

# ELENCO CENTRI AUTORIZZATI

## Farmaci per Malattie Rare con limitazione di centro

[Link: elenco dei registri di monitoraggio e PT web-based AIFA](#)

### **ABATACEPT; ADALIMUMAB; ETANERCEPT; SECUKINUMAB; TOCILIZUMAB**

*Artrite Idiopatica Giovanile*

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

### **ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE e CARBAGLU)**

*Il trattamento dell'iperammonemia dovuta ad acidemia isovalerica, dell'iperammonemia dovuta ad acidemia metilmalonica e dell'iperammonemia dovuta ad acidemia propionica (RCG040).*

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

### **ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE, CARBAGLU e ACIDO CARGLUMICO WAYMADE)**

*Il trattamento della iperammonemia dovuta alla deficienza primaria di N-acetilglutammato sintasi (RCG050)*

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

## **ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE, CARBAGLU e ACIDO CARGLUMICO WAYMADE)**

*Il trattamento della iperammonemia dovuta alla deficienza primaria di N-acetilglutammato sintasi (RCG050)*

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **ACIDO CHENODESOSSICOLICO LEADIANT**

*Trattamento di errori congeniti della sintesi degli acidi biliari primari dovuti alla deficienza di 7 $\alpha$ -idrossilasi (CTX) in neonati, bambini e adolescenti di età compresa tra un mese e diciotto anni e negli adulti.*

### **PT Template AIFA**

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **ACIDO OBETICOLICO (OCALIVA)**

*Colangite biliare primitiva*

### **PT Template AIFA**

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Medica

Epatologia e trapianti del fegato

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Patologie del fegato

## **ALGLUCOSIDASI ALFA (MYOZYME); AVALGLUCOSIDASI ALFA (NEXVIADYME)**

*Malattia di Pompe*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

## **ANAKINRA (KINERET)**

*Sindromi della febbre periodica autoinfiammatoria (CAPS, FMF e TRAPS (L. 648/96))*

**Scheda di prescrizione**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **ANAKINRA (KINERET)\*; CANAKINUMAB (ILARIS)\***

*Malattia di Still ad insorgenza nell'adulto e Artrite idiopatica giovanile sistemica*

**Scheda di prescrizione**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **ATALUREN (TRANSLARNA)**

*Trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni.*

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Neurologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

## **ATALUREN (TRANSLARNA)**

*Trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a due anni.*

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Neurologica

#### **Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Neurologia

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## **AVAPRITINIB (AYVAKYT); MIDOSTAURINA (RYDAPT); CLADRIBINA (LITAK) legge 648/96**

*Leucemia mastocitaria (MCL), mastocitosi sistemica aggressiva (ASM) o mastocitosi sistemica associata a neoplasia ematologica (SM-AHN) (no CLADRIBINA)*

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

## **BUDESONIDE (JORVEZA)**

*Trattamento dell'esofagite eosinofila (EE) negli adulti (età superiore a 18 anni).*

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Gastroenterologia - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Gastroenterologia

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Gastroenterologia

## **BUROSUMAB (CRYSVITA)**

*Ipfosfatemia x-linked*

**Registro di monitoraggio AIFA**

## **BUROSUMAB (CRYSVITA)**

*Ipfosfatemia x-linked*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **C1-INIBITORE (CINRYZE, BERINERT); LANADELUMAB (TAKHZYRO); ICATIBANT; CONESTAT ALFA (RUCONEST); BEROTRALSTAT (ORLADEYO)**

*Angioedema ereditario (HAE).*

**PT template AIFA (no ICATIBANT)**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Immunologia e Allergologia di laboratorio

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica pediatrica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano**

Area giovani e Radioterapia pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica, cura e ricerca delle immunodeficienze

## **CANAKINUMAB (ILARIS)**

*Sindromi della febbre periodica autoinfiammatoria (CAPS, FMF, HIDS/MKD e TRAPS)*

**Scheda di prescrizione**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **CANNABIDILOLO (EPIDYOLEX)**

Terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox Gastaut (LGS) o a sindrome di Dravet (DS) nei pz a partire dai 2 anni

### **PT Template AIFA**

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Neurologia - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Neurologica

##### **Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Neurologia

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## **CAPLACIZUMAB(CABLIVI)**

Trattamento negli adulti degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione a plasmafèresi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione.

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Trasfusionale

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

## **CERLIPONASE ALFA (BRINEURA)**

Trattamento della patologia ceroidolipofusinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), nota anche come carenza di tripeptidil-peptidasi 1 (TPP-1).

### **Registro di monitoraggio AIFA**

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **COMPLESSO PROTROMBINICO ANTIEMOFILICO UMANO ATTIVATO; TUTTI I FATTORI VII, VIIa VIII, IX, XIII DI COAGULAZIONE; DESMOPRESSINA**

Difetti ereditari della coagulazione (RDG020)

### **PT generico /PT template AIFA**

## COMPLESSO PROTROMBINICO ANTIEMOFILICO UMANO ATTIVATO; TUTTI I FATTORI VII, VIIa VIII, IX, XIII DI COAGULAZIONE; DESMOPRESSINA

*Difetti ereditari della coagulazione (RDG020)*

**PT generico /PT template AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Trasfusionale

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Medicina Trasfusionale

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

## CRIZANLIZUMAB (ADAKVEO)

*Prevenzione delle crisi vaso-occlusive (VOC) nei pazienti con malattia a cellule falciformi.*

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Medicina Trasfusionale

e Immunoematologia

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

## DEFERROSSAMINA

*Talassemia maggiore*

**PT generico**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "San Vito al Tagliamento e Spilimbergo"**

Medicina Interna - San Vito al Tagliamento/Spilimbergo

Pediatria

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Nefrologia e Dialisi - Pordenone

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"**

## **DEFERROSSAMINA**

*Talassemia maggiore*

**PT generico**

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"**

Medicina - Latisana  
Medicina - Palmanova  
Nefrologia e Dialisi  
Pediatria

#### **Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"**

Medicina Interna - Tolmezzo  
Medicina Interna- San Daniele del Friuli  
Nefrologia e Dialisi  
Oncologia  
Pediatria

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica  
Clinica Medica  
Clinica Pediatrica  
Medicina Interna - Cividale  
Medicina Interna 1  
Medicina Interna 2  
Medicina Trasfusionale  
Nefrologia Dialisi e Trapianto Renale

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Patologie del fegato  
Medicina Clinica  
Medicina Interna  
Nefrologia e Dialisi

#### **Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Medicina - Gorizia  
Medicina - Monfalcone  
Nefrologia e Dialisi  
Pediatria

### **IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano**

Oncologia Radioterapica

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica  
Oncoematologia



**ECULIZUMAB (SOLIRIS)\*\*; EFGARTIGIMOD ALFA (VYVGART); GAMUNEX (immunoglob. umane normali, per somm. intravas.)**

*Miastenia gravis generalizzata refrattaria*

**Registro di monitoraggio AIFA (NO GAMUNEX)**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Neurologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Neurologica

**Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Neurologia

**ECULIZUMAB (SOLIRIS)\*; RAVULIZUMAB (ULTOMIRIS)**

*Sindrome emolitico uremica atipica*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Nefrologia e Dialisi - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Nefrologia Dialisi e Trapianto Renale

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Nefrologia e Dialisi

**Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Nefrologia e Dialisi

Pediatria

limitatamente alla prosecuzione della terapia impostata da parte di uno dei Centri nazionali di riferimento della rete delle Malattie rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

**ECULIZUMAB (SOLIRIS; BEKEMV; EPYSQLI); RAVULIZUMAB (ULTOMIRIS); PEGCETACOPLAN (ASPAVELI)**

*Emoglobinuria parossistica notturna.*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

**ECULIZUMAB (SOLIRIS; BEKEMV; EPYSQLI); RAVULIZUMAB (ULTOMIRIS);  
PEGCETACOPLAN (ASPAVELI)**

*Emoglobinuria parossistica notturna.*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

limitatamente a ECULIZUMAB

**ELIGLUSTAT (CERDELGA)**

*malattia di Gaucher di tipo 1 (GD1)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**ELOSULFASE ALFA (VIMIZIM); GALSULFASE (NAGLAZYME); IDURSULFASE (ELAPRASE);  
LARONIDASE (ALDURAZYME)**

*Mucopolisaccaridosi (RCG140)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

**ELTROMBOPAG (REVOLADE)\*; immunoglobuline equine anti-linfociti T umani (EQUINGAM);  
immunoglobulina antitimocitaria di coniglio (THYMOGLOBULINE)**

*Anemia aplastica acquisita (SAA)*

**Registro di monitoraggio AIFA (solo  
EQUINGAM)**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologico

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**ELTROMBOPAG (REVOLADE)\*; immunoglobuline equine anti-linfociti T umani (EQUINGAM); immunoglobulina antitimocitaria di coniglio (THYMOGLOBULINE)**

*Anemia aplastica acquisita (SAA)*

**Registro di monitoraggio AIFA (solo EQUINGAM)**

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

Escluso REVOLADE

**ELTROMBOPAG (REVOLADE); FOSTAMATINIB (TAVLESSE); ROMIPLOSTIM (NPLATE); AVATROMBOPAG (DOPTELET)**

*Trombocitopenia immune (ITP)*

**Registro di monitoraggio AIFA (solo FOSTAMATINIB)**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologico

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

Clinica Pediatrica

- Amb. Ematologia pediatrica  
limitatamente a ELTROMBOPAG

Dipartimento di Medicina TrASFusionale

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

limitatamente a ELTROMBOPAG, ROMIPLOSTIM

**EMICIZUMAB (HEMLIBRA)**

*Emofilia A con e senza inibitori e per Emofilia A acquisita (L.648/96)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina TrASFusionale

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Dipartimento di Medicina TrASFusionale

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

## **EMICIZUMAB (HEMLIBRA)**

*Emofilia A con e senza inibitori e per Emofilia A acquisita (L.648/96)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oncoematologia

## **ESTRATTO DI CORTECCIA DI BETULLA (FILSUVEZ GEL)**

*Epidermolisi bollosa distrofica nella forma recessiva (RDEB)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dermatologia

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Dermatologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Dermatologica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Allergologia Pediatrica, Dermatologia Pediatrica e Trattamento dell'asma

## **EVEROLIMUS (VOTUBIA)\***

*\*Trattamento astrocitomi subependimali a cellule giganti (SEGA) in pazienti con sclerosi tuberosa (TSC)*

**PT template AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Neurologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## **EVEROLIMUS (VOTUBIA)\*\*; CANNABIDILOLO (EPIDYOLEX)**

*\*\*Trattamento aggiuntivo delle crisi epilettiche refrattarie associate a sclerosi tuberosa (TSC) nei pazienti a partire da 2 anni di età.*

**PT template AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Neurologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## **EVOLOCUMAB (REPATHA); LOMITAPIDE (LOJUXTA); EVINACUMAB (EVKEEZA)**

*Ipercolesterolemia familiare omozigote*

**PT web based (REPATHA); Registro di monitoraggio AIFA (EVKEEZA)**

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Pediatrica

limitatamente a EVOLOCUMAB e EVINACUMAB

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

limitatamente a EVOLOCUMAB e EVINACUMAB

## **FENFLURAMINA (FINTEPLA)**

*Trattamento di crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet in pazienti di età  $\geq$  2 anni.*

**PT Template AIFA**

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Neurologia - Pordenone

### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

#### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

#### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Neurologica

#### **Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Neurologia

### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## **FIBRINOGENO UMANO (RIASTAP, FIBRYGA e FIBRICLOTTE)**

*ipo- e afibrinogenemia congenita (RDG020)*

### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

#### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Trasfusionale

## FIBRINOGENO UMANO (RIASTAP, FIBRYGA e FIBRICLOTTE)

*ipo- e afibrinogenemia congenita (RDG020)*

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Dipartimento di Medicina Trasfusionale

SSD Malattie emorragiche e trombotiche

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

#### Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

### IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

## GIVOSIRAN (GIVLAARI)

*Trattamento della porfiria epatica acuta (AHP) in adulti e adolescenti di eta' pari e superiore ai dodici anni.*

### Registro di monitoraggio AIFA

### Azienda sanitaria Friuli Occidentale

#### Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

#### Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Dermatologica

Clinica Medica

Clinica Patologie del fegato

### IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

## GLICEROLO FENILBUTIRRATO (RAVICTI)

*Pazienti con disturbo del ciclo dell'urea (UCD).*

### Azienda sanitaria Friuli Occidentale

#### Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

#### Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

## GLICEROLO FENILBUTIRRATO (RAVICTI)

*Pazienti con disturbo del ciclo dell'urea (UCD).*

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## IDEBENONE (RAXONE)

*Neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Oculistica - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Oculistica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Oculistica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Oculistica

pazienti adolescenti

## IMMUNOGLOBULINE UMANE NORMALI (IG VENA, VENITAL, PRIVIGEN, GAMTEN, OCTAGAM, KIOVIG, FLEBOGAMMA DIF, GAMUNEX ed HIZENTRA\*)

*Polineuropatia demielinizzante infiammatoria cronica (CIDP), \*come terapia di mantenimento dopo stabilizzazione con immunoglobuline per via endovenosa (IVIg).*

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Neurologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Neurologica

**Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"**

Neurologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Neuropsichiatria infantile

## INIBITORE DELL'ALFA 1 PROTEINASI UMANO (RESPREEZA, PROLASTIN)

Deficit di inibitore dell'alfa 1 proteinasi

### Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pneumologia - Pordenone

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

## IVACAFTOR/TEZACAFTOR/ELEXACAFTOR(KAFTRIO); IVACAFTOR (KALYDECO); TEZACAFTOR E IVACAFTOR (SYMKEVI); LUMACAFTOR/IVACAFTOR (ORKAMBI)

Fibrosi cistica. (FC)

### Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

## LUMASIRAN (OXLUMO)

Trattamento dell'iperossaluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età.

### Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## LUSPATERCEPT (REBLOZYL)\*

Beta-talassemia (RDG010).

### PT web-based

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Trasfusionale

e immunoematologia

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Medicina Trasfusionale

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"

Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone



## **LUSPATERCEPT (REBLOZYL)\***

*Beta-talassemia (RDG010).*

**PT web-based**

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

## **LUSPATERCEPT (REBLOZYL); LENALIDOMIDE (REVLIMID) legge 648/96**

*Sindrome mielodisplastica (RDG050).*

**PT web-based, Registro PPP  
(LENALIDOMIDE)**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

## **MARALIXIBAT (LIVMARLI)**

*prurito colestatico in pazienti affetti da sindrome di Alagille (ALGS)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **MEPOLIZUMAB (NUCALA)**

*Trattamento della granulomatosi eosinofila con poliangite (EGPA), limitatamente AIC 044648044.*

**PT Template AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

## MEPOLIZUMAB (NUCALA)

Trattamento della granulomatosi eosinofilica con poliangite (EGPA), limitatamente AIC 044648044.

### PT Template AIFA

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## MEPOLIZUMAB (NUCALA)\*

Trattamento della sindrome ipereosinofila (HES), limitatamente AIC 044648069.

### PT Template AIFA

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

Medicina Clinica

## MERCAPTAMINA (CYSTADROPS)

Trattamento dei depositi di cristalli di cistina nelle cornea in adulti e bambini dai 2 anni di età affetti da cistinosi

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

## MERCAPTAMINA BITARTRATO (CYSTAGON; PROCYSBI)

Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta

### Scheda di prescrizione (PROCYSBI)

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **METRELEPTINA(MYALEPTA)**

*Terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD)*

### **Scheda di prescrizione AIFA**

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Pediatrica

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **MIGALASTAT (GALAFOLD), AGALSIDASI ALFA (REPLAGAL), AGALSIDASI BETA (FABRAZYME)**

*Malattia di Fabry*

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **MIGLUSTAT**

*Malattia di Gaucher di tipo 1 in pazienti adulti con sintomatologia da lieve a moderata. Pazienti adulti ed in pazienti in età pediatrica affetti dalla malattia di Niemann-Pick di tipo C*

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Medica

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **NINTEDANIB (OFEV)\***

*Trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo negli adulti.*

### **Registro di monitoraggio AIFA**

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

## **NINTEDANIB (OFEV)\***

*Trattamento di malattie interstiziali polmonari (ILD) fibrosanti croniche con fenotipo progressivo negli adulti.*

### **Registro di monitoraggio AIFA**

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Pneumologia - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica di Reumatologia

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

Pneumologia

## **NINTEDANIB (OFEV); PIRFENIDONE**

*Fibrosi polmonare idiopatica*

### **Registro di monitoraggio AIFA (solo NINTEDANIB)**

#### **Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

##### **Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Pneumologia - Pordenone

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

#### **Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

##### **Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Pneumologia

## **NITISINONE**

*Trattamento di pazienti con diagnosi di tirosinemia ereditaria di tipo 1 (HT-1), con ridotto apporto alimentare di tirosina e fenilalanina.*

### **PT generico**

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

#### **IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

## **NITISINONE\***

*Trattamento di alcaptonuria.*

### **PT generico**

#### **Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

##### **Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

## **NITISINONE\***

*Trattamento di alcaptonuria.*

**PT generico**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **nota 39 - SOMATROPINA; SOMATROGON**

**PT generico**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Pediatrica

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

e Nutrizione Clinica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

sezione Endocrinologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

SS Endocrinologia, diabetologia e altre malattie del metabolismo

## **NUSINERSEN (SPINRAZA); RISDIPLAM (EVRYSDI)**

*Atrofia muscolare spinale 5q*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Neurologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

## **ODEVIXIBAT SESQUIDRATO (BYLVAY)**

*Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Epatologia e trapianti del fegato

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Clinica Patologie del fegato

## **ODEVIXIBAT SESQUIDRATO (BYLVAY)**

*Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **OLIPUDASI (XENPOZYME)**

*manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC (ZOLGENSMA)**

*Atrofia muscolare spinale*

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

## **PASIREOTIDE (SIGNIFOR); OSILODROSTAT (ISTURISA)**

*Malattia di Cushing*

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

## **PEGVALIASE (PALYNZIQ)**

*Trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **POMALIDOMIDE (IMNOVID) legge 648/96; DARATUMUMAB (DARZALEX)**

*Amiloidosi a catene leggere (AL)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

## **POMALIDOMIDE (IMNOVID) legge 648/96; DARATUMUMAB (DARZALEX)**

*Amiloidosi a catene leggere (AL)*

### **Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

## **RIOCIGUAT (ADEMPAS)**

*Ipertensione polmonare tromboembolica cronica (CTEPH)*

### **PT Template AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Cardiologia

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Cardiologia

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Cardiologia

Pneumologia

## **RIOCIGUAT (ADEMPAS); SELEXIPAG (UPTRAVI); MACITENTAN (OPSUMIT)**

*Ipertensione arteriosa polmonare (PAH) - PAH idiopatica, ereditabile, associata a mal. tessuto connettivo, associata a cardiopatie congenite*

### **PT template AIFA (no OPSUMIT)**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Cardiologia

Pneumologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"**

Cardiologia e Riabilitazione Cardiologica - Tolmezzo

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Cardiologia

Clinica di Reumatologia

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

Centro Cardiovascolare

## **RIOCIGUAT (ADEMPAS); SELEXIPAG (UPTRAVI); MACITENTAN (OPSUMIT)**

*Ipertensione arteriosa polmonare (PAH) - PAH idiopatica, ereditabile, associata a mal. tessuto connettivo, associata a cardiopatie congenite*

**PT template AIFA (no OPSUMIT)**

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

Fisiopatologia Respiratoria

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Cardiologia

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

Pneumologia

## **RUXOLITINIB (JAKAVI)\*; FEDRATINIB (INREBIC)**

*Mielofibrosi (mielofibrosi primaria, mielofibrosi post policitemia vera o mielofibrosi post trombocitemia essenziale)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

## **RUXOLITINIB (JAKAVI); ROPEGINTERFERONE ALFA 2-B (BESREMI)**

*Policitemia vera*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia



## SAPROPTERINA

Iperfenilalaninemia (HPA) in soggetti adulti e pazienti pediatriche di qualsiasi età affetti da fenilchetonuria (PKU) o con carenza di tetraidrobiopterina (BH4)

**PT template AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Endocrinologia - Diabetologia

## SEBELIPASE ALFA (KANUMA)

Terapia enzimatica sostitutiva (TES) in pazienti affetti da deficit di Lipasi Acida Lisosomiale (LAL)

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

## SELUMETINIB (KOSELUGO)

Neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatriche con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1)

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## SETMELANOTIDE (IMCIVREE)

Trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a deficit di pro-opiomelanocortina (POMC) o a deficit bi-allelico del recettore della leptina (LEPR).

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

SS Endocrinologia, diabetologia e altre malattie del metabolismo

## SETMELANOTIDE (IMCIVREE) \*

Trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS)

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

## **SETMELANOTIDE (IMCIVREE) \***

*Trattamento dell'obesità e il controllo della fame associati a sindrome di Bardet-Biedl (BBS)*

**Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

## **SETMELANOTIDE (IMCIVREE) \*\***

*Trattamento di obesità e controllo della fame associati all'obesità ipotalamica acquisita (HO) da craniofaringioma (L.648/96)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Medicina Clinica

## **SIROLIMUS (RAPAMUNE)**

*Trattamento di pazienti affetti da linfangioleiomiomatosi sporadica con malattia polmonare moderata o funzione polmonare in diminuzione.*

**Azienda sanitaria Friuli Occidentale**

**Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Pneumologia - Pordenone

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Pneumologia

## **SOLRIAMFETOL (SUNOSI); PITOLISANT (WAKIX)**

*Narcolessia (con o senza cataplessia)*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

## **TAFAMIDIS (VYNDAQEL)**

*Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM).*

**Registro di monitoraggio AIFA**

## TAFAMIDIS (VYNDAQEL)

Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM).

### Registro di monitoraggio AIFA

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Cardiologia

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Cardiologia

## TAFAMIDIS MEGLUMINE (VYNDAQEL); PATISIRAN(ONPATTRO); INOTERSEN (TEGSEDI); VUTRISIRAN (AMVUTTRA)

Amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (amiloidosi hATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia

### Registro di monitoraggio AIFA

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Neurologia

## TAGRAXOFUSP (ELZONRIS)

In monoterapia per il trattamento di prima linea di pazienti adulti con neoplasia a cellule dendritiche plasmacitoidi blastiche (BPDCN).

### Registro di monitoraggio AIFA

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Clinica Ematologica

**Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina**

**Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste**

Ematologia Clinica

**IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"**

**Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/  
Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone**

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di ematologia

## TEDUGLUTIDE (REVESTIVE)

Per pazienti di 1 anno di età e oltre affetti da sindrome dell'intestino corto (SBS).

### Scheda di prescrizione

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Gastroenterologia

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## TOCILIZUMAB

*Arterite a cellule giganti (ACG) in pazienti adulti*

### Azienda sanitaria Friuli Occidentale

#### Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Reumatologia)

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

#### Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

Reumatologia

## TRIENTINA

*Trattamento del morbo di Wilson in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 5 anni intolleranti alla terapia con D-penicillamina.*

### Azienda sanitaria Friuli Occidentale

#### Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Epatologia e trapianti del fegato

### Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

#### Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

Clinica Patologie del fegato

### IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

## VALOCTOGENE ROXAPARVOVEC (ROCTAVIAN)

*Emofilia A grave pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5*

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Medicina Trasfusionale

## VELMANASE ALFA (LAMZEDE)

*Terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi moderata*

### Registro di monitoraggio AIFA

### Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

#### Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

## **VELMANASE ALFA (LAMZEDE)**

*Terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi moderata*

### **Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica

## **VESTRONIDASII ALFA (MEPSEVII)**

*Cura di manifestazioni non neurologiche di mucopolisaccaridosi VII (MPS VII; sindrome di Sly).*

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **VOLANESORSEN (WAYLIVRA); LOMITAPIDE (LOJUXTA) legge 648/96**

*Sindrome da chilomicronemia familiare (FCS)*

### **Registro di monitoraggio AIFA (solo WAYLIVRA)**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

## **VOSORITIDE (VOXZOGO)**

*Acondroplasia*

### **Registro di monitoraggio AIFA**

**Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale**

**Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine**

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

**IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste**

Clinica Pediatrica