



**Direzione Regionale Salute e Politiche Sociali**  
**Area Risorse Farmaceutiche**  
**GR/11/46**

Prot.

GR 11/46

Roma,

Ai Direttori generali e  
Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- Ospedali classificati
- AIFA

**Oggetto:** farmaco **Ataluren (TRANSLARNA<sup>®</sup>)**

Con Gazzetta Ufficiale n. 34 del 10 febbraio 2017 - Suppl. Ordinario n. 9 è stata pubblicata la Determina AIFA n. 107 del 20 gennaio 2017 è stata autorizzata l'erogazione a carico del SSN del medicinale Translarna per la seguente indicazione terapeutica:

- trattamento della distrofia muscolare di Duchenne conseguente a una mutazione nonsense nel gene della distrofina (*nonsense mutation Duchenne Muscular Dystrophy, nmDMD*) nei pazienti deambulanti di età pari ad almeno 5 anni. L'efficacia non è stata dimostrata nei pazienti non deambulanti. La presenza di una mutazione nonsense del gene della distrofina deve essere stabilita mediante analisi genetiche

Il farmaco è prescrivibile da specialista neurologo operante presso i centri di seguito indicati:

1. Az. Osp. San Camillo-Forlanini
2. Policlinico Umberto I

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 Politiche Sociali**  
**Area Risorse Farmaceutiche**  
**GR/11/46**

3. Policlinico A. Gemelli
4. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù
5. ASL RM1 – PO San Filippo Neri

Il centro prescrittore avrà cura di attivare tutte le procedure per la corretta e tempestiva comunicazione alla ASL di residenza dell'assistito, che assicurerà l'erogazione del farmaco

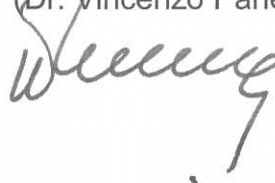
Il Dirigente

(Dr.ssa Lorella Lombardozzi)



IL DIRETTORE

(Dr. Vincenzo Panella)



A.T. 05/10/2017