

AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 4 marzo 2024

Rinegoziazione del medicinale per uso umano «Zolgensma», ai sensi dell'articolo 8, comma 10, della legge 24 dicembre 1993, n. 537. (Determina n. 46/2024). (24A01361)

(GU n.64 del 16-3-2024)

IL DIRETTORE TECNICO-SCIENTIFICO

Visto l'art. 48 del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, recante «Disposizioni urgenti per favorire lo sviluppo e per la correzione dell'andamento dei conti pubblici», convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326, che ha istituito l'Agenzia italiana del farmaco e, in particolare, il comma 33, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra Agenzia e produttori;

Visto il decreto 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze recante «Regolamento recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco, a norma dell'art. 48, comma 13, del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326», come da ultimo modificato dal decreto 8 gennaio 2024, n. 3 del Ministro della salute, di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e delle finanze, pubblicato nella Gazzetta Ufficiale, Serie generale, n. 11 del 15 gennaio 2024;

Visto il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale dell'Agenzia italiana del farmaco, pubblicato sul sito istituzionale dell'Agenzia (comunicazione in Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale n. 140 del 17 giugno 2016) (in appresso «regolamento»);

Visto il decreto del Ministro della salute 9 febbraio 2024 di nomina del dott. Pierluigi Russo quale direttore tecnico-scientifico dell'Agenzia italiana del farmaco, ai sensi dell'art. 10-bis del citato decreto del Ministro della salute 20 settembre 2004, n. 245 e successive modificazioni ed integrazioni;

Vista la determina del direttore generale n. 643 del 28 maggio 2020 con cui e' stato conferito al dott. Trotta Francesco l'incarico di dirigente del Settore HTA ed economia del farmaco;

Vista la legge 24 dicembre 1993, n. 537, concernente «Interventi correttivi di finanza pubblica», con particolare riferimento all'art. 8, comma 10, che prevede la classificazione dei medicinali erogabili a carico del Servizio sanitario nazionale;

Vista la legge 14 dicembre 2000, n. 376, recante «Disciplina della tutela sanitaria delle attivita' sportive e della lotta contro il doping»;

Visto il decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95, convertito, con modificazioni, dalla legge 7 agosto 2012, n. 135, recante «Disposizioni urgenti per la revisione della spesa pubblica con invarianza dei servizi ai cittadini nonche' misure di rafforzamento patrimoniale delle imprese del settore bancario» e in particolare l'art. 15, comma 8, lettera b), con il quale e' stato previsto un fondo aggiuntivo per la spesa dei farmaci innovativi;

Vista la legge 27 dicembre 2017, n. 205, «Bilancio di previsione

dello Stato per l'anno finanziario 2018 e bilancio pluriennale per il triennio 2018-2020» e in particolare l'art. 1, commi 408-409 con i quali e' stato previsto un monitoraggio degli effetti dell'utilizzo dei farmaci innovativi e innovativi oncologici sul costo del percorso terapeutico-assistenziale complessivo;

Visto l'art. 48, comma 33-ter del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, dalla legge 24 novembre 2003, n. 326, in materia di specialita' medicinali soggette a rimborsabilita' condizionata nell'ambito dei registri di monitoraggio AIFA;

Visto il regolamento (CE) n. 1394/2007 del Parlamento europeo e del Consiglio del 13 novembre 2007 sui medicinali per terapie avanzate, recante modifica della direttiva 2001/83/CE e del regolamento (CE) n. 726/2004;

Visto il regolamento (CE) n. 726/2004 del Parlamento europeo e del Consiglio del 31 marzo 2004, che istituisce procedure comunitarie per l'autorizzazione e la vigilanza dei medicinali per uso umano e veterinario e che istituisce l'Agenzia europea per i medicinali;

Visto il decreto legislativo 24 aprile 2006, n. 219, recante «Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice comunitario concernente i medicinali per uso umano»;

Visto il decreto del Ministero della salute del 2 agosto 2019 recante «Criteri e modalita' con cui l'Agenzia italiana del farmaco determina, mediante negoziazione, i prezzi dei farmaci rimborsati dal Servizio sanitario nazionale», pubblicato nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, Serie generale, n. 185 del 24 luglio 2020;

Visti gli articoli 11 e 12 del decreto-legge 13 settembre 2012, n. 158, recante «Disposizioni urgenti per promuovere lo sviluppo del Paese mediante un piu' alto livello di tutela della salute», convertito, con modificazioni, nella legge 8 novembre 2012, n. 189, e successive modificazioni ed integrazioni;

Visto l'art. 17 della legge 5 agosto 2022, n. 118, recante «Legge annuale per il mercato e la concorrenza 2021»;

Vista la determina AIFA del 3 luglio 2006, concernente «Elenco dei medicinali di classe A rimborsabili dal Servizio sanitario nazionale (SSN) ai sensi dell'art. 48, comma 5, lettera c), del decreto-legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito, con modificazioni, nella legge 24 novembre 2003, n. 326 (Prontuario farmaceutico nazionale 2006)», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, Serie generale, n. 156 del 7 luglio 2006;

Vista la determina AIFA del 27 settembre 2006, recante «Manovra per il governo della spesa farmaceutica convenzionata e non convenzionata», pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, Serie generale, n. 227 del 29 settembre 2006;

Vista la determina AIFA n. 277/2021 del 10 marzo 2021, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana, Serie generale, n. 62, del 13 marzo 2021, recante «Regime di rimborsabilita' e prezzo del medicinale per uso umano "Zolgensma"»;

Visto il trasferimento a nuova ditta Novartis Gene Therapies EU L.T.D. a Novartis Europharm Limited, decisione della Commissione europea n. C (2022)6464 del 2 settembre 2022;

Vista la domanda presentata in data 3 febbraio 2023 con la quale la societa' Novartis Europharm Limited ha chiesto la rinegoziazione delle condizioni negoziali del medicinale «Zolgensma» (onasemnogene abeparvovec);

Visto il parere espresso dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica nella seduta del 7-9 giugno 2023;

Visto il parere reso dal Comitato prezzi e rimborso nella seduta del 12 e 15 gennaio 2024;

Vista la delibera n. 02 del 30 gennaio 2024 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, adottata su proposta del sostituto del direttore generale, concernente l'approvazione dei medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilita' da parte del Servizio sanitario nazionale;

Visti gli atti d'ufficio;

Determina:

Art. 1

Oggetto della rinegoziazione

Il medicinale ZOLGENSMA (onasemnogene abeparvovec) e' rinegoziato alle condizioni qui sotto indicate.

Indicazioni terapeutiche oggetto della negoziazione:

«Zolgensma» e' indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 Kg e diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio dei sintomi nei primi 6 mesi di vita oppure diagnosi di SMA 5q (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a tre copie del gene SMN2).

Confezioni:

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 9 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773220/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773016/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 2 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773030/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 3 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773042/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 2 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773055/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 4 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773079/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 3 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773081/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 4 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773093/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 4 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773117/E (in base 10);

classe di rimborsabilita': H;

prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;

«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 5 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C.

n. 048773129/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 6 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773131/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 5 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773143/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 6 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773156/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 5 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773105/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 3 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773067/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 7 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773168/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 6 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773170/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 1 flaconcino da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773028/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 7 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773182/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 8 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773194/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 2 flaconcini da 5,5 mL; 7 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773206/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;

prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72;
«2 x 10 alla tredicesima vg/mL soluzione per infusione, uso endovenoso» - 1 flaconcino da 5,5 mL; 8 flaconcini da 8,3 mL - A.I.C. n. 048773218/E (in base 10);
classe di rimborsabilita': H;
prezzo ex factory (IVA esclusa): euro 2.155.124,65;
prezzo al pubblico (IVA inclusa): euro 3.556.817,72
Sconto obbligatorio sul prezzo ex factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, come da condizioni negoziali.

Innovativita' piena

Conferma del requisito dell'innovazione terapeutica in relazione all'indicazione terapeutica negoziata «trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 Kg e: diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio dei sintomi nei primi 6 mesi di vita, oppure diagnosi di SMA 5q (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a tre copie del gene SMN2)», da cui consegue:

l'inserimento nel Fondo dei farmaci innovativi di cui all'art. 1, comma 401, della legge n. 232/2016 (Legge di bilancio 2017), come modificato dal decreto-legge 25 maggio 2021, n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021, n. 106, (art. 35-ter).;

il beneficio economico della sospensione delle riduzioni di legge, di cui alle determinate AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006, derivante dal riconoscimento dell'innovativita';

l'inserimento nei Prontuari terapeutici regionali nei termini previsti dalla normativa vigente (art. 10, comma 2, decreto-legge n. 158/2012, convertito, con modificazioni, nella legge n. 189/2012;

l'inserimento nell'elenco dei farmaci innovativi ai sensi dell'art. 1, commi 1 e 2, dell'accordo sottoscritto in data 18 novembre 2010 (Rep. Atti n. 197/CSR) e ai sensi dell'art. 1, commi 401-406 della legge n. 232/2016 (Legge di bilancio 2017), come modificato dal decreto-legge 25 maggio 2021, n. 73, convertito con modificazioni dalla legge 23 luglio 2021, n. 106 (art. 35-ter).

Il riconoscimento dell'innovativita' piena, con i relativi benefici avra' una durata pari al tempo residuo dalla prima determina di rimborsabilita', cioe' fino al 14 marzo 2024.

La societa' rinuncia espressamente al beneficio economico della sospensione delle riduzioni di legge di cui alle determinate AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006.

La societa', fatte salve le disposizioni in materia di smaltimento scorte, nel rispetto dell'art. 13 del decreto-legge 30 aprile 2019, n. 35, convertito, con modificazioni, nella legge 25 giugno 2019, n. 60, si impegna a mantenere una fornitura costante adeguata al fabbisogno del Servizio sanitario nazionale.

Validita' del contratto: ventiquattro mesi.

Accordo novativo della determina AIFA n. 277 del 10 marzo 2021, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 62 del 13 marzo 2021 che, pertanto, si estingue.

Art. 2

Condizioni e modalita' di impiego

E' aggiornato il registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale «Zolgensma», a base di onasemnogene abeparvovec per l'indicazione ammessa alla rimborsabilita': «trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 Kg:

con diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio dei sintomi nei primi 6 mesi di vita, oppure

con diagnosi di SMA 5q (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a tre copie del gene SMN2)».

Ai fini della prescrizione e della dispensazione del medicinale, i medici ed i farmacisti afferenti ai centri utilizzatori specificatamente individuati dalle Regioni dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata disponibile a fronte dell'accesso attraverso il sito istituzionale dell'AIFA, all'indirizzo web <https://registri.aifa.gov.it>

I medici ed i farmacisti abilitati all'accesso al registro di monitoraggio AIFA dovranno effettuare la prescrizione e dispensazione del medicinale in accordo ai criteri di eleggibilita' e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

In caso di temporaneo impedimento dell'accesso ai sistemi informativi, i medici ed i farmacisti abilitati dovranno garantire i trattamenti a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina. Successivamente alla disponibilita' delle funzionalita' informatiche, i medici ed i farmacisti dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella suddetta piattaforma web.

I costi della scheda di arruolamento e della scheda di follow-up sono a carico della societa'.

Per i nuovi pazienti, eliminazione di tutti gli accordi di condivisione del rischio (MEA). Per i pazienti gia' infusi, resta ferma l'applicazione degli accordi di rimborsabilita' condizionata gia' previsti, fino al termine del periodo di follow-up.

Art. 3

Classificazione ai fini della fornitura

La classificazione ai fini della fornitura del medicinale «Zolgensma» (onasemnogene abeparvovec) e' la seguente: medicinale soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (OSP).

Art. 4

Disposizioni finali

La presente determina ha effetto dal giorno successivo alla sua pubblicazione nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana e sara' notificata alla societa' titolare dell'autorizzazione all'immissione in commercio.

Roma, 4 marzo 2024

Il direttore: Russo