

# AGENZIA ITALIANA DEL FARMACO

DETERMINA 10 marzo 2021

Regime di rimborsabilit  e prezzo del medicinale per uso umano «Zolgensma». (Determina n. DG/277/2021). (21A01554)

(GU n.62 del 13-3-2021)

Per il regime di rimborsabilit  e prezzo di vendita della specialit  medicinale ZOLGENSMA (onasemnogene abeparvovec), autorizzata con procedura centralizzata europea dalla Commissione europea con decisione C(2020)3362 del 18 maggio 2020 (rettificata con decisione della Commissione europea C(2020)5579 del 10 agosto 2020) ed inserita nel registro comunitario dei medicinali con il numero:

EU/1/20/1443.

Titolare A.I.C.: Novartis Gene Therapies EU Limited.

## IL DIRETTORE GENERALE

Visti gli articoli 8 e 9 del decreto legislativo 30 luglio 1999, n. 300;

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;

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, con cui e' stato emanato il «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», cos  come modificato dal decreto 29 marzo 2012, n. 53, del Ministro della salute, di concerto con i Ministri per la pubblica amministrazione e la semplificazione e dell'economia e delle finanze, recante «Modifica al regolamento e funzionamento dell'Agenzia italiana del farmaco (AIFA), in attuazione dell'art. 17, comma 10 del decreto-legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni, dalla legge 15 luglio 2011, n. 111»;

Visti il regolamento di organizzazione, del funzionamento e dell'ordinamento del personale e la nuova dotazione organica, definitivamente adottati dal consiglio di amministrazione dell'AIFA, rispettivamente con deliberazione 8 aprile 2016, n. 12, e con deliberazione 3 febbraio 2016, n. 6, approvate ai sensi dell'art. 22 del decreto 20 settembre 2004, n. 245 del Ministro della salute, di concerto con il Ministro della funzione pubblica e il ministro dell'economia e delle finanze, della cui pubblicazione nel proprio sito istituzionale e' stato dato avviso nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 140 del 17 giugno 2016;

Visto il decreto legislativo 30 marzo 2001, n. 165, recante «Norme generali sull'ordinamento del lavoro alle dipendenze delle amministrazioni pubbliche» e successive modificazioni e integrazioni;

Vista la legge 15 luglio 2002, n. 145, intitolata «Disposizioni per il riordino della dirigenza statale e per favorire lo scambio di esperienze e l'interazione tra pubblico e privato»;

Visto il decreto del Ministro della salute del 15 gennaio 2020, con cui il dott. Nicola Magrini e' stato nominato direttore generale dell'Agenzia italiana del farmaco ed il relativo contratto individuale di lavoro sottoscritto in data 2 marzo 2020 e con decorrenza in pari data;

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;

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 regolamento (CE) n. 141/2000 del Parlamento europeo e del Consiglio, del 16 dicembre 1999, concernente i medicinali orfani;

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 l'art. 85, comma 20 della legge 23 dicembre 2000, n. 388;

Visto l'art. 48, comma 33 della legge 24 novembre 2003, n. 326, che dispone la negoziazione del prezzo per i prodotti rimborsati dal Servizio sanitario nazionale tra agenzia e titolari di autorizzazioni;

Visto il decreto-legge 6 luglio 2012, n. 95, convertito, con modificazioni, nella legge 7 agosto 2012, n. 135, recante «Disposizioni urgenti per la revisione della spesa pubblica con invarianza dei servizi ai cittadini nonché 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;

Visto l'art. 1, comma 400 della legge 11 dicembre 2016, n. 232, recante «Bilancio di previsione dello Stato per l'anno finanziario 2017 e bilancio pluriennale per il triennio 2017-2019»;

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

Vista la deliberazione CIPE del 1° febbraio 2001, n. 3;

Vista la determina AIFA del 29 ottobre 2004 («note AIFA 2004 - revisione delle note CUF») e successive modificazioni, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana n. 259 del 4 novembre 2004, Supplemento ordinario n. 162;

Vista la determina AIFA del 3 luglio 2006, pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 156 del 7 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 2006, n. 326 (Prontuario farmaceutico nazionale 2006)»;

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

Vista la domanda presentata in data 26 maggio 2020 con la quale l'azienda Novartis Gene Therapies EU Limited ha chiesto la classificazione in regime di rimborsabilita' a carico del Servizio sanitario nazionale del medicinale «Zolgensma» (onasemnogene abeparvovec);

Vista la determina AIFA n. 126266/2020 del 12 novembre 2020 di inserimento del medicinale «Zolgensma» (onasemnogene abeparvovec) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi della legge 23 dicembre 1996, n. 648,

per il trattamento entro i primi sei mesi di vita di pazienti con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 2 copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1), pubblicata nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana - Serie generale - n. 286 del 17 novembre 2020;

Visti i pareri espressi dalla Commissione consultiva tecnico-scientifica dell'AIFA nelle sue sedute del 5 agosto 2020 (straordinaria), 16, 18 e 23 settembre 2020, 11-13 novembre 2020, 10-12 febbraio 2021 e 8 marzo 2021 (seduta permanente COVID-19);

Visto il parere reso dal Comitato prezzi e rimborso nella sua seduta del 23-25 febbraio 2021;

Visti gli atti d'ufficio;

Vista la deliberazione n. 18 del 9 marzo 2021 del consiglio di amministrazione dell'AIFA, adottata su proposta del direttore generale, concernente l'approvazione delle specialità medicinali ai fini dell'autorizzazione all'immissione in commercio e rimborsabilità da parte del Servizio sanitario nazionale;

Considerato che per la corretta gestione delle varie fasi della distribuzione, alla specialità medicinale debba venir attribuito un numero di identificazione nazionale;

Determina:

Art. 1

Descrizione del medicinale  
e attribuzione numero A.I.C.

Alla specialità medicinale ZOLGENSMA (onasemnogene abeparvovec) nelle confezioni indicate vengono attribuiti i seguenti numeri di identificazione nazionale.

Confezioni:

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773016/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 1x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773028/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 2x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773030/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 3x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773042/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 2x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773055/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 3x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773067/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 4x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773079/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 3x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773081/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 4x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773093/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 5x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773105/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 4x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773117/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 5x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773129/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 6x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773131/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 5x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773143/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 6x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773156/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 7x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773168/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 6x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773170/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 7x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773182/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 8x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773194/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 7x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773206/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 8x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773218/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 9x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773220/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 8x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773232/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 9x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773244/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 10x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773257/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 9x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773269/E  
(in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 10x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773271/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 11x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773283/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 10x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773295/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 11x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773307/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 12 x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773319/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 11x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773321/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 12x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773333/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 13x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773345/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 12 x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773358/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 13x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773360/E (in base 10);

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 14x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773372/E (in base 10).

#### Indicazioni terapeutiche.

Indicazione terapeutica autorizzata:

«Zolgensma» e' indicato per il trattamento di:

pazienti con atrofia muscolare spinale (SMA) 5q con una  
mutazione biallelica nel gene SMN1 e una diagnosi clinica di SMA tipo  
1, oppure

pazienti con SMA 5q con una mutazione biallelica nel gene SMN1

e fino a tre copie del gene SMN2.

Indicazione terapeutica rimborsata:

«Zolgensma» e' indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg:

diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure

diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2).

## Art. 2

### Classificazione ai fini della rimborsabilita'

La specialita' medicinale «Zolgensma» (onasemnogene abeparvovec) e' classificata come segue.

Confezioni:

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaoncino da 5,5 ml, 1x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaoncino da 5,5 ml, 2x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 3x flaoncino da 8,3ml - 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaoncino da 5,5 ml, 2x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaoncino da 5,5 ml, 3x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 4x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaoncino da 5,5 ml, 3x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaoncino da 5,5 ml, 4x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 5x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaoncino da 5,5 ml, 4x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaoncino da 5,5 ml, 5x flaoncino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 6x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 5x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 6x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 7x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 6x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 7x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 8x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 7x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 8x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 9x flaconcino 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;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 8x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773232/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 9x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773244/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 10x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773257/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 9x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773269/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x flaconcino da 5,5 ml, 10x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773271/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 11x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773283/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;

2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x flaconcino da 5,5 ml, 10x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.

048773295/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 11x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773307/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 12x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773319/E (in base 10). Classe di  
rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 11x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773321/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 12x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773333/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 13x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773345/E (in base 10). Classe di  
rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 2x  
flaconcino da 5,5 ml, 12x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773358/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 1x  
flaconcino da 5,5 ml, 13x flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n.  
048773360/E (in base 10). Classe di rimborsabilita': C;  
2x10<sup>13</sup> genomi vettoriali/ml soluzione per infusione - 14x  
flaconcino da 8,3 ml - A.I.C. n. 048773372/E (in base 10). Classe di  
rimborsabilita': C.

Alla specialita' medicinale in oggetto viene riconosciuta l'innovativita' per dodici mesi, rinnovabile previo nuovo parere espresso ogni volta da parte della Commissione tecnico-scientifica per altri dodici mesi, eventualmente prorogabili per altri dodici mesi fino all'estensione massima di trentasei mesi prevista dall'art. 1, comma 402 della legge 11 dicembre 2016, n. 232, in relazione all'indicazione terapeutica rimborsata «trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg:

diagnosi clinica di SMA di tipo 1 ed esordio nei primi sei mesi di vita, oppure

diagnosi genetica di SMA di tipo 1 (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)», a cui sono associati l'inserimento nel Fondo dei farmaci innovativi non oncologici di cui all'art. 1, comma 400 della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017), il beneficio economico della sospensione delle riduzioni di legge di cui alle determinazioni AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006, 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) e negli elenchi 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 400-406 della legge n. 232/2016 (legge di bilancio 2017).

Inserimento tra i farmaci sottoposti a registro di monitoraggio AIFA.

Ai fini delle prescrizioni a carico del Servizio sanitario nazionale, i centri utilizzatori specificatamente individuati dalle regioni, dovranno compilare la scheda raccolta dati informatizzata di arruolamento che indica i pazienti eleggibili e la scheda di follow-up, applicando le condizioni negoziali secondo le indicazioni pubblicate sul sito dell'agenzia, piattaforma web - all'indirizzo <https://servizionline.aifa.gov.it/> che costituiscono parte integrante della presente determina.

Nelle more della piena attuazione del registro di monitoraggio web-based, onde garantire la disponibilita' del trattamento ai pazienti le prescrizioni dovranno essere effettuate in accordo ai criteri di eleggibilita' e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'Agenzia: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>

I dati inerenti ai trattamenti effettuati a partire dalla data di entrata in vigore della presente determina, tramite la modalita' temporanea suindicata, dovranno essere successivamente riportati nella piattaforma web, secondo le modalita' che saranno indicate nel sito:

<https://www.aifa.gov.it/registri-farmaci-sottoposti-a-monitoraggio>

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

Il prezzo negoziato si intende al lordo di tutte le riduzioni di legge e delle riduzioni selettive, di cui alle determinazioni AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006.

Come da precedenti accordi, le condizioni negoziate devono intendersi applicate anche per i pazienti trattati ai sensi della legge n. 648/1996 per la terapia entro i primi sei mesi di vita di pazienti con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 2 copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1).

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.

Sconto obbligatorio sul prezzo ex-factory, da praticarsi alle strutture sanitarie pubbliche, ivi comprese le strutture sanitarie private accreditate con il Servizio sanitario nazionale, e una modalita' di pagamento condizionato (payment at result) alla consegna del farmaco e a dodici, ventiquattro, trentasei, quarantotto mesi dalla somministrazione, come da condizioni negoziali.

Validita' del contratto: ventiquattro mesi, non rinnovabili, decorrenti dal giorno successivo alla data di pubblicazione della relativa determina AIFA nella Gazzetta Ufficiale della Repubblica italiana.

Restano salvi gli obblighi riferiti alla regolamentazione delle tranches di pagamento concordate, che, per loro natura o per espressa disposizione contrattuale, siano destinati ad avere durata anche successivamente alla scadenza o cessazione dell'accordo oggetto del presente provvedimento.

In presenza di evidenze che smentiscano quelle che avevano giustificato il riconoscimento dell'innovativita' del medicinale o ne ridimensionino l'effetto terapeutico, l'innovativita' del farmaco in relazione alla specifica indicazione non potra' essere confermata, e i benefici ad essa connessi decadranno, con conseguente avvio di una nuova negoziazione del prezzo e delle condizioni di rimborsabilita' previste nell'accordo, ai sensi della determina AIFA del 12 settembre 2017, recante «Criteri per la classificazione dei farmaci innovativi, e dei farmaci oncologici innovativi, ai sensi dell'art. 1, comma 402 della legge 11 dicembre 2016, n. 232».

### 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, 10 marzo 2021

Il direttore generale: Magnini