



AIFA CONFERMA LA VALUTAZIONE DEL PROFILO BENEFICIO/RISCHIO SU ZOLGENSMA

L'Agenzia Italiana del Farmaco ha inviato una lettera al Presidente della Regione Puglia, Michele Emiliano, sul caso dei due bambini affetti da SMA1 per i quali viene chiesta la somministrazione della terapia Zolgensma, ricordando l'impegno continuo di AIFA per garantire l'accesso nei tempi più brevi a tutti i pazienti che ne possano beneficiare.

“L'esclusione dalla rimborsabilità dei pazienti con tracheostomia, o con supporto ventilatorio per un numero di ore ≥ 16 al giorno per 14 giorni consecutivi, o con perdita totale (100%) della capacità deglutitoria, deriva dalle seguenti considerazioni: le due condizioni rappresentavano criteri di esclusione dagli studi clinici condotti per l'approvazione e, per i soggetti inclusi, rappresentavano indicatori di fallimento della terapia. Pur in assenza di dati diretti in queste popolazioni, è documentato che l'efficacia di questa terapia genica è massima quando la somministrazione avviene nei primi mesi di vita, mentre si riduce nei bambini più grandi e in caso di un aggravamento della malattia”, sottolinea AIFA.

“Un eventuale utilizzo di Zolgensma in pazienti affetti da SMA1 con tracheostomia è da considerarsi compatibile con l'indicazione autorizzata dall'EMA”, scrive AIFA. Tuttavia, “tenuto conto che i benefici attesi dalla suddetta terapia genica nei pazienti affetti da SMA1 con tracheostomia sono considerati pressoché assenti, e a fronte di rischi crescenti nei soggetti con malattia avanzata, la Commissione Tecnico Scientifica dell'Agenzia ha ritenuto che non vi siano le condizioni per l'ammissione alla rimborsabilità da parte del SSN”.

“Rimane in carico all'equipe clinica multidisciplinare il compito di stabilire - nel singolo paziente e dopo un'attenta valutazione delle condizioni complessive - se sia opportuno prevedere di effettuare tale trattamento - scrive AIFA - Nel caso in cui l'equipe specialistica di un centro di riferimento italiano considerasse il paziente idoneo al trattamento, sebbene al di fuori delle condizioni previste per la rimborsabilità SSN, non si ravvede comunque la necessità che tale trattamento venga effettuato all'estero”.