Codice ATC	Principio Attivo	Via somm.	Tipo Ricetta	Classe SSN	PT/WEB- BASED	INDICAZIONE TERAPEUTICA RIMBORSATA	MALATTIA	Codice di esenzione MR	AZIENDA SANITARIA	PO MALATTIE RARE	Centro di Riferimento MR	Referente
A05AA03	Acido colico	os	RNRL	H		Trattamento dei difetti congeniti della sintesi degli acidi biliari primari causati dal deficit di 3β-idrossi-Δ5-C27-steroidi ossidoreduttasi o deficit di Δ4-3- ossosteroidi-5β-reduttasi in lattanti, bambini e adolescenti da 1 mese a 18 anni di età e negli adulti.	DIFETTI CONGENITI DELLA SINTESI DEGLI ACIDI BILIARI	RCG072				
A05AX04	Maralixibat	os	RRL	H		Indicato per il trattamento del prurito colestatico in pazienti affetti da sindrome di Alagille (ALGS) di età pari e superiore a due mesi	ALAGILLE, SINDROME DI	RN1350	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A05AX04	Maralixibat	os	RRL	H		Indicato per il trattamento del prurito colestatico in pazienti affetti da sindrome di Alagille (ALGS) di età pari e superiore a due mesi	ALAGILLE, SINDROME DI	RN1350	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Fisiopatologia Digestiva	Francesco Luzza luzza@unicz.it
A05AX04	Maralixibat	os	RRL	H		Indicato per il trattamento del prurito colestatico in pazienti affetti da sindrome di Alagille (ALGS) di età pari e superiore a due mesi	ALAGILLE, SINDROME DI	RN1350	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A05AX05	Odevixibat sesquidrato	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva (progressive familial intrahepatic cholestasis, PFIC) in pazienti di età pari o superiore ai sei mesi.	COLESTASI INTRAEPATICHE PROGRESSIVE FAMILIARI	RIG010	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Fisiopatologia Digestiva	Francesco Luzza luzza@unicz.it
A16AA04	Mercaptamina bitartrato	os	RNRL	A-PHT		Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta. La cisteamina riduce l'accumulo della cistina in alcune cellule (ad esempio leucociti e cellule muscolari ed epatiche) di pazienti con cistinosi nefropatica e, se il trattamento è iniziato precocemente, ritarda la comparsa dell'insufficienza renale	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI: CISTINOSI	RCG040				
A16AB02	Imiglucerasi	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine, in pazienti con diagnosi confermata di Malattia di Gaucher non neuropatica (Tipo 1) o neuropatica cronica (Tipo 3), i quali evidenzino inoltre significative manifestazioni cliniche non neurologiche della malattia.	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB02	Imiglucerasi	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine, in pazienti con diagnosi confermata di Malattia di Gaucher non neuropatica (Tipo 1) o neuropatica cronica (Tipo 3), i quali evidenzino inoltre significative manifestazioni cliniche non neurologiche della malattia.	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta megalati@aocs.it
A16AB04	Agalsidasi beta	ev	OSP	H		terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Fabry (carezza di a-galattosidasi A)	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB04	Agalsidasi beta	ev	OSP	H		terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Fabry (carezza di a-galattosidasi A)	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB04	Agalsidasi beta	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Fabry (carezza di a-galattosidasi A)	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
A16AB05	Laronidasi	ev	RR	H		Terapia enzimatica sostitutiva a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di Mucopolisaccaridosi I (MPS I); deficit di a-L-iduronidasi, per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche della patologia	MUCOPOLISACCARIDOSI	RCG140	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB07	Alglucosidasi alfa	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di a-glucosidasi acida). Indicato negli adulti e nei pazienti pediatrici di qualsiasi età	GLICOGENOSI	RCG060	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB07	Alglucosidasi alfa	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di a-glucosidasi acida). Indicato negli adulti e nei pazienti pediatrici di qualsiasi età	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB07	Alglucosidasi alfa	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di a-glucosidasi acida). Indicato negli adulti e nei pazienti pediatrici di qualsiasi età	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Nutrizione clinica	Arturo Pujia pujia@unicz.it

A16AB07	Alglucosidasi alfa	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida). Indicato negli adulti e nei pazienti pediatrici di qualsiasi età	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Malattie metaboliche	Agostino Gnasso gnasso@unicz.it
A16AB07	Alglucosidasi alfa	ev	OSP	H		Terapia enzimatica sostitutiva (ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida). Indicato negli adulti e nei pazienti pediatrici di qualsiasi età	GLICOGENOSI	RCG060	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
A16AB09	Idursulfasi	ev	RR	H		Trattamento a lungo termine dei pazienti con sindrome di Hunter (mucopolisaccaridiosi II, MPS II)	MUCOPOUSACCARIDOSI	RCG140	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB10	Velaglucerasi alfa	ev	RR	H		Terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da malattia di Gaucher di tipo 1	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB10	Velaglucerasi alfa	ev	RR	H		Terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da malattia di Gaucher di tipo 1	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta megalati@aoccz.it
A16AB14	Sebelipasi alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (TES) a lungo termine in pazienti affetti da deficit di lipasi acida lisosomiale (LAL) ad esordio precoce (entro il primo anno di vita) e a rapida progressione	ALTRE MALATTIE DA ACCUMULO LISOSOMIALE	RCG180				
A16AB15	Velmanasi alfa	ev	RRNL	H	Registro web-based AIFA	Terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento di manifestazioni non neurologiche in pazienti affetti da alfa-mannosidosi da lieve a moderata	MALATTIE DEL METABOLISMO: OLIGOSACCARIDOSI	RCG091	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB17	Cerliponasi alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della patologia ceroidolipofuscinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), nota anche come carenza di tripeptidil-peptidasi 1 (TPP-1)	MALATTIE DEL METABOLISMO: CEROIDOLIPOFUSCINOSI	RF020	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB18	Vestronidasi alfa	ev	OSP	H		Indicato per la cura di manifestazioni non neurologiche di mucopolisaccaridiosi VII (MPS VII; sindrome di Sly).	MUCOPOUSACCARIDOSI	RCG140	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB19	Pegvaliasi	sc	RRL	H		Indicato per il trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU), di età pari e superiore ai sedici anni, che hanno un controllo inadeguato della fenilalanina ematica (livelli ematici di fenilalanina maggiori di 600 micromol/L) nonostante il trattamento precedente con le opzioni terapeutiche disponibili	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMMINOACIDI	RCG040	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB19	Pegvaliasi	sc	RRL	H		Indicato per il trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU), di età pari e superiore ai sedici anni, che hanno un controllo inadeguato della fenilalanina ematica (livelli ematici di fenilalanina maggiori di 600 micromol/L) nonostante il trattamento precedente con le opzioni terapeutiche disponibili	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMMINOACIDI	RCG040	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB22	Avalglucosidasi alfa	ev	RR	H		Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	GLICOGENOSI	RCG060	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AB22	Avalglucosidasi alfa	ev	RR	H		Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AB22	Avalglucosidasi alfa	ev	RR	H		Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Nutrizione clinica	Arturo Pujia pujia@unicz.it
A16AB22	Avalglucosidasi alfa	ev	RR	H		Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	GLICOGENOSI	RCG060	AOU Catanzaro	Polidivisione Germaneto	UO Malattie metaboliche	Agostino Gnasso gnasso@unicz.it
A16AB22	Avalglucosidasi alfa	ev	RR	H		Indicato per la terapia enzimatica sostitutiva (enzyme replacement therapy, ERT) a lungo termine in pazienti con diagnosi confermata di malattia di Pompe (deficit di α -glucosidasi acida)	GLICOGENOSI	RCG060	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it

A16AB25	olipudasi	ev	RRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato come terapia enzimatica sostitutiva per il trattamento delle manifestazioni non neurologiche del deficit di sfingomielinasi acida (ASMD) di tipo A/B o B in pazienti pediatrici e adulti	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: NIEMANN-PICK TIPO A, B, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX04	Nitisinone	os	RR	A-PHT		Trattamento di pazienti adulti con alcaptonuria (AKU)	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI: ALCAPTONURIA	RCG040	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AX04	Nitisinone	os	RR	A-PHT		Trattamento di pazienti adulti con alcaptonuria (AKU)	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI: ALCAPTONURIA	RCG040	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX06	Miglustat	os	RRL	A-PHT		Trattamento delle manifestazioni neurologiche progressive in pazienti adulti ed in pazienti in età pediatrica affetti dalla malattia di Niemann-Pick di tipo C.	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: NIEMANN-PICK TIPO C, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX07	Sapropterina	os	RRL	A-PHT	PT cartaceo AIFA	Trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in soggetti adulti e pazienti pediatrici di qualsiasi età affetti da fenilchetonuria (PKU), che hanno mostrato una risposta a tale trattamento	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI: Fenilchetonuria	RCG040	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AX07	Sapropterina	os	RRL	A-PHT	PT cartaceo AIFA	Trattamento dell'iperfenilalaninemia (HPA) in soggetti adulti e pazienti pediatrici di qualsiasi età affetti da fenilchetonuria (PKU), che hanno mostrato una risposta a tale trattamento	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEGLI AMINOACIDI: Fenilchetonuria	RCG040	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria specialistica e malattie rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX08	Teduglutide	sc	RRL	H		Trattamento di pazienti di 1 anno di età e oltre affetti da sindrome dell'intestino corto (SBS). I pazienti devono essere in condizioni stabili dopo un periodo di adattamento dell'intestino a seguito dell'intervento	ALTRE MALFORMAZIONI CONGENITE GRAVI ED INVALIDANTI DELL'APPARATO DIGERENTE	RNG252				
A16AX10	Eliglustat	os	RRL	A-PHT		Trattamento a lungo termine di pazienti adulti con malattia di Gaucher di tipo 1 (GD1) che sono metabolizzatori lenti (poor metabolisers, PMs), metabolizzatori intermedi (intermediate metabolisers, IMs) o metabolizzatori estensivi (extensive metabolisers, EMs) per CYP2D6.	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX10	Eliglustat	os	RRL	A-PHT		Trattamento a lungo termine di pazienti adulti con malattia di Gaucher di tipo 1 (GD1) che sono metabolizzatori lenti (poor metabolisers, PMs), metabolizzatori intermedi (intermediate metabolisers, IMs) o metabolizzatori estensivi (extensive metabolisers, EMs) per CYP2D6.	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: GAUCHER, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mgalati@aoccz.it
A16AX12	Trientina tetraidrocloreidrato	os	RNRL	A-PHT		Indicato per il trattamento del morbo di Wilson in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 5 anni intolleranti alla terapia con D-penicillamina	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO DEL RAME: WILSON, MALATTIA DI (codice RC0150)	RCG102	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX12	Trientina tetraidrocloreidrato	os	RNRL	A-PHT		Indicato per il trattamento del morbo di Wilson in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 5 anni intolleranti alla terapia con D-penicillamina	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO DEL RAME: WILSON, MALATTIA DI (codice RC0150)	RCG102	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Epatologia	Massimo De Siena m.desiena@materdominiaou.it Sebastiano Di Salvo s.disalvo@materdominiaou.it
A16AX12	Trientina tetraidrocloreidrato	os	RNRL	A-PHT		Indicato per il trattamento del morbo di Wilson in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 5 anni intolleranti alla terapia con D-penicillamina	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO DEL RAME: WILSON, MALATTIA DI (codice RC0150)	RCG102	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AX12	Trientina tetraidrocloreidrato	os	RNRL	A-PHT		Indicato per il trattamento del morbo di Wilson in adulti, adolescenti e bambini di età pari o superiore a 5 anni intolleranti alla terapia con D-penicillamina	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO DEL RAME: WILSON, MALATTIA DI (codice RC0150)	RCG102	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalcerc.it
A16AX14	Migalastat	os	RRL	A-PHT		Trattamento a lungo termine negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni, con una diagnosi accertata di malattia di Fabry (carenza dell'a-galattosidasiA) e caratterizzati da una mutazione suscettibile	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AX14	Migalastat	os	RRL	A-PHT		Trattamento a lungo termine negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni, con una diagnosi accertata di malattia di Fabry (carenza dell'a-galattosidasiA) e caratterizzati da una mutazione suscettibile	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX14	Migalastat	os	RRL	A-PHT		Trattamento a lungo termine negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore a 16 anni, con una diagnosi accertata di malattia di Fabry (carenza dell'a-galattosidasiA) e caratterizzati da una mutazione suscettibile	DIFETTI DA ACCUMULO DI LIPIDI: FABRY, MALATTIA DI	RCG080	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalcerc.it

A16AX18	Lumasiran	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'iperossalluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI IPEROSSALLURIA PRIMITIVA DI TIPO 1 (PH1)	RCG060	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
A16AX18	Lumasiran				Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'iperossalluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI IPEROSSALLURIA PRIMITIVA DI TIPO 1 (PH1)	RCG060	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
A16AX18	Lumasiran				Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'iperossalluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI IPEROSSALLURIA PRIMITIVA DI TIPO 1 (PH1)	RCG060	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Nutrizione clinica	Arturo Puja puja@unicz.it
A16AX18	Lumasiran				Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'iperossalluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI IPEROSSALLURIA PRIMITIVA DI TIPO 1 (PH1)	RCG060	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Malattie metabolismo	Agostino Gnasso gnasso@unicz.it
A16AX18	Lumasiran				Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'iperossalluria primitiva di tipo 1 (PH1) in tutte le fasce d'età	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO E DEL TRASPORTO DEI CARBOIDRATI IPEROSSALLURIA PRIMITIVA DI TIPO 1 (PH1)	RCG060	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
B01BD15	Valoctocogene roxaparvovec	ev	OSP	H		Trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5)	Emofilia A	RDG020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Microcitemia Emostasi e Trombosi	Giuseppe Messina giuseppe.messina@ospedalerc.it
B01BD15	Valoctocogene roxaparvovec	ev	OSP	H		Trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5)	Emofilia A	RDG020	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
B01BD15	Valoctocogene roxaparvovec	ev	OSP	H		Trattamento dell'emofilia A grave (deficit congenito di fattore VIII) in pazienti adulti senza anamnesi di inibitori del fattore VIII e senza anticorpi rilevabili anti-virus adeno-associato del sierotipo 5 (AAV5)	Emofilia A	RDG020	AOU Catanzaro	Ciaccio	UO Centro Emostasi e Trombosi	Santoro Rita Carlotta ritacarlottasantoro@gmail.com
B02AB02	Alfa1-antitripsina	ev	RNRL	H		Terapia cronica sostitutiva in soggetti con carenza congenita di inibitore dell'alfa1-proteinasi	CARENZA CONGENITA DI ALFA-1-ANTITRIPSINA	RC0200	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pneumologia	Girolamo Pelaia pelaia@unicz.it
B02AB02	Alfa1-antitripsina	ev	RNRL	H		Terapia cronica sostitutiva in soggetti con carenza congenita di inibitore dell'alfa1-proteinasi	CARENZA CONGENITA DI ALFA-1-ANTITRIPSINA	RC0200	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it
B02BX04	Romiplostim	sc	RR	H		Indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mcgalati@aoccz.it
B02BX04	Romiplostim	sc	RR	H		Indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
B02BX04	Romiplostim	sc	RR	H		Indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Oncematologia Pediatrica	Rosalba Mandaglio rosalba.mandaglio@ospedalerc.it
B02BX04	Romiplostim	sc	RR	H		Indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
B02BX04	Romiplostim	sc	RR	H		Indicato in pazienti adulti affetti da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica che sono refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
B02BX05	Eltrombopag	ev,os	RR	H		Indicato in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mcgalati@aoccz.it

B02BX05	Eltrombopag	ev,os	RR	H		Indicato in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
B02BX05	Eltrombopag	ev,os	RR	H		Indicato in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Oncematologia Pediatrica	Rosalba Mandaglio rosalba.mandaglio@ospedalerc.it
B02BX05	Eltrombopag	ev,os	RR	H		Indicato in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aoccz.it
B02BX05	Eltrombopag	ev,os	RR	H		Indicato in pazienti di età superiore ad 1 anno per il trattamento della trombocitopenia immune primaria (ITP) che sono refrattari ad altri trattamenti (ad esempio corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aoccz.it
B02BX08	Avatrombopag	os	RR	H		Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mgalati@aoccz.it
B02BX08	Avatrombopag	os	RR	H		Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
B02BX08	Avatrombopag	os	RR	H		Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Oncematologia Pediatrica	Rosalba Mandaglio rosalba.mandaglio@ospedalerc.it
B02BX08	Avatrombopag	os	RR	H		Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aoccz.it
B02BX08	Avatrombopag	os	RR	H		Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) primaria cronica nei pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti (ad es. corticosteroidi, immunoglobuline)	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aoccz.it
B02BX09	Fostamatinib	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari a trattamenti di prima linea quali corticosteroidi e immunoglobuline in vena e refrattari o che presentino controindicazioni ad almeno uno tra tpora e rituximab	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mgalati@aoccz.it
B02BX09	Fostamatinib	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari a trattamenti di prima linea quali corticosteroidi e immunoglobuline in vena e refrattari o che presentino controindicazioni ad almeno uno tra tpora e rituximab	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
B02BX09	Fostamatinib	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari a trattamenti di prima linea quali corticosteroidi e immunoglobuline in vena e refrattari o che presentino controindicazioni ad almeno uno tra tpora e rituximab	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Oncematologia Pediatrica	Rosalba Mandaglio rosalba.mandaglio@ospedalerc.it
B02BX09	Fostamatinib	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari a trattamenti di prima linea quali corticosteroidi e immunoglobuline in vena e refrattari o che presentino controindicazioni ad almeno uno tra tpora e rituximab	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aoccz.it
B02BX09	Fostamatinib	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento della trombocitopenia immune (immune thrombocytopenia, ITP) cronica in pazienti adulti refrattari a trattamenti di prima linea quali corticosteroidi e immunoglobuline in vena e refrattari o che presentino controindicazioni ad almeno uno tra tpora e rituximab	PIASTRINOPATIE AUTOIMMUNI PRIMARIE CRONICHE	RDG031	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aoccz.it
B06AC01	Inibitore umano della C1-esterasi	ev,sc	RR	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Prevenzione degli attacchi di angioedema ereditario (HAE) ricorrenti negli adolescenti e negli adulti con deficit di inibitore della C1-esterasi	ANGIOEDEMA EREDITARIO	RC0190	AOU Catanzaro	Polidivico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it
B06AC02	Icatibant acetato	sc	RR	H		Indicato per la terapia sintomatica degli attacchi acuti di angioedema ereditario (AEE) negli adulti, adolescenti e bambini a partire dai 2 anni, con carenza di inibitore esterasi C1	ANGIOEDEMA EREDITARIO	RC0190	AOU Catanzaro	Polidivico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it

C10AX18	Volanesorsen	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato come coadiuvante della dieta in pazienti adulti affetti da sindrome da chlolemonemia familiare (FCS) confermata geneticamente e ad alto rischio di pancreatite, in cui la risposta alla dieta e alla terapia di riduzione dei trigliceridi è stata inadeguata	DIFETTI CONGENITI DEL METABOLISMO DELLE LIPOPROTEINE: Deficit familiare di lipasi lipoproteica	RCG070	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Nutrizione clinica	Arturo Puja puja@unicz.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Pediatria	Raiola Giuseppe giuseppe.raiola57@alice.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Endocrinologia	Aversa Antonio aversa@unicz.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Patologia Neonatale	Isabella Mondello isabella.mondello@ospedalerc.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AO Cosenza	Annunziata	UO Diabetologia ed endocrinologia	Giuseppe Cersosimo g.cersosimo@aocs.it
H02AB09	Idrocortisone Emisuccinato Sodico	os	RRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Trattamento dell'iperplasia surrenalica congenita (CAH, congenital adrenal hyperplasia) negli adolescenti di età pari o superiore a dodici anni e negli adulti.	SINDROMI ADRENOGENITALI CONGENITE	RCG020	AO Cosenza	Annunziata	UO Chirurgia Pediatrica	Fawzi Shweiki f.shweiki@aocs.it
J06BA02	Immunoglobulina Umana ad alto titolo	ev	OSP	H		Poliradiconeuropatia demielinizante infiammatoria cronica (CIDP)	POLINEUROPATIA CRONICA INFIAMMATORIA DEMIELINIZZANTE	RF0180	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
J06BA02	Immunoglobulina Umana ad alto titolo	ev	OSP	H		Poliradiconeuropatia demielinizante infiammatoria cronica (CIDP)	POLINEUROPATIA CRONICA INFIAMMATORIA DEMIELINIZZANTE	RF0180	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
J06BA02	Immunoglobulina Umana ad alto titolo	ev	OSP	H		Poliradiconeuropatia demielinizante infiammatoria cronica (CIDP)	POLINEUROPATIA CRONICA INFIAMMATORIA DEMIELINIZZANTE	RF0180	AO Cosenza	Annunziata	UO Neurologia	Alfredo Petrone a.petrone@aocs.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Pediatria	Domenico Minasi domenico.minasi@ospedalerc.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Patologia Neonatale	Isabella Mondello isabella.mondello@ospedalerc.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Neurologia	Bosco Domenico nico.bosco@libero.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Pediatria	Raiola Giuseppe giuseppe.raiola57@alice.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it

L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Neurochirurgia	Angelo Lavano lavano@unicz.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
L01EE04	Selumetinib	os	RNRL	H	Scheda Regionale DCA PT generico	Indicato in monoterapia per il trattamento del neurofibroma plessiforme (PN) inoperabile, sintomatico in pazienti pediatrici con neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) a partire dai tre anni di età	NEUROFIBROMATOSI	RBG010	AO Cosenza	Annunziata	UO Dermatologia	Eugenio Provenzano e.provenzano@aocs.it
L01EX18	Avapritinib	os	OSP	H	Scheda Regionale DCA PT generico	In monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva (ASM), mastocitosi sistemica associata a neoplasia ematologica (SM-AHN) o leucemia mastocitaria (MCL), in seguito ad almeno una terapia sistemica	MASTOCITOSI SISTEMICA	RD0081	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
L01EX18	Avapritinib	os	OSP	H	Scheda Regionale DCA PT generico	In monoterapia per il trattamento di pazienti adulti affetti da mastocitosi sistemica aggressiva (ASM), mastocitosi sistemica associata a neoplasia ematologica (SM-AHN) o leucemia mastocitaria (MCL), in seguito ad almeno una terapia sistemica	MASTOCITOSI SISTEMICA	RD0081	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalerc.it
L01FC01	Daratumab	ev,sc	OSP	H	Registro web-based AIFA	In associazione con ciclofosfamide, bortezomib e desametasone per il trattamento di pazienti adulti affetti da amiloidosi sistemica da catene leggere (AL) di nuova diagnosi	AMILOIDOSI SISTEMICHE AL	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	Centro Regionale Trapianti	Massimo Martino massimo.martino@ospedalerc.it
L04AA03	Immunoglobuline equine anti-linfociti T	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Indicato per l'uso negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni per il trattamento dell'anemia aplastica acquisita da moderata a grave di eziologia immunologica nota o sospetta, nell'ambito della terapia immunosoppressiva standard in pazienti che non sono idonei al trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) per i quali non è disponibile un donatore di HSC idoneo	ANEMIE APLASTICHE ACQUISITE	RD0070	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
L04AA03	Immunoglobuline equine anti-linfociti T	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Indicato per l'uso negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni per il trattamento dell'anemia aplastica acquisita da moderata a grave di eziologia immunologica nota o sospetta, nell'ambito della terapia immunosoppressiva standard in pazienti che non sono idonei al trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) per i quali non è disponibile un donatore di HSC idoneo	ANEMIE APLASTICHE ACQUISITE	RD0070	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Oncoematologia Pediatrica	Rosalba Mandaglio rosalba.mandaglio@ospedalerc.it
L04AA03	Immunoglobuline equine anti-linfociti T	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Indicato per l'uso negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni per il trattamento dell'anemia aplastica acquisita da moderata a grave di eziologia immunologica nota o sospetta, nell'ambito della terapia immunosoppressiva standard in pazienti che non sono idonei al trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) per i quali non è disponibile un donatore di HSC idoneo	ANEMIE APLASTICHE ACQUISITE	RD0070	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	E' indicato per il trattamento di adulti e bambini affetti da: emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Le prove del beneficio clinico sono dimostrate in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia, indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	E' indicato per il trattamento di adulti e bambini affetti da: emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Le prove del beneficio clinico sono dimostrate in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia, indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncoematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mcgalati@aoccz.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	E' indicato per il trattamento di adulti e bambini affetti da: emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Le prove del beneficio clinico sono dimostrate in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia, indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalerc.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	E' indicato per il trattamento di adulti e bambini affetti da: emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Le prove del beneficio clinico sono dimostrate in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia, indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	Centro Regionale Trapianti	Massimo Martino massimo.martino@ospedalerc.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	E' indicato per il trattamento di adulti e bambini affetti da: emoglobinuria parossistica notturna (EPN). Le prove del beneficio clinico sono dimostrate in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia, indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AO Cosenza	Annunziata	UO Nefrologia e Dialisi	Teresa Papalia t.papalia@aocs.it

L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aocz.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Nefrologia	Chiarella Salvatore salvatore.chiarella@aocz.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Pediatria	Domenico Minasi domenico.minasi@ospedalerc.it
L04AA25	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA - Legge 648/96	Sindrome emolitico uremica atipica (SEUa)	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedalerc.it
L04AA28	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AO Cosenza	Annunziata	UO Neurologia	Alfredo Petrone a.petrone@aocs.it
L04AA28	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Neurologia	Bosco Domenico nico.bosco@libero.it
L04AA28	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AOU Catanzaro	Polidinico Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
L04AA28	Eculizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti affetti da miastenia gravis generalizzata refrattaria (MGg) in pazienti positivi agli anticorpi anti recettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AO Cosenza	Annunziata	UO Nefrologia e Dialisi	Teresa Papalia t.papalia@aocs.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aocz.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Nefrologia	Chiarella Salvatore salvatore.chiarella@aocz.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Pediatria	Domenico Minasi domenico.minasi@ospedalerc.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da sindrome emolitico uremica atipica (SEUa) che sono naïve agli inibitori del complemento o che sono stati trattati con eculizumab per almeno tre mesi e hanno evidenziato una risposta a eculizumab	SINDROME EMOLITICO UREMICA	RD0010	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedalerc.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H		Indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aocz.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H		Indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mcgalati@aocz.it

L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H		Indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalc.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H		Indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	Centro Regionale Trapianti	Massimo Martino massimo.martino@ospedalc.it
L04AA43	Ravulizumab	ev	OSP	H		Indicato nel trattamento di pazienti adulti e pediatrici con peso corporeo pari o superiore a 10 kg affetti da emoglobinuria parossistica notturna (EPN): • in pazienti con emolisi e uno o più sintomi clinici indicativi di un'elevata attività della malattia; • in pazienti clinicamente stabili dopo trattamento con eculizumab per almeno gli ultimi 6 mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
L04AA54	Pegcetacoplan	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Ematologia	Marco Rossi ematologia@aoccz.it
L04AA54	Pegcetacoplan	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Oncoematologia Pediatrica	Galati Maria Concetta mgalati@aoccz.it
L04AA54	Pegcetacoplan	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalc.it
L04AA54	Pegcetacoplan	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	GOM Reggio Calabria	Riuniti	Centro Regionale Trapianti	Massimo Martino massimo.martino@ospedalc.it
L04AA54	Pegcetacoplan	sc	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento di pazienti adulti con emoglobinuria parossistica notturna (EPN) che rimangono anemici dopo trattamento con un inibitore di C5 per almeno TRE mesi	EMOGLOBINURIA PAROSSISTICA NOTTURNA	RD0020	AO Cosenza	Annunziata	UO Ematologia – UOS Patologie coagulative	Massimo Gentile m.gentile@aocs.it
L04AA58	Efgartigimod alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono positivi all'anticorpo antirecettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AO Cosenza	Annunziata	UO Neurologia	Alfredo Petrone a.petrone@aocs.it
L04AA58	Efgartigimod alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono positivi all'anticorpo antirecettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Neurologia	Bosco Domenico nico.bosco@libero.it
L04AA58	Efgartigimod alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono positivi all'anticorpo antirecettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
L04AA58	Efgartigimod alfa	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	in aggiunta alla terapia standard per il trattamento dei pazienti adulti con miastenia gravis generalizzata (gMG) che sono positivi all'anticorpo antirecettore dell'acetilcolina (AChR)	SINDROMI MIASTENICHE CONGENITE E DISIMMUNI EATON-LAMBERT, SINDROME DI (codice RF0190)	RFG101	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalc.it
L04AC03	Anakinra	ev	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Anakinra deve essere somministrato in associazione con colchicina	FEBBRE MEDITERRANEA FAMILIARE	RC0241	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
L04AC03	Anakinra	ev	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Anakinra deve essere somministrato in associazione con colchicina	FEBBRE MEDITERRANEA FAMILIARE	RC0241	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it
L04AC03	Anakinra	ev	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Anakinra deve essere somministrato in associazione con colchicina	FEBBRE MEDITERRANEA FAMILIARE	RC0241	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedalc.it
L04AC03	Anakinra	ev	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Anakinra deve essere somministrato in associazione con colchicina	FEBBRE MEDITERRANEA FAMILIARE	RC0241	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Reumatologia	Giuseppa Pagano Mariano reumatologia@ospedalc.it

L04AC03	Anakinra	ev	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Febbre mediterranea familiare (FMF). Se appropriato, Anakinra deve essere somministrato in associazione con colchicina	FEBBRE MEDITERRANEA FAMILIARE	RC0241	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Pediatria	Raiola Giuseppe giuseppe.raiola57@alice.it
L04AC08	Canakinumab	sc	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Sindromi da Febbre Periodica Autoinfiammatoria (TRAPS, MKD, FMF)	SINDROMI AUTOINFIAMMATORIE EREDITARIE/FAMILIARI	RCG161	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it
L04AC08	Canakinumab	sc	RRL	H	Scheda di prescrizione cartacea AIFA	Malattia di Still	SINDROMI AUTOINFIAMMATORIE EREDITARIE/FAMILIARI	RCG161	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria	Romina Gallizzi rgallizzi@unicz.it
L04AX06	Pomalidomide	os	RNRL	H		in associazione a desametasone è indicato nel trattamento di pazienti adulti con amiloidosi AL sottoposti a precedenti terapie, comprendenti sia lenalidomide che bortezomib che non abbiano determinato una risposta ematologica completa o parziale molto buona (definita come dFLC <40 mg/L nei soggetti con dFLC basale >50 mg/L o come dFLC <10 mg/L nei soggetti con dFLC basale tra 20 e 50 mg/L).	AMILOIDOSI SISTEMICHE AL	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalerc.it
L04AX06	Pomalidomide	os	RNRL	H		in associazione a desametasone è indicato nel trattamento di pazienti adulti con amiloidosi AL sottoposti a precedenti terapie, comprendenti sia lenalidomide che bortezomib che non abbiano determinato una risposta ematologica completa o parziale molto buona (definita come dFLC <40 mg/L nei soggetti con dFLC basale >50 mg/L o come dFLC <10 mg/L nei soggetti con dFLC basale tra 20 e 50 mg/L).	AMILOIDOSI SISTEMICHE AL	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Ematologia	Caterina Alati caterina.alati@ospedalerc.it
L04AX06	Pomalidomide	os	RNRL	H		in associazione a desametasone è indicato nel trattamento di pazienti adulti con amiloidosi AL sottoposti a precedenti terapie, comprendenti sia lenalidomide che bortezomib che non abbiano determinato una risposta ematologica completa o parziale molto buona (definita come dFLC <40 mg/L nei soggetti con dFLC basale >50 mg/L o come dFLC <10 mg/L nei soggetti con dFLC basale tra 20 e 50 mg/L).	AMILOIDOSI SISTEMICHE AL	RCG130	GOM Reggio Calabria	Centro Regionale Trapianti	Centro Regionale Trapianti	Massimo Martino massimo.martino@ospedalerc.it
M05BX07	Vosoritide	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i cinque e i quattordici anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epilisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica	CONDRODISTROFIE CONGENITE	RNG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
M05BX07	Vosoritide	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i cinque e i quattordici anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epilisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica	CONDRODISTROFIE CONGENITE	RNG050	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
M05BX07	Vosoritide	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i cinque e i quattordici anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epilisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica	CONDRODISTROFIE CONGENITE	RNG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
M05BX07	Vosoritide	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'acondroplasia in pazienti di età compresa tra i cinque e i quattordici anni al momento dell'inizio della terapia e le cui epilisi non siano chiuse. La diagnosi di acondroplasia deve essere confermata mediante opportuna analisi genetica	CONDRODISTROFIE CONGENITE	RNG050	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
M09AX03	Ataluren	os	RNRL	H		Trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dovuta a mutazione nonsense nel gene della distrofina (nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD) nei pazienti deambulanti di età pari o superiore a 5 anni. L'efficacia non è stata dimostrata nei pazienti non deambulanti	DISTROFIA MUSCOLARE DI DUCHENNE	RFG080	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
M09AX07	Nusinersen	intrat	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
M09AX07	Nusinersen	intrat	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
M09AX07	Nusinersen	intrat	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale 5q	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
M09AX09	Onasemnogene Aβeparvovec	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg; diagnosticata di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
M09AX09	Onasemnogene Aβeparvovec	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg; diagnosticata di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Policlinico Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it

M09AX09	Onasemnogene Aboeparvovec	ev	OSP	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg: diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
M09AX10	Risdiplam	os	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti a partire da 2 mesi di età, con una diagnosi clinica di SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o aventi da una a quattro copie di SMN2	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
M09AX10	Risdiplam	os	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti a partire da 2 mesi di età, con una diagnosi clinica di SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o aventi da una a quattro copie di SMN2	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
M09AX10	Risdiplam	os	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti a partire da 2 mesi di età, con una diagnosi clinica di SMA di tipo 1, tipo 2 o tipo 3 o aventi da una a quattro copie di SMN2	ATROFIE MUSCOLARI SPINALI	RFG050	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato, come terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox Gastaut (LGS) nei pazienti a partire da due anni di età	LENNOX-GASTAUT, SINDROME DI	RF0130	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato, come terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox Gastaut (LGS) nei pazienti a partire da due anni di età	LENNOX-GASTAUT, SINDROME DI	RF0130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato, come terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Dravet (DS) nei pazienti a partire da due anni di età	DRAVET, SINDROME DI	RF0061	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età	SCLEROSI TUBEROSA	RN0750	AO Cosenza	Annunziata	UO Pediatria	Sperli Domenico d.sperli@aocs.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età	SCLEROSI TUBEROSA	RN0750	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Neurologia	Bosco Domenico nico.bosco@libero.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età	SCLEROSI TUBEROSA	RN0750	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Pediatria Specialistica e Malattie Rare	Concolino Daniela dconcolino@unicz.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età	SCLEROSI TUBEROSA	RN0750	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
N03AX24	Cannabidiolo	os	RNRL	A-PHT	PT Cartaceo AIFA	Indicato come terapia aggiuntiva per le crisi epilettiche associate a sclerosi tuberosa complessa (TSC) nei pazienti a partire da due anni di età	SCLEROSI TUBEROSA	RN0750	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedalerc.it
N03AX26	Fenfluramina	os	RNRL	A-PHT		Trattamento di crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet come terapia aggiuntiva ad altri medicinali antiepilettici per pazienti di età pari o superiore ai 2 anni	DRAVET, SINDROME DI	RF0061	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
N06BX13	Idebenone	os	RR	C		- Nel trattamento di deficit cognitivo-comportamentali conseguenti a patologie cerebrali sia di origine vascolare che degenerativa - Miocardiopatia nei pazienti affetti da Atassia di Friedreich	MALATTIE SPINOCEREBELLARI	RFG040	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Neurologia	Antonio Gambardella a.gambardella@unicz.it
N06BX13	Idebenone	os	RR	C		- Nel trattamento di deficit cognitivo-comportamentali conseguenti a patologie cerebrali sia di origine vascolare che degenerativa - Miocardiopatia nei pazienti affetti da Atassia di Friedreich	MALATTIE SPINOCEREBELLARI	RFG040	AO Cosenza	Annunziata	UO Neurologia	Alfredo Petrone a.petrone@aocs.it

N07XX08	Tafamidis	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM)	AMILOIDOSI SISTEMICHE ATTR-CM	RCG130	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Cardiologia	Ciro Indolfi indolfi@unicz.it Daniela Torella dtorella@unicz.it
N07XX08	Tafamidis	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina nei pazienti adulti affetti da polineuropatia sintomatica di stadio 1 al fine di ritardare la compromissione neurologica periferica	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedaler.it
N07XX08	Tafamidis	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM)	AMILOIDOSI SISTEMICHE ATTR-CM	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Cardiologia	Frank Benedetto frank.benedetto@ospedaler.it
N07XX08	Tafamidis	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina wild type o ereditaria nei pazienti adulti affetti da cardiomiopatia (ATTR-CM)	AMILOIDOSI SISTEMICHE ATTR-CM	RCG130	AOU Catanzaro	Polidiv. Germaneto	UO Cardiologia	Ciro Indolfi indolfi@unicz.it Daniela Torella dtorella@unicz.it
N07XX08	Tafamidis	os	RRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi da transtiretina nei pazienti adulti affetti da polineuropatia sintomatica di stadio 1 al fine di ritardare la compromissione neurologica periferica	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedaler.it
N07XX12	Patisiran Sodico	ev	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (amiloidosiATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia allo stadio 1 o stadio 2	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedaler.it
N07XX12	Patisiran Sodico	ev	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (amiloidosiATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia allo stadio 1 o stadio 2	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedaler.it
N07XX15	Inotersen	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da amiloidosi ereditaria da accumulo da transtiretina (hATTR) con polineuropatia in stadio 1 o 2	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedaler.it
N07XX15	Inotersen	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da amiloidosi ereditaria da accumulo da transtiretina (hATTR) con polineuropatia in stadio 1 o 2	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Nefrologia	Francesca Mallamaci francesca.mallamaci@ospedaler.it
N07XX18	Vutrisiran	sc	RNRL	H	Registro web-based AIFA	Trattamento dell'amiloidosi ereditaria mediata dalla transtiretina (amiloidosi hATTR) in pazienti adulti affetti da polineuropatia allo stadio 1 o allo stadio 2	AMILOIDOSI SISTEMICHE polineuropatia	RCG130	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Neurologia	Luciano Arcudi luciano.arcudi@ospedaler.it
R03DX09	Mepolizumab	sc_ev	RRL	A-PHT	PT cartaceo AIFA	Granulatosi eosinofila con poliangite (EGPA)	GRANULOMATOSI EOSINOFILICA CON POLIANGITE	RG0050	AOU Catanzaro	Pugliese	UO Medicina Generale	Pintaudi Carmelo c.pintaudi@libero.it
R03DX09	Mepolizumab	sc_ev	RRL	A-PHT	PT cartaceo AIFA	Granulatosi eosinofila con poliangite (EGPA)	GRANULOMATOSI EOSINOFILICA CON POLIANGITE	RG0050	GOM Reggio Calabria	Riuniti	UO Reumatologia	Giuseppa Pagano Mariano reumatologia@ospedaler.it