

## Le 14 Terapie Avanzate approvate da EMA

Fonte IV Report ATMP Forum (aggiornamento 31/08/2021)

ATMP	MA EU	AZIENDA	INDICAZIONE
ChondroCelect	05/10/2009	TiGenix NV	Riparazione di singole lesioni sintomatiche a carico della cartilagine del condilo femorale del ginocchio (grado III o IV, International Cartilage Repair Society [ICRS]) negli adulti.
Glybera	25/10/2012	uniQure biopharma B.V.	Deficit familiare di lipasi lipoproteica (Lipoprotein lipase deficiency, LPLD) e con gravi o ripetuti attacchi di pancreatite nonostante la dieta a ridotto contenuto di grassi.
Maci	27/06/2013	Vericel Denmark ApS	Riparazione di difetti sintomatici a tutto spessore della cartilagine del ginocchio (grado III e IV della scala Outerbridge modificata) di 3-20 cm <sup>2</sup> in pazienti adulti con scheletro maturo.
Provenge	06/09/2013	Dendreon UK Ltd	Trattamento del carcinoma asintomatico o lievemente sintomatico metastatico (non viscerale) della prostata resistente alla castrazione in uomini adulti nei quali la chemioterapia non è ancora clinicamente indicata.
Holoclar	17/02/2015	Holostem Terapie Avanzate s.r.l.	Deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave (definito dalla presenza di neovascolarizzazione superficiale della cornea in almeno due quadranti, con coinvolgimento della parte centrale della cornea e grave compromissione dell'acuità visiva), unilaterale o bilaterale, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici. Per la biopsia sono necessari almeno 1 - 2 mm <sup>2</sup> di tessuto limbare non danneggiato.
Imlygic	16/12/2015	Amgen Europe B.V.	Trattamento di pazienti adulti affetti da melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a) senza coinvolgimento dell'osso, del cervello, del polmone o altro coinvolgimento viscerale.
Strimvelis	26/05/2016	Orchard Therapeutics (Netherlands) BV	Trattamento di pazienti con Immunodeficienza Grave Combinata da Deficit di Adenosina Deaminasi (ADA-SCID), per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA (antigene leucocitario umano)-compatibili.
Zalmoxis	18/08/2016	MolMed SpA	Trattamento aggiuntivo nel trapianto aploidentico di cellule staminali emopoietiche (HSCT) in pazienti adulti con neoplasie maligne ematologiche ad alto rischio.
Spherox	10/07/2017	CO.DON AG	Riparazione di difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio (grado III o IV, Società Internazionale per la Rigenerazione della Cartilagine e la Conservazione delle Articolazioni [ICRS]) con dimensioni dei difetti fino a 10 cm <sup>2</sup> negli adulti.

ATMP	MA EU	AZIENDA	INDICAZIONE
Alofisel	23/03/2018	Takeda Pharma A/S	Trattamento delle fistole perianali complesse in pazienti adulti con Malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva, nei casi in cui le fistole hanno mostrato una risposta inadeguata ad almeno una terapia convenzionale o biologica. Alofisel deve essere utilizzato solo al termine dell'intervento di condizionamento delle fistole.
Kymriah	22/08/2018	Novartis Europharm Limited	Kymriah è indicato per il trattamento di: - pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età inclusi, con Leucemia Linfoblastica Acuta (ALL) a cellule B, refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva; - pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.
Yescarta	23/08/2018	Kite Pharma EU B.V./Gilead	Trattamento di pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) e Linfoma Primitivo del Mediastino a Grandi Cellule B (PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica.
Luxturna	22/11/2018	Novartis Europharm Limited	Trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali.
Zynteglo	29/05/2019	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da $\beta$ -Talassemia Trasfusione-Dipendente (TDT) che non hanno un genotipo $\beta\theta/\beta\theta$ , per i quali il trapianto di Cellule Staminali Ematopoietiche (HSC) sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC Antigene Leucocitario Umano (HLA)-compatibile.
Zolgensma	18/05/2020	Novartis Gene Therapies EU Limited	Trattamento di: - pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2.
Tecartus	14/12/2020	Kite Pharma EU B.V./Gilead	Trattamento di pazienti adulti con Linfoma a Cellule Mantellari (MCL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica che includano un inibitore della Tirosin Chinasi di Bruton (BTK).
Libmeldy	17/12/2020	Orchard Therapeutics (Netherlands) BV	Trattamento della Leucodistrofia Metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene Arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: - nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia; - nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo.
Skysona	16/07/2021	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Trattamento dell'Adrenoleucodistrofia Cerebrale (CALD) precoce in pazienti <18 anni di età, con una mutazione genetica ABCD1 e per i quali non è disponibile un donatore consanguineo di Cellule Staminali Ematopoietiche (HSC) compatibile per l'Antigene Leucocitario Umano (HLA).
Abecma	18/08/2021	Celgene Europe BV	Pazienti adulti con Mieloma Multiplo recidivante refrattario precedentemente trattati con almeno altre 3 terapie, tra cui un agente immunomodulatore, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, che hanno dimostrato progressione della malattia con l'ultima terapia.

## Le ATMP in corso di approvazione all'EMA

Fonte IV Report ATMP Forum (aggiornamento 31/08/2021)

ATMP	AZIENDA	INDICAZIONE	DATA INIZIO VALUTAZIONE CAT
<b>Upstaza</b> <i>eladocogene exuparvovec</i>	PTC Therapeutics	Deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC)	19/02/2020
<b>Breyanzi</b> <i>lisocabtagene maraleucel (liso-cel)</i>	Bristol Myers Squibb	Adulti con la forma recidivante refrattaria di linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL), linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare di grado IIb (FLSB)	09/09/2020
<b>Gliovac</b> <i>cellule autologhe e allogeniche del glioma inattivate e lisati di cellule autologhe e di cellule allogeniche del glioma inattivate</i>	Epitopoietic Research Corporation	Glioma	07/10/2020
<b>Lumevoq</b> <i>lenadogene nolparvovec</i>	GenSight Biologics	Trattamento della perdita della vista in pazienti con Neuropatia Ottica Ereditaria di Leber (LHON) con mutazione del gene mitocondriale ND4	02/12/2020
<b>Ciltacabtagene</b> <i>autoleucel (cilta-cel)</i>	Janssen	Mieloma Multiplo recidivante refrattario	16/06/2021
<b>Roctavian</b> <i>valoctocogene roxaparvovec</i>	Biomarin	Emofilia A	14/07/2021