

Programma	Aggiornamento rispetto a (9)	Indicazione terapeutica in CUP	Status rimborso farmaco CUP	Pazienti CUP (agosto 2022)	Apertura del programma	Terapie alternative	Pazienti CUP (inclusi in analisi)	Fonte costo terapie alternative	Costo unitario terapie alternative		Prestazioni diagnostiche		Fonte CEA	Costo netto unitario CEA			
									min	max	Tipologia e fonte tariffa diagnostiche	Costo unitario prestazioni diagnostiche		Totale	Somministrazioni	Eventi avversi	Progressione
AG40661-Polatuzumab (DLBCL)	NO	Linfoma diffuso a grandi cellule B recidivato o refrattario (r/r DLBCL)	Si (Determina 16/12/2021)	151	maggio 2019	Tutti i pazienti a) Rituximab + bendamustina b) Lenalidome (648)	151	a) (1) b) (2)	1.526 €	56.658 €	-	-	(1)	258 €	45 €	-6 €	219 €
AG40852-Entrectinib (NSCLC ROS-1+)*	SI	Tumore solido metastatico o localmente avanzato positivo per traslocazioni di NTRK o carcinoma polmonare non a piccole cellule positivo per riarrangiamento di ROS-1	Si (Determina 30/8/2021)	14	agosto 2019	Solo NSCLC ROS-1+ (10 pazienti) - Crizotinib	10	(2)	79.019 €		-	-	(9)	80.319 €	0 €	138 €	80.181 €
AG41381-Risdiplam (SMA1)*	SI	Atrofia Muscolare Spinale di tipo 1 (SMA1)	Si (Determina 26/1/2022)	43	dicembre 2019	Nessun paziente - Pazienti in CUP non candidabili a trattamenti alternativi - CEA include il confronto rispetto a BSC ma non è stata adattata al contesto italiano e la popolazione non è confrontabile a CUP	0	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
AG42025-Risdiplam (SMA2)*	SI	Atrofia Muscolare Spinale di tipo 2 (SMA2)	Si (Determina 26/1/2022)	147	maggio 2020	Nessun paziente - Pazienti in CUP non candidabili a trattamenti alternativi - CEA non include il confronto rispetto ad assenza di trattamento	0	-	-	-	-	-	-	-	-	-	-
AG42295-Mosunetuzumab (FL)	Nuovo	Linfoma follicolare recidivato/refrattario (r/r FL)	In attesa	3	aprile 2022	Tutti a) Rituximab + Chemioterapia b) Obinutuzumab + bendamustina c) Idelalisib	3	a) (3) (media tra i costi riportati) b) Elaborazione su Determina AIFA 309/2019 (GU 65 del 18-03-2019), Determina AIFA 718/2022 (GU 254 del 29-10-2022) e RCP obinutuzumab c) Dossier Roche P&R per mosunetuzumab	14.952 €	117.839 €	-	-	Dossier P&R	146 €	275 €	-	-129 €
AG42296-Glofitamab (DLBCL, tFL, PMBCL)	Nuovo	Linfoma diffuso a grandi cellule B recidivato/refrattario (r/r DLBCL), linfoma follicolare trasformato (tFL) o linfoma primitivo a cellule B del mediastino (PMBCL)	In attesa	26	febbraio 2022	Tutti - Rituximab + Chemioterapia	26	(3) (4)	7.576 €		-	-	-	-	-	-	-
AG43320-Pralsetinib (NSCLC RET+)	Nuovo	Carcinoma polmonare non a piccole cellule metastatico o localmente avanzato positivo per fusione di RET (prima linea)	Si (Determina 7/11/2022)	63	aprile 2021	Tutti 1L: a) pembrolizumab; b) chemioterapia a base di platino; c) combinazione tra i due 2L: a) docetaxel; b) docetaxel + nintedanib; c) atezolizumab/nivolumab/pembrolizumab	63	Mix pazienti tra prima e seconda linea e quote per comparatori forniti da Roche 1L: a) (5); b) elaborazione su Determina AIFA 255/2022 (GU 80 del 05-04-2022) e RCP docetaxel 2L: a) (6); b) (7); c) (8) e (6)	6.109 €		IBRIDAZIONE CON SONDA MOLECOLARE (91.37.1) DM 22/7/1996	81,6	Dossier P&R	-730 €	nd	nd	nd

Programma	Aggiornamento rispetto a (9)	Indicazione terapeutica in CUP	Status rimborso farmaco CUP	Pazienti CUP (agosto 2022)	Apertura del programma	Terapie alternative	Pazienti CUP (inclusi in analisi)	Fonte costo terapie alternative	Costo unitario terapie alternative		Prestazioni diagnostiche		Fonte CEA	Costo netto unitario CEA			
									min	max	Tipologia e fonte tariffa diagnostiche	Costo unitario prestazioni diagnostiche		Totale	Somministrazioni	Eventi avversi	Progressione
AG43388-Pralsetinib (Tiroide MTC e DTC)^	Nuovo	Carcinoma midollare della tiroide metastatico o localmente avanzato positivo per mutazione di RET (MTC) o carcinoma della tiroide positivo	In attesa	17	aprile 2021	16 pazienti (1 paziente non tipizzato e quindi assenza di alternative terapeutiche) MTC (12 pazienti) a) Vandetanib b) Cabozantinib	16	MTC a) Determina AIFA 513/2013 (GU 150 del 28-06-2013) b) Determina AIFA 775/2022 (GU 256 del 2-11-2022)	47.583 €	56.611 €	IBRIDAZIONE CON SONDA MOLECOLARE (91.37.1) DM 22/7/1996	81,6	-	-	-	-	-
AL41528-Atezolizumab (NSCLC)	Si	Carcinoma polmonare non a piccole cellule non squamoso in fase avanzata (stadio IV)	No (Rimborso per altre indicazioni)	125	giugno 2019	Tutti a) Bevacizumab + paclitaxel + carboplatino b) Pemetrexed	125	(2)	9.395 €	33.761 €	-	-	-	-	-	-	-
AL41711-Trastuzumab emtansine (Mammella HER2+)	Si	Tumore mammario HER2 positivo	Si (Determina 21/9/2021)	1255	settembre 2019	Tutti a) Trastuzumab+capecitabina b) Lapatinib+capecitabina	1255	a) Dossier di P&R Roche b) (2)	3.780 €	6.854 €	IBRIDAZIONE IN SITU (FISH) SU METAFASI, NUCLEI INTERFASICI, TESSUTI	253,22	Dossier P&R	135 €	-2 €	75 €	62 €
AL41712-Atezolizumab (TNBC)	Si	Cancro alla mammella triplo negativo (TNBC)	Si (Determina 14/7/20)	94	novembre 2019	Tutti - nab-paclitaxel	94	(2)	7.036 €		-	-	Dossier P&R	2.139 €	0 €	0 €	2.139 €
MA30130-Ocrelizumab (PPMS)	Si	Sclerosi Multipla Primariamente Progressiva (PPMS)	Si (Determina 21/2/2022)	1045	giugno 2017	Tutti (uso off label) a) Fingolimod b) Natalizumab c) Interferone β-1a/b o glatiramer acetato	1045	a) Determina AIFA DG/400/2021 (GU 90 del 15-04-2021) b) Determina AIFA 477/2023 /GU 167 del 19-07-2023) c) Determina AIFA C 2729/2011 (GU 274 del 24-11-2011) e Determina 95/2016 (GU 29 del 05-02-2016)	18.875 €		VIRUS EPATITE B [HBV] ANTICORPI HBsAg; VIRUS EPATITE B [HBV] ANTICORPI HBcAg IgM (9)	19,5	Dossier P&R	-14.196 €	-	-	-14.196 €
ML39740-Atezolizumab (Carcinoma uroteliale)	Si	Carcinoma uroteliale	No (Rimborso per altre indicazioni)	222	febbraio 2017	Tutti a) Docetaxel b) Nivolumab c) Pembrolizumab	222	(2)	3.674 €	32.223 €	-	-	-	-	-	-	-
ML40066-Alectinib (NSCLC ALK+ II)	No	Carcinoma polmonare non a piccole cellule ALK+ trattato con crizotinib	Si (Determina 7/8/2020)	226	maggio 2017	Tutti a) Pemetrexed (2 dosaggi) b) Docetaxel c) Ceritinib	226	(2)	2.984 €	14.500 €	-	-	Dossier P&R	-281 €	-280 €	-167 €	166 €
MO29499-Alectinib (NSCLC ALK+ I)	No	Carcinoma polmonare non a piccole cellule ALK+	Si (Determina 7/8/2020)	21	maggio 2015	Tutti a) Crizotinib b) Ceritinib	21	(2)	20.350 €	44.860 €	BILIRUBINA TOTALE, BILIRUBINA TOTALE E FRAZIONATA, ALBUMINA-P, IHC (9)	106,3	Dossier P&R	-60.180 €	0 €	-113 €	-60.067 €
MO29746-Cobimetinib (Melanoma BRAF+)	Si	Melanoma inoperabile o metastatico BRAF V600+	Si (Determina 14/9/2016)	228	marzo 2015	Tutti a) Vemurafenib b) Dabrafenib + trametinib c) Ceritinib	228	(2)	33.824 €	41.274 €	-	-	-	-	-	-	-
Totale				3.680			3.485										Progressione
Totale inclusi in analisi				3.485													

- Bellone M, Pradelli L, Caputo A, et al. Cost-Effectiveness and Cost-Utility Analyses of Polatuzumab Vedotin with Bendamustine and Rituximab vs. Bendamustine and Rituximab for the Treatment of Relapsed/Refractory Diffuse Large B-Cell Lymphoma. Value in Health. 2022;POS8109;25(1):Sup S82 (Accessed November 2023). [Link](#)
- Jommi C, Pantellini F, Stagi L, Vergykiou M, Cavazza M. The economic impact of compassionate use of medicines. BMC Health Serv Res. 2021;21(1):1303. [Link](#)
- Regione Veneto. 2015. Allegato B al Decreto n. 53 del 8/6/2016. Raccomandazione 3 (Dicembre 2015) (Accessed November 2023). [Link](#)
- Poesche V, Held G, Ziepert M, et al; FLYER Trial Investigators; German Lymphoma Alliance. Four versus six cycles of CHOP chemotherapy in combination with six applications of rituximab in patients with aggressive B-cell lymphoma with favourable prognosis (FLYER): a randomised, phase 3, non-inferiority trial. Lancet. 2019;394(10216):2271-2281. [Link](#)
- Regione Veneto. 2019. Allegato A al Decreto 68 dell'8/7/2019. Raccomandazione 26 (maggio 2019) (Accessed November 2023). [Link](#)
- Regione Veneto. 2016. Allegato A al Decreto 86 del 31/8/2016. Raccomandazione 21 (maggio 2016) (Accessed November 2023). [Link](#)
- Commissione oncologica regionale (Piemonte). Sintesi Pembrolizumab (Keytruda) II linea (Accessed November 2023). [Link](#)
- Regione Toscana. Commissione Terapeutica Regionale. 1/10/2018 (Accessed November 2023). [Link](#)
- Bellone M, Zaniolo O, Martinelli E, et al. Cost-utility of entrectinib versus crizotinib in ROS1+ NSCLC patients: an AUC model adapted to Italian clinical practice, PCN148. ISPOR 2019 (Accessed November 2023). [Link](#)

Abbreviations DLBCL: Linfoma diffuso a grandi cellule B; DTC: Carcinoma differenziato della tiroide; FL: Linfoma follicolare; MTC: Carcinoma midollare della tiroide; NSCLC: Tumore al polmone non a piccole cellule; PMBCL: Linfoma primitivo a cellule B del mediastino; PPMS: Sclerosi multipla primariamente progressiva; SMA: Atrofia muscolare spinale; tFL: Linfoma follicolare trasformato; TNBC, Cancro alla mammella triplo negativo