

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

BUROSUMAB (CRYSVITA)

Ippofosfemia 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

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 "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

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

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 Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

3^Medica

Clinica Medica

Ematologia Clinica

Medicina Clinica

Pronto Soccorso

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Medicina - Gorizia

Medicina - Monfalcone

Ostetricia e Ginecologia

Pediatria - 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

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

CAPLACIZUMAB(CABLIVI)

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

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Ematologia Clinica

CENEGERMIN (OXERVATE)

Cheratite neurotrofica moderata (difetto epiteliale persistente) o severa (ulcera corneale) negli adulti

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 "Latisana e Palmanova"

Oculistica - Palmanova

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Oculistica

Oculistica

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Clinica Oculistica

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Oculistica - Monfalcone

CERLIPONASE ALFA (BRINEURA)

Trattamento della patologia ceroidolipofuscinosi 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

CINRYZE; BERINERT; TAKHZYRO

Angioedema ereditario (HAE).

PT template AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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"

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

DEFERROSSAMINA

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 - Sindrome emolitico uremica atipica

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Medicina Interna (Ex Medicina Interna 2) - Pordenone

Nefrologia e Dialisi - Pordenone

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Clinica Ematologica

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"

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

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

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)

Ipercolesterolemia familiare omozigote

Registro di monitoraggio AIFA

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

Presidio Ospedaliero "San Vito al Tagliamento e Spilimbergo"

Cardiologia - San Vito al Tagliamento/Spilimbergo

Presidio Ospedaliero "Santa Maria degli Angeli" di Pordenone

Cardiologia
(compresa SSD Sacile)

Azienda sanitaria Universitaria Friuli Centrale

Istituto di medicina fisica e riabilitazione "Gervasutta"

Cardiologia riabilitativa

Presidio Ospedaliero "Latisana e Palmanova"

Cardiologia

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Cardiologia e Riabilitazione Cardiologica

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Cardiologia

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Cardiovascolare Medicina dello Sport

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Cardiologia
(compreso Ambulatorio per lo studio dislipidemie)

Presidio Ospedaliero "Gorizia e Monfalcone"

Cardiologia

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica

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

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

IDEBENONE (RAXONE)

Neuropatia ottica ereditaria di Leber (LHON)

Registro di monitoraggio AIFA

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Oculistica

pazienti adolescenti

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

Polineuropatia demielinizante 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

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

Istituto di medicina fisica e riabilitazione "Gervasutta"

Pneumologia Riabilitativa

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Medicina Interna - Tolmezzo

Medicina Interna - San Daniele del Friuli

Presidio Ospedaliero Universitario "Santa Maria della Misericordia" di Udine

Pneumologia e Fisiopatologia Respiratoria

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

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

Deficit di inibitore dell'alfa 1 proteinasi

Azienda sanitaria Universitaria Giuliano Isontina

Presidio Ospedaliero "Cattinara e Maggiore" di Trieste

Pneumologia

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

**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 sindrome di Belardinelli - Seip o sindrome di Lawrence.

Azienda sanitaria Friuli Occidentale

METRELEPTINA(MYALEPTA)

Terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti con sindrome di Belardinelli - Seip o sindrome 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"

nota 39 - SOMATROPINA

PT generico

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

IRCCS Materno Infantile "Burlo Garofolo" di Trieste

Clinica Pediatrica - Centro delle malattie metaboliche e delle malattie rare

ONASEMNOGENE ABEPARVOVEC (ZOLGENSMA)

Trattamento entro i primi sei mesi di vita di pazienti con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 2 copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (MA1) - 648

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

**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

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 Universitaria Giuliano Isontina

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

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 pediatrici 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

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

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

TOLVAPTAN (JINARC)

Per rallentare la progressione dello sviluppo di cisti e dell'insufficienza renale associata al rene policistico autosomico dominante (ADPKD) in adulti con CKD di stadio da 1 a 3 all'inizio del trattamento

Registro di monitoraggio AIFA

TOLVAPTAN (JINARC)

Per rallentare la progressione dello sviluppo di cisti e dell'insufficienza renale associata al rene policistico autosomico dominante (ADPKD) in adulti con CKD di stadio da 1 a 3 all'inizio del trattamento

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 "Latisana e Palmanova"

Nefrologia e Dialisi

Presidio Ospedaliero "San Daniele del Friuli e Tolmezzo"

Nefrologia e Dialisi

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

TRIENTINA TETRACLORIDRATO(CUPRIOR)

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

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