



AIFA APPROVA RIMBORSABILITA' ZOLGENSMA, TERAPIA GENICA PER I BAMBINI CON SMA1

Il CdA di AIFA ha approvato il giorno 9 marzo 2021 la rimborsabilità della terapia genica Zolgensma a carico del SSN per tutti i bambini affetti da SMA1 sotto i 13,5 kg di peso.

Il via libera definitivo è arrivato a conclusione di un lungo processo iniziato nel maggio 2020 con l'istanza negoziale presentata dall'azienda Novartis.

A novembre 2020, dopo che la Commissione Tecnico Scientifica di AIFA (CTS) aveva valutato come innovativa questa terapia, era stato deciso di ammetterla alla rimborsabilità per i bambini fino ai sei mesi di età alla luce degli importanti benefici attesi. In parallelo si è sviluppata la rigorosa negoziazione da parte del Comitato Prezzi e Rimborsi (CPR) per giungere a definire un prezzo del farmaco che fosse sostenibile per il SSN.

AIFA dichiara la propria soddisfazione per la possibilità di rendere disponibile nel nostro SSN una terapia genica che offre una prospettiva di vita radicalmente migliore per i bambini affetti da SMA1.

L'accordo con l'azienda Novartis ha inoltre incluso l'impegno della società a mettere a disposizione il farmaco a titolo gratuito all'interno di studi clinici per i bambini con un peso compreso tra i 13,5 e i 21 kg, allo scopo di acquisire su questi pazienti, in un setting controllato, dati ulteriori di efficacia e sicurezza.