



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®) - atrofia muscolare spinale – Legge 648/96 – rettifica e integrazione nota prot. 1048091 del 01.12.2020

A seguito dell'accordo negoziale confidenziale del 19.11.2020 tra AIFA e Soc. Novartis Gene Therapies EU Limited, si rettifica come segue la nota prot. 1048091 del 01.12.2020.

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

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



REGIONE
LAZIO

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

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

Il farmaco Zolgensma avrà accesso al fondo per i farmaci innovativi non oncologici, all'esito della contrattazione AIFA con l'individuazione del prezzo e del regime di rimborsabilità.

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

Il Dirigente

Lorella Lombardozzi

IL DIRETTORE

Massimo Annicchiarico

A.T. 11/01/2021

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