



Via libera dal CdA di AIFA alla rimborsabilità di 4 nuovi medicinali, 5 estensioni di indicazione e 2 equivalenti

Tra i medicinali che saranno rimborsati, un farmaco orfano per alcuni tipi di tumore femminile e uno per una malattia ultra-rara

Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA, nella seduta del 29 maggio riunito presso la "Sala La Torre" di Palazzo Reale a Palermo, ha dato il via libera alla rimborsabilità di 4 nuovi medicinali, 5 estensioni di indicazione e 2 equivalenti.

FARMACI ORFANI

Sarà rimborsato dal Servizio Sanitario Nazionale un nuovo farmaco orfano per il trattamento di pazienti adulte con cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo. Si tratta di **Elahere** (mirvetuximab), un anticorpo monoclonale che si lega a una specifica proteina (FR α) espressa sulla superficie delle cellule tumorali e rilascia al loro interno una molecola citotossica in grado di causarne la morte.

Il secondo farmaco orfano che sarà ammesso alla rimborsabilità è **Adzynma** (rADAMTS13), una terapia enzimatica sostitutiva (TES) per la porpora trombotica trombocitopenica congenita (cTTP), una rarissima malattia genetica del sangue. Adzynma si avvale dell'ingegneria genetica per la produzione in laboratorio di una copia artificiale dell'enzima umano ADAMTS13 (carente nei pazienti affetti da cTTP), che viene poi somministrata per via endovenosa.

La cTTP è una malattia causata da una mutazione genetica che impedisce la produzione dell'enzima ADAMTS13, portando alla formazione di trombi nei piccoli vasi, anemia emolitica, forte carenza di piastrine (trombocitopenia) e insufficienza di gravità variabile di uno o più organi. Sostituendo l'enzima mancante, Adzynma previene la formazione di coaguli di sangue, sanguinamento e anemia. Si tratta di un nuovo approccio terapeutico a una malattia che, se non trattata, ha un decorso rapido e letale.

ALTRE NUOVE MOLECOLE

Saranno rimborsate dal SSN altre 2 nuove molecole. Sono **Aqumeldi** (enalapril maleato), un ACE-inibitore indicato per il trattamento dell'insufficienza cardiaca nei bambini dalla nascita fino a 6 anni di età, e **Wainzua** (eplontersen), indicato per il trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (ATTRv), una patologia sistemica progressiva che si manifesta prevalentemente con cardiomiopatia e/o polineuropatia.

ESTENSIONI DI INDICAZIONI TERAPEUTICHE

I 5 farmaci per i quali sono state estese le indicazioni rimborsabili sono: **Bridion** (sugammadex), un farmaco, che potrà essere utilizzato in pazienti pediatrici dalla nascita fino a 17 anni di età, antidoto usato in anestesia per invertire il blocco neuromuscolare indotto da specifici miorilassanti come rocuronio e vecuronio; **Cablivi** (caplacizumab), anticorpo monoclonale per il trattamento di episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita in associazione a plasmaferesi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione che verrà rimborsato negli adolescenti di età uguale a 12 anni o maggiore con peso corporeo di almeno 40 kg; **Miozac** (dobutamina), farmaco adrenergico utilizzato come stimolante cardiaco; **Scleryda** (dimetilfumarato), farmaco immunomodulatore impiegato per il trattamento della sclerosi multipla recidivante-remittente in pazienti pediatrici di età pari o superiore a 13 anni; **Spravato** (esketamina), antidepressivo in forma di spray nasale.

FARMACI EQUIVALENTI

I 2 farmaci equivalenti che saranno rimborsati dal SSN sono l'antidiabetico **Linagliptin Krka** (Linagliptin) e **Metotrexato Aurobindo** (metotrexato), farmaco utilizzato in oncologia per trattare alcuni tumori (come leucemie e linfomi) e a dosaggi inferiori, come antinfiammatorio e immunosoppressore in alcune malattie autoimmuni soprattutto in ambito reumatologico/dermatologico.

Tra i temi della seduta anche la revisione del Prontuario Farmaceutico Nazionale, per la quale proseguono i lavori da parte dell'Agenzia.

In calce al comunicato la tabella riassuntiva con i farmaci autorizzati e ammessi alla rimborsabilità da parte del SSN e le indicazioni terapeutiche per esteso.

TABELLA DI SINTESI NUOVI FARMACI ED ESTENSIONE DELLE INDICAZIONI - CDA 29 maggio 2026

TIPOLOGIA NEGOZIAZIONE	PRINCIPIO ATTIVO	FARMACO	INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Farmaci orfani per malattie rare	rADAMTS13	ADZYNMA	ADZYNMA è una terapia enzimatica sostitutiva (TES) indicata per il trattamento del deficit di ADAMTS13 nei pazienti pediatrici e adulti affetti da porpora trombotica trombocitopenica congenita (CTTP, congenital thrombotic thrombocytopenic purpura). ADZYNMA può essere utilizzato per tutte le fasce d'età
	Mirvetuximab	ELAHERE	ELAHERE in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulte con cancro epiteliale dell'ovaio, cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo, positivo al recettore alfa dei folati (FRα), platino resistente, sieroso di alto grado, che hanno ricevuto da uno a tre precedenti regimi di trattamento sistemico
Nuove molecole	Enalapril	AQUMELDI	AQUMELDI è indicato per il trattamento dell'insufficienza cardiaca nei bambini dalla nascita fino a 6 anni di età
	Eplontersen	WAINZUA	Wainzua è indicato per il trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (hereditary transthyretin-mediated amyloidosis, ATTRv) in pazienti adulti con polineuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2
Farmaci generici, copie (nuove specialità di principi attivi già presenti sul mercato) o di importazione parallela	Linagliptin	LINAGLIPTIN KRKA	Linagliptin Krka in aggiunta alla dieta e all'esercizio fisico è indicato per migliorare il controllo della glicemia negli adulti con diabete mellito di tipo 2: come monoterapia • quando la metformina non è appropriata a causa di intolleranza o è controindicata a causa di compromissione renale. come terapia di associazione • in associazione con altri medicinali per il trattamento del diabete, compresa l'insulina, quando questi non forniscono un adeguato controllo della glicemia (vedere paragrafi 4.4, 4.5 e 5.1 per i dati disponibili sulle diverse combinazioni).
	Metotrexato	METOTREXATO AUROBINDO	Artrite reumatoide attiva in pazienti adulti. Forme poliartriche di artrite idiopatica giovanile (juvenile idiopathic arthritis, JIA) severa e in fase attiva, in bambini dai 3 anni in su e negli adolescenti, in caso di risposta ai farmaci antinfiammatori non steroidei (FANS) inadeguata. Psoriasi severa, recidivante e disabilitante, che non risponde adeguatamente ad altre forme di terapia quali fototerapia, PUVA e retinoidi, e artrite psoriasica severa in pazienti adulti. Terapia di mantenimento della leucemia linfoblastica acuta (acute lymphoblastic leukaemia, ALL) negli adulti, negli adolescenti e nei bambini dai 3 anni in su
Estensione delle indicazioni terapeutiche/posologia	Sugammadex	BRIDION	Per la popolazione pediatrica: sugammadex è raccomandato solo per l'antagonismo di routine del blocco indotto da rocuronio in pazienti pediatrici dalla nascita fino a 17 anni di età
	Caplacizumab	CABLIVI	Estensione delle indicazioni terapeutiche di CABLIVI® (caplacizumab) negli adolescenti di età uguale a 12 anni o maggiore con peso corporeo di almeno 40 kg per il trattamento degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione a plasmaferesi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione
	Dobutamina	MIOZAC	Test di stress cardiaco come alternativa all'esercizio in pazienti per i quali l'esercizio di routine non può essere eseguito in modo soddisfacente
	Dimetilfumarato	SCLERYDA	Scleryda è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pazienti pediatrici di età pari o superiore a 13 anni con sclerosi multipla recidivante-remittente (SMRR).
	Esketamina	SPRAVATO	Spravato, in combinazione con una terapia antidepressiva orale, è rimborsato negli adulti di età compresa tra i 18 e i 65 anni di età, con un episodio da moderato a grave di disturbo depressivo maggiore (punteggio MADRS totale >28) senza manifestazioni psicotiche, come trattamento acuto di breve termine per la rapida riduzione dei sintomi depressivi, che in base al giudizio clinico costituiscono un'emergenza psichiatrica di entità tale da presentare una indicazione al ricovero

* N.B. Per altre informazioni (classe e regime di fornitura, innovatività, registro, numero procedura) si veda l'allegato al presente comunicato