



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

e, p.c., al Direttore generale dell'AIFA

Oggetto: farmaco onasemnogene abeparvovec (ZOLGENSMA® - Novartis) – atrofia muscolare spinale (SMA) – nuova indicazione

Con la Determina AIFA n. 46 del 04.03.2024, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 64 del 16.03.2024, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Zolgensma per la seguente nuova indicazione terapeutica:

- trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg:
 - con diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio dei sintomi nei primi 6 mesi di vita, oppure
 - con diagnosi di SMA 5q (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2).

Il farmaco Zolgensma, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione (tramite piano terapeutico on line AIFA) da parte degli specialisti neurologi afferenti ai seguenti Centri:

1. Policlinico Umberto I
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

L'acquisto del farmaco è a carico della Asl di residenza dell'assistito; la somministrazione del farmaco è a carico del Centro di riferimento regionale.

Il farmaco Zolgensma è già presente in File F.

La Dirigente dell'Area
Marzia Mensurati

Il Direttore
Andrea Urbani

A.T. 05/04/2024