

LE TERAPIE AVANZATE IN EUROPA E IN ITALIA



	NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	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)
	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		Classe H*
	Kymriah®	tisagenlecleucel	Novartis Europharm Limited	leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfoma diffuso a grandi cellule B	agosto 2018 farmaco orfano		Classe H*
	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*
	Luxturna™	voretigene neparvovec	Novartis Europharm Limited	distrofia retinica ereditaria	novembre 2018 farmaco orfano		Classe H*



NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	IN ITALIA
Zynteglo®	Cellule autologhe CD34+ codificanti per il gene della β A-T87Q globina	bluebird bio B.V.	beta talassemia trasfusione dipendente senza genotipo β^0/β^0 (sopra ai 12 anni)	marzo 2019 CMA* farmaco orfano	✓	✗ in valutazione CTS*
Zolgensma®	onasemnogene abeparvovec	AveXis	atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo 1; oppure di pazienti con SMA che hanno fino a tre copie del gene SMN2	maggio 2020 farmaco orfano	✓	✗ in valutazione CTS* accesso anticipato con legge 648/96
Tecartus™	brexucabtagene autoleucel	Kite Pharma EU B.V.	linfoma a cellule mantellari (MCL) recidivante o refrattario	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✗
 Libmeldy™	cellule autologhe CD34+ che codificano il gene ARSA	Orchard Therapeutics BV	leucodistrofia metacromatica	dicembre 2020 farmaco orfano	✓	✗



TERAPIA CELLULARE

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	IN ITALIA
Chondro-Celect®	Cellule cartilaginee autologhe vitali caratterizzate da espansione ex vivo ed espressione di proteine marker specifiche	TiGenix N.V.	single lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio	ottobre 2009	 da novembre 2016	 da novembre 2016
Provenge®	sipuleucel-T	Dendreon UK Ltd	carcinoma della prostata asintomatico o lievemente sintomatico (non viscerale)	settembre 2013	 da maggio 2015	 da maggio 2015
 Zalmoxis®	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* farmaco orfano	 da ottobre 2019	 da ottobre 2019
Alofisel®	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*



INGEGNERIA
TESSUTALE

NOME COMMERCIALE	INN*	AZIENDA	INDICAZIONE	AIC*	IN EUROPA	IN ITALIA
Maci®	Condrociti autologhi vitali caratterizzati, espansi ex vivo esprimenti 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
 Holoclar®	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 farmaco orfano		 Classe H*
Spherox (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		 in valutazione CTS*

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



: strategia terapeutica ideata in Italia