

LISTA FARMACI MALATTIE RARE

Aggiornamento 7 giugno 2018

LINK DETERMINAZIONE	RETTIFICA	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	GAZZETTA UFFICIALE
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/diaminopir_alxsito.pdf		3,4 diaminopiridina base	Trattamento sintomatico della sindrome miastenica di Lambert-Eaton (LEMS) negli adulti.	G.U. 31/01/12 n. 25
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/purinetho_alxsito.pdf		6-mercaptopurina (6-MP)	Pazienti affetti da malattia di Crohn con indicazione al trattamento immunosoppressivo con azatioprina (pazienti steroideo-dipendenti/resistenti/intolleranti), ma che abbiano sviluppato intolleranza a tale farmaco.	G.U. 27/12/11 n. 300
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Determia_ATALURE N.pdf		Ataluren (Translarna)	Trattamento della distrofia muscolare di Duchenne causata da una mutazione nonsense del gene per la distrofina in pazienti di età pari o superiore a 5 anni.	G.U. 17/12/14 n. 292 G.U. 07/01/16 n. 4 (proroga)
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Determina%20bose ntan.pdf		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 chir	G.U. 28/02/13 n. 50
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/allegato%201_CYST Adrops.pdf		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. 03/11/15 n. 256 G.U. 01/06/15 n. 125
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/DETERMINAZIONE_18_MAGGIO_201-CYSTARAN_03.06.2015.pdf		Cisteamina cloridrato (Cystaran)	Prevenzione e rimozione dei depositi corneali di cristalli di cistina nella cistinosi nefropatica	G.U. 03/06/2015 n. 125
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/cladribina.pdf		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
http://www.aifa.gov.it/sites/default/files/Allegato1_deferiprone_deferoxamina.pdf		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) G.U. 12/06/2017 n. 134 (annullamento della sospensione)
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/morbo_di_wilsonallxsito.pdf		D-penicillamina	Terapia del Morbo di Wilson	G.U. 20/06/11 n. 141
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/cistinuriaallxsito.pdf		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
		Eculizumab (Soliris)	Prevenzione delle recidive nei pazienti affetti da sindrome emolitica uremica atipica (SEUa).	G.U. 05/02/2015 n. 29
http://www.aifa.gov.it/sites/default/files/Allegato1_edaravone.pdf		Edaravone	Trattamento della sclerosi laterale amiotrofica	G.U. 03/07/2017 n. 153 G.U. 28/05/2018 n. 122
http://www.aifa.gov.it/sites/default/files/allegato1Novoseven.pdf		Eptacog alfa (NovoSeven)	Profilassi degli eventi emorragici in pazienti affetti da emofilia B congenita.	G.U. 12/06/2017 n. 134
		Everolimus	Trattamento di neoplasie neuroendocrine di origine polmonare e gastrointestinale (metastatico o non operabile), in progressione di malattia dopo analoghi della somatostatina	G.U. 28/12/2016 n. 302
		Idebenone	Trattamento della miocardiopatia nei pazienti affetti da Atassia di Friedreich.	G.U. 9/05/09 n. 106
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/idrocortisone.pdf		Idrocortisone	Trattamento della sindrome degli spasmi infantili (sindrome di West)	G.U. 5/12/2013 n. 285
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/tipo_filedea1.pdf		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
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/tipo_file4a18.pdf		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)
		Lenalidomide (Revlimid)	Trattamento di pazienti con anemias trasfusione-dipendenti, 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 inad	G.U. 11/11/08 n. 264 G.U. 7/12/10 n. 286 (Proroga) G.U. 15/09/14 n. 214 (Modifica)
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/tipo_file2cff.pdf		Mitotane (Lysodren)	Sindrome di Cushing grave (trattata con terapia radiante o in preparazione all'intervento chirurgico).	G.U. 05/09/00 n. 207
		Pomalidomide	Trattamento dell'amiloidosi a catene leggere (AL), in pazienti già trattati con terapia a base di bortezomib e di lenalidomide	G.U. 04/06/2018 n. 127
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/rituximab.pdf		Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento di pazienti affetti da pemfigo grave e refrattario ai comuni trattamenti immunosoppressivi.	G.U. 7/12/12 n. 286 G.U. 29/12/17 n.302

http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/rituximab_0.pdf		Rituximab originatore o biosimilare	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 G.U. 29/12/17 n.302 (biosimilare)
http://www.aifa.gov.it/sites/default/files/Determinazione_23.02.2018_rituximab_16.03.2018.pdf		Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della neuromielite ottica	G.U. 05/03/2018 n.53
		Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della polineuropatia associata ad anticorpi anti-MAG	G.U. 22/10/2018 n. 246
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/Determina_tetrabenazina_del_01.04.2014.pdf		Tetrabenazina	Trattamento dei pazienti adulti con Sindrome di Gilles de la Tourette.	G.U. 18/4/14 n. 91
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/tipo_file7c33.pdf		Tetraidrobiopterina	Iperfenilalaninemia da carenza congenita di 6-piruviltetraidroppterina-sintetasi.	G.U. 02/12/98 n. 282
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/tipo_file679.pdf		Tiopronina	Cistinuria in associazione all'alcalinizzazione delle urine.	G.U. 06/04/01 n. 81
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/trientinomodifallxsito_2.pdf		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.)
http://www.agenziafarmaco.gov.it/sites/default/files/znsolfato130508.pdf	<u>Errata Corrige n. 103 del 03/05/2008</u>	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