

ELENCO CENTRI AUTORIZZATI

Farmaci per Malattie Rare con limitazione di centro

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

ABATACEPT; ADALIMUMAB; ETANERCEPT; SECUKINUMAB; TOCILIZUMAB

Artrite Idiopatica Giovanile

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE e CARBAGLU)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE, CARBAGLU e ACIDO CARGLUMICO WAYMADE)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

ACIDO CARGLUMICO (UCEDANE, CARBAGLU e ACIDO CARGLUMICO WAYMADE)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ACIDO CHENODESOSSICOLICO LEADIANT

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ACIDO OBETICOLICO (OCALIVA)

Colangite biliare primitiva

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Medica

Epatologia e trapianti del fegato

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Patologie del fegato

ALGLUCOSIDASI ALFA (MYOZYME); AVALGLUCOSIDASI ALFA (NEXVIADYME)

Malattia di Pompe

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

ANAKINRA (KINERET)

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

Scheda di prescrizione

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ANAKINRA (KINERET)*; CANAKINUMAB (ILARIS)*

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

Scheda di prescrizione

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ATALUREN (TRANSLARNA)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Neurologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

ATALUREN (TRANSLARNA)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

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

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

BUDESONIDE (JORVEZA)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Gastroenterologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Gastroenterologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Gastroenterologia

BUROSUMAB (CRYSVITA)

Ipfosfatemia x-linked

Registro di monitoraggio AIFA

BUROSUMAB (CRYSVITA)

Ippofosfatemia x-linked

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

Angioedema ereditario (HAE).

PT template AIFA (no ICATIBANT)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Immunologia e Allergologia di laboratorio

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano

Area giovani e Radioterapia pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica, cura e ricerca delle immunodeficienze

CANAKINUMAB (ILARIS)

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

Scheda di prescrizione

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica Pediatrica

Reumatologia pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

CANNABIDILOLO (EPIDYOLEX)

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Neurologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

CAPLACIZUMAB(CABLIVI)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Trasfusionale

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

CERLIPONASE ALFA (BRINEURA)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

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

Difetti ereditari della coagulazione (RDG020)

PT generico /PT template AIFA

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

Difetti ereditari della coagulazione (RDGo20)

PT generico /PT template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Trasfusionale

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Medicina Trasfusionale

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

CRIZANLIZUMAB (ADAKVEO)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Medicina Trasfusionale

e Immunoematologia

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

DEFERROSSAMINA

Talassemia maggiore

PT generico

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "San Vito al Tagliamento e Spilimbergo"

Medicina Interna - San Vito al Tagliamento/Spilimbergo

Pediatria

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Nefrologia e Dialisi - Pordenone

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"

DEFERROSSAMINA

Talassemia maggiore

PT generico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"

Medicina - Latisana
Medicina - Palmanova
Nefrologia e Dialisi
Pediatria

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

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

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

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

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Patologie del fegato
Medicina Clinica
Medicina Interna
Nefrologia e Dialisi

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Gorizia
Medicina - Monfalcone
Nefrologia e Dialisi
Pediatria

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano

Oncologia Radioterapica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica
Oncoematologia

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

Miastenia gravis generalizzata refrattaria

Registro di monitoraggio AIFA (NO GAMUNEX)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Neurologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia

ECULIZUMAB (SOLIRIS)*; RAVULIZUMAB (ULTOMIRIS)

Sindrome emolitico uremica atipica

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Nefrologia e Dialisi - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Nefrologia Dialisi e Trapianto Renale

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Nefrologia e Dialisi

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Nefrologia e Dialisi

Pediatria

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

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

Emoglobinuria parossistica notturna.

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

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

Emoglobinuria parossistica notturna.

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

limitatamente a ECULIZUMAB

ELIGLUSTAT (CERDELGA)

malattia di Gaucher di tipo 1 (GD1)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

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

Mucopolisaccaridosi (RCG140)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

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

Anemia aplastica acquisita (SAA)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

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

Anemia aplastica acquisita (SAA)

Registro di monitoraggio AIFA (solo EQUINGAM)

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

Escluso REVOLADE

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

Trombocitopenia immune (ITP)

Registro di monitoraggio AIFA (solo FOSTAMATINIB)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna - Ambulatorio Ematologico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Clinica Pediatrica

- Amb. Ematologia pediatrica
limitatamente a ELTROMBOPAG

Dipartimento di Medicina TrASFusionale

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

limitatamente a ELTROMBOPAG, ROMIPLOSTIM

EMICIZUMAB (HEMLIBRA)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina TrASFusionale

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Dipartimento di Medicina TrASFusionale

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

EMICIZUMAB (HEMLIBRA)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

ESTRATTO DI CORTECCIA DI BETULLA (FILSUVEZ GEL)

Epidermolisi bollosa distrofica nella forma recessiva (RDEB)

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Dermatologia

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Dermatologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Dermatologica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Allergologia Pediatrica, Dermatologia Pediatrica e Trattamento dell'asma

EVEROLIMUS (VOTUBIA)*

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

PT template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

EVEROLIMUS (VOTUBIA); CANNABIDILOLO (EPIDYOLEX)**

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

PT template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

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

Ipercolesterolemia familiare omozigote

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

limitatamente a EVOLOCUMAB e EVINACUMAB

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

limitatamente a EVOLOCUMAB e EVINACUMAB

FENFLURAMINA (FINTEPLA)

Trattamento di crisi epilettiche associate alla sindrome di Dravet in pazienti di età ≥ 2 anni.

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Neurologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

FIBRINOGENO UMANO (RIASTAP, FIBRYGA e FIBRICLOTTE)

ipo- e afibrinogenemia congenita (RDG020)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Trasfusionale

FIBRINOGENO UMANO (RIASTAP, FIBRYGA e FIBRICLOTTE)

ipo- e afibrinogenemia congenita (RDG020)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Dipartimento di Medicina Trasfusionale

SSD Malattie emorragiche e trombotiche

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oncoematologia

GIVOSIRAN (GIVLAARI)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Dermatologica

Clinica Medica

Clinica Patologie del fegato

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

GLICEROLO FENILBUTIRRATO (RAVICTI)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

GLICEROLO FENILBUTIRRATO (RAVICTI)

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

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

IDEBENONE (RAXONE)

Neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON)

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Oculistica - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Oculistica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Oculistica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oculistica

pazienti adolescenti

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

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Neurologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

Neurologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Neurologica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Neuropsichiatria infantile

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

Deficit di inibitore dell'alfa 1 proteinasi

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

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

Fibrosi cistica. (FC)

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

LUMASIRAN (OXLUMO)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

LUSPATERCEPT (REBLOZYL)*

Beta-talassemia (RDG010).

PT web-based

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Trasfusionale

e immunoematologia

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Medicina Trasfusionale

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

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

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

LUSPATERCEPT (REBLOZYL)*

Beta-talassemia (RDG010).

PT web-based

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

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

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

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

Sindrome mielodisplastica (RDG050).

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

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

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

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

MARALIXIBAT (LIVMARLI)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

MEPOLIZUMAB (NUCALA)

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

MEPOLIZUMAB (NUCALA)

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

MEPOLIZUMAB (NUCALA)*

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

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

Medicina Clinica

MERCAPTAMINA (CYSTADROPS)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

MERCAPTAMINA BITARTRATO (CYSTAGON; PROCYSBI)

Trattamento della cistinosi nefropatica manifesta

Scheda di prescrizione (PROCYSBI)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

METRELEPTINA(MYALEPTA)

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

Scheda di prescrizione AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

Malattia di Fabry

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

MIGLUSTAT

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

NINTEDANIB (OFEV)*

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

NINTEDANIB (OFEV)*

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

Pneumologia

NINTEDANIB (OFEV); PIRFENIDONE

Fibrosi polmonare idiopatica

Registro di monitoraggio AIFA (solo NINTEDANIB)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

NITISINONE

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

PT generico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

NITISINONE*

Trattamento di alcaptonuria.

PT generico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

NITISINONE*

Trattamento di alcaptonuria.

PT generico

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

nota 39 - SOMATROPINA; SOMATROGON

PT generico

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

e Nutrizione Clinica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

sezione Endocrinologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

SS Endocrinologia, diabetologia e altre malattie del metabolismo

NUSINERSEN (SPINRAZA); RISDIPLAM (EVRYSDI)

Atrofia muscolare spinale 5q

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

ODEVIXIBAT SESQUIDRATO (BYLVAY)

Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Epatologia e trapianti del fegato

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Patologie del fegato

ODEVIXIBAT SESQUIDRATO (BYLVAY)

Trattamento della colestasi intraepatica familiare progressiva

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

OLIPUDASI (XENPOZYME)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC (ZOLGENSMA)

Atrofia muscolare spinale

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

PASIREOTIDE (SIGNIFOR); OSILODROSTAT (ISTURISA)

Malattia di Cushing

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

PEGVALIASE (PALYNZIQ)

Trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

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

Amiloidosi a catene leggere (AL)

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

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

Amiloidosi a catene leggere (AL)

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

IRCCS Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/

Azienda sanitaria "AS Friuli Occidentale"

Centro di Riferimento Oncologico di Aviano/

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

RIOCIGUAT (ADEMPAS)

Ipertensione polmonare tromboembolica cronica (CTEPH)

PT Template AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Cardiologia

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Cardiologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Cardiologia

Pneumologia

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

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

PT template AIFA (no OPSUMIT)

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Cardiologia

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Cardiologia e Riabilitazione Cardiologica - Tolmezzo

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Cardiologia

Clinica di Reumatologia

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Centro Cardiovascolare

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

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

PT template AIFA (no OPSUMIT)

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Fisiopatologia Respiratoria

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Cardiologia

Medicina Clinica - SSD Reumatologia

Pneumologia

RUXOLITINIB (JAKAVI)*; FEDRATINIB (INREBIC)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

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

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

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

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

Policitemia vera

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

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

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

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna

funzione integrata di Ematologia

SAPROPTERINA

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

PT template AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Endocrinologia - Diabetologia

SEBELIPASE ALFA (KANUMA)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

SELUMETINIB (KOSELUGO)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Centro di Coordinamento delle Malattie Rare del Friuli Venezia Giulia

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

SETMELANOTIDE (IMCIVREE)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

SS Endocrinologia, diabetologia e altre malattie del metabolismo

SETMELANOTIDE (IMCIVREE) *

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pediatria e Neonatologia - Pordenone

SETMELANOTIDE (IMCIVREE) *

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

Clinica Pediatrica - SSD Cura delle malattie rare

SIROLIMUS (RAPAMUNE)

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Pneumologia - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

SOLRIAMFETOL (SUNOSI); PITOLISANT (WAKIX)

Narcolessia (con o senza cataplessia)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Neurologica e di Neuroriabilitazione

TAFAMIDIS (VYNDAQEL)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Cardiologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Cardiologia

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

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

Registro di monitoraggio AIFA

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

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Neurologia

TAGRAXOFUSP (ELZONRIS)

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

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

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

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

Dipartimento di oncologia medica/Medicina interna
funzione integrata di ematologia

TEDUGLUTIDE (REVESTIVE)

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

Scheda di prescrizione

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Gastroenterologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

TOCILIZUMAB

Arterite a cellule giganti (ACG) in pazienti adulti

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Reumatologia)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica di Reumatologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

TOCILIZUMAB

Arterite a cellule giganti (ACG) in pazienti adulti

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Medicina Clinica

Reumatologia

TRIENTINA

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

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

Clinica Pediatrica

Epatologia e trapianti del fegato

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Medica

Clinica Patologie del fegato

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

VESTRONIDAS ALFA (MEPSEVII)

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

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

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

Sindrome da chilomicronemia familiare (FCS)

Registro di monitoraggio AIFA (solo WAYLIVRA)

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

Sindrome da chilomicronemia familiare (FCS)

Registro di monitoraggio AIFA (solo WAYLIVRA)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

VOSORITIDE (VOXZOGO)

Acondroplasia

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Centro di coordinamento Regionale Malattie Rare

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica