

Area Strategia ed Economia del Farmaco

Settore HTA ed Economia del Farmaco

Elenco dei farmaci innovativi ai sensi dell'articolo 10, comma 2, Legge 8 novembre 2012, n. 189, come definito dall'art.1 comma 1 e 2 dell'accordo Stato Regioni del 18 novembre 2010 (Rep.Atti n.197/CSR).

L'elenco rappresenta i prodotti innovativi che devono essere resi immediatamente disponibili agli assistiti, anche senza il formale inserimento nei prontuari terapeutici ospedalieri regionali. Il riferimento all'inserimento in elenco è pubblicato in G.U. per ogni singola specialità in relazione all'indicazione in regime di rimborso SSN.

Per i prodotti che hanno accesso ai fondi farmaci innovativi, si rimanda agli elenchi pubblicati ai sensi dell'art. 1, commi 402, 403 e 404, della legge 11 dicembre 2016, n. 232 (legge di Bilancio 2017) e ss.mm.ii.

Principi attivi con parere sull'innovatività da parte della Commissione Tecnico Scientifica dell'Aifa in corso di validità nell'anno in corso dalla data di pubblicazione in G.U. (data di efficacia del provvedimento) e in ordine alfabetico.

ELENCO IN BASE ALL'ART.1 COMMA 1 E 2 DELL'ACCORDO STATO REGIONI DEL 18 NOVEMBRE 2010 (REP.ATTI N.197/CSR).

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
ADCETRIS	brentuximab vedotin	Adcetris e' indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da Linfoma cutaneo a cellule T (CTCL) CD30 positivo, sottoposti ad almeno una precedente terapia sistemica	H	Condizionata per 18 mesi	01/11/2019	30/04/2021
ALECENSA ¹	alectinib	in monoterapia è indicato per il trattamento in prima linea di pazienti adulti affetti da carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) in stadio avanzato positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (ALK).	H	Innovatività	01/08/2018	31/07/2021
ALUNBRIG ²	brigatinib	Alunbrig e' indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti	H	Innovatività	10/12/2020	31/07/2021

¹ Rivalutazione innovatività CTS novembre 2019.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		adulti con cancro del polmone non a piccole cellule (non-small cell lung cancer, NSCLC) positivo per la chinasi del linfoma anaplastico (anaplastic lymphoma kinase, ALK) in stadio avanzato, precedentemente non trattati con un inibitore di ALK.				
BRINEURA	cerliponase alfa	trattamento della patologia ceroidolipofuscinosi neuronale di tipo 2 (CLN2), nota anche come carenza di tripeptidil-peptidasi 1 (TPP-1).	H	Innovatività	13/05/2020	12/05/2023
CABLIVI	caplacizumab	Cablivi è indicato per il trattamento negli adulti degli episodi di porpora trombotica trombocitopenica (PTT) acquisita, in associazione e a plasmaferesi (plasma exchange, PE) e immunosoppressione	H	Condizionata per 18 mesi	18/01/2020	17/07/2021
DARZALEX	daratumumab	Esclusivamente nell'indicazione in combinazione con lenalidomide e desametasone, o bortezomib e desametasone, per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo che abbiano ricevuto almeno una precedente terapia.	H	Innovatività	19/04/2018	18/04/2021
DARZALEX	daratumumab	in associazione con bortezomib, melfalan e prednisone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali	H	Condizionata per 18 mesi	15/01/2021	14/07/2022
DARZALEX	daratumumab	n associazione con lenalidomide e desametasone per il trattamento di pazienti adulti con mieloma multiplo di nuova diagnosi non eleggibili al trapianto autologo di cellule staminali	H	innovatività	15/01/2021	14/01/2024
DUPIXENT	dupilumab	il trattamento della dermatite atopica da moderata a grave in pazienti adulti eligibili per la terapia sistemica.	H	Innovatività	08/09/2018	07/09/2021
DUPIXENT ³	dupilumab	trattamento della dermatite atopica da moderata a grave, negli adulti e negli adolescenti di età pari o superiore ai 12 anni eligibili per la terapia sistemica	H	innovatività	10/12/2020	09/12/2023
EPIDYOLEX	cannabidiolo	Epidyolex e' indicato, come terapia aggiuntiva, in associazione con clobazam, per le crisi epilettiche associate a sindrome di Lennox Gastaut (LGS) o a sindrome di Dravet (DS) nei pazienti a partire da due anni di eta'.	A	Condizionata per 18 mesi	25/06/2021	24/12/2022
FETCROJA ⁴	cefiderocol	Fetcroja e' indicato per il trattamento delle infezioni dovute a organismi aerobi gram-negativi negli adulti con opzioni terapeutiche	H	Condizionata	25/06/2021	24/12/2022

² Follower di Alecensa.

³ Innovatività negli adolescenti di età compresa tra i 12 e i 17 anni.

⁴ Innovazione terapeutica in relazione alla seguente indicazione: trattamento di pazienti adulti ricoverati con infezioni causate da batteri Gram-negativi resistenti ai carbapenemi nei quali vi siano opzioni terapeutiche limitate o con infezioni invasive ad eziologia fortemente sospetta da batteri Gram-negativi resistenti ai carbapenemi

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		limitate. Devono essere considerate le linee guida ufficiali sull'uso appropriato degli agenti antibatterici.		per 18 mesi		
GILENYA ⁵	fingolimod	Gilenya e' indicato in monoterapia, come farmaco modificante la malattia, nella sclerosi multipla recidivante-remittente ad elevata attivita' nei seguenti gruppi di pazienti adulti e di pazienti pediatrici di 10 anni di eta' e oltre: pazienti con un'elevata attivita' di malattia nonostante il trattamento con almeno una terapia disease modifying (vedere paragrafi 4.4 e 5.1 per le eccezioni e le informazioni sui periodi di washout). Questi pazienti possono essere definiti come coloro che non hanno risposto ad un ciclo terapeutico completo e adeguato (normalmente almeno un anno di trattamento) con almeno una terapia disease modifying. I pazienti devono avere avuto almeno 1 recidiva nell'anno precedente mentre erano in terapia, e presentare almeno 9 lesioni iperintense in T2 alla RM cerebrale o almeno 1 lesione captante gadolinio o una lesione T2 nuova o inequivocabilmente aumentata di volume rispetto ad un altro recente esame RM. Un paziente non responder puo' anche essere definito come un paziente che presenta, rispetto all'anno precedente, un tasso di recidive invariato o aumentato o che presenta recidive gravi; oppure pazienti con sclerosi multipla recidivante-remittente grave ad evoluzione rapida, definita da due o piu' recidive disabilitanti in un anno, e con 1 o piu' lesioni captanti gadolinio alla RM cerebrale o con un aumento significativo del carico lesionale in T2 rispetto ad una precedente RM recentemente effettuata	A	Innovatività	16/09/2020	15/09/2023
GIVLAARI	givosiran	trattamento della porfiria epatica acuta (AHP) in adulti e adolescenti di età pari e superiore ai 12 anni	A	innovatività	20/01/2021	19/01/2024
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra e' indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A severa (deficit congenito di fattore VIII, FVIII < 1%) senza inibitori del fattore VIII. Hemlibra puo' essere usato in tutte le fasce d'eta'	A	Condizionata per 18 mesi	19/03/2020	18/09/2021
HEMLIBRA	emicizumab	Hemlibra è indicato per la profilassi di routine degli episodi emorragici in pazienti affetti da emofilia A con inibitori del fattore VIII. Hemlibra può essere usato in tutte le fasce d'età	A	innovatività	07/12/2018	06/12/2021

⁵ Innovatività esclusivamente per il trattamento dei pazienti pediatrici.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
IMFINZI	durvalumab	Imfinzi® è indicato in monoterapia per il trattamento del carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato, non resecabile, negli adulti il cui tumore presenta un'espressione di PD-L1 \geq 1% sulle cellule tumorali e la cui malattia non è progredita a seguito di chemioradioterapia a base di platino	H	Innovatività	07/09/2019	06/09/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato per il trattamento di pazienti adulti affetti da linfoma di Hodgkin classico (cHL) recidivato o refrattario che abbiano fallito il trattamento con trapianto autologo di cellule staminali (ASCT) e brentuximab vedotin (BV), o che non siano eleggibili al trapianto e abbiano fallito il trattamento con BV	H	Condizionata per 18 mesi	12/12/2019	11/06/2021
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento del carcinoma uroteliale localmente avanzato o metastatico negli adulti che hanno ricevuto una precedente chemioterapia contenente platino;	H	Condizionata per 18 mesi	12/12/2019	11/06/2021
KEYTRUDA	pembrolizumab	in associazione ad axitinib, è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma a cellule renali (RCC) avanzato negli adulti	H	Condizionata per 18 mesi	17/12/2020	16/06/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	in monoterapia o in associazione a chemioterapia contenente platino e 5-fluorouracile (5-FU), è indicato nel trattamento di prima linea del carcinoma a cellule squamose della testa e del collo (HNSCC), metastatico o ricorrente non resecabile, negli adulti il cui tumore esprime PD-L1 con un CPS = 1	H	Condizionata per 18 mesi	17/12/2020	16/06/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	KEYTRUDA, in associazione a pemetrexed e chemioterapia contenente platino, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico non squamoso negli adulti il cui tumore non è positivo per mutazioni di EGFR o per ALK	H	Innovatività	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	Keytruda in monoterapia è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma al III Stadio e con coinvolgimento dei linfonodi che sono stati sottoposti a resezione completa.	H	Innovatività	11/12/2019	10/12/2022
KEYTRUDA	pembrolizumab	in associazione a carboplatino e paclitaxel o nab-paclitaxel, è indicato nel trattamento di prima linea del NSCLC metastatico squamoso negli adulti	H	Innovatività	17/12/2020	16/12/2023
KISQALI ⁶	ribociclib	Kisqali, in associazione a un inibitore dell'aromatasi o a fulvestrant, è indicato nelle donne con carcinoma mammario in stadio	H	Innovatività	22/05/2020	21/05/2023

⁶ Innovazione terapeutica in relazione alle seguenti indicazioni: in associazione a fulvestrant in pazienti in post-menopausa; in associazione a inibitore dell'aromatasi in pazienti in pre-perimenopausa.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		localmente avanzato o metastatico positivo per il recettore ormonale (HR) e negativo per il recettore 2 per il fattore di crescita epidermico umano (HER2), come terapia iniziale a base endocrina o in donne che hanno in precedenza ricevuto una terapia endocrina. In donne in pre-o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH). In donne in pre-o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere associata ad un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH)				
KYMRIAH ⁷	tisagenlecleucel	Kymriah è indicato per il trattamento di pazienti pediatrici e giovani adulti fino a 25 anni di età con leucemia linfoblastica acuta (LLA) a cellule B che è refrattaria, in recidiva post-trapianto o in seconda o ulteriore recidiva; pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (DLBCL) in recidiva o refrattario dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	Innovatività	13/08/2019	12/08/2022
LUTATHERA	lutezio-177 lu-oxodotreotide	Tumori neuroendocrini gastroenteropancreatici (GEPNET) ben differenziati (G1 e G2), progressivi, non asportabili o metastatici, positivi ai recettori per la somatostatina	H	Innovatività	30/03/2019	29/03/2022
LUXTURNA	voretigene neparvovec	Luxturna e' indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate di RPE65 e che abbiano sufficienti retiniche vitali.	H	Innovatività	10/01/2021	09/01/2024
LYNPARZA	olaparib	Lynparza è indicato, in monoterapia, per il trattamento di mantenimento di pazienti adulte con cancro dell'ovaio epiteliale di alto grado avanzato (stadio III e IV secondo FIGO) BRCA1/2-mutato (mutazione nella linea germinale e/o mutazione somatica), cancro della tuba di Falloppio o cancro peritoneale primitivo, che sono in risposta (completa o parziale) dopo il completamento della chemioterapia di prima linea a base di platino	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2020	12/06/2022
MABTHERA	rituximab	MabThera è indicato per il trattamento di pazienti con pemfigo volgare (PV) da moderato a grave	H	Condizionata per 18 mesi	24/02/2021	23/08/2022
MAVIRET ⁸	glecaprevir/pibrentasvir	Maviret è indicato per il trattamento dell'infezione cronica da virus	A	Innovatività	16/07/2020	15/07/2023

⁷ Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS Luglio 2020).

⁸ Innovatività per l'indicazione pediatrica.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		dell'epatite C (HCV) negli adulti e negli adolescenti di età compresa tra 12 e <18 anni				
MEKINIST	trametinib	trametinib in associazione con Dabrafenib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	Innovatività	17/12/2019	16/12/2022
MYALEPTA	metreleptina	Myalepta è indicato in aggiunta alla dieta come terapia sostitutiva per il trattamento delle complicanze da deficit di leptina in pazienti affetti da lipodistrofia (LD) con diagnosi confermata di LD generalizzata congenita (sindrome di Berardinelli-Seip) o di LD generalizzata acquisita (sindrome di Lawrence) negli adulti e nei bambini di età pari o superiore a 2 anni.	H	Condizionata per 18 mesi	20/03/2020	19/09/2021
ONPATTRO	patisiran	trattamento della amiloidosi hATTR in pazienti adulti con polineuropatia in stadio 1 e 2.	H	Innovatività	31/01/2020	30/01/2023
OPDIVO	nivolumab	in monoterapia è indicato per il trattamento adiuvante di adulti con melanoma con coinvolgimento dei linfonodi o malattia metastatica che sono stati sottoposti a resezione completa	H	Innovatività	18/12/2019	17/12/2022
PALYNZIQ	pegvaliase	Trattamento di pazienti affetti da fenilchetonuria (PKU), di età pari e superiore ai 16 anni, che hanno un controllo inadeguato della fenilalanina ematica (livelli ematici di fenilalanina maggiori di 600 micromol/L) nonostante il trattamento precedente con le opzioni terapeutiche disponibili.	H	Condizionata per 18 mesi	10/01/2020	09/07/2021
POTELIGEO	mogamulizumab	trattamento di pazienti adulti affetti da micosi fungoide (MF) o Sindrome di Sézary (SS) che hanno ricevuto almeno una precedente terapia sistemica.	H	Condizionata per 18 mesi	11/12/2020	10/06/2022
PREVMIS	letermovir	Profilassi della riattivazione e della malattia da citomegalovirus (CMV) in adulti sieropositivi per CMV riceventi (R+) di trapianto allogenico di cellule staminali ematopoietiche (HSCT)	H/A	Innovatività	18/09/2018	17/09/2021
QARZIBA	dinutuximab beta	Trattamento del neuroblastoma ad alto rischio in pazienti a partire dai 12 mesi di età che sono stati precedentemente sottoposti a chemioterapia di induzione conseguendo almeno una risposta parziale, seguita da terapia mieloablattiva e trapianto di cellule staminali.	H	Innovatività	01/08/2018	31/07/2021
REVLIMID	lenalidomide	Revlimid in associazione con rituximab (anticorpo anti-CD20) è indicato per il trattamento dei pazienti adulti con linfoma follicolare (grado 1-3a) precedentemente trattati.	H	Condizionata per 18 mesi	21/02/2021	20/08/2022

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
RYDAPT	midostaurina	In combinazione con chemioterapia standard di induzione con daunorubicina e citarabina e di consolidamento con citarabina ad alte dosi per pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) di nuova diagnosi con mutazione FLT3 positiva	H	Innovatività	17/08/2018	16/08/2021
TAFINLAR	dabrafenib	Dabrafenib in associazione con trametinib è indicato nel trattamento adiuvante di pazienti adulti con melanoma in stadio III positivo alla mutazione BRAF V600, dopo resezione completa	H	Innovatività	17/12/2019	16/12/2022
TAGRISSO ⁹	osimertinib	TAGRISSO in monoterapia è indicato per il trattamento di prima linea dei pazienti adulti con carcinoma polmonare non a piccole cellule (NSCLC) localmente avanzato o metastatico con mutazioni attivanti il recettore per il fattore di crescita epidermico (EGFR).	H	Innovatività	30/11/2019	29/11/2022
VABOREM ¹⁰	meropenem/vaborbactam	Vaborem è indicato per il trattamento delle seguenti infezioni negli adulti: • infezione del tratto urinario complicata (cUTI), compresa pielonefrite • infezione intra-addominale complicata (cIAI) • polmonite nosocomiale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione (VAP). Trattamento di pazienti con batteriemia che si verifica in associazione o in sospetta associazione con una qualsiasi delle infezioni sopra elencate. Vaborem è inoltre indicato per il trattamento di infezioni dovute a organismi Gram-negativi aerobi in adulti che dispongono di opzioni terapeutiche limitate.	H	Condizionata per 18 mesi	01/04/2021	31/10/2022
VENCLYXTO	venetoclax	Venclyxto in combinazione con rituximab è indicato per il trattamento di pazienti adulti con leucemia linfatica cronica (CLL – chronic lymphocytic leukaemia) che hanno ricevuto almeno una terapia precedente.	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021
VERZENIOS ¹¹	abemaciclib	Verzenios è indicato per il trattamento di donne con carcinoma della mammella localmente avanzato o metastatico, positivo ai recettori ormonali (HR), negativo al recettore del fattore umano di crescita	H	Condizionata per 18 mesi	13/12/2019	12/06/2021

⁹ Conferma innovatività restanti 18 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).

¹⁰ Innovazione terapeutica in relazione alle seguenti indicazioni: trattamento di pazienti adulti con accertate o sospette gravi infezioni sostenute da Enterobacteriaceae resistenti ai carbapenemi (CRE): infezione accertata del tratto urinario complicata (cUTI), compresa pielonefrite; infezione accertata o sospetta intra-addominale complicata (cIAI); polmonite nosocomiale (HAP), inclusa polmonite associata a ventilazione (VAP) accertata o sospetta; batteriemia che si verifica in associazione o in sospetta associazione con una qualsiasi delle infezioni sopra elencate; trattamento di infezioni accertate dovute a organismi Gram-negativi aerobi in adulti che dispongono di opzioni terapeutiche limitate.

¹¹ Innovatività quando utilizzato in associazione a fulvestrant. L'innovatività è stata rivalutata dalla CTS ad aprile 2020 a seguito della presentazione di ulteriori dati a supporto dell'attribuzione del requisito di innovatività piena da condizionata.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		epidermico di tipo 2 (HER2): in associazione con un inibitore delle aromatasi o fulvestrant come terapia endocrina iniziale o in donne che hanno ricevuto una precedente terapia endocrina. Nelle donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere combinata con un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).				
VERZENIOS ¹⁰	abemaciclib	Verzenios è indicato per il trattamento di donne con carcinoma della mammella localmente avanzato o metastatico, positivo ai recettori ormonali (HR), negativo al recettore del fattore umano di crescita epidermico di tipo 2 (HER2): in associazione con un inibitore delle aromatasi o fulvestrant come terapia endocrina iniziale o in donne che hanno ricevuto una precedente terapia endocrina. Nelle donne in pre- o perimenopausa, la terapia endocrina deve essere combinata con un agonista dell'ormone di rilascio dell'ormone luteinizzante (LHRH).	H	Innovatività	23/09/2020	12/12/2022
VYXEOS	citarabina e daunorubicina	trattamento di adulti con nuova diagnosi di leucemia mieloide acuta correlata a terapia (t-AML) o AML con alterazioni correlate a mielodisplasia (AML-MRC)	H	Innovatività	19/06/2019	18/06/2022
WAYLIVRA	volanesorsen	coadiuvante della dieta in pazienti adulti affetti da sindrome da chilomicronemia familiare (FCS) confermata geneticamente e ad alto rischio di pancreatite, in cui la risposta alla dieta e alla terapia di riduzione dei trigliceridi è stata inadeguata	A	Condizionata per 18 mesi	21/02/2021	20/08/2022
XOSPATA	gilteritinib	Xospata è indicato come monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta (LMA) recidivante o refrattaria che presentano una mutazione del gene FLT3 (vedere paragrafi 4.2 e 5.1)	H	Condizionata per 18 mesi	09/03/2021	08/09/2022
YESCARTA ¹²	axicabtagene ciloleucel	YESCARTA è indicato per il trattamento di pazienti adulti con linfoma diffuso a grandi cellule B (diffuse large B-cell lymphoma, DLBCL) e linfoma primitivo del mediastino a grandi cellule B(primary mediastinal large B-cell lymphoma, PMBCL) refrattari o recidivanti, dopo due o più linee di terapia sistemica.	H	Innovatività	12/11/2019	11/11/2022
ZOLGENSMA ¹³	onasemnogene abeparvovec	Zolgensma è indicato per il trattamento di: - pazienti con atrofia muscolare spinale (SMA) 5q con una mutazione biallelica nel gene	H	Innovatività per 12 mesi	14/03/2021	13/03/2022

¹² Conferma innovatività restanti 24 mesi (rivalutazione CTS settembre 2020).

¹³ innovatività' per dodici mesi, rinnovabile previo parere della CTS per altri dodici mesi, eventualmente prorogabili per altri dodici mesi fino a trentasei mesi complessivi.

FARMACO	PRINCIPIO ATTIVO	INDICAZIONI	CLASSE	INNOVAZIONE TERAPEUTICA	DATA G.U. (DATA EFFICACIA)	DATA SCADENZA
		SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo 1, oppure - pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 3 copie del gene SMN2.				