



Vimseltinib (Romvimza®) en adultos con tumor tenosinovial de células gigantes sintomático.

Observatorio Argentino CETSAI
para la innovación farmacéutica.

Informe: 10

Versión: 01

Fecha de última actualización: Noviembre de 2025



**UNIVERSIDAD
ISALUD**

CETSAI

CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN



RESUMEN

Vimseltinib (Romvimza®) es un medicamento que bloquea el receptor del factor estimulante de colonias uno, vía central en la fisiopatología del tumor tenosinovial de células gigantes sintomático, y ha sido autorizado para su comercialización en Estados Unidos y en la Unión Europea como tratamiento en adultos con enfermedad sintomática para quienes la cirugía no es una opción razonable o empeoraría de forma importante la función articular.

En el ensayo clínico fase tres y en su seguimiento a dos años, la tecnología mostró reducciones claras y sostenidas del volumen tumoral, mejorías relevantes frente a placebo en el movimiento de la articulación afectada, en la capacidad para realizar actividades cotidianas, en la rigidez y en el dolor, con un perfil de seguridad dominado por alteraciones de laboratorio generalmente manejables, mientras que no se identificaron estudios comparativos frente a otras alternativas sistémicas ni evaluaciones económicas formales.

Hasta ahora, no se han identificado evaluaciones económica que mencionen la tecnología en la indicación evaluada, sin embargo, el precio internacional disponible sitúa el costo anual del tratamiento por persona en un rango de muy alto precio según los umbrales consensuados para Argentina. Las recomendaciones internacionales de manejo continúan considerando la cirugía como tratamiento estándar cuando es posible y mencionan el tratamiento farmacológico, como opción para enfermedad sintomática no resecable o con cirugía de elevada morbilidad.

El medicamento puede considerarse como una innovación farmacéutica porque bloquea el receptor del factor estimulante de colonias uno, una vía directamente implicada en el crecimiento del tumor tenosinovial de células gigantes, y en estudios clínicos en adultos con enfermedad sintomática no operable mostró reducciones claras del volumen tumoral junto con mejoría relevante del movimiento articular, con un perfil de seguridad manejable. En cuanto a las estrategias de acceso, el medicamento se está introduciendo principalmente en Estados Unidos y la Unión Europea mediante aprobaciones regulatorias formales, negociación de precio y reembolso por país y programas de apoyo, mientras que en Argentina y el resto de Latinoamérica aún no se registran acuerdos concretos de cobertura ni políticas específicas.

El presente trabajo es un documento de Escaneo del Horizonte priorizado, realizado y autofinanciado por el Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica. El Centro de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Acceso e Innovación (CETSAI) en la universidad ISALUD pretende adelantar información confiable al sistema de salud argentino para la toma de decisiones sobre el acceso a la innovación farmacéutica aún no disponible en el país.

Para citar esta publicación: Vimseltinib (Romvimza®) en adultos con tumor tenosinovial de células gigantes sintomático. Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica, Informe de Escaneo del Horizonte N° 10, versión 01, Buenos Aires, Argentina. Noviembre 2025. Disponible en: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

SUMMARY

Vimseltinib (Romvimza®) is a medicine that blocks the colony-stimulating factor 1 receptor, a central pathway in the pathophysiology of symptomatic tenosynovial giant cell tumor, and it has been authorized for marketing in the United States and the European Union as a treatment for adults with symptomatic disease for whom surgery is not a reasonable option or would markedly worsen joint function.

In a phase III clinical trial and its two-year follow-up, the technology showed clear and sustained reductions in tumor volume and clinically important improvements over placebo in movement of the affected joint, ability to perform daily activities, stiffness, and pain, with a safety profile characterized mainly by generally manageable laboratory abnormalities, while no comparative studies against other systemic alternatives or formal economic evaluations were identified.

To date, no economic evaluations mentioning the technology in the assessed indication have been found; however, the available international price places the annual per-patient treatment cost in the very-high-price range according to thresholds agreed for Argentina. International management recommendations still consider surgery the standard treatment when feasible and mention drug treatment as an option for symptomatic disease that is not resectable or would require surgery with high morbidity.

The medicine can be regarded as a pharmaceutical innovation because it blocks the colony-stimulating factor 1 receptor, a pathway directly involved in the growth of tenosynovial giant cell tumor, and in clinical studies in adults with symptomatic inoperable disease it showed clear reductions in tumor volume together with meaningful improvement in joint movement and a manageable safety profile. Regarding access strategies, the medicine is being introduced mainly in the United States and the European Union through formal regulatory approvals, country-by-country price and reimbursement negotiations, and patient support programs, while in Argentina and the rest of Latin America no concrete coverage agreements or specific policies have yet been reported.

This work is a Horizon Scanning document prioritized, conducted and self-funded by the CETSAI Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation. The Center for Health Technology Assessment, Access, and Innovation (CETSAI) at ISALUD University aims to provide the Argentine healthcare system with reliable information for decision-making regarding access to pharmaceutical innovation not yet available in the country.

To cite this publication: Vimseltinib (Romvimza®) in adults with symptomatic giant cell tenosynovial tumor. Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation CETSAI, Horizon Scanning Report No. 10, version 01, Buenos Aires, Argentina. November 2025. Available at: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

INTRODUCCIÓN

El tumor tenosinovial de células gigantes (TGCT, del inglés *Tenosynovial Giant Cell Tumor*) es una neoplasia benigna, rara y localmente agresiva que se origina en la sinovial de articulaciones, bursas y vainas tendinosas, caracterizada por una sobreexpresión de factor estimulante de colonias 1 (FEC1) debida a reordenamientos génicos, lo que induce proliferación de células neoplásicas y reclutamiento masivo de macrófagos dependientes del receptor de FEC1 (FEC1R) que conforman la mayor parte del tumor.¹ La enfermedad comprende dos formas principales: el TGCT nodular o localizado (N-TGCT), que suele presentarse como una única lesión bien delimitada, habitualmente periarticular o en la vaina tendinosa (sobre todo en manos, muñeca y rodilla), de curso más indolente y con menor tasa de recurrencia tras resección completa. En contraste, el TGCT difuso (D-TGCT) se caracteriza por un compromiso extenso e infiltrativo de la sinovia articular y periarticular (típicamente rodilla, luego tobillo y cadera), con múltiples nódulos, erosión ósea y destrucción del cartílago, evolución más agresiva, frecuentes recurrencias y mayor impacto en función y calidad de vida.¹⁻³

Es una enfermedad poco frecuente a nivel mundial (ORPHA: 66627), con una incidencia anual estimada en estudios poblacionales de entre aproximadamente 30 y 39 casos por millón de personas para la forma localizada y entre 5 y 8 casos por millón para la forma difusa, lo que se traduce globalmente en unas 40 a 43 notificaciones nuevas por millón de habitantes al año.⁴ Datos de registros nacionales (p.ej., Dinamarca) indican prevalencias en torno a 44 por 100.000 habitantes para N-TGCT y 11 a 12 por 100.000 para D-TGCT, lo que confirma que, aunque sigue considerándose una patología poco frecuente, es algo más común de lo que se asumía históricamente.⁵ No se identifican estimaciones formales de incidencia o prevalencia de TGCT específicas para Argentina en bases de datos poblacionales o registros nacionales; sin embargo, es reconocida como una enfermedad poco frecuente por el Ministerio de Salud de la Nación según la Resolución Ministerial 307/2023 bajo la denominación “Sinovitis villonodular pigmentaria”.⁶

El TGCT no suele causar una muerte directa, pero genera morbilidad importante por dolor, rigidez, recurrencias frecuentes (sobre todo en la forma difusa) y destrucción articular que lleva a múltiples cirugías y, ocasionalmente, artroplastias o amputación. Esta evolución, particularmente en D-TGCT, se asocia a deterioro marcado de la función y de la calidad de vida, con resultados reportados por los pacientes comparables a otras enfermedades crónicas graves y elevado uso de recursos sanitarios, mientras que algunos casos localizados pueden permanecer estables o controlarse con una sola resección.^{2,3,7}

Las guías internacionales coinciden en que la escisión quirúrgica sigue siendo el tratamiento estándar de TGCT cuando la resección completa es factible, y que los inhibidores de CSF1R pexidartinib y vimseltinib se reservan para adultos con enfermedad sintomática no resecable o con cirugía de morbilidad inaceptable, logrando respuestas radiológicas relevantes y mejoría en dolor, rigidez, función y calidad de vida.^{1,8} Estas decisiones se toman idealmente en centros de referencia para sarcomas, con equipos multidisciplinarios, y en la práctica muchos países –incluidos contextos comparables al argentino– mantienen un acceso limitado a pexidartinib, vimseltinib y otros inhibidor de tirosina cinasa off-label como imatinib y nilotinib.⁹

TECNOLOGÍA

Vimseltinib es un inhibidor selectivo de tirosina cinasa dirigido al receptor del factor estimulante de colonias 1 (FEC1R), desarrollado originalmente por Deciphera Pharmaceuticals con el nombre comercial Romvimza®.¹⁰

La posología autorizada de vimseltinib en adultos con TGCT es de 30 mg por vía oral, dos veces por semana, en días no consecutivos, con o sin alimentos, manteniendo el tratamiento mientras se observe beneficio clínico y toxicidad aceptable.¹¹ Se recomienda monitorizar periódicamente CPK y enzimas hepáticas, y ajustar la dosis (p. ej. espaciar tomas o reducir a 20 mg dos veces por semana) o suspender temporalmente ante elevaciones significativas de CPK, transaminasas o aparición de toxicidad grado ≥ 3 , siguiendo las pautas del prospecto y la ficha técnica.^{10,11}

La Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, su sigla del inglés *U.S. Food and Drug Administration*) ha autorizado su comercialización en el año 2025 para el tratamiento de pacientes adultos con TGCT sintomático para el cual la resección quirúrgica potencialmente causará un empeoramiento de la limitación funcional o una morbilidad grave.¹¹ Por otro lado, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA, su sigla del inglés *European Medicines Agency*) lo ha autorizado, y brindado definición de medicamento huérfano, para el tratamiento de adultos con TGCT sintomático, que tienen limitaciones graves de movimiento y para quienes la cirugía ya no es una opción o causaría problemas graves a largo plazo.¹²

OBJETIVO

El objetivo del presente documento de Evaluación de Tecnología Sanitaria (ETESA) ultrarrápida de Escaneo del Horizonte es evaluar los parámetros de eficacia, seguridad, costos y recomendaciones disponibles acerca del empleo de vimseltinib (Romvimza®) en adultos con tumor tenosinovial de células gigantes sintomático ajustados a las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina.

MÉTODOS

Los informes del Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica siguen los lineamientos de la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Excelencia Clínica (CONETEC) en el Ministerio de Salud de la Nación (Resolución Ministerial 2092/23; Disponible en: <https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/294474/20230920>) y la Red Internacional EuroScan (EuroScan International Network, A toolkit for the identification and assessment of new and emerging health technologies, 2014, EuroScan International Network: Birmingham. Disponible en: <https://www.euroscan.org/methods/methods-toolkit/>).

Se realizó una estrategia de búsqueda bibliográfica en los repositorios de PUBMED, LILACS, BRISA, COCHRANE, TRIPDATABASE, ClinicalTrials.gov., y la Plataforma de Registro Internacional de Ensayos Clínicos. Se buscó específicamente en las página web del Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud (NIHR Innovation Observatory, su sigla del inglés *National Institute for Health Research Innovation Observatory*) de la Universidad de Newcastle y de la HealthTechScan internacional. Se complementó la misma con una búsqueda en Google Académico y Perplexity (Perplexity, 2025. Perplexity.ai. Disponible en: <https://www.perplexity.ai/>) para el recupero de literatura gris publicada por productores de la tecnología, organizaciones de pacientes, sociedades científicas, agencias reguladoras, financiadores de salud y organismos de ETESA.

Para comprender las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina se publicó un formulario de consulta pública para toda la sociedad en la web del CETSAI. El formulario estuvo disponible con anterioridad a la publicación de este informe y por un período de 7 (siete) días corridos con preguntas específicas que colaboraron a comprender el contexto argentino.

Se priorizó la inclusión de artículos para Argentina y Latinoamérica, revisiones sistemáticas con meta-análisis, ensayos clínicos controlados aleatorizados; así como también estudios de la vida real, informes de ETESA, evaluaciones económicas y recomendaciones para la práctica clínica y de cobertura.

La fecha de búsqueda de información fue hasta el 28 de Noviembre 2025. Para la búsqueda en Pubmed se utilizó la siguiente estrategia de búsqueda: (Vimseltinib[tiab] OR Romvimza[tiab]) AND (Giant Cell Tumor of Tendon Sheath[MeSH] OR Giant Cell Tumor of Tendon Sheath[tiab] OR Fibrous Histiocytoma of Tendon Sheath[tiab] OR Tenosynovial Giant Cell Tumor[tiab] OR Localized Giant Cell Tumor of the Tendon Sheath[tiab] OR Nodular Tenosynovitis[tiab] OR Tenosynovitis*[tiab])

EVIDENCIA CLÍNICA

A continuación se resumen las características de la evidencia seleccionada.

Tabla 1. Resumen de la evidencia seleccionada.

Estudios	Diseño	Población	Intervención y comparador	Desenlaces
Gelderblom y cols. 2024.¹³ Estudio MOTION Parte 1 (NCT05059262)	Ensayo fase 3, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo, multicéntrico	Adultos con TGCT sintomático no resecable o en quienes la resección se consideró asociada a morbilidad funcional inaceptable; ECOG 0–2	Vimseltinib 30 mg VO 2 veces/semana vs placebo durante 24 semanas, con opción de continuación abierta	TRO (RECIST 1.1) a semana 25; TRO por PVT; mejorías clínicamente relevantes en rango activo de movimiento, PROMIS-PF, rigidez (ECN) y EQ-VAS; eventos adversos.
Comunicado de prensa. 2025.¹⁴ Estudio MOTION Parte 2, resultados a 2 años (NCT05059262)	Ensayo clínico fase 3, global, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo en la parte 1, seguido de fase abierta a largo plazo (parte 2) con todos los pacientes en vimseltinib.	Adultos con TGCT en quienes la resección quirúrgica no era una opción (no resecable o con morbilidad o discapacidad inaceptable); N=118 tratados con vimseltinib.	Parte 2: todos los pacientes (incluidos los que recibieron placebo) pasaron a vimseltinib 30 mg VO 2 veces/semana en tratamiento prolongado.	Tasa de respuesta objetiva (RECIST 1.1) en cruzados desde placebo; TRO por PVT; mediana de duración de la respuesta; eventos adversos.

ECN: escala de calificación numérica; CPK: creatinfosfocinasa; PROMIS-PF: *Patient-Reported Outcomes Measurement Information System – Physical Function*; PVT: puntuación de volumen tumoral); RECIST: *Response Evaluation Criteria in Solid Tumors, versión 1.1*; RNP: resultado notificado por el paciente; TGCT: tumor tenosinovial de células gigantes; TRO: tasa de respuesta objetiva; VO: vía oral.

Gelderblom y cols. publicaron en 2024 un ensayo clínico fase 3, multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo (estudio MOTION) que evaluó vimseltinib (Romvimza®) frente a placebo en adultos con TGCT sintomático no resecable o con resección asociada a morbilidad funcional inaceptable, a las 25 semanas de seguimiento.¹³

Incluyeron adultos con TGCT sintomático no resecable o en quienes la resección se consideró asociada a morbilidad funcional inaceptable, con estado funcional ECOG 0–2, que presentaban enfermedad medible y compromiso funcional relevante de la articulación afectada. El mismo no incluyó centros de Latinoamérica. La intervención consistió en vimseltinib (Romvimza®) 30 mg por vía oral dos veces por semana, comparado con placebo, ambos administrados durante 24 semanas en la fase doble ciego con posterior fase abierta en la que todos los pacientes recibieron vimseltinib. El desenlace primario fue la tasa de respuesta objetiva (TRO) según RECIST 1.1 por revisión radiológica independiente a la semana 25, y como desenlaces secundarios clave se evaluaron la respuesta, cambios en rango de movimiento activo de la articulación y en múltiples resultados informados por el paciente (PROMIS-PF, rigidez medida por escala numérica, EQ-VAS y peor dolor en el Cuestionario Breve de Dolor) así como la seguridad y la duración de la respuesta.¹³

La TRO por RECIST 1.1 a la semana 25 fue significativamente mayor con vimseltinib (40% vs 0%; diferencia absoluta 40%; IC 95%: 28 a 52; $p<0,0001$), y la TRO por la puntuación de volumen tumoral (PVT) también fue superior (67% vs 0%; diferencia 67%; IC 95%: 56 a 77; $p<0,0001$), con cuatro respuestas completas y 52 parciales en el brazo activo. En cuanto a la función, el cambio medio ajustado en rango de movimiento activo de la articulación fue 18,4% con vimseltinib frente a 3,8% con placebo (diferencia 14,6 puntos porcentuales; IC 95%: 4,0 a 25,3; $p=0,0077$), y la tasa de respuesta en rango de movimiento fue 48% vs 20% (diferencia 28%; IC 95%: 12 a 45; $p=0,0025$). Los PROs mostraron beneficios consistentes: PROMIS-PF mejoró 4,6 puntos vs 1,3 (diferencia 3,3; IC 95%: 1,4 a 5,2; $p=0,0007$), la rigidez para la escala numérica de calificación se redujo -2,1 vs -0,3 (diferencia -1,8; IC 95%: -2,5 a -1,1; $p<0,0001$), EQ-VAS aumentó 13,5 vs 6,1 (diferencia 7,4; IC 95%: 1,4 a 13,4; $p=0,016$) y la tasa de respuesta para el Cuestionario Breve de Dolor “peor dolor” fue 48% vs 23% (diferencia 26%; IC 95%: 4 a 42; $p=0,0056$). La mayoría de los eventos adversos relacionados con el tratamiento fueron de grado 1 o 2; el evento adverso de grado 3 o 4 mayormente reportado fue el aumento de la CPK en sangre (ocho pacientes [10 %]). No se observaron indicios de hepatotoxicidad colestásica ni de daño hepático inducido por fármacos.¹³

Un comunicado de prensa del productor de la tecnología describe los resultados a dos años del ensayo global fase 3 MOTION antes mencionado.¹⁴ El mismo incluyó un total de 118 pacientes recibieron vimseltinib durante la fase abierta a un corte de datos a febrero de 2025. El mismo informa que el 51% de los adultos permanecía en tratamiento a los dos años; la TRO por RECIST fue 48% en los pacientes originalmente asignados a vimseltinib y 54% en quienes cruzaron desde placebo, mientras que la TRO por PVT fue 81% y 71%, respectivamente, sin alcanzarse aún la mediana de duración de respuesta. El perfil de seguridad se mantuvo manejable y consistente con informes previos, con la mayoría de eventos adversos emergentes de tratamiento de grado 1–2, tasas similares de eventos grado 3–4 entre los grupos, ausencia de nuevos eventos frecuentes ($\geq 15\%$) y sin señales de hepatotoxicidad colestásica ni lesión hepática inducida por fármacos.¹⁴

Actualmente, estudios de la vida real para vimseltinib (Romvimza®) en adultos con TGCT se encuentran en desarrollo, sin incluir centros en Latinoamérica.^{15,16}

COSTOS

No se hallaron evaluaciones económicas para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

En los Estados Unidos de América, el precio de adquisición sin descuentos es de aproximadamente USD 3.126 (ARS 4.610.850, noviembre 2025) por una cápsula de 14 mg, 20 mg o 30 mg.¹⁷ Tomando en cuenta el precio relevado y la dosis recomendada de 30 mg por vía oral dos veces por semana, el costo anual del tratamiento sería de aproximadamente USD 487.656 (ARS 719.292.600, noviembre 2025).^{11,17,18}

RECOMENDACIONES

No se hallaron recomendaciones actualizadas para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

El Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud y Atención (NIHR, su sigla del inglés *National Institute for Health and Care*) de Reino Unido destaca que vimseltinib podría proporcionar la primera opción de tratamiento para pacientes con TGCT, donde la cirugía no es una opción.¹⁹ Actualmente, el Instituto Nacional para la Excelencia en la Salud y la Atención (NICE, su sigla del inglés *National Institute for Health and Care Excellence*) de Reino Unido se encuentra evaluando el fármaco para la indicación evaluada.²⁰

INNOVACIÓN ESTRATÉGICA

Vimseltinib (Romvimza®) puede considerarse una innovación farmacéutica porque fue diseñado específicamente para bloquear el receptor del factor estimulante de colonias uno, una proteína que impulsa el crecimiento del tumor tenosinovial de células gigantes, lo que permite actuar directamente sobre el mecanismo que hace proliferar el tumor y engrosa la membrana sinovial. En estudios preclínicos y en el primer ensayo en humanos se observó que este medicamento reduce de forma mantenida la actividad de ese receptor, disminuye la presencia de células inflamatorias que forman la mayor parte del tumor, frena la destrucción ósea y logra encoger de manera clara el volumen tumoral, con alivio de síntomas como el dolor, la rigidez y la limitación del movimiento articular. Además, la evidencia clínica resumida en el informe de evaluación muestra que, en personas adultas con la enfermedad en quienes la cirugía ya no es posible, Romvimza® alcanza una proporción alta de respuestas radiológicas y mejoras relevantes en función física, movilidad, calidad de vida y control del dolor, manteniendo un perfil de seguridad aceptable durante varios meses de tratamiento, lo que le otorga un potencial impacto transformador en un grupo de pacientes que actualmente carece de opciones farmacológicas específicas.

ESTRATEGIAS DE ACCESO

No se hallaron políticas de cobertura o estrategias de acceso para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

Vimseltinib (Romvimza®) se está introduciendo mediante una estrategia centrada primero en los grandes reguladores: ya obtuvo aprobación de comercialización en Estados Unidos y en la Unión Europea, y la compañía ha señalado que negociará precio y reembolso país por país en Europa utilizando su red comercial global. En Estados Unidos implementó un programa estructurado de acceso que incluye apoyo para gestionar coberturas, reducción o eliminación de copagos en seguros comerciales, asistencia para pacientes sin cobertura, esquemas de inicio rápido y dispensación a través de farmacias especializadas con acompañamiento clínico y logístico.²¹⁻²³

Para Latinoamérica, la información pública describe solo comunicaciones generales sobre la intención de expandir la disponibilidad de vimseltinib y notas de prensa locales que recogen la aprobación internacional, pero hasta ahora no se detallan registros, lanzamientos ni acuerdos de financiamiento concretos en países de la región. No se hallaron políticas de cobertura para enfermedades poco frecuentes a nivel Nacional, o del resto de los subsistemas, que mencionen la indicación evaluada.

Teniendo en cuenta que se trata de un medicamento de muy alto precio, según las definiciones para consensuadas para Argentina, se recomienda decidir una cobertura sólo luego de una ETESA explícita que determine su valor añadido clínico, económico y social, y que esta decisión se coordine entre financiadores públicos y privados para evitar respuestas fragmentadas e inequitativas.²⁴ Esa evaluación debería considerar el impacto presupuestario y el costo de oportunidad sobre otras prestaciones, utilizar umbrales de muy alto precio como disparador de análisis específicos, y, en función de ello, habilitar estrategias de acceso gestionado y derivación a centros de referencia, reduciendo la judicialización y alineando el uso del fármaco con la sostenibilidad del sistema.

REFERENCIAS

1. Stacchiotti S, Dürr HR, Schaefer IM, et al. Best clinical management of tenosynovial giant cell tumour (TGCT): A consensus paper from the community of experts. *Cancer Treat Rev.* 2023;112:102491. doi:10.1016/j.ctrv.2022.102491
2. Chan AS, Katiyar V, Dy P, Singh V. Updates on the Treatment of Tenosynovial Giant Cell Tumor. *Hematol Oncol Stem Cell Ther.* 2023;16(4):307-315. doi:10.56875/2589-0646.1032
3. Palmerini E, Trent JC, Hornicek FJ. Medical Management of Tenosynovial Giant Cell Tumor. *Curr Oncol Rep.* 2025;27(7):844-855. doi:10.1007/s11912-025-01679-x
4. Mastboom MJL, Verspoor FGM, Verschoor AJ, et al. Higher incidence rates than previously known in tenosynovial giant cell tumors. *Acta Orthop.* 2017;88(6):688-694. doi:10.1080/17453674.2017.1361126
5. Ehrenstein V, Andersen SL, Qazi I, et al. Tenosynovial Giant Cell Tumor: Incidence, Prevalence, Patient Characteristics, and Recurrence. A Registry-based Cohort Study in Denmark. *J Rheumatol.* 2017;44(10):1476-1483. doi:10.3899/jrheum.160816
6. Listado de enfermedades poco frecuentes en Argentina. Argentina.gob.ar. December 11, 2020. Accessed November 29, 2025. <https://www.argentina.gob.ar/salud/pocofrecuentes/listado>
7. Tenosynovial Giant Cell Tumor - Symptoms, Causes, Treatment | NORD. Accessed November 29, 2025. <https://rarediseases.org/rare-diseases/tenosynovial-giant-cell-tumor/>
8. Palmerini E, Staals EL. Treatment updates on tenosynovial giant cell tumor. *Curr Opin Oncol.* 2022;34(4):322-327. doi:10.1097/CCO.0000000000000853
9. van de Sande M, Blay JY, Tap W, et al. The economic and humanistic burden of tenosynovial giant cell tumor: a targeted literature review. *Future Oncol.* 21(18):2385-2400. doi:10.1080/14796694.2025.2520744
10. Smith BD, Kaufman MD, Wise SC, et al. Vimseltinib: A Precision CSF1R Therapy for Tenosynovial Giant Cell Tumors and Diseases Promoted by Macrophages. *Mol Cancer Ther.* 2021;20(11):2098-2109. doi:10.1158/1535-7163.MCT-21-0361
11. U.S Food and Drug Administration (FDA). Drugs@FDA: FDA-Approved Drugs: Vimseltinib. 2025. Accessed November 29, 2025. <https://www.accessdata.fda.gov/scripts/cder/daf/index.cfm?event=BasicSearch.process>
12. European Medicines Agency (EMA). Romvimza. 2025. Accessed November 29, 2025. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/romvimza>
13. Gelderblom H, Bhadri V, Stacchiotti S, et al. Vimseltinib versus placebo for tenosynovial giant cell tumour (MOTION): a multicentre, randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 trial. *Lancet Lond Engl.* 2024;403(10445):2709-2719. doi:10.1016/S0140-6736(24)00885-7

14. Deciphera Presents 2-Year Efficacy and Safety Results from MOTION Phase 3 Study of ROMVIMZA™ (vimseltinib) in Patients with Tenosynovial Giant Cell Tumor (TGCT) at the European Society for Medical Oncology Congress 2025. 2025. Accessed November 28, 2025. <https://www.deciphera.com/news/deciphera-presents-2-year-efficacy-and-safety-results-motion-phase-3-study-romvimzatm>
15. Deciphera Pharmaceuticals, LLC. *Real-World Patient Experience of Vimseltinib for the Treatment of Tenosynovial Giant Cell Tumor*. clinicaltrials.gov; 2025. Accessed November 29, 2025. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT07075471>
16. Deciphera Pharmaceuticals, LLC. *A Multicenter Phase 1/2, Open-Label Study of DCC-3014 to Assess the Safety, Efficacy, Pharmacokinetics, and Pharmacodynamics in Patients With Advanced Tumors and Tenosynovial Giant Cell Tumor*. clinicaltrials.gov; 2024. Accessed November 29, 2025. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03069469>
17. Romvimza: Prescription Price Comparison | Compare Drug Prices. Accessed November 29, 2025. <http://www.wellrx.com/prescriptions/romvimza/>
18. Banco de la Nación Argentina. Accessed November 29, 2025. <https://www.bna.com.ar/Personas>
19. Vimseltinib for treating Tenosynovial Giant Cell Tumour. NIHR Innovation Observatory. Accessed November 29, 2025. <https://io.nihr.ac.uk/news/tech-briefings/vimseltinib-for-treating-tenosynovial-giant-cell-tumour/>
20. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Vimseltinib for treating tenosynovial giant cell tumours when surgery is unsuitable TSID 12099 | Guidance | NICE. 2025. Accessed November 29, 2025. <https://www.nice.org.uk/guidance/indevelopment/gid-ta11640>
21. Patient Access & Support | ROMVIMZA™ (vimseltinib) | Deciphera AccessPointSM. Accessed November 29, 2025. <https://www.decipheraaccesspoint.com/patient/romvimza>
22. Discover ROMVIMZA™ (vimseltinib) for HCPs. ROMVIMZA™ (vimseltinib) HCP Site. Accessed November 29, 2025. <https://www.romvimzahcp.com/burden-of-tgct>
23. Deciphera Receives European Commission Approval of ROMVIMZA™ (vimseltinib) for the Treatment of Tenosynovial Giant Cell Tumor (TGCT). Accessed November 29, 2025. <https://www.businesswire.com/news/home/20250917912113/en/Deciphera-Receives-European-Commission-Approval-of-ROMVIMZA-vimseltinib-for-the-Treatment-of-Tenosynovial-Giant-Cell-Tumor-TGCT>
24. Donato M, Tortosa F, Montero G, et al. [Definition of high-priced and very high-priced drugs for Argentina]. *Medicina (Mex)*. 2025;85(2):261-280.



CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN

cetsai.isalud.edu.ar

