

Gentile Dottore,

il Bollettino Novità Regolatorie che riceve ha lo scopo di fornirle alcune delle più importanti informazioni sulle discipline regolatorie del farmaco (es. nuove immissioni in commercio, modifica dell'autorizzazione, avvio o chiusura registri di monitoraggio) provenienti sia dall'Autorità Competente nazionale (AIFA) ma anche dall'Assessorato regionale della Salute che emana periodicamente disposizioni relative all'impiego dei medicinali sul territorio siciliano.

La continua evoluzione della normativa relativa alle modalità di utilizzo e prescrizione dei farmaci impone, infatti, sempre maggiore attenzione da parte dei medici al rispetto delle direttive che definiscono la prescrivibilità dei medicinali, che non sempre si traduce in un'automatica rimborsabilità a carico del SSN.

Le ricordiamo, a tal proposito, che l'appropriatezza prescrittiva non può prescindere dalla conoscenza degli aggiornamenti regolatori dei medicinali, tenuto conto che una prescrizione farmacologica può essere considerata appropriata se effettuata all'interno delle indicazioni cliniche e modalità di utilizzo (dose, durata del trattamento, via di somministrazione) approvate da un'Autorità Regolatoria sulla base di un dimostrato profilo beneficio/rischio favorevole.

In questo numero...

- Nuovi farmaci ammessi alla rimborsabilità dal Consiglio di Amministrazione di AIFA 3
- Il Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati etici (CCNCE) pubblica la Relazione di attività 2024-2025 3
- Esclusione dei medicinali Confidex®, Pronativ®, Proplex® dall'elenco della Legge n. 648/1996 3
- Attivazione web e pubblicazione schede di monitoraggio - Registro Evkeeza® evinacumab 4
- Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Zynyz® 4
- Attivazione web e pubblicazione Registri Casgevy(R) 4
- Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Voydeya® 5
- Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Krazati® 5
- Focus Regione Sicilia 5
- Aggiornamenti n. 102 e n. 103 del PTORS 5
- Aggiornamento dell'elenco dei Referenti Locali per la Dispositivo-vigilanza 6

Newsletter mensile di Novità Regolatorie

<https://www.policlinicorodolicosanmarco.it/professionista/centro-di-farmacovigilanza/bollettini-novit-regolatorie-in-ambito-ospedaliero/>

<https://www.regione.sicilia.it/istituzioni/regione/strutture-regionali/assessorato-salute/dipartimento-pianificazione-strategica/bollettini-regolatori>

Direttore responsabile

Filippo Drago

Direttore P.I. di Farmacologia Clinica/Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Redazione

Laura Longo

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Daniela C. Vitale

Dirigente Farmacista Centro Regionale di Farmacovigilanza
AOU Policlinico "G. Rodolico – San Marco", Catania

Pubblicato il Rapporto sulle Attività dell'AIFA per il 2024

Sul portale dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) è stato pubblicato il rapporto 2024 con i dati e le attività principali del 2024 a confronto con i due anni precedenti. Il Rapporto comprende temi quali la valutazione dei medicinali, accesso, promozione dell'appropriatezza terapeutica, digitalizzazione dei servizi, informazione, comunicazione e trasparenza. Sono riportati, inoltre, i dati relativi ai diversi ambiti di operatività: tutela della salute attraverso i farmaci, ruolo internazionale e supporto all'innovazione, accesso alla rimborsabilità e alla governance farmaceutica, farmacovigilanza, promozione della ricerca indipendente, ispezione e controlli di qualità, vigilanza sull'informazione delle aziende farmaceutiche.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/1786663/Rapporto_AIFA_2024.pdf

Nuovi farmaci ammessi alla rimborsabilità dal Consiglio di Amministrazione di AIFA

Il Consiglio di Amministrazioni dell'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha ammesso alla rimborsabilità 2 nuovi farmaci: l'anticorpo monoclonale Piasky® (crovalimab), primo trattamento sottocutaneo per l'emoglobinuria parossistica notturna e Beyonttra® (acoramidis) per l'amiloidosi cardiaca da transtiretina (ATTR-CM). Sono stati inoltre approvati i primi biosimilari di denosumab (Izamby®, Junod® e Osvyrti®) per il trattamento di donne in post-menopausa e uomini ad alto rischio di fratture e per la perdita ossea legata ad alcune malattie oncologiche. Infine, la rimborsabilità di Reblozyl® (luspatercept) sarà estesa al trattamento dell'anemia trasfusione-dipendente dovuta a sindromi mielodisplastiche a rischio molto basso, basso e intermedio.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/farmaci-ammessi-alla-rimborsabilita-cda-aifa-08.10.2025>

Il Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati etici (CCNCE) pubblica la Relazione di attività 2024-2025

Il Centro di Coordinamento Nazionale dei Comitati Etici territoriali per le sperimentazioni cliniche sui medicinali per uso umano e sui dispositivi medici (CCNCE) ha pubblicato la Relazione di attività relativa al periodo ottobre 2024 - settembre 2025.

Il documento riassume tutte le attività svolte dal Comitato nel corso del periodo oggetto del report. Tra queste, rientrano le riunioni del comitato, gli aggiornamenti relativi al contratto per le sperimentazioni cliniche, i pareri e le risposte forniti ai Comitati Etici Territoriali (CET) e altri richiedenti che hanno sottoposto dei quesiti, i sondaggi, interviste e incontro con i CET e con i CEN, il monitoraggio dei CET.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/centro-coordinamento-comitati-etici>

Esclusione dei medicinali Confidex®, Pronativ®, Proplex® dall'elenco della Legge n. 648/1996

L'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA) ha disposto l'esclusione dei medicinali Confidex®, Pronativ®, Proplex®, a base di fattori IX, II, VII e X in associazione, dall'elenco istituito ai sensi della Legge n. 648/1996. La sentenza n. 6171 del Consiglio di Stato, sez. III, del 14 luglio 2025, ha infatti annullato la determina AIFA del 15 febbraio 2023 n. 20012 con cui tali farmaci erano stati inseriti nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale (SSN) per il trattamento di pazienti adulti trattati con anticoagulanti orali inibitori diretti del Fattore Xa (come PI, OX, AR) nei casi in cui si renda necessaria l'inattivazione rapida dell'effetto anticoagulante (per l'uso in interventi chirurgici o manovre invasive ad alto rischio di sanguinamento da eseguire in urgenza, con tempistiche non compatibili con la sola sospensione dell'anticoagulante; per situazioni di sanguinamento potenzialmente fatale o non controllato).

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.gazzettaufficiale.it/eli/id/2023/09/21/23A05259/sg>

Attivazione web e pubblicazione schede di monitoraggio - Registro Evkeeza®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA DET. PRES/1230/2025 (come da avviso in G.U. n. 230 del 03 ottobre 2025), a partire dal 04/10/2025 è aggiornato il Registro dedicato al monitoraggio del medicinale Evkeeza® (evinacumab) per le indicazioni ammesse alla rimborsabilità:

- *indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi e inferiore a 12 anni con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH).*
- *Indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con diagnosi di ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) con mutazione null/null e/o che non risultino a target di LDL-C dopo il trattamento con evolocumab oppure non risultino a target di LDL-C o non abbiano tollerato il trattamento con lomitapide.*

Si specifica che per le indicazioni sopra riportate è stato garantito l'accesso al Fondo per i farmaci innovativi (Legge n. 207 del 24 dicembre 2024)

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-registro-evkeeza-1>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1230-2025_EVKEEZA.pdf

Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Zynyz®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1280/2025 (come da avviso in G.U. n. 233 del 07 ottobre 2025), a partire dal 08/10/2025 è possibile utilizzare il medicinale Zynyz® (retifanlimab) mediante registro di monitoraggio per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità:

- *indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel (Merkel cell carcinoma - MCC) recidivato localmente avanzato non resecabile né candidabile a radioterapia.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-ed-aggiornamento-registri-di-monitoraggio-zynyz-mcc> https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1280-2025_ZYNYZ.pdf

Attivazione web e pubblicazione Registri Casgevy®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1249/2025 (come da avviso in G.U. n. 233 del 07 ottobre 2025), a partire dal 08/10/2025 è possibile utilizzare il medicinale Casgevy® (exagamglogene autotemcel), in regime di rimborsabilità SSN, mediante registro di monitoraggio per ciascuna delle seguenti indicazioni terapeutiche:

- *trattamento della β talassemia trasfusione dipendente (transfusion dependent β thalassemia, TDT) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e fino a 35 anni inclusi per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (haematopoietic stem cell, HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (human leukocyte antigen, HLA) compatibile.*
- *trattamento dell'anemia falciforme (sickle cell disease, SCD) severa in pazienti di età pari o superiore a 12 anni e fino a 35 anni inclusi con crisi vaso occlusive (vaso occlusive crises, VOC) ricorrenti, per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (HLA) compatibile.*

Si specifica che per l'indicazione sopra riportata è stato garantito l'accesso al Fondo per i farmaci innovativi (Legge n. 207 del 24/12/2024).

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-registri-casgevy-tdt-e-scd>
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1249-2025_CASGEVY.pdf

Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Voydeya®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1278/2025 (come da avviso in G.U. n. 233 del 07 ottobre 2025), a partire dal 08/10/2025 è possibile utilizzare il medicinale Voydeya® (danicopan) mediante registro di monitoraggio per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità:

- *indicato, in associazione con ravulizumab o con eculizumab, per il trattamento di pazienti adulti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che presentano anemia emolitica residua.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-ed-aggiornamento-registri-di-monitoraggio-voydeya-epn>
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1278-2025_VOYDEYA.pdf

Attivazione web ed aggiornamento Registri di monitoraggio Krazati®

A seguito dell'entrata in vigore della Determina AIFA n. PRES/1317/2025 (come da avviso in G.U. n. 245 del 21 ottobre 2025), a partire dal 22/10/2025 è possibile utilizzare il medicinale Krazati® (adagrasib) mediante registro di monitoraggio per l'indicazione ammessa alla rimborsabilità:

- *in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) avanzato con mutazione KRAS G12C e progressione della malattia dopo almeno una precedente terapia sistemica.*

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-ed-aggiornamento-registri-di-monitoraggio-krazati>
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1317-2025_KRAZATI.pdf

Focus Regione Sicilia

Aggiornamenti n. 102 e n. 103 del PTORS

Con le note prott. n. 44379 del 06/10/2025, n. 47674 del 24/10/2025 e n. 49003 del 31/10/2025 sono stati pubblicati dall'Assessorato Regionale della Salute gli aggiornamenti n. 102 e n. 103 del PTORS.

In particolare, con il suddetto aggiornamento sono stati inseriti nel Prontuario Regionale:

- Nuovi principi attivi: etranacogene dezaparvovec, rezafungin, etrasimod, cefepime+enmetazovbactam, aztreonam+avibactam, exagamglogene autotemcel, polvere sgrassata di semi di *Arachis hypogaea* L. (arachidi), retifanlimab, danicopan.
- Nuove indicazioni terapeutiche per: ivacaftor+tezacaftor+elexacaftor, ivacaftor, burosumab, faricimib, sacubitril/valsartan, osimertinib, letermovir, elbasvir+grazoprevir, evinacumab, vosoritide.
- Nuove formulazioni: levodopa+carbidopa+entecapone, maralixibat.

Si specifica che l'inserimento in PTORS dei suddetti medicinali è subordinato all'assegnazione del Codice identificativo Gara (CIG) da parte della Centrale Unica di Committenza (CUC)

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-pt-web-based-entresto-pazienti-pediatrici-insufficienza-cardiaca-cronica-sintomatica>
https://www.aifa.gov.it/documents/20142/961234/Determina_Pres-1112-2025_ENTRESTO.pdf

Aggiornamento dell'elenco dei Referenti Locali per la Dispositivo-vigilanza

Con Decreto n. 1090 del 13/10/2025, è stato aggiornato l'elenco dei Referenti Locali per la Dispositivo-Vigilanza.

Maggiori informazioni sono disponibili al seguente link:

<https://www.aifa.gov.it/-/attivazione-web-e-pubblicazione-schede-di-monitoraggio-exblifep-registro-semplificato>

https://www.aifa.gov.it/documents/20142/847786/Determina_Pres-1215-2025_EXBLIFEP.pdf