

DECRETO DEL DIRETTORE GENERALE DELL' AREA SANITA' E SOCIALE n. 41 del 08 aprile 2021

Decreto Area Sanità e Sociale n. 146 del 21.12.2020 - Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione a seguito dell'inserimento del medicinale onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23.12.1996, n. 648, per il 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) -. Aggiornamento a seguito della determina AIFA n. DG/277 del 10 marzo 2021.

[Sanità e igiene pubblica]

Note per la trasparenza:

A seguito della determina AIFA n. DG/277/2021 (G.U. n. 62 del 13.3.2021), si conferma il Centro regionale autorizzato alla prescrizione del farmaco onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered), già individuato con decreto n. 146 del 21.12.2020

Il Direttore generale

VISTO il decreto Area Sanità e Sociale n. 146 del 21.12.2020 - Individuazione dei Centri regionali autorizzati alla prescrizione a seguito dell'inserimento del medicinale onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23.12.1996, n. 648, per il 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) -;

VISTA la determina AIFA prot. n. DG/277 del 10.3.2021 (G.U. n. 62 del 13.3.2021) - *Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano «Zolgensma»* - la quale per l'indicazione a carico SSN *trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg: diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)* stabilisce che tale entità terapeutica è classificata:

- ai fini della rimborsabilità in classe H e deve essere prescritta da centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, mediante compilazione della scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di *follow-up*, applicando le condizioni negoziali, secondo le indicazioni pubblicate nel sito dell'AIFA, piattaforma web, all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it>. Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio *web-based*, onde garantire la disponibilità del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale di AIFA <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici>
- ai fini della fornitura come *medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (OSP)*;

EVIDENZIATO pertanto che per effetto della suddetta determina, il medicinale onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered), è ora stato autorizzato a carico del SSN per tutti i bambini affetti da SMA di tipo 1 senza limiti di età ma *con peso fino a 13,5 kg*;

DATO ATTO inoltre che onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered), per effetto della suddetta determina, non risulta più inserito nell'elenco delle specialità medicinali istituito ai sensi dell'art. 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito dalla legge 23 dicembre 1996, n. 648;

DATO ATTO altresì che la sopra citata determina attribuisce al farmaco onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered), per l'indicazione *trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg: diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)*, il requisito dell'innovatività terapeutica, da cui consegue l'inserimento nel fondo per i farmaci innovativi non oncologici ai sensi dell'art. 1, comma 400, legge 11 dicembre 2016, n. 232 (legge di bilancio 2017);

VISTA la legge regionale n. 19 del 25 ottobre 2016 - *Istituzione dell'ente di governance della sanità regionale veneta denominato "Azienda per il governo della sanità della Regione del Veneto - Azienda Zero". Disposizioni per la individuazione dei nuovi ambiti territoriali delle Aziende ULSS;*

PRESO ATTO dell'attività svolta a supporto della scelta di adozione del presente provvedimento dalla Commissione Tecnica Regionale Farmaci (di cui alla DGR n. 36 del 21.1.2019), come da verbale del 18.3.2021.

decreta

1. di confermare, ai fini della prescrizione del farmaco onasemnogene abeparvovec (Zolgensma - Registered) per l'indicazione a carico SSN *trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg: diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)* di cui alla determina AIFA prot. n. DG/277 del 10.3.2021 in premessa descritta, la seguente Unità Operativa, già individuata con decreto 146 del 21.12.2020:

Azienda ULSS/Ospedaliera/IRCCS	U.O. autorizzata
Azienda Ospedale-Università Padova	UOC Pediatria

2. di confermare che la prescrizione da parte del Centro di cui al punto 1 deve avvenire attraverso la compilazione del Registro di monitoraggio AIFA, secondo le modalità dalla stessa definite nel proprio sito <https://servizionline.aifa.gov.it>;
3. di confermare in capo ad Azienda Zero - U.O.C. HTA della Regione del Veneto l'abilitazione del Centro prescrittore di cui al punto 1 attraverso l'apposito applicativo informatico;
4. di confermare che la prescrizione del farmaco in oggetto da parte del Centro di cui al punto 1, è soggetta anche alla compilazione del Registro per le Malattie Rare istituito con D.G.R. n. 741/2000;
5. di dare atto che il presente provvedimento non comporta spesa a carico del bilancio regionale;
6. di comunicare il presente provvedimento per il seguito di competenza ad Azienda Zero, Aziende ULSS, Aziende Ospedaliere, IRCCS e alle Strutture private-accreditate della Regione del Veneto;
7. di pubblicare il presente provvedimento in forma integrale nel Bollettino Ufficiale della Regione.

Luciano Flor