



*Giunta Regionale della Campania*

**DECRETO DIRIGENZIALE**

DIRETTORE GENERALE/  
DIRIGENTE UFFICIO/STRUTTURA

DIRIGENTE UNITA' OPERATIVA DIR. / DIRIGENTE  
STAFF

**Dott. Trama Ugo**

DECRETO N°	DEL	DIREZ. GENERALE / UFFICIO / STRUTT.	UOD / STAFF
<b>497</b>	<b>07/11/2022</b>	<b>4</b>	<b>6</b>

Oggetto:

***Prontuario Terapeutico Regionale P.T.R. - AGGIORNAMENTO OTTOBRE 2022.***

	Data registrazione	
	Data comunicazione al Presidente o Assessore al ramo	
	Data dell'invio al B.U.R.C.	
	Data invio alla Dir. Generale per le Risorse Finanziarie (Entrate e Bilancio)	
	Data invio alla Dir. Generale per le Risorse Strumentali (Sist. Informativi)	

PREMESSO

- a) che la Legge 16 novembre 2001, n. 405 “Conversione in legge, con modificazioni, del decreto-legge 18 settembre 2001, n. 347”, recante interventi urgenti in materia di spesa sanitaria, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 268 del 17 novembre 2001 all’art. 5 prevede che le Regioni attuino iniziative finalizzate al contenimento dei tetti di spesa e quindi si dotino di strumenti finalizzati a tale scopo;
- b) che il Prontuario Terapeutico Regionale (P.T.R.) è uno strumento dinamico di razionalizzazione dei consumi di farmaci oltre che diretto anche indiretto, perché la scelta ed il consumo di farmaci in strutture ospedaliere ha un’ampia influenza sia sulla spesa farmaceutica ospedaliera sia territoriale regionale;

VISTO

a) che, con la Delibera di Giunta Regionale n. 130 del 31 marzo 2021:

- è stato istituito il “*Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici*”, in sostituzione del precedente istituito con DCA 92 del 31.12.2011, al quale spetta il compito di predisporre aggiornamento periodico del Prontuario Terapeutico Regionale (P.T.R.), al fine di uniformare gli interventi in tutte le strutture sanitarie della Regione Campania, ampliando le competenze di quest’ultimo;
- è stata istituita una Segreteria scientifico-amministrativa con funzione di coordinamento e supporto al “*Tavolo Tecnico di Lavoro su Farmaci e Dispositivi Medici*”;
- è stato predisposto l’aggiornamento periodico dell’unico Prontuario Terapeutico Regionale (P.T.R.), ampliando le competenze di quest’ultimo anche in merito ai dispositivi medici al fine di uniformare gli interventi in tutte le strutture sanitarie della Regione Campania;

b) che, con Decreto Presidenziale della Regione Campania n. 163 del 27.12.2021, in conformità degli esiti dell’istruttoria della competente Direzione Generale per la Tutela della Salute e il Coordinamento del SSR, sono stati nominati i componenti del “*Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici*”;

c) che, con Decreto Presidenziale della Regione Campania n. 76 del 01.06.2022 è stata aggiornata la composizione del “*Tavolo Tecnico Regionale di Lavoro sui Farmaci e Dispositivi Medici*”;

d) che, con Decreto Dirigenziale della Giunta Regionale della Campania, Direzione Generale 04 Tutela della Salute e Coordinamento del SSR n. 127 dell’08.04.2022 è stato recepito il Regolamento Regionale su Farmaci e Dispositivi Medici, il quale costituisce linea guida per la redazione di un unico Prontuario Terapeutico Regionale (P.T.R.) costituito da un elenco di principi attivi farmacologici classificati secondo la nomenclatura ATC (Anatomica Terapeutica Chimica) e il Repertorio regionale dei DM secondo nomenclatura CND (Classificazione Nazionale dei Dispositivi Medici);

VISTI

a) la D.G.R.C. n. 665 del 08.10.2010 avente ad oggetto “Prontuario Terapeutico Ospedaliero Regionale (P.T.O.R.) 2009 – 2010. Aggiornamento e modifica della D.G.R.C. n. 348 del 15.03.2006 e ss.mm.ii.”;

b) gli aggiornamenti del P.T.O.R. effettuati con: Decreto Commissariale n. 56 del 07.06.2012, Decreto Commissariale n. 70 del 10.06.2013, Decreto Commissariale n. 24 del 03.06.2014, Decreto Commissariale n. 15 del 16.02.2015, Decreto Commissariale n. 1 del 10.02.2016, Decreto Commissariale n. 135 del 03.11.2016, Decreto Commissariale n. 73 del 21.12.2017, Decreto

Commissariale n. 82 del 18.10.2018, Decreto Commissariale n. 102 del 28.12.2018, Decreto Dirigenziale n. 27 del 05.02.2020, Decreto Dirigenziale n. 267 del 20.07.2021; Decreto Dirigenziale n. 380 del 22.10.2021; Decreto Dirigenziale n.356 del 25.07.2022.

CONSIDERATO che, come stabilito con la Delibera di Giunta Regionale n. 130 del 31 marzo 2021, per ricondurre il sistema all'unitarietà, che richiama all'indispensabile riorganizzazione delle varie Commissioni competenti in materia farmaceutica, è necessario predisporre il "Prontuario Terapeutico Regionale" (P.T.R.), inteso come uno strumento di governo dei percorsi terapeutici e dalla razionalizzazione della spesa farmaceutica ospedaliera e territoriale, tenendo conto della continuità terapeutica, con particolare riferimento all'appropriatezza e alla aderenza alla terapia successivamente alle dimissioni del paziente e presa in carico da parte del MMG e PLS e dei farmacisti di comunità;

#### RILEVATO

- a) che dopo l'aggiornamento effettuato con il Decreto Dirigenziale n. 356 del 25.07.2022 è seguita l'immissione in commercio di nuovi medicinali di rilevata e comprovata efficacia, rendendo necessario l'aggiornamento del "Prontuario Terapeutico Regionale" (P.T.R.);
- b) che, a seguito di tale immissione in commercio, sono pervenute le istanze di aggiornamento, modifica ed integrazione;
- c) che la Direzione Generale 04 – U.O.D. 06 Politica del farmaco e dispositivi ha avviato i lavori di aggiornamento del P.T.R., giusta Delibera di Giunta Regionale n. 130 del 31.03.2021;
- d) che a conclusione dei lavori effettuati, è stato prodotto, da tale tavolo tecnico, un elaborato che aggiorna i contenuti del P.T.R., denominato "P.T.R. PRONTUARIO TERAPEUTICO REGIONALE AGGIORNAMENTO OTTOBRE 2022", allegato al presente provvedimento per formarne parte integrante e sostanziale;

#### DECRETA

per quanto sopra esposto in premessa e che qui si intende integralmente riportato:

1. di aggiornare ed integrare il Prontuario Terapeutico Regionale (P.T. R.) vigente di cui alla DGRC n. 665 del 08.10.2010 e ss.mm.ii. qui precedentemente citate, con l'inserimento dei nuovi medicinali di rilevata e comprovata efficacia come da allegato, parte integrante e sostanziale del presente atto;
2. di trasmettere copia del presente provvedimento alle Direzioni Generali delle AA.SS.LL., delle AA.OO., delle AA.OO.UU. e degli IRCCS che sono tenute al recepimento del "P.T.R. Prontuario Terapeutico Regionale aggiornamento ottobre 2022" quale strumento di governo clinico, vincolante per le prescrizioni, somministrazioni ed erogazione di farmaci e dispositivi;
4. di inviare il presente provvedimento all'ufficio competente per la pubblicazione nella sezione TRASPARENZA - CASA DI VETRO del sito della Regione Campania.

DOTT. UGO TRAMA

**FARMACI CON ESTENSIONE DI  
INDICAZIONE**

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
N03AF04	Eslicarbazepina acetato	OS	A-RRL	PHT	<p>- terapia aggiuntiva negli adolescenti e nei bambini di età superiore ai 6 anni con crisi epilettiche a esordio parziale con o senza generalizzazione secondaria.</p> <p>- terapia aggiuntiva negli adolescenti e nei bambini di età superiore ai 6 anni con crisi epilettiche a esordio parziale con o senza generalizzazione secondaria</p>	Nota Prot. 2022. 0499219 del 12/10/22	U.O. di Neurologia e Neuropsichiatria infantile delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS e P.O. delle AA. SS. LL.	
L01XC33	Cemiplimab	EV	H-OSP	Registro AIFA	<p>- In monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con carcinoma basocellulare localmente avanzato o metastatico (laBCC o mBCC) la cui malattia è progredita o che sono intolleranti a un inibitore del pathway di Hedgehog (HHI).</p> <p>- In monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC) con espressione di PD-L1 (in <math>\geq 50\%</math> delle cellule tumorali), senza aberrazioni EGFR, ALK o ROS1, che presentano: NSCLC localmente avanzato e non sono candidati per la chemioradioterapia definitiva, oppure NSCLC metastatico.</p>	Nota Prot. 2022. 0486613 del 05/10/22	<p>Carcinoma basocellulare: U.O. di Oncologia e Oncologia Medica delle seguenti AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ad un GOM Tumore cutaneo non melanoma, aziendale o interaziendale, della ROC Rete Oncologica Campana. Cancro del polmone: U.O. di Oncologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ad un GOM polmone, aziendale o interaziendale, della ROC Rete Oncologica Campana.</p>	

L01EB04	Osimertinib	OS	H-RNRL	Innovatività terapeutica Registro AIFA	In monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante dopo resezione completa del tumore in pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio IB-IIIa il cui tumore presenta delezioni dell'esone 19 o mutazione sostitutiva dell'esone 21 (L858R) del recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR).	Nota Prot. 2022. 0486603 del 05/10/22	U.O. di Oncologia delle seguenti AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ad un GOM Polmone, aziendale o interaziendale, della ROC Rete Oncologica Campana e abilitate al Registro Aifa Tagrisso	
L04AA25	Eculizumab	EV	H-OSP	Malattia Rara codice esenzione RFG101 Innovatività Terapeutica Registro AIFA	- Trattamento di adulti affetti da disturbo dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD) in pazienti positivi agli anticorpi anti-acquaporina 4 (AQP4) con decorso recidivante della malattia. - Trattamento di adulti affetti da Miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)"	Nota Prot. 2022. 0499252 del 12/10/22	Indicazione Neuromielite ottica: U.O./Ambulatori di Neurologia delle AA.OO., AA.OO.UU., P.O. delle AA.SS.LL. individuati quali Centri per la Sclerosi Multipla Indicazione Miastenia Gravis generalizzata refrattaria (MGg): Presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara miastenia gravis- codice esenzione RFG101- afferente al gruppo Sindromi Miasteniche Congenite e Disimmuni	
L04AA44	Upadacitinib	OS	H-RNRL	Scheda prescrizione cartacea AIFA	Trattamento della spondilite anchilosante attiva nei pazienti adulti che hanno avuto una risposta inadeguata alla terapia convenzionale.	Nota Prot. 2022. 0499255 del 12/10/22	specialisti reumatologi/internista/dermatologo delle AA.SS.LL., AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS, già individuati quali centri prescrittori di farmaci biologici	
L04AA26	Belimumab	EV	H-RRL H-OSP	Registro AIFA	Nefrite lupica attiva in combinazione con terapie immunosoppressive.	Nota Prot. 2022. 0435301 del 06/09/22	U.O./Ambulatori di Nefrologia, Reumatologia, Immunologia, Medicina Interna delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS e presidi ospedalieri e territoriali delle ASL individuati per la prescrizione dei farmaci biologici in reumatologia	

J06BA02	Immunoglobulina umana normale	EV	H-OSP	Malattia Rara codice esenzione RF0180	Immunomodulazione in adulti, bambini e adolescenti (0-18) in caso di Poliradicoloneuropatia demielinizzante infiammatoria cronica.	Nota Prot. 2022. 0454840 del 16/09/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara Poliradicoloneuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP) codice esenzione RF0180 afferente a Malattie del Sistema Nervoso Centrale e Periferico	
L02BB04	Enzalutamide	OS	H-RNRL		Trattamento di uomini adulti con cancro della prostata metastatico ormono-sensibile (metastatic hormone-sensitive prostate cancer, mHSPC) in associazione con terapia di deprivazione androgenica.	Nota Prot. 2022. 0401454 del 03/08/22	UU.OO. di Oncologia e Urologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e Presidi Ospedalieri delle AA.SS.LL. che aderiscono ad un GOM "Prostata" attivato dalle aziende sanitarie di appartenenza oppure interaziendali	
R07AX32 R07AX02	Ivacaftor-Elezacaftor/ Tezacaftor/ Ivacaftor	OS	A-RNRL	Innovatività terapeutica Registro AIFA PHT	Kaftrio: è indicato in un regime di associazione con ivacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età da sei a minore di dodici anni che hanno almeno una mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR). Kalydeco: è in un regime di associazione con ivacaftor /tezacaftor/elexacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a sei e minore di dodici anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione F508del nel gene CFTR.	Nota Prot. 2022.0516483 del 20/10/22	Centri di riferimento regionale per la Fibrosi Cistica, istituiti con DGRC n. 1168/2001, presso AOU Federico II di Napoli, Centro Pediatrico c/o Dipartimento Clinico di Pediatria Generale Specialistica e Centro Fibrosi Cistica dell'Adulto - UOC Geriatria c/o DAI Emergenze Cardiovascolari e Medicina Clinica.	

FARMACI A-PHT

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
M05BX06	Romosozumab	SC	A-RRL	PHT Registro AIFA	trattamento dell'osteoporosi severa in donne in post-menopausa ad alto rischio di frattura.	Nota Prot. 2022. 0499225 del 12/10/22	U.O./Ambulatori di: Medicina Interna, Reumatologia, Endocrinologia, Ginecologia, Geriatria, Ortopedia, Fisiatria, Nefrologia delle AA.SS.LL., AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS.	

FARMACI CON REGISTRO AIFA

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
L01XX63	Glasdegib	OS	H-RNRL	Registro AIFA	In associazione a citarabina a basse dosi per il trattamento della leucemia mieloide acuta di nuova diagnosi, de novo oppure secondaria, in pazienti adulti non candidabili alla chemioterapia di induzione standard.	Nota Prot. 2022. 0401453 del 03/08/22	U.O./Ambulatori di Ematologia e Oncoematologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e Presidi Ospedalieri delle AA.SS.LL.	
L01EX22	Selpercatinib	OS	H-RNRL C-RNRL	Registro AIFA	- Cancro del polmone non a piccole cellule (NSCLC) avanzato RET fusione-positivo che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con immunoterapia e/ochemioterapia a base di platino. - Cancro della tiroide avanzato RET fusione-positivo che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con sorafenib e/o lenvatinib. - In monoterapia è indicato per il trattamento di adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con cancro midollare della tiroide (MTC) avanzato con mutazione di RET che richiede terapia sistemica dopo precedente trattamento con cabozantinib e/o vandetanib.	Nota Prot. 2022. 0442808 del 09/09/22	-Cancro del polmone: le U.O. di Oncologia e Oncologia Medica delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS PASCALE e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti a GOM polmone della ROC -Cancro della tiroide: le U.O. di Oncologia e Oncologia Medica delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS PASCALE e P.O. delle AA.SS.LL.aderenti a un GOM tiroide della ROC	
L01XY02	Pertuzumab/Trastuzumab	SC	H-OSP	Registro AIFA	- Uso in associazione con chemioterapia nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con carcinoma mammario HER2 positivo allo stadio iniziale ad alto rischio di recidiva. - In associazione con docetaxel in pazienti adulti con carcinoma mammario HER2 positivo, metastatico o localmente recidivato non operabile, non trattati in precedenza con terapia anti-HER2 o chemioterapia per la malattia metastatica.	Nota Prot. 2022. 0486606 del 05/10/22	U.O. di Oncologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ad un GOM Mammella, aziendale o interaziendale, della ROC Rete Oncologica Campana e abilitate al Registro AIFA Phesgo.	
L04AC19	Satralizumab	SC	H-RRL	Registro AIFA	In monoterapia o in associazione a terapia immunosoppressiva (TIS), per il trattamento dei disturbi dello spettro della neuromielite ottica (NMOSD), in pazienti adulti e adolescenti a partire dai dodici anni di età con sieropositività per le IgG anti-acquaporina-4 (AQP4-IgG).	Nota Prot. 2022. 0499237 del 12/10/22	Sono autorizzate alla prescrizione di ENSPRYNG, indicazione Neuromielite Ottica (NMOSD): U.O./Ambulatori di Neurologia delle AA.OO., AA.OO.UU., P.O. delle AA.SS.LL. individuati quali Centri per la Sclerosi Multipla	

L01FF07	Dostarlimab	EV	H-OSP	Registro AIFA	In monoterapia per il trattamento di pazienti adulte affette da cancro endometriale avanzato o ricorrente, con deficit del sistema di mismatch repair (dMMR)/elevata instabilità dei microsatelliti (MSI-H), progredito durante o dopo un precedente trattamento con un regime a base di platino.	Nota Prot. 2022. 0486607 del 05/10/22	Indicazione cancro endometriale: U.O. di oncologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ad un GOM endometrio, aziendale o interaziendale, della ROC Rete Oncologica Campana.	
---------	-------------	----	-------	---------------	---	---------------------------------------	--	--

FARMACI INNOVATIVI

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
L01FX17	Sacituzumab Govitecan	EV	H-OSP	Innovatività terapeutica Registro AIFA	In monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti con cancro della mammella triplo negativo metastatico o non resecabile (metastatic triple-negative breast cancer, mTNBC) che abbiano ricevuto in precedenza almeno due terapie sistemiche, almeno una delle quali per la malattia avanzata.	Nota Prot. 2022. 0436011 del 06/09/22	U.O. di Oncologia e Oncologia Medica delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS PASCALE e P.O. delle AA. SS. LL. aderenti a un GOM Mammella della ROC	
L01FX04	Ipilimumab	EV	H-OSP	Registro AIFA	in associazione a Nivolumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con mesotelioma maligno della pleura non resecabile	Nota Prot. 2022.0486622 del 05/10/22	UU.OO. di Oncologia delle seguenti AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ai GOM Mesotelioma della ROC Rete Oncologica Campana e abilitate al Registro Aifa Opdivo-Yervoy MPM	
L01FF01	Nivolumab	EV	H-OSP	Innovatività terapeutica Registro AIFA	In associazione ad Ipilimumab è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti con mesotelioma maligno della pleura non resecabile.	Nota Prot. 2022.0486622 del 05/10/22	UU.OO. di Oncologia delle seguenti AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e P.O. delle AA.SS.LL. aderenti ai GOM Mesotelioma della ROC Rete Oncologica Campana e abilitate al Registro Aifa Opdivo-Yervoy MPM	

L01FF02	Pembrolizumab	EV	H-OSP	Innovatività terapeutica Registro AIFA	Linfoma di Hodgkin classico (cHL)  In monoterapia per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 3 anni affetti da linfoma di Hodgkin classico recidivato o refrattario che abbiano fallito il trattamento con trapianto autologo di cellule staminali (ASCT) o a seguito di almeno due precedenti terapie quando ASCT non è un'opzione di trattamento.	Nota Prot. 2022. 0486618 del 05/10/22	U.O. di Ematologia/Oncoematologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS e P.O. delle AA.SS.LL. già individuate e abilitate al Registro Keytruda patologia linfoma di Hodgkin.	
L01XC19	Blinatumomab	EV	H-OSP	Innovatività terapeutica Registro AIFA	In monoterapia per il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a un anno con LLA da precursori delle cellule B in prima recidiva ad alto rischio, positiva per CD19, negativa per il cromosoma Philadelphia, come parte della terapia di consolidamento.	Nota Prot. 2022. 0486614 del 05/10/22	UU.OO. di Ematologia/Oncoematologia delle AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale e Presidi Ospedalieri delle ASL già individuati e abilitati al Registro Blincyto indicazione leucemia linfoblastica acuta (LLA).	
R07AX32 R07AX02	Ivacaftor-Elezacaftor/ Tezacaftor/ Ivacaftor	OS	A-RNRL	Innovatività terapeutica Registro AIFA PHT	Kaftrio: è indicato in un regime di associazione con ivacaftor per il trattamento della fibrosi cistica (FC) in pazienti di età da sei a minore di dodici anni che hanno almeno una mutazione F508del nel gene regolatore della conduttanza transmembrana della fibrosi cistica (CFTR). Kalydeco: è in un regime di associazione con ivacaftor /tezacaftor/elezacaftor compresse per il trattamento di adulti, adolescenti e bambini di età pari e superiore a sei e minore di dodici anni affetti da fibrosi cistica (FC) che hanno almeno una mutazione F508del nel gene CFTR.	Nota Prot. 2022.0516483 del 20/10/22	Centri di riferimento regionale per la Fibrosi Cistica, istituiti con DGRC n. 1168/2001, presso AOU Federico II di Napoli, Centro Pediatrico c/o Dipartimento Clinico di Pediatria Generale Specialistica e Centro Fibrosi Cistica dell'Adulto - UOC Geriatria c/o DAI Emergenze Cardiovascolari e Medicina Clinica.	

FARMACI PER MALATTIE RARE

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
N03AX26	Fenfluramina	OS	A-RNRL	Malattia Rara codice esenzione RF0061 Innovatività Terapeutica Piano terapeutico AIFA cartaceo	Trattamento delle crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet come terapia aggiuntiva ad altri medicinali antiepilettici per pazienti di età pari o superiore ai due anni	Nota Prot. 2022. 0435304 del 06/09/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara "Sindrome di Dravet (DS), codice esenzione RF0061 Malattie del Sistema Nervoso Centrale e Periferico	
A16AA04	Mercaptamina bitartrato	OS	H-RNRL	Malattia Rara codice esenzione RCG040 Scheda cartacea AIFA	Cistinosi nefropatica manifesta.	Nota Prot. 2022. 0454843 del 16/09/22	AA.OO. e AA.OO.UU. individuate come presidi di riferimento regionali, ai sensi del DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara codice esenzione RCG040 afferente a Malattie del Metabolismo	
L04AA54	Pegcetacoplan	EV	H-RRL	Malattia Rara codice esenzione RD0020 Innovatività Terapeutica Registro AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno tre mesi.	Nota Prot. 2022. 0454836 del 16/09/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara emoglobinuria parossistica notturna (EPN) codice esenzione RD0020 Malattie del sangue e degli organi ematopoietici	
A05AX05	Odevixibat sesquidrato	OS	H-RRL	Malattia Rara codice esenzione RIG010 Innovatività Terapeutica Registro AIFA	Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC) in pazienti di età pari o superiore ai sei mesi.	Nota Prot. 2022. 0466613 del 26/09/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara colestasi intraepatica progressiva familiare (PFIC) codice esenzione RIG010 Malattie dell'apparato digerente	

N03AX24	Cannabidiolo	OS	A-RNRL	Malattia Rara codice esenzione PHT	Terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età.	Nota Prot. 2022. 0499232 del 12/10/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come Presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per la malattia rara sclerosi tuberosa complessa (TSC), codice esenzione RN0750.	
M05BX07	Vosoritide	SC	H-RRL	Malattia Rara codice esenzione RNG050 Registro AIFA	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età pari e superiore ai due anni, le cui epifisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica.	Nota Prot. 2022. 0499245 del 12/10/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come Presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per le malattie rare Condrodistrofie congenite codice esenzione RNG050-Malattie Genetiche dello scheletro	
B02BD04	Fattore IX di coagulazione del sangue	EV	A-RRL	Malattia Rara codice esenzione RDG020 PHT	Trattamento e profilassi di episodi emorragici in pazienti da 12 anni in su affetti da emofilia B (deficit congenito di fattore IX).	Nota Prot. 2022. 0499241 del 12/10/22	AA.OO. e AA.OO.UU., individuate come Presidi di riferimento regionale, ai sensi della DGRC n. 1362/2005 e s.m.i., per il trattamento delle coagulopatie gravi, codice esenzione RDG020	

**FARMACI HIV**

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
J05AJ04	Cabotegravir	OS /IM	H- RNRL	Farmaci HIV	In associazione con rilpivirina compresse/iniettabile, è indicato per il trattamento a breve termine dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di tipo 1 negli adulti in soppressione virologica (HIV-1 RNA minore di 50 copie/mL) con un regime antiretrovirale stabile senza evidenza presente o passata di resistenza virale e di precedente fallimento virologico agli agenti della classe degli NNRTI e degli INI.	Nota prot. 2022 0516434 del 20/10/22	Centri ospedalieri o specialisti - infettivologi	
J05AJ04	Rilpivirina	IM	H- RNRL	Farmaci HIV	in associazione cabotegravir iniettabile per il trattamento del virus dell'immunodeficienza di tipo 1 (HIV-1) negli adulti in soppressione virologica (HIV-1 RNA < di 50 copie/mL) con un regime antiretrovirale stabile senza evidenza presente o passata di resistenza virale e di precedente fallimento virologico agli agenti della classe degli NNRTI e degli INI e senza precedenti fallimenti virologici con gli stessi.	Nota Prot. 2022.0516438 del 20/10/22	U.O. di Malattie Infettive delle AA.OO., AA.OO.UU., individuate quali centri prescrittori dei farmaci antiretrovirali per il trattamento dell'HIV	

FARMACI AD ACCESSO NON DIRETTO

ATC	Principio Attivo	Via Somm	Classe di rimborsabilità e regime di fornitura	Condizioni/ modalità di impiego	Indicazione terapeutica	Nota Regionale	Centri Prescrittori	Note
B03AC	Derisomaltosio ferrico	EV	H-OSP		Trattamento della carenza di ferro nelle seguenti condizioni: - quando le preparazioni di ferro per via orale sono inefficaci o non possono essere utilizzate; - quando vi è l'esigenza clinica di somministrare ferro rapidamente.	Nota prot. 2022. 0516451 del 20/10/22	Strutture ospedaliere e/o strutture ad esse assimilabili	
V08DA04	Perflutreno	Uso topico	H-OSP1		Valutazione struttura, funzione e perfusione cardiaca in eco riposo e sotto stress.	Nota Prot. 2022. 0542286 del 04/11/22	Strutture ospedaliere e/o strutture ad esse assimilabili delle AA.SS.LL., AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS	Limitazione d'uso nei casi in cui è controindicato l'utilizzo dell'esafioruro di zinco
G02AD06	Misoprostolo	OS	C-OSP		Induzione del travaglio	Nota prot. 2022. 0522149 del 25/10/22	U.O. di Ginecologia e Ostetricia delle AA.OO. , AA.OO.UU. E P.O. delle AA.SS.LL..	Accurata verifica della appropriatezza prescrittiva