

MEDICINALI INCLUSI NELL'ELENCO DELLA LEGGE 648/1996

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
ACIDO CIS-RETINICO	Tattamento adiuvante del neuroblastoma stadio terzo e quarto. G.U. n. 219 del 19/09/00 G.U. n. 232 del 04/10/00	Pazienti affetti da neuroblastoma stadio terzo e quarto ad alto rischio, con remissione di malattia dopo chemioterapia e terapia chirurgica.	Nessuno
ADALIMUMAB	Treatmento di pazienti con uveite severa refrattaria correlata ad artrite idiopatica giovanile che abbiano dimostrato intolleranza o resistenza al trattamento con infliximab. G.U. n. 31 del 07/02/07 G.U. n. 91 del 19/04/07	Pazienti con uveite anteriore severa associata ad artrite idiopatica giovanile, refrattaria ai farmaci di fondo quali metotrexate o ciclosporina A e che abbiano, inoltre dimostrato intolleranza o resistenza al trattamento con infliximab.	- Gravidanza; - ipersensibilità nota al farmaco; - sepsi o gravi fattori di rischio per sepsi; - infezioni in atto; - tubercolosi in fase attiva; - neoplasie; - insufficienza cardiaca; - concomitanti patologie croniche; - malattie demielinizzanti
ADEOSTIN-DEAMINASI coniugato con POLIETILENGLICOLE (Adagen®)	Immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeamiasi. G.U. n. 51 del 03/03/99	Soggetti affetti da immunodeficienza combinata grave da deficit di adenosindeamiasi in attesa di trapianto di midollo osseo da donatore HLA identico.	Nessuno
L-ARGININA	Patologie conseguenti a difetti del ciclo dell'urea quali: deficit di ornitintranscarbamilasi, deficit di argininosuccinattolasi ASL (argininosuccinocicciaciduria), deficit di carbamiofosfato sintetasi, deficit di argininosuccinato sintetasi (citrullinemia), sindrome iperammoniemia - iperomitemia - omocitrullinemia. G.U. n. 50 del 02/03/99 G.U. n. 58 del 10/03/00	Accertata carenza degli enzimi ornitinttranscarbamilasi, argininosuccinattolasi (ASL), carbamiofosfato sintetasi, argininosuccinato sintetasi.	Nessuno
AZACITIDINA (Vidaza®)	Treatmento di pazienti adulti non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche con: - sindromi mielodisplastiche (SMD) a rischio intermedio-2 e alto secondo l'International Prognostic Scoring System (IPSS); - leucemia mielomonocitica cronica (LMMCC) con il 10-29% di blasti midollari senza disordine mieloproliferativo; - leucemia mieloides acuta (LMA) con 20-30% di blasti e displasia multilineare, secondo la classificazione dell'Organizzazione mondiale della sanità (OMS). G.U. n. 86 del 14/04/09	Pazienti di età superiore ai 18 anni, con una attesa di vita uguale o superiore a 3 mesi, che rientrano nei parametri previsti dalle indicazioni, non eleggibili al trapianto di cellule staminali emopoietiche.	- Pazienti con blasti midollari superiori al 30%; - pazienti con tumori epatici maligni in stadio avanzato; - pazienti con grave insufficienza cardiaca congestizia; - pazienti di sesso femminile nei primi tre mesi di gravidanza.
BEVACIZUMAB (Avastatin®)	Treatmento delle maculopatie essudative non correlate all'età; - Pazienti con maculopatia essudativa non correlata all'età;		

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
BIOTINA	- trattamento delle maculopatie essudative correlate all'età già in trattamento con bevacizumab - trattamento del glaucoma neovascolare G.U. n. 62 del 16/03/2009 Deficit multiplo di carbossilasi nelle due forme: deficit di biotinidasi, deficit di olocarbossilasi simetasi G.U. n. 34 del 10/02/01	Deficit di biotinidasi, deficit di olocarbossilasi simetasi.	- Degenerazione maculare neovascolare (essudativa) correlata all'età; - maculopatie non essudative e patologie oculari non caratterizzate da neovascolarizzazione. Nessuno
BORTEZOMIB (Velcade®)	In combinazione con desametasone per il trattamento dei pazienti affetti da mieloma multiplo refrattario/recidivato G.U. n. 142 del 22/06/09	Pazienti affetti da mieloma multiplo refrattario/recidivato	- funzionalità epatica gravemente compromessa - pneumopatia infiltrativa diffusa acuta e pericardiopatia - ipersensibilità verso bortezomib o agli eccipienti - infezioni micotiche sistemiche - diabete scompensato
CETUXIMAB (Erbix®)	Trattamento dei carcinomi squamocellulari recidivanti e/o metastatici del distretto testa-collo, come terapia di prima linea in combinazione con cisplatino e 5-fluorouracile G.U. n. 290 del 12/12/08	- Pazienti con carcinoma squamoso della testa e del collo, istologicamente confermato e recidivato (non più suscettibile di terapia loco-regionale) o metastatico; - età superiore a 18 anni, performance status secondo Karnofsky ≥ 70 ; - suscettibili di trattamento con cisplatino e 5-fluorouracile.	- Precedente chemioterapia per la malattia recidivata o metastatica; - carcinoma del farninge; - controindicazioni mediche all'uso della chemioterapia a base di cisplatino e fluorouracile.
CICLOSPORINA A	Neurite lupica G.U. n. 297 del 20/12/99	Soggetti affetti da nefrite lupica non rispondenti alla terapia convenzionale o per i quali l'ate terapia presenti delle controindicazioni.	Soggetti che rispondono alla terapia convenzionale.
ECULIZUMAB (Soliris®)	Trattamento dell'emolisi intravascolare dei pazienti con EPN (Emoglobinuria Parossistica Notturna) che non abbiano effettuato precedenti trasfusioni G.U. n. 290 del 12/12/08 G.U. n. 3 del 5/01/09	Diagnosi di EPN confermata da citometria a flusso con almeno una delle seguenti caratteristiche cliniche: - stato anemico severo associato a segni di emolisi intravascolare; - frequenti episodi emoglobinurici; - gravi sintomi imputabili all'emolisi intravascolare (es. crisi dolorose addominali); - elevato rischio trombotico.	- Non indicato per il trattamento dell'anemia in assenza di segni di emolisi intravascolare; - pazienti con infezione da <i>Neisseria Meningitidis</i> in atto o non vaccinati contro <i>Neisseria Meningitidis</i> ; - pazienti con ipersensibilità a eculizumab, alle proteine murine o a uno qualsiasi degli eccipienti; - gravidanza - ipersensibilità individuale alla epotina alla od epotina beta; - gravidanza e allattamento; - ipertensione arteriosa non controllata.
EPOETINA ALFA (Eprex®, Eprex®, Globurel®)	Emoglobinuria parossistica notturna G.U. n. 58 del 11/03/98	Pazienti affetti da emoglobinuria parossistica notturna documentata.	- ipersensibilità individuale alla epotina alla od epotina beta; - gravidanza e allattamento; - ipertensione arteriosa non controllata.
	Sindromi mielodisplastiche (MDS), anemia refrattaria (AR), con sideroblasti (RARS) e senza sideroblasti (RA) G.U. n. 58 del 10/03/00	Anemia sintomatica e anemia trasfusione dipendente (Hbg).	Trasformazione leucemica (ARE B-T), peggiora con mancata risposta al trattamento con epotina somministrata per più di due mesi.

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELLECCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
EPOETINA BETA (Eritrogen®)	Emoglobinuria parossistica notturna G.U. n. 58 del 11/03/98	Pazienti affetti da emoglobinuria parossistica notturna documentata.	- Ipersensibilità individuale alla epoetina alfa od epoetina beta; - gravidanza e allattamento; - ipertensione arteriosa non controllata.
GENITUZUMAB OZOGAMICIN (Myotarg®)	Sindromi mielodisplastiche (MDS), anemia refrattaria (AR), con sideroblasti (RARS) e senza sideroblasti (RA) G.U. n. 58 del 10/03/00 Trattamento della leucemia mieloide acuta in combinazione con chemioterapia standard di induzione G.U. n. 130 del 08/06/09	Anemia sintomatica e anemia trasfusione dipendente (Hbog). - Cut-off di espressione dell'antigene CD33 $\geq 20\%$ - non precedente trattamento con Myotarg®	Trasformazione leucemica (ARE B-T), progressa con mancata risposta al trattamento con epoetina somministrata per più di due mesi. - Grave insufficienza epatica; - creatinina ≥ 2 mg/dL.
IDEBENONE	Trattamento della miocardiotopia in soggetti affetti da Atassia di Friedreich, che non possono avvalersi di valida alternativa terapeutica G.U. n. 56 del 08/03/04 G.U. n. 106 del 09/05/09	Pazienti risultati positivi al test genetico per Atassia di Friedreich.	Nessuno
IDROSSIUREA	Trattamento di pazienti con beta ta assemia non trasfusione-dipendente e con sindromi falcemiche che presentano una sintomatologia grave e/o invalidante G.U. n. 132 del 09/06/06	Pazienti con anemia marcata, eritropoiesi extramidollare, frequenti o gravi crisi dolorose falcemiche, ulcere recidivanti agli arti inferiori	- Quelli già noti per idrossi urea; - uso di farmaci neutropenzizzanti
IDURONATO-2-SOLFATASI (Elaipse®)	Terapia enzimatica sostitutiva per i pazienti affetti da mucopolisaccaridiosi di tipo II (MPS II - Sindrome di Hunter) G.U. n. 138 del 17/06/06	Pazienti con deficit di iduronato-2-solfatasi	Nessuno
INFLIXIMAB	Trattamento di pazienti con uveite correlata ad artrite idiopatica giovanile G.U. n. 31 del 07/02/07 G.U. n. 91 del 19/04/07	Pazienti con uveite anteriore associata ad artrite idiopatica giovanile, refrattaria ai farmaci di fondo quali metotrexate o ciclosporina A o complicata da cataratta, ipertono, vitreite o edema maculare cistoide, con elevato rischio di compromissione visiva.	- Gravidanza; - ipersensibilità nota al farmaco; - sepsi o gravi fattori di rischio per sepsi; - infezioni in atto; - tubercolosi in fase attiva; - neoplasie; - insufficienza cardiaca; - concomitanti patologie croniche; - malattie demielinizzanti

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
INTERFERONE ALFA-2a (Roferon A®)	Emangiomi che per sede e/o dimensioni compromettano strutture vitali o determinino complicazioni che mettono in pericolo di vita G.U. n. 237 del 10/10/97 G.U. n. 50 del 02/03/99	<ul style="list-style-type: none"> - Pazienti nei quali la terapia con corticosteroidi per via sistemica o intraleasomiale non ha portato alcun beneficio obiettivabile; - pazienti nei quali non è indicato o che presentano controindicazioni al trattamento chirurgico. 	<ul style="list-style-type: none"> - Storia di ipersensibilità all'interferone alfa-2a o 2b o ad altro componente le specialità; - gravi cardiopatie pressistenti; - gravi disfunzioni renali; epatiche, del SNC non correlate alla patologia oggetto del presente provvedimento; - stati depressivi.
	Forme refrattarie della malattia di Behçet G.U. n. 237 del 10/10/97 G.U. n. 92 del 21/04/99	Pazienti con forme gravi che non hanno tratto beneficio dalla terapia consolidata.	<ul style="list-style-type: none"> - Storia di ipersensibilità all'interferone alfa-2a o 2b o ad altro componente le specialità; - gravi cardiopatie pressistenti; - gravi disfunzioni renali; epatiche, del SNC non correlate alla patologia oggetto del presente provvedimento; - stati depressivi.
INTERFERONE ALFA-2b (Intron A®)	Emangiomi che per sede e/o dimensioni compromettano strutture vitali o determinino complicazioni che mettono in pericolo di vita G.U. n. 237 del 10/10/97 G.U. n. 50 del 02/03/99	<ul style="list-style-type: none"> - Pazienti nei quali la terapia con corticosteroidi per via sistemica o intraleasomiale non ha portato alcun beneficio obiettivabile; - pazienti nei quali non è indicato o che presentano controindicazioni al trattamento chirurgico. 	<ul style="list-style-type: none"> - Storia di ipersensibilità all'interferone alfa-2a o 2b o ad altro componente le specialità; - gravi cardiopatie pressistenti; - gravi disfunzioni renali; epatiche, del SNC non correlate alla patologia oggetto del presente provvedimento; - stati depressivi.
	Forme refrattarie della malattia di Behçet G.U. n. 237 del 10/10/97 G.U. n. 92 del 21/04/99	Pazienti con forme gravi che non hanno tratto beneficio dalla terapia consolidata.	<ul style="list-style-type: none"> - Storia di ipersensibilità all'interferone alfa-2a o 2b o ad altro componente le specialità; - gravi cardiopatie pressistenti; - gravi disfunzioni renali; epatiche, del SNC non correlate alla patologia oggetto del presente provvedimento; - stati depressivi.
	Micosi fungine G.U. n. 87 del 14/04/2003	Micosi fungine in stadio IB, IIA, IA recidivanti post-PUVA.	Età > 70 anni.
INTERFERONE ALFA RICOMBINATE	Treatmento della trombocitemia essenziale per i pazienti non candidabili ai trattamenti ora disponibili sul mercato G.U. n. 122 del 28/05/07	Pazienti affetti da trombocitemia essenziale che non rispondono o per i quali sia controindicato l'uso di altre terapie disponibili.	Nessuno

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
INTERFERONE GAMMA -1b	Fibrosi cistica polmonare idiopatica G.U. n. 138 del 15/06/00	- Fibrosi polmonare idiopatica in pazienti non responsivi alla terapia convenzionale; - diagnosi istologica con andamento progressivo, per 6-12 mesi, nonostante trattamento con glucocorticoidi ed altri immunosoppressori; - capacità polmonare totale > 45%.	Capacità polmonare < 45%.
LAMIVUDINA	Profassi della recidiva di epatite HBV correlata dopo trapianto di fegato, nei pazienti con HBV-DNA positivo prima del trapianto, in associazione alle Ig G specifiche G.U. n. 219 del 19/09/00	Pazienti sottoposti a trapianto di fegato con HBV-DNA positivo prima del trapianto.	Nessuno
LENALIDOMIDE (Revlimi®)	Treatmento di pazienti anemici trasfusione-dipendenti, con sindrome mielodisplastica a rischio basso o intermedio-1, portatori di selezione 5q- associata o meno ad altre anomalie cromosomiche G.U. n. 264 del 11/11/08	Diagnosi di mielodisplasia a rischio basso o intermedio-1 (secondo IPSS score) associata a tutte le seguenti caratteristiche: - anemia richiedente supporto trasfusionale (almeno 2 unità di concentrati eritrocitari nelle 8 settimane precedenti l'inizio del trattamento); - delezione 5q31, isolata o associata ad altre anomalie cromosomiche.	Pazienti con valori di creatinina sierica > 2,5 mg/dl.
METOTREXATO	Treatmento della gravidanza ectopica G.U. n. 17 del 21/01/08	Tutti i seguenti, contemporaneamente presenti - assenza di rottura tubarica (assenza di falda fluida all'ecografia transvaginale, o minima falda fluida in pazienti emodinamicamente stabili); - valori plasmatici di beta-hCG inferiori a 3000 mU/ml; - massa amnessiale inferiore a 3,5 cm	Almeno 1 dei seguenti: - presenza di attività cardiaca embrionale - rottura tubarica - emoperitoneo > 100 ml - diametro ecografico della GEU > 0 = 3,5 cm - dolore persistente per oltre 24 h - necessità di conferma laparoscopica della diagnosi - malattie epatiche o renali, discrasie ematiche, malattie polmonari attive, ulcera peptica, alcolismo, immunodeficienza, allattamento (anche un solo criterio presente)
MICOFENOLATO MOPETILE	Malattia "trapianto verso ospite" nella forma sia acuta che cronica, resistente o intollerante al trattamento di prima e seconda linea dopo trapianto allogenico di cellule staminali emopoietiche G.U. n. 219 del 19/09/00	Pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo allogenico, con malattia "trapianto verso ospite" acuta o cronica, non responsiva o intollerante al trattamento di prima e seconda linea.	Nessuno
MIFEPRISTONE	Sindrome di Cushing di origine paraneoplastica G.U. n. 51 del 03/03/99	Sindrome di Cushing di origine paraneoplastica non trattabile con altra terapia farmacologica o con terapia chirurgica.	Sindrome di Cushing di origine ipofisaria.

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
MITOTANE (Lysotrain®)	Sindrome di Cushing grave G.U. n. 207 del 05/09/00	Sindrome di Cushing trattata con terapia radiante o in preparazione all'intervento chirurgico.	Nessuno
OCTREOTIDE	Ipotensione ortostatica grave in disfunzioni generalizzate del sistema nervoso vegetativo G.U. n. 138 del 15/06/00	Soggetti non responsivi alla terapia convenzionale o che presentino controindicazioni alla terapia cortisonica cronica.	- Ipersensibilità accertata all'octreotide od alla somatostatina; - gravidanza; - allattamento; - età pediatrica.
SALE ACETATO	Diarrea secretoria refrattaria a precedenti terapie standard (medicinali frenanti la motilità, colestiramina, antibiotici, ecc...) G.U. n. 137 del 14/06/99	Diarrea secretoria refrattaria da sindrome dell'intestino corto e da progressi interventi chirurgici sullo stomaco.	- Ipersensibilità accertata all'octreotide od alla somatostatina; - gravidanza; - allattamento; - età pediatrica.
LYSOTRAIN (Lysotrain®)	Fistole pancreatiche G.U. n. 105 del 08/05/01 G.U. n. 163 del 15/07/05	Fistola pancreatica documentata.	- Ipersensibilità accertata all'octreotide od alla somatostatina; - gravidanza; - allattamento; - età pediatrica.
FORMULAZIONE A RILASCIO PROLUNGATO	Angiomatosi non suscettibile di altri trattamenti e/o di asportazione chirurgica, che non possono avvalersi di valida alternativa terapeutica G.U. n. 70 del 24/03/01 G.U. n. 163 del 15/07/05	Angiomatosi non suscettibile di altri trattamenti e/o di asportazione chirurgica; diagnosi istologica.	- Ipersensibilità accertata all'octreotide od alla somatostatina; - gravidanza; - allattamento; - età pediatrica.
RIBAVIRINA	Recidiva da HCV in soggetti già sottoposti a trapianto di fegato per epatopatia cronica C G.U. n. 297 del 20/12/99	Soggetti affetti da recidiva da HCV già sottoposta a trapianto di fegato per epatopatia cronica C.	Anemia (con valore di emoglobina < 9 gr/dl).
TETRAIDROBIPTERINA	Iperfenilalaninemia da carenza congenita dell'enzima 6-piruviltetraidropterina-sintetasi G.U. n. 282 del 02/12/98	Pazienti con documentata carenza congenita dell'enzima 6-piruviltetraidropterina-sintetasi.	Iperfenilalaninemia senza documentata carenza dell'enzima 6-piruviltetraidropterina-sintetasi.
TOPRONINA	Cistinuria G.U. n. 81 del 06/04/01	Cistinuria.	Nessuno
TRIENTINE DIIDROCLORIDRATO	Morbo di Wilson per i pazienti non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato G.U. n. 108 del 09/05/08	Pazienti affetti dal Morbo di Wilson non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato.	- Pazienti che rispondono al trattamento - l'uso in gravidanza deve essere limitato ai casi di effettiva necessità valutando il rapporto rischio/beneficio.

MEDICINALE	INDICAZIONI PER CUI SONO INCLUSI NELL'ELENCO	CRITERI DI INCLUSIONE	CRITERI DI ESCLUSIONE
VALGANICLOVIR (Valcyte®, Darlin®)	Trattamento "pre-emptive" dell'infezione da CMV in pazienti sottoposti a trapianto di midollo osseo o di cellule staminali emopoietiche G.U. n. 231 del 04/10/07 G.U. n. 17 del 21/01/08	Pazienti con infezione asintomatica da CMV (riattivazione) dopo trapianto di cellule staminali emopoietiche. Lo stato di riattivazione richiede la determinazione dell'antigenemia CMVpp65 o del CMV-DNA mediante PCR.	- Nausea e vomito con incapacità ad assumere farmaci per bocca. - Diarrea o malassorbimento. - Insufficienza renale moderata-grave. - Infezione sintomatica da CMV.
ZINCO SOLFATO	Morbo di Wilson per i pazienti non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato G.U. n. 96 del 23/04/08 G.U. n. 103 del 03.05.2008	Morbo di Wilson in pazienti non candidabili o non rispondenti al trattamento con zinco acetato.	Pazienti che rispondono al trattamento con zinco acetato.