



Direzione: SALUTE E INTEGRAZIONE SOCIO SANITARIA

Area: FARMACI E DISPOSITIVI

DETERMINAZIONE - GSA (con firma digitale)

N. G13986 del 22/10/2024

Proposta n. 37308 del 14/10/2024

Oggetto:

Farmaci erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale -SSN ai sensi della L.648/96, recepimento elenco AIFA settembre 2024.

Proponente:

Estensore	GIULIANI MARCELLO	_____firma elettronica_____
Responsabile del procedimento	GIULIANI MARCELLO	_____firma elettronica_____
Responsabile dell' Area	M. MENSURATI	_____firma digitale_____
Direttore Regionale	A. URBANI	_____firma digitale_____

Firma di Concerto

Oggetto: Farmaci erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale –SSN ai sensi della L.648/96; recepimento elenco AIFA settembre 2024.

**Il Direttore della Direzione Regionale
Salute e Integrazione Sociosanitaria**

Su proposta dell'Area Farmaci e dispositivi;

VISTA la L.R. del 18 febbraio 2002, n. 6 e successive modifiche ed integrazioni;

VISTO il Regolamento Regionale 6 settembre 2002, n.1 *“Regolamento di organizzazione degli uffici e dei servizi della Giunta Regionale” e successive modifiche ed integrazioni;*

VISTA la Deliberazione della Giunta Regionale 25 maggio 2023, n. 234 con la quale è stato conferito l’incarico di Direttore della Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria al dott. Andrea Urbani;

CONSIDERATO che, ai fini di perseguire gli obiettivi di efficacia, di imparzialità, di pubblicità e di trasparenza propri della Legge 7 agosto 1990, n.241, il Responsabile della istruttoria del presente provvedimento è il dr. Marcello Giuliani, funzionario dell’Area Risorse Farmaceutiche della Direzione Regionale Salute e Politiche Sociali;

VISTA la Legge 23 dicembre 1996, n. 648 "Conversione in legge del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, recante misure per il contenimento della spesa farmaceutica e la rideterminazione del tetto di spesa per l'anno 1996" pubblicata nella Gazzetta Ufficiale n. 300 del 23 dicembre 1996;

TENUTO CONTO della nota della Direzione Regionale Salute e Politiche Sociali n.391033 del 8.7.2014 con cui è stato comunicato alle strutture sanitarie del Lazio la creazione nel sito web della Regione Lazio di uno specifico link, all’interno dell’area “Farmaci” dedicato ai farmaci di cui alla legge 648/96;

VISTA la Determinazione G1970 del 26.02.2024 inerente “Farmaci erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale –SSN ai sensi della L.648/96 recepimento elenco AIFA febbraio 2024”;

CONSIDERATO che l’Agenzia Italiana del Farmaco –AIFA ha aggiornato al 24 settembre 2024 sul proprio sito web www.aifa.it l’elenco dei medicinali di cui alla L.648/96;

TENUTO CONTO che sono stati inseriti nuovi principi attivi per le indicazioni terapeutiche specifiche come indicato nello schema sottostante:

Principio attivo	Indicazione terapeutica	Gazzetta Ufficiale
Abiraterone	Trattamento del carcinoma prostatico metastatico ormono-sensibile (mHSPC), ad alto volume, in associazione a docetaxel e terapia androgeno-deprivativa	G.U. 04/04/2024 n. 79
Alteplase (Alteplase 50 mg Lyophilized powder in single dose vial for reconstitution)	Trattamento dell'ictus ischemico acuto entro 4,5 ore dall'insorgenza dei sintomi.	G.U. 04/04/2024 n. 79

Blinatumomab (Blincyto)	In monoterapia per il trattamento di pazienti pediatriche di nuova diagnosi di leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B, definiti ad alto rischio sulla base dei criteri identificati nel protocollo AIEOP-BFM 2017, come parte della terapia di consolidamento	G.U. 07/09/2024 n. 210
Crizotinib	Trattamento dei pazienti con linfoma anaplastico ALK+	G.U. 12/03/2022 n. 60 G.U. 07/09/2024 n. 210 (proroga)
Dabrafenib + Trametinib	Trattamento dei pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari, localmente avanzato o metastatico, positivo alla mutazione BRAF V600E, in progressione ad almeno due linee di trattamento per malattia metastatica.	G.U. 24/07/2024 n. 172
Dabrafenib + Trametinib	Trattamento di gliomi ad alto grado	G.U. 24/07/2024 n. 172
Omaveloxolone (Skyclarys)	Trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni.	G.U. 10/07/2024 n. 160
Pembrolizumab e Lenvatinib	Trattamento del carcinoma anaplastico della tiroide localmente avanzato, metastatico e/o ricorrente	G.U. 27/08/2024 n. 200
Ramucirumab (Cyramza)	In combinazione con gemcitabina, per il trattamento di seconda linea nei pazienti con mesotelioma maligno della pleura, non resecabile, in progressione dopo trattamento con un regime di chemioterapia di prima linea con un composto del platino (cisplatino/carboplatino) in combinazione con pemetrexed	G.U. 23/09/2024 n. 223
Sorafenib	Trattamento di mantenimento post-trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti affetti da leucemia mieloide acuta ad alto rischio di recidiva	G.U. 24/07/2024 n. 172
Talidomide	Trattamento delle angiodisplasie gastrointestinali	G.U. 24/07/2024 n. 172

TENUTO CONTO che sono stati eliminati alcuni principi attivi dall'elenco di cui alla determinazione G1970 del 26.02.2024 come indicato nello schema sottostante:

Principio attivo	Indicazione terapeutica
Cabozantinib	Trattamento di pazienti con carcinoma tiroideo differenziato resistente alla terapia con radioiodio, in progressione dopo un massimo di due precedenti linee di terapie con farmaci mirati contro il recettore del fattore di crescita endoteliale vascolare (VEGFR).
Misoprostolo	Induzione del parto a termine.

RITENUTO necessario recepire con provvedimento dirigenziale l'elenco dei medicinali di cui alla L.648/96 pubblicato sul sito web dell'AIFA aggiornato al 24 settembre 2024 al fine di darne formale comunicazione alle strutture sanitarie;

Per quanto espresso in premessa, che si intende integralmente riportato,

DETERMINA

L'elenco dei medicinali erogabili a carico del SSN secondo quanto previsto dalla L.648/96 denominato "ELENCO FARMACI EROGABILI A TOTALE CARICO DEL S.S.N. AI SENSI DELLA LEGGE 648/96 E RELATIVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE – Aggiornamento al 24 settembre 2024", in formato excel allegato al presente provvedimento di cui ne fa parte integrante, sostituisce l'elenco di cui alla Determinazione G1970 del 26.02.2024.

La presente determinazione verrà pubblicata nel Bollettino Ufficiale della Regione Lazio e portata a conoscenza delle Aziende UU.SS.LL. ed Ospedaliere, agli IRCCS, agli Ospedali Classificati, agli Ordini Professionali dei Farmacisti e dei Medici e resa disponibile sul sito web della Regione Lazio all'indirizzo www.regione.lazio.it nel link dedicato alla Sanità. tra gli argomenti "Sanità" e nel successivo link dedicato a "Medicinali erogabili a carico SSN secondo L.648/96" dell'Area "Farmaci".

Il Direttore Regionale
Andrea Urbani

Copia

**ELENCO FARMACI EROGABILI A TOTALE CARICO DEL S.S.N. AI SENSI DELLA LEGGE 648/96 E
RELATIVE INDICAZIONI TERAPEUTICHE
Aggiornamento 24 settembre 2024**

Struttura Sanitaria:		Anno:	
		Trimestre di riferimento:	

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
3,4 diaminopiridina base	Trattamento sintomatico della sindrome miastenica di Lambert-Eaton (LEMS) negli adulti.			
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.			
Abiraterone	Trattamento del carcinoma prostatico metastatico ormono-sensibile (mHSPC), ad alto volume, in associazione a docetaxel e terapia androgeno-deprivativa			
Acido cis-retinoico	Trattamento adiuvante del neuroblastoma stadio 3° e 4° ad alto rischio, con remissione di malattia dopo chemioterapia e terapia chirurgica			
Alteplase (Actilyse)	Trattamento dei pazienti con ictus ischemico acuto di età superiore agli 80 anni			
Alteplase (Alteplase 50 mg Lyophilized powder in single dose vial for reconstitution)	Trattamento dell'ictus ischemico acuto entro 4,5 ore dall'insorgenza dei sintomi.			
Anagrelide	Terapia di prima linea della trombocitemia essenziale in pazienti di età inferiore ai 40 anni.			
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			
Anakinra (Kineret)	Pericardite idiopatica ricorrente cortico-dipendente e colchicina- resistente			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Analoghi dell'ormone di rilascio delle gonadotropine (triptorelina, goserelina, leuprolide)	Preservazione della funzionalità ovarica nelle donne in pre-menopausa affette da patologie neoplastiche che debbano sottoporsi a trattamento chemioterapico in grado di causare menopausa precoce e permanente e per le quali opzioni maggiormente consolidate di preservazione della fertilità (crioconservazione di ovociti) non siano considerate adeguate. Il trattamento con analoghi dell'ormone di rilascio delle gonadotropine deve essere proposto dopo un'accurata valutazione, in ogni singolo caso, del rapporto rischio-beneficio, con particolare riguardo al rischio oncologico in donne affette da neoplasie ormono-sensibili.			
Analoghi dell'ormone di rilascio delle gonadotropine (triptorelina, goserelin, leuprolide)	Preservazione della funzionalità ovarica nelle pazienti post-puberali, di età inferiore o uguale ai 18 anni, affette da patologie neoplastiche, che richiedono trattamento chemioterapico associato al rischio di induzione dell'amenorrea e per le quali opzioni maggiormente consolidate di preservazione della fertilità (crioconservazione di ovociti) non siano considerate adeguate.			
Baricitinib	Trattamento dei pazienti adulti ospedalizzati con COVID-19 grave, in ossigenoterapia ad alti flussi o in ventilazione meccanica non invasiva, e/o con livelli elevati degli indici di infiammazione sistemica, nel caso di carenza del medicinale tocilizumab			
Bendamustina	Trattamento del linfoma diffuso a grandi cellule B primitivo o trasformato da forme a basso grado, recidivato/refrattario (≥2 linee di terapia), in combinazione con rituximab con o senza citarabina			
Bevacizumab (Avastin o Mvasi o Alymsys o Oyavas o Abevmy o Vegzelma)	Degenerazione maculare correlata all'età (AMD).			
Bevacizumab (Avastin o Mvasi o Alymsys o Oyavas o Abevmy o Vegzelma)	Trattamento della compromissione visiva dovuta a edema maculare diabetico			
Bevacizumab (Avastin o Mvasi o Alymsys o Oyavas o Abevmy o Vegzelma)	Preparazione alla vitrectomia per le complicanze della retinopatia diabetica proliferante in cui non è presente edema maculare (emovitreo e/o distacco trattativo).			
Bevacizumab (originatore o biosimilare)	Trattamento della neurofibromatosi di tipo 2			
Bevacizumab (originatore o biosimilare)	Trattamento della radionecrosi in pazienti con tumori primitivi e secondari del sistema nervoso centrale e del distretto testa-collo.			
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.			
Biotina	Deficit multiplo di carbossilasi nelle due forme: deficit di biotinidasi, deficit di olocarbossilasi sintetasi			
Bleomicina solfato	Trattamento dei cheloidi e delle cicatrici ipertrofiche.			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Blinatumomab (Blincyto)	In monoterapia per il trattamento di pazienti pediatrici di nuova diagnosi di leucemia linfoblastica acuta (LLA) da precursori delle cellule B, definiti ad alto rischio sulla base dei criteri identificati nel protocollo AIEOP-BFM 2017, come parte della terapia di consolidamento			
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			
Brentuximab vedotin	Trattamento di pazienti pediatrici affetti da Linfoma di Hodgkin CD30+ recidivato e/o refrattario. Trattamento di pazienti pediatrici affetti da Linfoma anaplastico a grandi cellule CD30 + recidivato e/o refrattario			
Carboplatino + Paclitaxel	Trattamento del carcinoma del timo			
Cetuximab (Erbix)	Somministrazione quindicinale (EOW) a un dosaggio di 500 mg/m2 in tutte le indicazioni autorizzate per il trattamento di pazienti affetti da carcinoma metastatico del colon-retto.			
Cetuximab (Erbix)	Somministrazione quindicinale (EOW) a un dosaggio di 500 mg/m2 nella fase di mantenimento in monoterapia per il trattamento della malattia ricorrente e/o metastatica da carcinoma a cellule squamose di testa e collo.			
Ciclosporina A	Nefrite lupica			
Cinacalcet cloridrato	Trattamento dell'ipercalcemia indotta da iperparatiroidismo secondario nei pazienti portatori di trapianto renale.			
Ciproterone	Impiego nel processo di femminilizzazione di donne transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una equipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Cladribina (Litak)	- Mastocitosi sistemica aggressiva in terapia di prima linea o successiva; - Leucemia a mastcellule in terapia di prima linea o successiva.			
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.			
Crisantaspasi (Erwinase)	Trattamento di pazienti giovani/adulti affetti da Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA) che non tollerino il trattamento di prima linea con pegaspargasi.			
Crizotinib	Trattamento dei pazienti con linfoma anaplastico ALK+			
Crizotinib	Trattamento dei pazienti con linfoma anaplastico ALK+			
Dabrafenib + Trametinib	Trattamento del carcinoma anaplastico della tiroide.			
Dabrafenib + Trametinib	Trattamento dei pazienti adulti affetti da carcinoma delle vie biliari, localmente avanzato o metastatico, positivo alla mutazione BRAF V600E, in progressione ad almeno due linee di trattamento per malattia metastatica.			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Dabrafenib + Trametinib	Trattamento di gliomi ad alto grado			
Deferoxamina + Deferiprone	Trattamento, in terapia combinata associata, del sovraccarico marziale in pazienti politrasfusi con talassemia intermedia o major.			
D-penicillamina	Terapia del Morbo di Wilson			
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.			
D-penicillamina	Terapia delle intossicazioni professionali, accidentali o terapeutiche da piombo ed oro. Test di Ohlsson per la diagnosi dell'intossicazione da piombo.			
Dexmedetomidina (Dexdor)	Trattamento di pazienti candidati ad awake surgery in neurochirurgia			
Dexmedetomidina (Dexdor)	Analgosedazione procedurale al di fuori della Sala Operatoria (Non Operating Room Anestesia NORA) nel bambino con gestione difficile della via aerea e nel bambino con disturbi convulsivi che deve essere sottoposto a studi diagnostici per localizzare i foci epilettogeni e analgosedazione del neonato e del bambino critico ricoverati in terapia intensiva, ventilati meccanicamente e scarsamente responsivi al trattamento analgosedativo convenzionale			
Dexmedetomidina (Dexdor)	Impiego in pazienti affetti da malattia di Parkinson sottoposti a deep brain stimulation.			
Diclofenac	Profilassi della pancreatite post colangiopancreatografia retrograda endoscopica			
Dinutuximab	Trattamento del neuroblastoma recidivante o refrattario, con o senza malattia residua e in pazienti che non hanno conseguito una risposta completa dopo terapia di I linea, senza co-somministrazione di interleuchina 2 (IL-2)			
Dostarlimab	Trattamento dell'adenocarcinoma localmente avanzato del retto (LARC) (stadio II-III) con MSI-H			
Eculizumab (Soliris)	Prevenzione delle recidive nei pazienti affetti da sindrome emolitica uremica atipica (SEUa).			
Elapegamase-IvIr (Revcovi)	Trattamento della immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeaminasi			
Emicizumab (Hemlibra)	Trattamento dell'emofilia A acquisita			
Eparine a basso peso molecolare originatore o biosimilare	Profilassi del tromboembolismo in gravidanza e puerperio per le pazienti a rischio.			
Epoetina alfa (Eprex)	Sindrome mielodisplastica			
Epoetina alfa (Binocrit)	Sindrome mielodisplastica			
Epoetina beta (NeoRecormon)	-Sindromi mielodisplastiche (MDS) -Anemia refrattaria (AR), con sideroblasti (RARS) e senza sideroblasti (RA)			
Epoetina beta (NeoRecormon)	Sindrome mielodisplastica			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Eptacog alfa (NovoSeven)	Profilassi degli eventi emorragici in pazienti affetti da emofilia B congenita			
Estradiolo, estradiolo emiidrato, estradiolo valerato	Impiego nel processo di femminilizzazione di donne transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una equipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Etuvetidigene autotemcel/Telethon 003	Trattamento di pazienti, di età pari o superiore a 6 mesi di vita, affetti dalla forma severa della Sindrome di Wiskott-Aldrich, aventi una mutazione a carico del gene WAS e per i quali non è disponibile un idoneo donatore familiare HLA-identico di cellule staminali ematopoietiche.			
Fluoresceina sodica	Tracciante in ambito di neurochirurgia oncologica			
5-Fluorouracile	Resuscitare bozze congiuntivali fallite in pregressi interventi di trabeculectomia.			
Foscarnet (Foscavir)	Trattamento della riattivazione del citomegalovirus nei pazienti sottoposti a trapianto di cellule staminali ematopoietiche, che non possono assumere ganciclovir			
Fostemsavir	Trattamento, in associazione ad altri antiretrovirali, di pazienti con infezione HIV e virus multi-resistente (MDR), in fallimento virologico.			
Idrocortisone	Trattamento della sindrome degli spasmi infantili (sindrome di West)			
Idrossiurea	Trattamento di pazienti con beta talassemia non trasfusione-dipendente e con sindromi falcemiche che presentino una sintomatologia grave e/o invalidante			
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).			
Iloprost	Trattamento a domicilio dei pazienti secondo le indicazioni terapeutiche già autorizzate			
Imatinib mesilato	Trattamento dei neurofibromi plessiformi inoperabili in pazienti affetti da neurofibromatosi di tipo 1 (NF1).			
Imatinib	Trattamento di pazienti con cordomi in fase avanzata di malattia.			
Imatinib	Trattamento del melanoma ckit mutato (esone 11 o 13), metastatico inoperabile, non trattabile o in progressione con immunoterapia.			
Immunoglobulina umana normale (IVIg)	Trattamento dell'encefalite di Rasmussen			
Indometacina	Profilassi della pancreatite post colangiopancreatografia retrograda endoscopica			
Infliximab (originatore o biosimilare)	Trattamento di pazienti con uveite severa refrattaria correlata ad Artrite Idiopatica Giovanile.			
Infliximab (originatore o biosimilare)	Trattamento dei pazienti con sarcoidosi severa e/o con localizzazioni potenzialmente fatali che hanno fallito la I e II linea di trattamento (steroidi e agenti citotossici)			
Interferone alfa 2b ricombinante - Peginterferone alfa 2 a	Micosi fungoide			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b) - Peginterferone alfa 2 a	Particolari emangiomi che per sede e/o dimensione compromettano strutture vitali o determinino complicazioni che mettono in pericolo di vita.			
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b) - Peginterferone alfa 2 a	Forme refrattarie della malattia di Behçet			
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b) - Peginterferone alfa 2 a	Trattamento della trombocitemia essenziale: <ul style="list-style-type: none"> • come I linea in gravidanza e in pazienti di età minore di 40 anni; • come II linea in pazienti di età compresa tra 40-60 anni a basso rischio di complicanze tromboemboliche; • in paziente non più responsivi o per i quali è controindicato l'uso di altri farmaci disponibili. 			
Interferone alfa ricombinante (2a e 2b) - Peginterferone alfa 2 a	In monoterapia nel trattamento dell'epatite acuta da HCV			
Irinotecan	In associazione a fluoropirimidina e oxaliplatino, per il trattamento neoadiuvante del tumore del retto localmente avanzato			
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.			
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.			
L-Arginina	Patologie conseguenti a difetti enzimatici del ciclo dell'urea			
Lenalidomide	Trattamento di pazienti con anema 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.			
Lenalidomide	Al dosaggio di 10 mg die, nei giorni 1-21 (cicli 28 giorni), come terapia di mantenimento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi sottoposti a trapianto autologo di cellule staminali.			
Lenvatinib	Trattamento del carcinoma adenoide cistico			
Leuprolide	Impiego nel processo di femminilizzazione di donne transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una equipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Levocarnitina	Terapia dell'aciduria organica e difetti della beta-ossidazione degli acidi grassi.			
Lomitapide	Trattamento della sindrome da chilomicronemia familiare (iperlipoproteinemia di tipo I)			
Metilfenidato (Ritalin)	Trattamento del disturbo da deficit dell'attenzione e iperattività (ADHD) negli adulti già in trattamento farmacologico prima del compimento del diciottesimo anno di età			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Metotrexato	Trattamento medico della gravidanza ectopica			
Metronidazolo	Trattamento delle forme lievi-moderate di infezione da clostridium difficile (CDI), limitatamente al primo episodio o alla prima recidiva (se della stessa gravità del primo evento).			
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.			
Micofenolato mofetile	Malattia "trapianto verso ospite", nella forma sia acuta che cronica, resistente o intollerante al trattamento di 1 ^a e 2 ^a linea, dopo trapianto allogenico di cellule staminali emopoietiche.			
Midazolam (Buccolam)	Trattamento di crisi convulsive acute prolungate in soggetti di età ≥ 18 anni.			
Midazolam (Buccolam)	Trattamento di persone in età evolutiva, con età superiore ai 3 anni, con crisi febbrili convulsive prolungate.			
Mifepristone	Induzione medica dell'espulsione del materiale abortivo dopo aborto spontaneo ritenuto del I trimestre, in associazione con misoprostolo.			
Mifepristone in associazione a Misoprostolo	Interruzione medica di gravidanza intrauterina in corso, fino alla 63esima giornata di amenorrea.			
Misoprostolo	Induzione medica dell'espulsione del materiale abortivo dopo aborto spontaneo del I trimestre.			
Misoprostolo	Rammollimento e dilatazione della cervice uterina per indicazione ostetrica o ginecologica			
Mitomicina C	Coadiuvante nella chirurgia filtrante antiglaucomatosa			
Mitotane (Lysodren)	Sindrome di Cushing grave (trattata con terapia radiante o in preparazione all'intervento chirurgico).			
Nicotinamide	Trattamento chemopreventivo per lo sviluppo di nuovi tumori cutanei epiteliali, in soggetti con una storia di almeno due carcinomi cutanei, spinocellulari o basocellulari, dopo intervento chirurgico.			
Octreotide nella formulazione a rilascio prolungato	Angiomatosi non suscettibile di altri trattamenti farmacologici e/o di asportazione chirurgica			
Octreotide a lunga durata d'azione	Rallentamento della progressione dell'insufficienza renale associata alla malattia del rene policistico autosomico dominante (ADPKD) in adulti con CDK di stadio 4 e aumentato rischio di rapida			
Omaveloxolone (Skyclarys)	Trattamento dell'atassia di Friedreich negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni.			
Ossitocina	Profilassi dell'emorragia post-partum.			
Oxaliplatino	In associazione a fluoropirimidina, per il trattamento neoadiuvante del tumore del retto localmente avanzato			
Paclitaxel	Trattamento del carcinoma ovarico recidivante (terza linea e successive)			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Palivizumab (Synagis)	Prevenzione di gravi affezioni del tratto respiratorio inferiore, che richiedono ospedalizzazione, provocate dal virus respiratorio sinciziale (VRS) in bambini ad alto rischio di malattia VRS nei seguenti casi: bambini con età gestazionale inferiore alle 29 settimane entro il primo anno di vita; presenza di patologie neuromuscolari congenite con significativa debolezza muscolare e con tosse inefficace per l'eliminazione delle secrezioni entro il primo anno di vita; presenza di gravi malformazioni tracheo-bronchiali congenite entro il primo anno di vita; documentata immunodeficienza primitiva o secondaria entro il secondo anno di vita			
PAXG (cisplatino, nab-paclitaxel, capecitabina, gemcitabina)	Trattamento dell'adenocarcinoma del pancreas borderline resecabile, localmente avanzato e metastatico			
Plasminogeno	Trattamento della congiuntivite lignea			
Pembrolizumab e Lenvatinib	Trattamento del carcinoma anaplastico della tiroide localmente avanzato, metastatico e/o ricorrente			
Pomalidomide	Trattamento dell'amiloidosi a catene leggere (AL), in pazienti già trattati con terapia a base di bortezomib e di lenalidomide			
Ponatinib	Trattamento di I linea, comprendente induzione e consolidamento in associazione o meno alla chemioterapia intensiva (basata su dosi elevate di citosina arabinoside e di metotrexato) dei pazienti adulti affetti da leucemia linfoblastica acuta con cromosoma Philadelphia positivo ed eleggibili al trapianto allogenico di cellule staminali come terapia di consolidamento post-remissionale e dei pazienti non eleggibili al trapianto allogenico di cellule staminali ma che presentano una performance status o comorbidità che li rendono idonei alla terapia con ponatinib			
Pretomanid in combinazione con bedaquilina, linezolid e moxifloxacin (regime BPaLM)	Trattamento di pazienti, di età maggiore o uguale a quindici anni, affetti da tubercolosi polmonare multifarmacoresistente (MDR), che non hanno avuto una precedente esposizione a bedaquilina, pretomanid e linezolid (definita come esposizione maggiore di un mese).			
Raloxifene	Trattamento preventivo del carcinoma mammario in donne in post-menopausa ad alto rischio			
Ramucirumab (Cyramza)	In combinazione con gemcitabina, per il trattamento di seconda linea nei pazienti con mesotelioma maligno della pleura, non resecabile, in progressione dopo trattamento con un regime di chemioterapia di prima linea con un composto del platino (cisplatino/carboplatino) in combinazione con pemetrexed			
Regorafenib	Trattamento del glioblastoma multiforme recidivato			
Regorafenib	Trattamento dell'osteosarcoma in fase avanzata (metastatico e/o localmente avanzato) pretrattato con chemioterapia, dalla seconda linea in poi.			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
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.			
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.			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento di pazienti affetti da pemfigo grave e refrattario ai comuni trattamenti immunosoppressivi.			
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.			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della neuromielite ottica			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della polineuropatia associata ad anticorpi anti-MAG			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della leucemia linfoblastica acuta			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della nefropatia membranosa primitiva o idiopatica			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento di pazienti adulti con sindrome nefrosica steroide-dipendente o a frequenti recidive in corso di glomerulopatia a lesioni minime o glomerulosclerosi			
Rituximab originatore o biosimilare	Trattamento della sindrome nefrosica idiopatica cortico-sensibile a frequenti recidive o cortico-dipendente in età pediatrica.			
Rituximab originatore o biosimilare	Terapia di mantenimento nei pazienti affetti da linfoma mantellare dopo terapia di prima linea.			
Rituximab (originatore o biosimilare) e Vemurafenib	Trattamento della leucemia a cellule capellute.			
Sarilumab	Trattamento dei pazienti adulti ospedalizzati con COVID-19 grave e/o con livelli elevati degli indici di infiammazione sistemica, nel caso di carenza del medicinale tocilizumab.			
Setmelanotide (Imcivree)	Trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati all'obesità ipotalamica acquisita (HO) da craniofaringioma di pazienti con età maggiore di 6 anni.			
Somatropina	Trattamento del deficit staturale dovuto a Sindrome di Noonan.			
Somatropina (dosaggi a partire da 6 mg)	Trattamento di pazienti con deficit staturale associato a un'alterata funzione del gene SHOX.			
Spirolattone	Impiego nel processo di femminilizzazione di donne transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una equipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Sorafenib	Trattamento di mantenimento post-trapianto allogenico di cellule staminali in pazienti affetti da leucemia mieloide acuta ad alto rischio di recidiva			
Sunitinib	Trattamento di II-III linea del carcinoma timico e del timoma			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Talidomide	Trattamento delle angiodisplasie gastrointestinali			
Tamoxifene	Trattamento preventivo del carcinoma mammario in donne ad alto rischio			
Teriparatide (Paratormone – PTH)	Terapia sostitutiva ormonale per la cura dell' ipoparatiroidismo cronico grave.			
Testosterone, testosterone undecanoato, testosterone entantato, esteri del testosterone	Impiego nel processo di virilizzazione di uomini transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una equipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Tetrabenazina	Trattamento dei pazienti adulti con Sindrome di Gilles de la Tourette.			
Tetraidrobiopterina	Iperfenilalaninemia da carenza congenita di 6-piruvoltetraidropterina-sintetasi.			
Tiopronina	Cistinuria in associazione all'alcalinizzazione delle urine.			
Tireotropina alfa (Thyrogen)	Somministrazione post-tiroidectomia in pazienti affetti da carcinoma differenziato della tiroide (CDT) in terapia ormonale soppressiva (THST) per il trattamento con iodio radioattivo (131I) delle lesioni secondarie loco-regionali e a distanza iodio-captanti, che presentino una delle seguenti condizioni: 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); b) gravi condizioni cliniche potenzialmente aggravate dall'ipotiroidismo iatrogeno: <ul style="list-style-type: none"> • anamnesi positiva per ictus o TIA • franca cardiomiopatia (classe NYHA III o IV) • severa insufficienza renale (stadio 3 o superiore) • disturbi psichiatrici gravi (depressione grave, psicosi). 			
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.			
Tossina botulinica di tipo A	Trattamento di pazienti pediatriche affette da iperattività' detrusoriale neurogenica, resistenti o intolleranti agli antimuscarinici			
Trametinib	Trattamento del carcinoma ovarico sieroso di basso grado recidivato			
Trastuzumab (originatore o biosimilare)	Utilizzo in associazione o dopo terapia con o includente taxani sia in fase adiuvante sia neoadiuvante nel carcinoma mammario HER2 positivo.			
Trastuzumab (originatore o biosimilare)	Trattamento dei tumori sierosi dell'endometrio metastatico, HER2 amplificati in associazione con Carboplatino e Paclitaxel			
Trastuzumab (originatore o biosimilare)	In associazione con docetaxel, nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale, ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648, per il trattamento del carcinoma del dotto salivare, localmente avanzato, non suscettibile di trattamento chirurgico e/o ricorrente o metastatico HER2 positivo			

PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONE TERAPEUTICA	N. Paz. Trattati	N.Paz. In Trattamento	Spesa IVA Inclusa
Triptorelina	Impiego in casi selezionati in cui la pubertà sia incongruente con l'identità di genere (disforia di genere), con diagnosi confermata da una équipe multidisciplinare e specialistica e in cui l'assistenza psicologica, psicoterapeutica e psichiatrica non sia risolutiva			
Triptorelina	Impiego nel processo di femminilizzazione di donne transgender, previa diagnosi di disforia di genere/incongruenza di genere formulata da una équipe multidisciplinare e specialistica dedicata			
Valaciclovir	Prevenzione dell'infezione fetale e trattamento della malattia fetale da citomegalovirus			
Valganciclovir	Trattamento "pre-emptivo" dell'infezione da CMV in pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo o di cellule staminali emopoietiche.			
Vemurafenib (Zelboraf)	Trattamento di pazienti adulti con melanoma inoperabile o metastatico positivo alla mutazione del BRAF V600 in associazione al cobimetinib			
Venetoclax	Trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta di nuova diagnosi non candidabili a chemioterapia intensiva di induzione o con età ≥75 anni, in combinazione con Decitabina			
Venetoclax	Trattamento di pazienti con leucemia mieloide acuta recidivante/refrattaria.			
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.			
Zinco solfato	Morbo di Wilson in pazienti non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato.			