



**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 classificati

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

Oggetto: farmaco Onasemnogene abeparvovec – (ZOLGENSMA<sup>®</sup>) - atrofia muscolare spinale – Legge 648/96

Con la Determina AIFA n. 126266 del 12.11.2020, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 286 del 17.11.2020, è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN, ai sensi della Legge 23 dicembre 1996 n. 648, del medicinale Zolgensma per la seguente indicazione terapeutica:

- Trattamento entro i primi sei mesi di vita di pazienti con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 2 copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1).

Il medicinale Zolgensma, indicazione Legge 23 dicembre 1996 n. 648, è sottoposto a Registro di monitoraggio AIFA, già attivo, con valutazione di appropriatezza prescrittiva. Sono autorizzati alla prescrizione dello Zolgensma L. 648/96 gli specialisti neurologi afferenti ai seguenti Centri:

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

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

Via Rosa Raimondi Garibaldi, 7 – 00147 ROMA  
tel. 06/5168.4473-5323 fax 06/5168.5450  
e-mail: [atiberio@regione.lazio.it](mailto:atiberio@regione.lazio.it)  
posta certificata: [politicadelfarmaco@regione.lazio.legalmail.it](mailto:politicadelfarmaco@regione.lazio.legalmail.it)

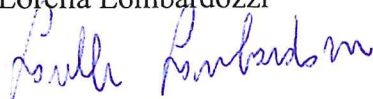
**Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria**  
**Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21**

Il farmaco Zolgensma avrà accesso al fondo per i farmaci innovativi non oncologici, e pertanto è inserito nel progetto di cui al DCA U00070/2017; l'utilizzo presso le strutture Policlinico A. Gemelli e Ospedale Pediatrico Bambino Gesù sarà subordinato all'acquisto da parte della ASL capofila RM2.

Il farmaco è attualmente classificato in classe Cnn.

L'AIFA comunicherà con successiva Determina il prezzo di cessione al SSN.

Il Dirigente  
Lorella Lombardozzi



IL DIRETTORE  
Renato Botti



A.T. 30/11/2020