



Roma,

Il Direttore Generale

Al Presidente ANCI
Associazione Nazionale Comuni Isole Minori
Dott. Francesco Del Deo Segreteria
segreteriaancim@gmail.com;

e p.c. Al Ministro della Salute
Dott. Roberto Speranza
segreteriaministro@sanita.it

e p.c. Al Direttore Consiglio Superiore di Sanità
Prof. Franco Locatelli
franco.locatelli@opbg.net

OGGETTO: Richiesta ampliamento platea per trattamento SMA1 con terapia genica "Zolgensma".

Gentilissimi,

l'Agenzia Italiana del Farmaco è vicina ai bisogni di salute dei pazienti e condivide la posizione della comunità scientifica e delle famiglie dei bambini affetti da SMA1, secondo la quale tutte le terapie di dimostrata efficacia devono essere messe a disposizione dei pazienti nel più breve tempo possibile.

Nel caso della terapia genica con Zolgensma, questa nostra convinzione si è tradotta nella decisione di garantire l'immediata copertura SSN ai sensi della legge 648/96, in attesa del completamento della procedura di negoziazione del prezzo di rimborso del farmaco. La legge 648/96 è una norma nazionale che consente, quando non vi è una alternativa valida, di accedere a carico del SSN a una terapia farmacologica priva della specifica indicazione ma che abbia a disposizione sufficienti dati di efficacia e sicurezza.

È dunque stato riconosciuto, in circostanze eccezionali, che Zolgensma dovesse essere garantito immediatamente per tutti i bambini che avrebbero potuto ottenere il massimo beneficio. Il limite di età di 6 mesi previsto per l'inserimento di Zolgensma nella legge 648/96 corrisponde esattamente al criterio stabilito nella sperimentazione clinica e, dunque, per il quale esistono attualmente le maggiori evidenze di efficacia e sicurezza del trattamento.

Siamo consapevoli che la presenza di un limite di età per l'inserimento in legge 648/96 ha momentaneamente escluso una parte di bambini affetti da SMA1. Tuttavia, siamo anche consapevoli di non aver lasciato questi bambini senza alternative terapeutiche, grazie alla

disponibilità di un farmaco di dimostrata efficacia, nusinersen; almeno per i bambini di età superiore ai 6 mesi, e in particolare per i bambini di peso superiore a 13,5 kg, non esiste alcuna evidenza scientifica di un vantaggio nel sottoporsi a terapia genica.

Da ultimo, è compito della Agenzia tenere in debita considerazione che, alla luce di un prezzo eccezionalmente elevato richiesto dall'azienda farmaceutica per Zolgensma, la negoziazione deve consentire di raggiungere un prezzo ragionevole e sostenibile per il SSN. Si tratta quindi di rendere sostenibile per il SSN il trattamento dei bambini affetti da SMA1, anche di età superiore a sei mesi.

Per quanto dipende dagli Uffici dell'Agenzia e dalle sue commissioni (CTS e CPR), assicuriamo un impegno straordinario per concludere in tempi brevissimi la negoziazione di Zolgensma e la modalità ottimale di utilizzo nel SSN. Siamo ottimisti che nelle prossime settimane sarà possibile trovare una soluzione positiva.

Un cordiale saluto.

Nicola Magrini