



Salute - Aifa: terapia di editing genetico per beta-talassemia e anemia falciforme rimborsata da Ssn

Roma - 18 set 2025 (Prima Notizia 24) Cinque nuove molecole di origine chimica verranno ammesse alla rimborsabilità.

Sarà rimborsata dal Servizio sanitario nazionale (Ssn) la prima terapia genica con tecnologia CRISPR-CAS9 autorizzata in Italia e in Europa. Il Consiglio di Amministrazione dell'AIFA – nella seduta del 17 settembre – ha infatti dato il via libera alla rimborsabilità di Casgevy (exagamglogene autotemcel) indicato per il trattamento della beta-talassemia (TDT) e dell'anemia falciforme (SCD), due gravi emoglobinopatie ereditarie, causate da mutazioni del gene della β -globina. Si tratta di un percorso terapeutico altamente innovativo. Le cellule staminali ematopoietiche vengono estratte dal paziente, modificate geneticamente in laboratorio e reinfuse nel suo organismo, dove danno origine alle cellule del sangue in grado di produrre emoglobina fetale (sana), riducendo o eliminando la necessità di trasfusioni nella TDT e le crisi vaso-ostruttive della SCD. L'altro farmaco orfano che sarà rimborsato dal Ssn è Zynyz (retifanlimab), un anticorpo monoclonale indicato in monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con carcinoma a cellule di Merkel. Sono invece 5 le nuove molecole di origine chimica che verranno ammesse alla rimborsabilità: Anzupgo (delgocitinib) per il trattamento dell'eczema cronico delle mani; Camzyos (mavacamten) per il trattamento della cardiomiopatia ipertrofica ostruttiva (CMIO); Krazati (adagrasib) per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule avanzato; Medepidol (idromorfone) per il trattamento del dolore severo negli adulti; Vanflyta (quizartinib) per il trattamento della leucemia mieloide acuta (LMA). Il CdA dell'AIFA ha inoltre ammesso alla rimborsabilità a carico del SSN 6 farmaci generici: Apremilast G.L., Apremilast Krka e Apremilast Teva (apremilast) per il trattamento dell'artrite psoriasica, della psoriasi, e della malattia di Behçet; Ciclofosfamide Seacross (ciclofosfamide) per il trattamento di diversi tipi di tumori e malattie autoimmuni; Diavic (liraglutide) per il trattamento del diabete mellito di tipo 2; Intelence (etravirina) per il trattamento dell'infezione da virus dell'immunodeficienza umana di Tipo 1 (HIV-1). Le estensioni di indicazioni terapeutiche ammesse alla rimborsabilità riguardano invece 5 medicinali già rimborsati per altre indicazioni: l'anticorpo monoclonale umanizzato Bimzelx (bimekizumab) che sarà rimborsato per due nuove indicazioni; Braftovi (encorafenib) e Mektovi (binimetinib), due antitumorali indicati in combinazione per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC); Livmarli (maralixibat), per il trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (PFIC) e Tepkinly (epcoritamab) per il trattamento del linfoma follicolare (FL) recidivato o refrattario.

(Prima Notizia 24) Giovedì 18 Settembre 2025

PRIMA NOTIZIA 24

Sede legale : Via Costantino Morin, 45 00195 Roma
E-mail: redazione@primanotizia24.it