



Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21

Ai Direttori generali e
Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- Ospedali ex classificati

Oggetto: farmaco evinacumab (EVKEEZA® - Ultragenyx Germany GMBH) – ev - ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) – estensione indicazione nota prot. 112166 del 25.01.2024

Con la Determina PRES/1230/2025 (come da avviso in G.U. n. 230 del 03 ottobre 2025), in aggiunta all'indicazione già rimborsata *“Evinacumab è indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti adulti e adolescenti di età pari o superiore a 12 anni con diagnosi di ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) con mutazione null/null e/o che non risultino a target di LDL-C dopo il trattamento con evolocumab oppure non risultino a target di LDL-C o non abbiano tollerato il trattamento con lomitapide”*, è stata autorizzata l'erogazione a Carico del SSN del medicinale Evkeeza per la seguente nuova indicazione terapeutica:

- Evinacumab è indicato in aggiunta alla dieta e ad altre terapie volte a ridurre il colesterolo lipoproteico a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi e inferiore a 12 anni con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH).

Il farmaco Evkeeza, per le indicazioni soprariportate, è soggetto a prescrizione tramite Registro di monitoraggio AIFA, a cura degli specialisti afferenti ai Centri regionali di riferimento per il trattamento dell'ipercolesterolemia familiare omozigote (cod. RCG070):

1. Az. Osp. Univ. Pol. Tor Vergata
2. Policlinico Umberto I
3. Policlinico A. Gemelli
4. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

La somministrazione del farmaco è a carico del Centro prescrittore.

Per entrambe le indicazioni soprariportate dell'Evkeeza è garantito l'accesso al Fondo per i farmaci innovativi (Legge n. 207 del 24 dicembre 2024).

L'utilizzo del medicinale Evkeeza, per l'indicazione soprariportata, presso tutte le strutture private accreditate sopraccitate, sarà subordinato all'acquisto da parte della ASL capofila RM2, ai sensi del DCA 70, non appena verranno espletate le procedure di acquisto tramite gare da parte della ASL medesima.

La Dirigente dell'Area
Marzia Mensurati

Il Direttore
Andrea Urbani

A.T. 10/10/2025