



**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 – rettifica Centri nota prot. 593096 del 06.05.2024

A parziale rettifica della nota prot. 593096 del 06.05.2024, si fa presente che tra i Centri autorizzati per la nuova indicazione del farmaco Zolgensma è stato indicato *per mero errore materiale* il Policlinico Umberto I, in luogo del Policlinico A. Gemelli.

Pertanto si conferma che sono autorizzati alla prescrizione del medicinale Zolgensma per la 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).

gli specialisti neurologi afferenti ai seguenti Centri:

1. Policlinico A. Gemelli
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

La Dirigente dell'Area  
Marzia Mensurati

Il Direttore  
Andrea Urbani

A.T. 10/05/2024