

## ATMP CON MARKETING AUTHORIZATION EUROPEA ATTIVA

ATMP	AIC EU	Azienda	Indicazione
<b>Holoclar</b> <i>Cellule epiteliali corneali umane autologhe espanse ex vivo e contenenti cellule staminali</i>	17/02/15	Holostem Terapie 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 <sup>2</sup> di tessuto limbare non danneggiato.
<b>Imlygic</b> <i>talimogene laherparepvec</i>	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.
<b>Strimvelis</b> <i>frazione cellulare arricchita di cellule autologhe CD34+ contenente cellule CD34+ trasdotte con un vettore retrovirale che codifica per l'adenosina deaminasi (ADA) umana</i>	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
<b>Spherox</b> <i>sferoidi di condrociti umani autologhi associati a matrice</i>	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 <sup>2</sup> negli adulti.
<b>Alofisel</b> <i>darvadstrocel</i>	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
<b>Kymriah</b> <i>tisagenlecleucel</i>	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
<b>Yescarta</b> <i>axicabtagene ciloleucel</i>	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
<b>Luxturna</b> <i>voretigene neparvovec</i>	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
<b>Zynteglo</b> <i>betibeglogene autotemcel</i>	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 $\beta^0/\beta^0$ , 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

ATMP	AIC EU	Azienda	Indicazione
<b>Zolgensma</b> <i>onsemnogene abepaevovec</i>	18/05/20	Novartis Gene Therapies EU Limited	Trattamento di: - pazienti con Atrofia Muscolare Spinale (SMA) 5q con una mutazione bialelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione bialelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2
<b>Tecartus</b> <i>brexucabtagene autoleucl</i>	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)
<b>Libmeldy</b> <i>cellule CD34+ autologhe trasdotte ex vivo con un vettore lentivirale che codifica per il gene umano arilsulfatasi A (ARSA)</i>	17/12/20	Orchard Therapeutics (Netherlands) BV	“Trattamento della Leucodistrofia Metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialeliche 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”
<b>Abecma</b> <i>idecabtagene vicleucl (ide-cel)</i>	18/08/21	Celgene Europe BV	Pazienti adulti con mieloma multiplo recidivante refrattario precedentemente trattati con almeno altre 3 terapie, tra cui un agente immunomodulatorio, un inibitore del proteasoma e un anticorpo anti-CD38, che hanno dimostrato progressione della malattia con l’ultima terapia
<b>Breyanzi</b> <i>lisocabtagene maraleucl (liso-cel)</i>	04/04/22	Bristol Myers Squibb	Trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) recidivato o refrattario, linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B (PMBCL) e linfoma follicolare di grado 3B (FL3B), dopo due o più linee di terapia sistemica