deficit primario del fattore di crescita insulino-simile di tipo I (IGFD primario). Il IGFD primario grave e definito da: SDS per l'altezza minore o uguale a - 3,0 e livelli di IGF-1 basali inferiori al 2,5 percentile per eta e sesso e sufficienza di ormone della crescita (GH). Vanno escluse forme secondarie di deficit di IGF-1 dovute a malnutrizione ipotiroidismo o trattamento cronico con dosi farmacologiche di antinfiammatori steroidei. La forma di IGFD primario grave include pazienti con mutazioni nel recettore del CH (GHR) con alterazioni della via di trasmissione post-GHR e difetti del gene dell'IGF-1; questi soggetti non presentano deficit di GH e quindi si puo' prevedere che non rispondano adeguatamente al trattamento con CH esogeno Si consiglia di confermare la diagnosi eseguendo un test di generazione di IGF-1	H
<b>Inovelon</b>	rufinamide	16/01/2007	G.U n.234 6/10/2008	terapia aggiuntiva nel trattamento di crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox-Gastaut, in pazienti di eta' pari o superiore ai quattro anni	A
<b>Jakavi</b>	ruxolitinib (as phosphate)	23/08/2012	<b>Non disponibile</b>	trattamento di pazienti adulti che presentano sintomi correlati a splenomegalia o sintomi legati a mielofibrosi primaria o secondaria a policitemia vera o a trombocitemia essenziale.	
<b>Kalydeco</b>	ivacaftor	23/07/2012	<b>Non disponibile</b>	trattamento della fibrosi cistica in pazienti di età >6 anni che presentano la mutazione G551D nel gene CFTR.	
<b>Kuvan</b>	sapropterin dihydrochloride	02/12/2008	G.U.n. 156 8/7/2009	trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in pazienti adulti e pediatrici al di sopra dei 4 anni di età affetti da fenilchetonuria (PKU) che hanno mostrato una risposta a tale trattamento Kuvan è anche indicato per il trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in pazienti adulti e pediatrici con carenza di tetraidrobiopterina (BH4) che hanno mostrato una risposta al trattamento	H
<b>Litak</b>	cladribine	14/04/2004	G.U. n. 70 25/3/2009	Leucemia a cellule capellute	H
<b>Lysodren</b>	mitotane	28/04/2004	G. U. n.46 25/2/2005	trattamentodel carcinoma corticosurrenalico avanzato (non resecabile, metastatico o recidivo).	H

<b>Mepact</b>	mifamurtide	06/03/2009	G.U. n. 297 21/12/2010	indicato nei bambini, negli adolescenti e nei giovani adulti per il trattamento dell'osteosarcoma non metastatico ad alto grado resecabile in seguito a resezione chirurgica macroscopicamente completa. Il medicinale viene utilizzato in associazione alla chemioterapia postoperatoria con piu' agenti. La sicurezza e l'efficacia sono state valutate in studi condotti su pazienti di eta' compresa tra 2 e 30 anni al momento della diagnosi iniziale	H
<b>Mozobil</b>	plerixafor	31/07/2009	G.U. n. 274 24/11/2011	in combinazione con G-CSF per incrementare la mobilizzazione delle cellule staminali ematopoietiche al sangue periferico per la raccolta e il conseguente trapianto autologo in pazienti con linfoma e mieloma multiplo con una scarsa mobilizzazione cellulare	H
<b>Myozyme</b>	alglucosidase alfa	29/03/2006	G.U. n. 273 23/11/2006	terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di Malattia di Pompe (deficit di alfa-glucosidasi acida)	H
<b>Naglazyme</b>	galsulfase	24/01/2006	G.U. n. 46 24/2/2007	terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con una diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi VI (MPS VI deficit di N-acetilgalatosammina-4-solfatasi;sindrome di Maroteaux-Lamy). Come per tutte le disfunzioni lisosomiali genetiche, e' di fondamentale importanza, specialmente nelle forme piu' severe, intraprendere il trattamento il piu' precocemente possibile, prima della comparsa di manifestazioni cliniche non reversibili della malattia. E' un punto chiave trattare i pazienti giovani di eta' 5 anni affetti da una forma grave della malattia, sebbene i pazienti di questa fascia di eta' non siano stati compresi nello studio principale di fase 3.	H
<b>Nexavar</b>	sorafenib	19/07/2006	G.U. n. 272 22/11/2006 G.U. n.146 24/6/2008	1.pazienti con carcinoma a cellule renali (RCC) avanzato (stadio IV) dopo fallimento terapeutico ad una precedente terapia a base di interferone alfa o interleuchina-2, o che sono considerati non idonei a ricevere tale terapia. 2.trattamento dell'epatocarcinoma	H
<b>NexoBrid</b>	concentrate of proteolytic enzymes enriched in bromelain	18/12/2012	G.U. n.104 6/5/2013	NexoBrid è indicato per la rimozione dell'escara in adulti con ustioni termiche profonde a spessore parziale e completo.	C

<b>Nplate</b>	romiplostim	04/02/2009	G.U. n. 6 9/1/2010	pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica immunitaria (idiopatica) cronica (PTI) splenectomizzati che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline). Nplate può essere preso in considerazione come trattamento di seconda linea nei pazienti adulti non-splenectomizzati per i quali l'intervento chirurgico è controindicato.	H
<b>Orfadin</b>	nitisinone	21/02/2005	G.U. n.156 6/7/2012	trattamento dei pazienti con diagnosi confermata di tirosinemia ereditaria di tipo 1 (HT-1), in associazione con ridotto apporto alimentare di tirosina e fenilalanina	A
<b>Pedea</b>	ibuprofen	29/07/2004	GU n.123 28/5/2005	trattamento del dotto arterioso pervio modinamicamente significativo nei neonati pretermine di età gestazionale inferiore alle 34 settimane.	C
<b>Peyona</b>	caffeine citrate	02/07/2009	G.U. n. 234 7/10/2011	trattamento dell'apnea primaria nei neonati prematuri	C
<b>Plenadren</b>	hydrocortisone	03/11/2011	<b>G.U. n. 115 18/5/2012</b>	Trattamento dell'insufficienza surrenalica negli adulti. Criteri di inclusione: Pazienti adulti affetti da insufficienza surrenalica che necessitano di terapia sostitutiva. Criteri di esclusione: Pazienti in eta' pediatrica. Pazienti con aumentata mobilita' intestinale, ossia diarrea cronica, per il rischio alterata esposizione al cortisolo; a questi pazienti si devono somministrare altre formulazioni di idrocortisone. I pazienti con insufficienza surrenalica e concomitanti infezioni retrovirali, come l'HIV.	
<b>Prialt</b>	ziconotide	21/02/2005	G.U. n.114 18/5/2007	trattamento del dolore severo cronico in pazienti che richiedono analgesia intratecale	H
<b>Revatio</b>	sildenafil	28/10/2005	G. U. n. 176 31/7/2006 G.U. n. 30 5/2/2013	adulti: trattamento di pazienti adulti con ipertensione arteriosa polmonare di classe funzionale II e III dell'OMS, al fine di migliorare la capacita' di fare esercizio fisico. L'efficacia e' stata dimostrata nell'ipertensione polmonare primaria e nell'ipertensione polmonare associata a malattia del tessuto connettivo; popolazione pediatrica: trattamento di pazienti pediatrici di eta' compresa tra 1 e 17 anni con ipertensione arteriosa polmonare. L'efficacia in termini di miglioramento della capacita' di fare esercizio fisico o di emodinamica polmonare e' stata dimostrata nell'ipertensione polmonare primaria e nell'ipertensione polmonare associata a malattia cardiaca congenita.	A
<b>Revestive</b>	teduglutide	30/08/2012	<b>Non disponibile</b>	Sindrome dell'intestino corto.I pazienti devono essere in condizioni stabili dopo di un periodo di adattamento dell'intestino a seguito dell'intervento.	

<b>Revlimid</b>	lenalidomide	14/06/2007	G U. n. 50 28//2/2008 <b>GU n. 286</b> <b>7/12/2010</b>	1.in associazione con desametasone in pazienti con mieloma multiplo sottoposti ad almeno una precedente terapia. <b>2: trattamento di pazienti anemici trasfusione-dipendenti, con sindrome mielodisplastica a rischio basso o intermedio-1, portatori di delezione 5q- associata omeno ad altre anomalie cromosomiche</b>	H
<b>Savene</b>	dexrazoxane	28/07/2006	G. U. n. 40 16/02/2008	Extravasazione dell'antraciclina	C
<b>Signifor</b>	pasireotide diaspertate	24/04/2012	<b>G.U. n. 210</b> <b>8/9/2012</b>	trattamento di pazienti con malattia di Cushing nei quali la terapia medica sia appropriata», nel rispetto delle condizioni per esso indicate nell'allegato 1 che fa parte integrante della presente determinazione, e con il seguente limite temporale: fino ad approvazione della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio	
<b>Siklos</b>	hydroxycarbamide	29/06/2007	<b>Non disponibile</b>	utilizzato per prevenire le crisi dolorose, incluso il dolore toracico improvviso, provocate dall'anemia falciforme nei bambini di età superiore a 2 anni e negli adulti.	
<b>Soliris</b>	eculizumab	20/06/2007	G.U. n.184 7/8/2008 <b>G.U. n. 3</b> <b>5/1/2009</b> <b>G.U. n. 141</b> <b>20/6/2011</b>	1.trattamento di pazienti affetti da emoglobinuria parossistica notturna.Le prove del beneficio clinico di Soliris nel trattamento dei pazienti affetti da EPN sono limitate ai soggetti con storia precedente di trasfusioni. <b>Trattamento dell'emolisi intravascolare dei pazienti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che non abbiano ricevuto in precedenza trasfusioni.</b> <b>2.terapia della Sindrome Emolitica Uremica (SEU) atipica, fino ad approvazione dell'estensione dell'indicazione terapeutica</b>	H
<b>Sprycel</b>	dasatinib	20/11/2006	G.U. n.120 25/5/ 2007 G.U. n. 274 24/11/2011	1.trattamento di adulti affetti da leucemia linfoblastica acuta (LLA) con cromosoma Philadelphia positivo (Ph +) ed LCM in fase blastica linfoide con resistenza o intolleranza ad una precedente terapia 2. leucemia Mieloide Cronica (LMC) con cromosoma Philadelphia positivo (Ph+) in fase cronica, di nuova diagnosi	H
<b>Tasigna</b>	nilotinib	19/11/2007	G. U. n 184 7/08/2008 <b>(200mg)</b> G.U. n. 272 22/11/ 2011 <b>(150mg)</b>	<b>200mg:</b> trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide cronica (LMC) con cromosoma Philadelphia positivo di nuova diagnosi in fase cronica o in fase accelerata con resistenza o intolleranzaa precedente terapia comprendente imatinib.Non sono disponibili dati di efficacia in pazienti con LMC in crisi blastica. <b>150 mg:</b> trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide cronica (LMC) con cromosoma Philadelphia positivo di nuova diagnosi in fase cronica.	H

<b>Tepadina</b>	thiotepa	15/03/2010	<b>Non disponibile</b>	in associazione con altri medicinali chemioterapici: 1) con o senza irradiazione corporea totale (TBI), come regime di condizionamento precedente al trapianto allogenico o autologo di cellule mopoietiche progenitrici (HPCT) in pazienti adulti e pediatrici con patologie ematologiche ; 2) quando la chemioterapia ad alte dosi con il supporto di HPCT è adeguata al trattamento di tumori solidi in pazienti adulti e pediatrici.	
<b>Thalidomide Celgene (previously Thalidomide Pharmion)</b>	thalidomide	16/04/2008	G.U. n. 70 25/3/2009	Thalidomide Celgene, in associazione a melfalan e prednisone, è indicata per il trattamento di prima linea di pazienti con mieloma multiplo non trattato di età ≥ 65 anni o non idonei a chemioterapia a dosi elevate. Thalidomide Celgene viene prescritta e dispensata in conformità al Programma di Prevenzione della Gravidanza di Thalidomide Celgene	H
<b>Tobi Podhaler</b>	tobramycin	20/07/2011	G.U.n. 298 23/12/2011	terapia soppressiva dell'infezione polmonare cronica dovuta a Pseudomonas aeruginosa negli adulti e nei bambini a partire dai 6 anni di età affetti da fibrosi cistica. Vedere paragrafi 4.4. e 5.1 per quanto riguarda i dati nei diversi gruppi di età. Deve essere tenuta in considerazione la linea guida ufficiale sull'uso appropriato degli agenti antibatterici	C
<b>Torisel</b>	temsirolimus	19/11/2007	G.U. n 234 6/10/2008 G.U. n.196 24/8/2011	1. trattamento di prima linea in pazienti con carcinoma avanzato a cellule renali, che presentino almeno tre dei sei fattori di rischio prognostici 2. indicato nel trattamento di pazienti adulti con linfoma a cellule mantellari refrattario e/o recidivante (MCL)	H
<b>Tracleer</b>	<b>bosentan</b>	15/05/2002	G.U. n. 279 3/7/2003 <b>G.U. n. 50 28/2/2013</b>	<b>trattamento dell'ipertensione Polmonare Cronica Tromboembolica (IPCTE) inoperabile mediante intervento chirurgico di Endoarteriectomia Polmonare (EAP), IPCTE persistente dopo intervento chirurgico di EAP inefficace o recidiva di IPCTE dopo intervento chirurgico di EAP efficace ma non ripetibile</b>	
<b>Ventavis</b>	iloprost	16/09/2003	G.U. n. 277 25/11/2004 G.U n. 262 10/11/2009	Trattamento di pazienti con ipertensione polmonare primaria classificata come III classe funzionale NYHA, per il miglioramento della capacità fisica e dei sintomi	H



<b>Vidaza</b>	azacitidine	17/12/2008	G.U. n. 256 2/11/2010	trattamento di pazienti adulti non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche con: sindromi mielodisplastiche (SMD) a rischio intermedio 2 e alto secondo l'International prognostic scoring system (IPSS); leucemia mielomonocitica cronica (LMMC) con il 10-29% di blasti midollari senza disordine mieloproliferativo; leucemia mieloide acuta (LMA) con 20-30% di blasti e displasia multilineare, secondo la classificazione dell'Organizzazione mondiale della sanità' (OMS).	H
<b>Volibris</b>	ambrisentan	21/04/2008	G.U. n. 35 12/2/2009	trattamento dei pazienti con ipertensione polmonare arteriosa (PAH) classificata in base alla classificazione funzionale dell'OMS in classe II e III, per migliorare la capacità di esercizio. La sua efficacia è stata dimostrata nei pazienti con PAH idiopatica (IPAH) e nella PAH associata a malattia del tessuto connettivo.	H conf 30 compresse C conf 10 compresse
<b>Votubia</b>	everolimus	02/09/2011	<b>Non disponibile</b>	1. Trattamento di pazienti di età >3 anni con astrocitoma subependimale a cellule giganti associato a sclerosi tuberosa non candidabili ad intervento chirurgico; 2. Trattamento di pazienti adulti con angiomiolipoma renale associato a sclerosi tuberosa	
<b>Vpriv</b>	velaglucerase alfa	26/08/2010	G.U. n.69 25/3/2011	terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti affetti da malattia di Gaucher di tipo 1	H
<b>Vyndaqel</b>	tafamidis	16/11/2011	GU n.104 6/5/2013	trattamento dell'amiloidosi da transtiretina nei pazienti adulti affetti da polineuropatia sintomatica di stadio 1 al fine di ritardare la compromissione neurologica periferica.	C
<b>Wilzin</b>	zinc	13/10/2004	G.U. n.196 24/8/2005	trattamento del morbo di Wilson	H
<b>Xagrid</b>	anagrelide	16/11/2004	G.U. n.130 7/6/2006	indicato per la riduzione della conta piastrinica elevata nei pazienti a rischio con trombocitemia essenziale, i quali mostrano intolleranza nei riguardi della loro attuale terapia, oppure la cui conta piastrinica elevata non possa essere ridotta a un livello accettabile con l'attuale terapia. Per paziente a rischio con di trombocitemia essenziale si intende un paziente che presenti una o piu' delle caratteristiche riportate di seguito: eta' 60 anni oppure conta piastrinica 1000x10 <sup>9</sup> /l, oppure storia di eventi tromboemorragici	H

<b>Xaluprine (previously Mercaptopurine Nova Laboratories)</b>	6-mercaptopurine monohydrate	09/03/2012	<b>Non disponibile</b>	trattamento della leucemia linfoblastica acuta (ALL) in adulti, adolescenti e bambini.	
<b>Yondelis</b>	trabectedin	17/09/2007	G.U. n. 21 27/1/ 2009 GU n.72 29/3/2011	1. trattamento dei pazienti con sarcoma dei tessuti molli in stato avanzato dopo il fallimento della terapia con antracicline e ifosfamide o che non sono idonei a ricevere tali agenti. I dati sull'efficacia si basano soprattutto su pazienti con liposarcoma e leiomiomasarcoma 2. in associazione con doxorubicina liposomiale pegilata (PLD), e' indicato per il trattamento di pazienti con recidiva di cancro ovarico platino-sensibile	H
<b>Zavesca</b>	miglustat	20/11/2002	G.U. n.277 25/11/2004 G.U n. 6 9/1/2010	trattamento delle manifestazioni neurologiche progressive in pazienti adulti ed in pazienti in età pediatrica affetti dalla malattia di Niemann - Pick di tipo C	H

**legge 23 dicembre 1996, n. 648**