

ELENCO CENTRI AUTORIZZATI

Farmaci per Malattie Rare con limitazione di centro

ACIDO CHENODESOSSICOLICO LEADIANT

Trattamento di errori congeniti della sintesi degli acidi biliari primari dovuti alla deficienza di sterolo 27-idrossilasi (CTX) in neonati, bambini e adolescenti di età compresa tra un mese e diciotto anni e negli adulti.

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 Medica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

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

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 - Gorizia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

BUROSUMAB (CRYSVITA)

Ipofosfatemia x-linked con evidenza radiografica di malattia ossea, nei bambini =>1 anno e negli adolescenti con sistema scheletrico in crescita

Registro di monitoraggio AIFA

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

C1 INIBITORE; COMPLESSO PROTROMBINICO ANTIEMOFILICO UMANO ATTIVATO; TUTTI I FATTORI VII, VIII E IX DI COAGULAZIONE; FIBRINOGENO UMANO LIOFILIZZATO

Angioedema ereditario; Emofilia

PT generico /PT template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "San Vito al Tagliamento e Spilimbergo"

Medicina Interna - San Vito al Tagliamento/Spilimbergo

Ostetricia e ginecologia

Pediatria

Pronto Soccorso - Spilimbergo

Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - San Vito al Tagliamento

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Medicina Trasfusionale

Ostetricia e Ginecologia

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"

Medicina - Latisana

Medicina - Palmanova

Ostetricia e Ginecologia

Pediatria

Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - Latisana

Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - Palmanova

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Medicina Interna - Tolmezzo

Medicina Interna- San Daniele del Friuli

Ostetricia e ginecologia

Pediatria

Pronto Soccorso - Emergenza - Terapia Intensiva - San Daniele del Friuli

Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - Tolmezzo

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

C1 INIBITORE; COMPLESSO PROTROMBINICO ANTIEMOFILICO UMANO ATTIVATO; TUTTI I FATTORI VII, VIII E IX DI COAGULAZIONE; FIBRINOGENO UMANO LIOFILIZZATO

Angioedema ereditario; Emofilia

PT generico /PT template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica
Clinica Medica
Clinica Ostetrico-Ginecologica
Clinica Pediatrica
Dipartimento di Medicina Trasfusionale
Medicina Interna - Cividale
Medicina Interna 1
Medicina Interna 2
Medicina Trasfusionale
Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Casa di Cura "Salus S.p.A."

Medicina Generale

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

1^ Medica
3^ Medica
Clinica Medica
Ematologia Clinica
Medicina Clinica
Pronto Soccorso

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Gorizia
Medicina - Monfalcone
Ostetricia e Ginecologia
Pediatrica - Monfalcone
Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - Gorizia
Pronto Soccorso e Medicina d'Urgenza - Monfalcone

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano

Centro Immunotrasfusionale e Analisi Cliniche

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Ostetrico-Ginecologica
Oncoematologia
Patologia Ostetrica

CANAKINUMAB (ILARIS)*

**Sindrome periodica associata al TNF - Sindrome da iperimmunoglobulinemia D /deficit mevalonato chinasi - Febbre mediterranea familiare*

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

CANNABIDIOLO (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

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

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

CINRYZE; BERINERT; TAKHZYRO

Angioedema ereditario (HAE).

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

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano

Oncologia sperimentale 1

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

CINRYZE; BERINERT; TAKHZYRO

Angioedema ereditario (HAE).

PT template AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

DEFEROSSAMINA

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"

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

1^ Medica

Clinica Patologie del fegato

DEFEROSSAMINA

talassemia maggiore

PT generico

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

Nefrologia e Dialisi

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Gorizia

Medicina - Monfalcone

Nefrologia e Dialisi

Pediatria - Monfalcone

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano

Oncologia Radioterapica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

Oncoematologia

ECULIZUMAB (SOLIRIS)

Emoglobinuria parossistica notturna indipendentemente dalla storia precedente di trasfusioni

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

ECULIZUMAB (SOLIRIS)*

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

ECULIZUMAB (SOLIRIS)*

Sindrome emolitica uremica atipica

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Nefrologia e Dialisi

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Pediatria - Monfalcone

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ELTROMBOPAG (REVOLADE)

*Porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) cronica (PTI) in pazienti >1 anno refrattari ad altri trattamenti;
Anemia aplastica acquisita grave (SAA) in pazienti adulti refrattari o fortemente pretrattati*

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

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

limitatamente all'indicazione pediatrica (da porpora trombocitopenica autoimmune (idiopatica) cronica (ITP))

EMICIZUMAB (HEMLIBRA)

Profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A con inibitori del fattore VIII e senza inibitori del fattore VIII. «Hemlibra» può essere usato in tutte le fasce d'età

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Medicina Trasfusionale

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

indicazione pediatrica

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

EVEROLIMUS (VOTUBIA)*

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

PT template AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

EVEROLIMUS (VOTUBIA)**

***Trattamento aggiuntivo per pazienti >2anni con crisi epilettiche focali refrattarie associate al complesso di sclerosi tuberosa (TSC)*

PT template AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

EVOLOCUMAB (REPATHA); LOMITAPIDE (LOJUXTA)

Ipercolesterolemia famigliare omozigote

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 Medica

(compreso Ambulatorio per lo studio dislipidemie)

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

*Repatha: Ipercolesterolemia familiare omozigote nei pazienti adolescenti (età ≥ 12 anni)

GIVOSIRAN (GIVLAARI)

Trattamento della porfiria epatica acuta (AHP) in adulti e adolescenti di età 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

GIVOSIRAN (GIVLAARI)

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

Registro di monitoraggio AIFA

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

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, SHIZENTRA, OCTAGAM)

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

Registro di monitoraggio AIFA(no per HIZENTRA, GAMTEN, IG VENA, OCTAGAM e VENITAL)

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

IMMUNOGLOBULINE UMANE NORMALI (IG VENA, VENITAL, PRIVIGEN, GAMTEN, SHIZENTRA, OCTAGAM)

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

Registro di monitoraggio AIFA(no per HIZENTRA, GAMTEN, IG VENA, OCTAGAM e VENITAL)

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia - Gorizia

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

IVACAFITOR/TEZACAFITOR/ELEXACAFITOR(KAFTRIO); IVACAFITOR (KALYDECO); TEZACAFITOR E IVACAFITOR (SYMKEVI); LUMACAFITOR/IVACAFITOR (ORKAMBI)

Fibrosi cistica. (FC)

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Sezione Reumatologia

LENALIDOMIDE (REVLIMID)

Sindrome mielodisplastica delezione 5q isolata o associata (648) ad altre anomalie cromosomiche

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

LENALIDOMIDE (REVLIMID)

Sindrome mielodisplastica delezione 5q isolata o associata (648) ad altre anomalie cromosomiche

Registro di monitoraggio AIFA

**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

LOMITAPIDE (LOJUXTA)

Ipercolesterolemia familiare omozigote

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Riabilitazione Cardiologica e Cardio Oncologica - Sacile

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Cardiovascolare Medicina dello Sport

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

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

METRELEPTINA(MYALEPTA)

Terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti con alterazioni metaboliche e sindrome di Belardinelli - Seip o di Lawrence.

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

NINTEDANIB (OFEV)

Fibrosi polmonare idiopatica

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

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

NITISINONE (ORFADIN)

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

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

nota 39 - SOMATROPINA

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 "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Pediatria

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

3^Medica (sezione Endocrinologia)

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

NUSINERSEN (SPINRAZA)

Atrofia muscolare spinale 5q

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

NUSINERSEN (SPINRAZA)

Atrofia muscolare spinale 5q

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC (ZOLGENSMA)

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).

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

PASIREOTIDE (SIGNIFOR)

Malattia di Cushing ACTH dipendente

Registro di monitoraggio AIFA

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

PIRFENIDONE (ESBRIET)

Fibrosi polmonare idiopatica

Registro di monitoraggio AIFA

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

POMALIDOMIDE (IMNOVID)

Amiloidosi - 648

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

POMALIDOMIDE (IMNOVID)

Amiloidosi - 648

Registro di monitoraggio AIFA

**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 arteriosa polmonare (PAH): trattamento di pazienti adulti affetti con classe funzionale (CF) OMS da II a III, in monoterapia o in combinazione con antagonisti del recettore dell'endotelina

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Cardiologia

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Fisiopatologia Respiratoria

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Cardiologia e Riabilitazione Cardiologica - Tolmezzo

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Cardiologia

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Cardiovascolare Medicina dello Sport

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Cardiologia

Pneumologia

ROMIPLOSTIM (NPLATE)

Porpora trombocitopenia autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica in pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

ROMIPLOSTIM (NPLATE)

Porpora trombocitopenia autoimmune (idiopatica) (PTI) cronica in pazienti adulti refrattari ad altri trattamenti

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Ambulatorio Ematologia

SAPROPTERINA (KUVAN)

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 Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

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

TAFAMIDIS (VYNDAQEL); PATISIRAN(ONPATTRO); INOTERSEN (TEGSEDI)

Amiloidosi

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

TEDUGLUTIDE (REVESTIVE)

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Gastroenterologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

TEDUGLUTIDE (REVESTIVE)

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

PT Template AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

TOCILIZUMAB (ROACTEMRA)

arterite a cellule giganti (ACG) in pazienti adulti

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Dipartimento Assistenza Primaria Aziendale (Distretto Nord)

Ambulatorio di Reumatologia

Presidio Ospedaliero "San Vito al Tagliamento e Spilimbergo"

Medicina Interna - San Vito al Tagliamento/Spilimbergo

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Reumatologia)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Casa di Cura "Città di Udine"

Ambulatorio di Reumatologia

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Medicina Interna - Ambulatorio Reumatologia - San Daniele del Friuli

Medicina Interna - Ambulatorio Reumatologia - Tolmezzo

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 - SSD Reumatologia

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Ambulatorio Reumatologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Sezione Reumatologia

TRIENTINA (CUPRIOR; CUFENCE)

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

TRIENTINA (CUPRIOR; CUFENCE)

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 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 Medica

Clinica Patologie del fegato

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

VOLANESORSEN (WAYLIVRA)

Adulti affetti da FCS confermata geneticamente e con storia di pancreatite acuta (almeno 1 episodio negli ultimi 5 anni), nonostante la dieta e la terapia di riduzione dei trigliceridi (fibrati e acidi grassi omega 3).

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare