



**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 eladocagene exuparvovec (UPSTAZA® - PTC Therapeutics) – deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici - AADC

Con la Determina AIFA n. 708 del 20.11.2023, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 283 del 04.12.2023, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Upstaza per la seguente indicazione terapeutica:

- Upstaza è indicato per il trattamento di pazienti di età pari o superiore a 18 mesi con una diagnosi di deficit di decarbossilasi degli L-aminoacidi aromatici (AADC) confermata dal punto di vista clinico, molecolare e genetico e con fenotipo severo.

Per l'indicazione soprariportata è stato garantito l'accesso al Fondo per i farmaci innovativi (Legge n. 232 dell'11 dicembre 2016). Tale accesso è subordinato all'espletamento di tutte le procedure relative alla corretta rendicontazione nel registro AIFA e alla capienza del fondo.

Il farmaco Upstaza, per l'indicazione soprariportata, è soggetto a prescrizione (tramite registro AIFA on line) da parte degli specialisti afferenti al Policlinico Umberto I.

La somministrazione del farmaco è a carico del Centro prescrittore per gli assistiti residenti nella regione Lazio.

Il farmaco Upstaza è inserito in File F a far data dal 01.01.2024.

Il Dirigente dell'Area

Marzia Mensurati  


Il Direttore  
Andrea Urbani  


A.T. 27/12/2023