

**ELENCO FARMACI EROGABILI A TOTALE CARICO DEL S.S.N. AI SENSI DELLA LEGGE 648/96 E RELATIVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE**

**Aggiornamento Novembre 2015**

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
3,4 diaminopiridina base	Trattamento sintomatico della sindrome miastenica di Lambert-Eaton (LEMS) negli adulti.	G.U. 31/01/12 n. 25
6-mercaptopurina (6-MP)	Pazienti affetti da malattia di Crohn con indicazione al trattamento immunosoppressivo con azatioprina (pazienti steroide-dipendenti/resistenti/intolleranti), ma che abbiano sviluppato intolleranza a tale farmaco.	G.U. 27/12/11 n. 300
Acido cis-retinoico	Trattamento adiuvante del neuroblastoma stadio 3° e 4° ad alto rischio, con remissione di malattia dopo chemioterapia e terapia chirurgica	G.U. 19/9/00 n. 219 Errata corrige 04/10/00 n. 232
Adalimumab (Humira)	Trattamento di pazienti con uveite severa refrattaria correlata ad Artrite Idiopatica Giovanile, che abbiano dimostrato intolleranza o resistenza al trattamento con infliximab.	G.U. 07/02/07 n. 31 G.U. 19/04/07 n. 91 (rettifica)
Adenosin-deaminasi (Adagen)	Immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeaminasi	G.U. 03/03/99 n. 51

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Afamelanotide	Trattamento della Protoporfiria Eritropoietica (EPP)	G.U. 15/05/10 n. 112 G.U. 16/05/12 n. 113 (proroga) G.U. 06/05/14 n. 103 (ulteriore proroga) G.U. 29/04/2015 n. 98 (proroga) G.U. 08/08/2015 n. 183 (ulteriore proroga)
anagrelide	Terapia di prima linea della trombocitemia essenziale in pazienti di età inferiore ai 40 anni.	G.U. 04/03/14 n. 52
Anakinra (Kineret)	Trattamento di pazienti affetti da sindromi auto infiammatorie in età pediatrica -TRAPS (TNFR-Associated Periodic Syndrome) non responders ai farmaci di prima scelta	G.U. 15/01/2015 n. 11
Ataluren (Translarna)	Trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsenso del gene per la distrofina in pazienti di età pari o superiore a 5 anni.	G.U. 17/12/14 n. 292
bevacizumab (Avastin)	Degenerazione maculare correlata all'età (AMD).	G.U. 16/02/2015 n. 38
bicalutamide	trattamento, in associazione ad un LH-RH analogo, di pazienti adulti affetti da carcinoma delle ghiandole salivari, recidivante e/o metastatico, che esprime recettori androgenici, già trattati con chemioterapia.	G.U. 7/10/14 n. 233
Biotina	Deficit multiplo di carbossilasi nelle due forme: deficit di biotinidasi, deficit di olocarbossilasi sintetasi	G.U. 10/02/01 n. 34
Bleomicina solfato	Trattamento dei cheloidi e delle cicatrici ipertrofiche.	G.U. 15/9/2014 n. 214

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Bosentan	Trattamento dell'ipertensione Polmonare Cronica Tromboembolica (IPCTE) inoperabile mediante intervento chirurgico di Endoarteriectomia Polmonare (EAP), IPCTE persistente dopo intervento chirurgico di EAP inefficace o recidiva di IPCTE dopo intervento chirurgico di EAP efficace ma non ripetibile	G.U. 28/02/13 n. 50
chetoconazolo	Trattamento dei pazienti con Sindrome di Cushing.	G.U. 15/05/14 n. 111
Ciclosporina A	Nefrite lupica	G.U. 20/12/99 n. 297
Cinacalcet cloridrato	Trattamento dell'ipercalcemia indotta da iperparatiroidismo secondario nei pazienti portatori di trapianto renale.	G.U. 20/07/11 n. 167
Cisteamina cloridrato (Cystadrops)	Prevenzione e rimozione dei depositi corneali di cristalli di cistina nella cistinosi nefropatica	G.U. 15/01/15 n. 11 G.U. 01/06/15 n. 125 G.U. 03/11/15 n. 256
Cisteamina cloridrato (Cystaran)	Prevenzione e rimozione dei depositi corneali di cristalli di cistina nella cistinosi nefropatica	G.U. 03/06/2015 n. 125
Cladribina (Litak)	- Mastocitosi sistemica aggressiva in terapia di prima linea o successiva; - Leucemia a mastcellule in terapia di prima linea o successiva.	G.U. 19/08/13 n. 193

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
crisantaspasi (Erwinase)	Trattamento di pazienti in età pediatrica affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA) che non tollerino il trattamento di prima linea con Asparaginasi da E. Coli e/o pegaspargasi.	G.U. 31/01/12 n. 25
crisantaspasi (Erwinase)	Trattamento di pazienti giovani/adulti affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA) che non tollerino il trattamento di prima linea con pegaspargasi.	G.U. 7/12/12 n. 286
dabrafenib (Tafinlar)	In associazione al trametinib per il trattamento dei pazienti adulti con melanoma inoperabile o metastatico positivo alla mutazione BRAF V600	G.U. 29/04/2015 n. 98
deferoxamina + deferiprone	Trattamento, in terapia combinata associata, del sovraccarico marziale in pazienti politrasfusi con talassemia intermedia o major.	G.U. 01/04/14 n. 76 G.U. 30/07/14 n. 175 (sospensione)
D-penicillamina	Terapia del Morbo di Wilson	G.U. 20/06/11 n. 141
D-penicillamina	Terapia della cistinosi/cistinuria, in tutti i casi in cui si ritenga indispensabile l'impiego di tale farmaco, in alternativa o in associazione con altri presidi terapeutici compatibili.	G.U. 20/07/11 n. 167
D-penicillamina	Terapia delle intossicazioni professionali, accidentali o terapeutiche da piombo ed oro. Test di Ohlsson per la diagnosi dell'intossicazione da piombo.	G.U. 20/07/11 n. 167

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Dexmedetomidina (Dexdor)	Trattamento di pazienti candidati ad awake surgery in neurochirurgia	G.U. 23/07/15 n.169
Eculizumab (Soliris)	Prevenzione delle recidive nei pazienti affetti da sindrome emolitica uremica atipica (SEUa).	G.U. 05/02/2015 n. 29
Eculizumab (Soliris)	Trattamento dell'emolisi intravascolare dei pazienti affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che non abbiano ricevuto in precedenza trasfusioni.	G.U. 12/12/08 n. 290 G.U. 05/01/09 n. 3 (rettifica)
Elosulfase alfa (Vimizim)	Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) per il trattamento della mucopolisaccaridosi di tipo IV A (MPS IV A, Sindrome di Morquio A).	G.U. 27/06/14 n. 147
Epoetina alfa e beta Eprex – epoetina alfa Neorecormon – epoetina beta	-Sindromi mielodisplastiche (MDS) -Anemia refrattaria (AR), con sideroblasti (RARS) e senza sideroblasti (RA)	G.U. 10/03/00 n. 58
Epoetina alfa (Binocrit)	Trattamento della Sindrome mielodisplastica	G.U. 9/04/2014 n. 83

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Fattore VIII porcino ricombinante depleto del dominio B (Obizur)	Trattamento degli episodi di sanguinamento nei pazienti con emofilia A acquisita non responsivi alla terapia con agenti bypassanti	G.U. 14/08/2015 n. 188
Fluoresceina sodica	Tracciante in ambito di neurochirurgia oncologica	G.U. 22/07/15 n.168
Idebenone	Trattamento della miocardiopatia nei pazienti affetti da Atassia di Friedreich.	G.U. 9/05/09 n. 106
Idrocortisone	Trattamento della sindrome degli spasmi infantili (sindrome di West)	G.U. 5/12/2013 n. 285
Idrossiurea	Trattamento di pazienti con beta talassemia non trasfusione-dipendente e con sindromi falcemiche che presentino una sintomatologia grave e/o invalidante	G.U. 9/06/06 n. 132
iloprost (Ventavis)	Ipertensione polmonare arteriosa secondaria a malattia del connettivo classe NYHA III non responsiva ai trattamenti orali (inibitori recettoriali dell'endotelina 1 e/o inibitore delle fosfodiesterasi 5).	G.U. 25/07/14 n. 171
imatinib mesilato	Trattamento dei neurofibromi plessiformi inoperabili in pazienti affetti da neurofibromatosi di tipo 1 (NF1).	G.U. 15/11/14 n. 266
imatinib	Trattamento di pazienti con cordomi in fase avanzata di malattia.	G.U. 26.02.2015 n. 47

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Immunoglobulina umana sottocutanea	Pazienti affetti da polineuropatia cronica infiammatoria demielinizzante (CIDP) nei quali sia opportuno proseguire il trattamento già iniziato per via sottocutanea.	G.U. 17/11/14 n. 267
Infliximab (Remicade)	Trattamento di pazienti con uveite severa refrattaria correlata ad Artrite Idiopatica Giovanile.	G.U. 07/02/07 n. 31 G.U. 19/04/07 n. 91 (rettifica)
Interferone alfa-2b ricombinante	Micosi fungoide	G.U. 14/04/03 n. 87
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b)	Particolari emangiomi che per sede e/o dimensione compromettano strutture vitali o determinino complicazioni che mettono in pericolo di vita.	G.U. 10/10/97 n. 237 G.U. 02/03/99 n. 50 (proroga)
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b)	Forme refrattarie della malattia di Behçet	G.U. 10/10/97 n. 237 G.U. 21/04/99 n. 92 (proroga)
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b)	Trattamento della trombocitemia essenziale per i pazienti non candidabili ai trattamenti ora disponibili sul mercato	G.U. 28/05/07 n. 122
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b)	In monoterapia nel trattamento dell'epatite acuta da HCV.	G.U. 14/11/09 n. 266

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Lamivudina	Profilassi della recidiva di epatite HBV correlata dopo trapianto di fegato, in pazienti HBV-DNA positivi prima del trapianto, in associazione con Ig G specifiche.	G.U. 19/9/00 n. 219 Errata corrige 04/10/00 n. 232
Lamivudina	Profilassi della riattivazione dell'epatite B in portatori inattivi di HBsAg in corso di terapia immunosoppressiva e di soggetti HBsAg-negativi e anti-HBc positivi candidati a terapie fortemente immunosoppressive, in quanto a rischio significativo di epatite B occulta passibile di riattivazione. Profilassi dell'epatite B in riceventi di trapianto epatico da donatori HBsAg negativi e anti-HBc positivi.	G.U. 29/4/10 n. 99
L-Arginina	Patologie conseguenti a difetti enzimatici del ciclo dell'urea	G.U. 02/03/99 n. 50 G.U. 10/03/00 n. 58 (passaggio da cloridrato a "base libera")
Lenalidomide (Revlimid)	Trattamento di pazienti con anemìa trasfusione-dipendente, dovuta a sindromi mielodisplastiche (MDS) a rischio basso o intermedio-1, con delezione del 5q, associata ad altre anomalie cromosomiche, quando altre opzioni terapeutiche sono insufficienti o inadeguate.	G.U. 11/11/08 n. 264 G.U. 7/12/10 n. 286 (Proroga) G.U. 15/09/14 n. 214 (Modifica)
Levocarnitina	Terapia dell'aciduria organica e difetti della beta-ossidazione degli acidi grassi.	G.U. 7/12/10 n. 286
Metilfenidato	Trattamento del disturbo da deficit dell'attenzione e iperattività (ADHD) negli adulti già in trattamento farmacologico prima del compimento del diciottesimo anno di età	G.U. 11/05/15 n. 107 G.U. 22/07/15 n.168 (rettifica)



PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Metotrexato	Trattamento medico della gravidanza ectopica	G.U. 21/01/08 n. 17
Mexiletina (Mexitil)	Nelle malattie neuromuscolari, per il trattamento delle miotonie distrofiche e non distrofiche da alterazione della funzione del canale del cloro o del sodio.	G.U. 28/08/2010 n. 201
Micofenolato mofetile	Malattia “trapianto verso ospite”, nella forma sia acuta che cronica, resistente o intollerante al trattamento di 1 <sup>a</sup> e 2 <sup>a</sup> linea, dopo trapianto allogenico di cellule staminali emopoietiche.	G.U. 19/9/00 n. 219 Errata corrige 04/10/00 n. 232
midazolam (Buccolam)	Trattamento di crisi convulsive acute prolungate in soggetti di età ≥ 18 anni, già sottoposti a terapia in età pediatrica.	G.U. 18/06/2014 n. 139
midazolam (Buccolam)	Trattamento di persone in età evolutiva, con età superiore ai 3 anni, con crisi febbrili convulsive prolungate.	G.U. 21/11/14 n. 271
Misoprostolo	Induzione medica dell’espulsione del materiale abortivo dopo aborto spontaneo del I trimestre.	G.U. 21/06/13 n. 144
Misoprostolo	Dilatazione della cervice uterina nell’interruzione terapeutica della gravidanza in associazione a mifepristone.	G.U. 16/11/13 n. 269

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Misoprostolo	Induzione del travaglio di parto a termine.	G.U. 10/11/14 n. 261
Mitotane (Lysodren)	Sindrome di Cushing grave (trattata con terapia radiante o in preparazione all'intervento chirurgico).	G.U. 05/09/00 n. 207
Nivolumab	Trattamento di seconda linea del carcinoma polmonare non a piccole cellule avanzato ad istologia squamosa	G.U. 22/09/15 n. 220 G.U. 22/10/15 n. 246 (rettifica)
Octreotide acetato	Diarrea secretoria refrattaria da sindrome dell'intestino corto e da pregressi interventi chirurgici sullo stomaco.	G.U. 14/06/99 n. 137 G.U.15/07/05 n.163 (modifica)
Octreotide	Ipotensione ortostatica grave in disfunzioni generalizzate del Sistema Nervoso Vegetativo	G.U. 15/06/00 n. 138
Octreotide acetato	Fistole pancreatiche	G.U. 08/05/01 n. 105 G.U.15/07/05 n.163 (modifica)
Octreotide nella formulazione a rilascio prolungato	Angiomatosi non suscettibile di altri trattamenti farmacologici e/o di asportazione chirurgica	G.U. 24/03/01 n. 70
peg-asparaginasi (Oncaspar)	Trattamento in prima linea di pazienti pediatrici/giovani/ adulti affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA)	G.U. 9/04/2014 n. 83

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Regorafenib (Stivarga)	Trattamento in terza linea terapeutica dei GIST metastatici non resecabili chirurgicamente o non rispondenti alle terapie attualmente validate (imatinib e sunitinib).	G.U. 16/12/14 n. 291
Ribavirina	Terapia della recidiva da HCV in pazienti già sottoposti a trapianto di fegato per epatopatia cronica C, in combinazione con interferone alfa ricombinante o peghilato o in monoterapia se esistono controindicazioni o intolleranza agli interferoni.	G.U. 20/12/99 n. 297 G.U. 13/04/11 n. 85 (rettifica)
Ribavirina	Terapia dell'epatite cronica e della cirrosi compensata da virus dell'epatite C, in combinazione con gli interferoni peghilati, nei pazienti con talassemia major o talassemia intermedia che necessitano di terapia trasfusionale.	G.U. 08/09/09 n. 208 G.U. 09/01/12 n. 6 (proroga)
Rituximab	Trattamento di pazienti affetti da pemfigo grave e refrattario ai comuni trattamenti immunosoppressivi.	G.U. 7/12/12 n. 286
Rituximab	Trattamento della crioglobulinemia mista HCV-correlata refrattaria alla terapia antivirale, crioglobulinemia mista HCV-correlata con gravi manifestazioni sistemiche, crioglobulinemia HCV-negativa.	G.U. 6/05/14 n. 103
Siero antilinfocitario di cavallo (ATGAM®)	Terapia dell' aplasia midollare acquisita, anche denominata anemia aplastica, dopo fallimento di trattamento con siero antilinfocitario di coniglio (Thymoglobuline).	G.U. 26/11/11 n. 276 G.U. 7/12/12 n. 286 (proroga) G.U. 16/12/14 n. 291 (proroga)

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
Teriparatide (Paratormone – PTH)	Terapia sostitutiva ormonale per la cura dell' ipoparatiroidismo cronico grave.	G.U. 18/6/13 n. 141
Tetrabenazina	Trattamento dei pazienti adulti con Sindrome di Gilles de la Tourette.	G.U. 18/4/14 n. 91
Tetraidrobiopterina	Iperfenilalaninemia da carenza congenita di 6-piruviltetraidropterina-sintetasi.	G.U. 02/12/98 n. 282
Tiopronina	Cistinuria in associazione all'alcalinizzazione delle urine.	G.U. 06/04/01 n. 81
Tireotropina alfa (Thyrogen)	<p>Somministrazione post-tiroidectomia in pazienti affetti da carcinoma differenziato della tiroide (CDT) in terapia ormonale soppressiva (THST) per il trattamento con iodio radioattivo (<sup>131</sup>I) delle lesioni secondarie loco-regionali e a distanza iodio-captanti, che presentino una delle seguenti condizioni:</p> <p>a) Incapacità di raggiungere adeguati livelli di TSH (valori superiori a 30 µUI/ml) da stimolazione endogena per condizioni cliniche concomitanti (ad es. ipopituitarismo primario o secondario, metastasi funzionanti);</p> <p>b) gravi condizioni cliniche potenzialmente aggravate dall'ipotiroidismo iatrogeno:</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• anamnesi positiva per ictus o TIA</li> <li>• franca cardiomiopatia (classe NYHA III o IV)</li> <li>• severa insufficienza renale (stadio 3 o superiore)</li> <li>• disturbi psichiatrici gravi (depressione grave, psicosi).</li> </ul>	G.U. 20/07/11 n. 167

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
tossina botulinica di tipo A	Spasticità, limitatamente alle forme non incluse nelle indicazioni autorizzate; iperidrosi focale primaria (palmare, plantare o facciale), limitatamente alle forme non incluse nelle indicazioni autorizzate; distonie focali e segmentarie, limitatamente alle forme non incluse nelle indicazioni autorizzate.	G.U. 28/07/14 n. 173 G.U. 17/10/14 n. 242 (modifica)
Trientine dicloridrato	Trattamento del Morbo di Wilson per i pazienti per i quali la D-penicillamina sia inefficace, insufficientemente efficace, non tollerata o controindicata,	G.U. 03/11/99 n. 258 G.U. 09/05/08 n. 108 (modifica) G.U. 20/07/11 n. 167 (ulter. modif.)
Triossido di arsenico (Trisenox)	Trattamento della Leucemia Acuta Promielocitica (LAP) come terapia di prima linea, in combinazione con ATRA (Acido All- Trans Retinoico) in pazienti con diagnosi confermata geneticamente e non ad alto rischio (globuli bianchi $\leq 10 \times 10^9/L$ ).	G.U. 10/07/2014 n. 158
Valganciclovir	Trattamento "pre-emptive" dell'infezione da CMV in pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo o di cellule staminali emopoietiche.	G.U. 04/10/07 n. 231 G.U. 21/01/08 n. 17 (modifica)
Vemurafenib (Zelboraf)	Trattamento di pazienti adulti con melanoma inoperabile o metastatico positivo alla mutazione del BRAF V600 in associazione al cobimetinib	G.U. 03/11/15 n. 256
Vinblastina solfato	Trattamento di pazienti pediatrici affetti da glioma a basso grado associato o meno a neurofibromatosi di tipo 1 alla recidiva o refrattari dopo aver ricevuto almeno un precedente regime terapeutico e qualora non vi siano altre possibilità di trattamento prevedibilmente in grado di offrire una risposta duratura.	G.U. 12/11/15 n. 264
Zinco solfato	Morbo di Wilson in pazienti non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato.	G.U. 10/03/00 n. 58 G.U. 23/04/08 n. 96 (modifica) G.U. 03/05/08 n. 103 Errata corrige