

LISTA ATMP APPROVATE DA EMA E ANCORA IN COMMERCIO

| ATMP | DATA apr. EU | Azienda | Indicazione |
|--|--------------|---------------------------------------|--|
| Holoclar Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali | 17/02/15 | Holostem Therapie Avanzate s.r.l. | Trattamento di pazienti adulti affetti da deficit di cellule staminali limbari da moderato a grave (definito dalla presenza di neovascolarizzazione superficiale della cornea in almeno due quadranti, con coinvolgimento della parte centrale della cornea e grave compromissione dell'acuità visiva), unilaterale o bilaterale, causato da ustioni oculari da agenti fisici o chimici. Per la biopsia sono necessari almeno 1 – 2 mm ² di tessuto limbare non danneggiato. |
| Imlygic talimogene laherparepvec | 16/12/15 | Amgen Europe B.V. | Trattamento di pazienti adulti affetti da melanoma inoperabile con metastasi regionali o a distanza (Stadio IIIB, IIIC e IVM1a) senza coinvolgimento dell'osso, del cervello, del polmone o altro coinvolgimento viscerale. |
| Strimvelis frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ trasdotte con un vettore retrovirale che codifica per l'adenosina deaminasi (ADA) umana | 26/05/16 | Orchard Therapeutics (Netherlands) BV | Trattamento di pazienti con Immunodeficienza Grave Combinata da Deficit di Adenosina Deaminasi (ADA-SCID), per i quali non sia disponibile un idoneo donatore consanguineo di cellule staminali HLA (antigene leucocitario umano)-compatibili |
| Spherox sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice | 10/07/17 | CO.DON AG | Riparazione di difetti sintomatici della cartilagine articolare del condilo femorale e della rotula del ginocchio (grado III o IV, Società Internazionale per la Rigenerazione della Cartilagine e la Conservazione delle Articolazioni (ICRS)) con dimensioni dei difetti fino a 10 cm ² negli adulti. |
| Alofisel darvadstrocel | 23/03/18 | Takeda Pharma A/S | Trattamento delle fistole perianali complesse in pazienti adulti con malattia di Crohn luminale non attiva/lievemente attiva, nei casi in cui le fistole hanno mostrato una risposta inadeguata ad almeno una terapia convenzionale o biologica. Alofisel deve essere utilizzato solo al termine dell'intervento di condizionamento delle fistole |
| Kymriah tisagenlecleucel | 22/08/18 | Novartis Europharm Limited | Kymriah è indicato per il trattamento di: – pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età inclusi, con Leucemia Linfoblastica Acuta (LLA) a cellule B, refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva – pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica |
| Yescarta axicabtagene ciloleucel | 23/08/18 | Kite Pharma EU B.V./Gilead | Trattamento di pazienti adulti con Linfoma Diffuso a Grandi Cellule B (DLBCL) e Linfoma Primitivo del Mediastino a Grandi Cellule B (PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica |
| Luxturna voretigene neparvovec | 22/11/18 | Novartis Europharm Limited | Trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali |
| Zynteglo betibeglogene autotemcel | 29/05/19 | bluebird bio (Netherlands) B.V. | Trattamento di pazienti di età pari o superiore a 12 anni affetti da beta Talassemia Trasfusione-Dipendente (TDT) che non hanno un genotipo β^0/β^0 , per i quali il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSC) sia appropriato ma non sia disponibile un donatore consanguineo di HSC antigene leucocitario umano (HLA)-compatibile |
| Zolgensma onsemnogene abepaevovec | 18/05/20 | Novartis Gene Therapies EU Limited | Trattamento di: – pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure – pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2 |
| Tecartus brexucabtagene autoleucel | 14/12/20 | Kite Pharma EU B.V./Gilead | Trattamento di pazienti adulti con Linfoma a Cellule Mantellari (MCL) recidivante o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica che includano un inibitore della Tirosin Chinasi di Bruton (BTK) |
| Libmeldy cellule CD34+ autologhe trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale che codifica per il gene umano arilsulfatasi A (ARSA) | 17/12/20 | Orchard Therapeutics (Netherlands) BV | Trattamento della Leucodistrofia Metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: – nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia, – nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo |