



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 **atidarsagene autotemcel (LIBMELDY®)** – leucodistrofia metacromatica (MLD)

Con la Determina AIFA n. 246 del 24.03.2022, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 82 del 07.04.2022, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Libmeldy per la seguente indicazione terapeutica:

- Libmeldy è indicato per il trattamento della leucodistrofia metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA:
 - nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia,
 - nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente (GMFC-MLD ≤ 1) e prima dell'inizio del declino cognitivo (QI ≥ 85).

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.

Via Rosa Raimondi Garibaldi, 7 – 00147 ROMA
tel. 06/5168-5323 - email: atiberio@regione.lazio.it
posta certificata: politicadelfarmaco@regione.lazio.legalmail.it

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

Sono autorizzati alla prescrizione del Libmeldy, tramite Piano terapeutico on line AIFA, gli specialisti afferenti ai seguenti Centri:

1. Policlinico Umberto I
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù


La somministrazione del farmaco è a carico del Centro prescrittore.

L'utilizzo del farmaco Libmeldy per l'indicazione soprariportata presso l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù sarà subordinato all'acquisto da parte della ASL di residenza dell'assistito.

Il farmaco Libmeldy è inserito in File F a far data dal 01.06.2022.

Il Dirigente

Lorella Lombardozzi



Il DIRETTORE

Massimo Annicchiarico

A.T. 06/05/2022