

**A.Li.Sa.**  
**AZIENDA LIGURE SANITARIA DELLA REGIONE LIGURIA**  
C.F. / P. IVA 02421770997

**DELIBERAZIONE N. 216 DEL 21.06.2021**

Oggetto: Individuazione centro regionale per la prescrizione del medicinale Zolgensma ( p.a. onasemnogene abeparvovec) sottoposto a registro di monitoraggio AIFA.

**IL COMMISSARIO STRAORDINARIO**

Su conforme proposta del Direttore della S.C. Politiche del Farmaco

RICHIAMATA la L.R. n. 17 del 29.07.2016 di "Istituzione dell'Azienda Ligure Sanitaria della Regione Liguria (A.Li.Sa.) e indirizzi per il riordino delle disposizioni regionali in materia sanitaria e sociosanitaria" e ss.mm.ii. ed, in particolare, l'art. 3, comma 2, che attribuisce ad A.Li.Sa. funzioni di programmazione sanitaria e sociosanitaria, coordinamento, indirizzo e "governance" delle Aziende sanitarie e degli altri enti del Servizio Sanitario Regionale;

CONSIDERATO che in base a quanto stabilito dalla citata legge regionale in ordine alle funzioni attribuite ad A.Li.Sa. sono stati adottati i seguenti provvedimenti:

- D.G.R. n. 7 del 13.01.2017 con la quale sono stati approvati i principi e i criteri per l'organizzazione delle Aziende, Istituti ed Enti del SSR e le linee guida per la redazione degli atti di autonomia aziendale;
- D.G.R. n. 228 del 24.03.2017 con la quale sono state attribuite ad A.Li.Sa., in attuazione della previsione di cui alla lettera p), comma 2), art. 3 della L.R. n. 17 del 29.07.2016 e in continuità con i provvedimenti regionali, ulteriori funzioni e compiti in materia di assistenza farmaceutica;

RICHIAMATE:

- la D.G.R. n. 358 del 30.04.2021 ad oggetto: "Assegnazione degli obiettivi per l'anno 2021 ai Direttori generali delle Aziende sociosanitarie e dell'IRCCS Ospedale Policlinico San Martino, nonché al l'IRCCS Gaslini e agli Enti Ospedalieri Galliera ed Evangelico;

- la Delibera di A.Li.Sa. n. 462 del 16.12.2020 con la quale sono stati, tra l'altro, aggiornati gli elenchi dei presidi accreditati per la diagnosi e la cura di malattie rare o gruppi di malattie rare in Regione Liguria e Unità Operative di riferimento;

VISTA ed espressamente richiamata la determina AIFA 10 marzo 2021, pubblicata sulla G.U. n. 62 del 13.03.2021, ad oggetto: "Regime di rimborsabilità e prezzo del medicinale per uso umano "Zolgensma" (Determina n. DG/277/2021), con la quale è stata autorizzata la rimborsabilità, in fascia H, del medicinale "Zolgensma" ( p.a. onasemnogene abeparvovec) per l'indicazione terapeutica: "Zolgensma è indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg; diagnosi di SMA di

*tipo I ed esordio nei primi mesi di vita oppure diagnosi generica di SMA di tipo I (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)”*

RILEVATO che:

- AIFA ha riconosciuto il requisito dell'innovatività 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 per l'indicazione terapeutica rimborsata con l'inserimento del fondo farmaci innovativi non oncologici;

- il provvedimento AIFA sopra indicato stabilisce che: “Ai fini delle prescrizioni a carico del SSN, 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://www.agenziafarmaco.gov.it/registri/> che costituiscono parte integrante della presente determinazione”;

EVIDENZIATO che:

- le condizioni negoziate tra l’Azienda produttrice e l’AIFA prevedono il pagamento condizionato (payment at result) in cinque tranches come di seguito specificato:

- a) I *tranche* (20% del costo del farmaco) al ricevimento dell’ordine del farmaco;
- b) II *tranche* (20% del costo del farmaco) a 12 mesi dalla data di somministrazione del farmaco, a condizione che entro tale data non si sia verificato uno dei fallimenti identificati dalla CTS di AIFA;
- c) III *tranche* (20% del costo del farmaco) a 24 mesi dalla data di somministrazione del farmaco, a condizione che non si sia verificato uno dei fallimenti identificati dalla CTS di AIFA;
- d) IV *tranche* (20% del costo del farmaco) a 36 mesi dalla data di somministrazione del farmaco, a condizione che non si sia verificato uno dei fallimenti identificati dalla CTS di AIFA;
- e) V *tranche* (20% del costo del farmaco) a 48 mesi dalla data di somministrazione del farmaco, a condizione che non si sia verificato uno dei fallimenti identificati dalla CTS di AIFA;

- come da accordi negoziali le condizioni di cui sopra devono intendersi applicate anche per i pazienti trattati ai sensi della L. 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);

- 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 della determina AIFA 277/2021;

STABILITO che la struttura somministrante dovrà inserire tempestivamente la dispensazione farmaco (DF), corrispondente alla somministrazione e la relativa data nel registro di monitoraggio e in caso di fallimento dovrà compilare la scheda di rivalutazione e/o scheda di fine trattamento sotto la diretta responsabilità del clinico prescrittore;

CONSIDERATO che l'individuazione dei centri prescrittori regionali ottempera gli obblighi previsti dalla normativa nazionale, ai fini della prescrizione a carico del SSN e che, pertanto, i centri individuati alla prescrizione dei medicinali sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare la scheda di eleggibilità dei pazienti alle terapie sottoposte a registro AIFA;

RITENUTO, pertanto, per dare applicazione alla normativa vigente, di dover provvedere all'individuazione del centro prescrittore del medicinale "Zolgensma" per le indicazioni rimborsate dal SSN tenuto conto di quanto disposto con Delibera A.Li.Sa. n. 462 del 16.12.2020;

ACQUISITO il parere favorevole del Direttore Sanitario, del Direttore Amministrativo e del Direttore Socio – Sanitario

### DELIBERA

Per le motivazioni indicate in premessa e che qui, integralmente, si richiamano:

- a) di individuare ai fini della prescrizione, a carico del SSN, del medicinale "Zolgensma" (p.a. . onasemnogene abeparvovec ) per l'indicazione terapeutica: *"trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA) 5q in pazienti con peso fino a 13,5 kg; diagnosi di SMA di tipo I ed esordio nei primi mesi di vita oppure diagnosi generica di SMA di tipo I (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2)"* l'U.O.C. di Neurologia Pediatrica e Malattie muscolari dell'Istituto G.Gaslini;
- b) di confermare che l'individuazione dei centri prescrittori ottempera gli obblighi previsti dalla normativa nazionale, ai fini della prescrizione dei medicinali a carico del SSN;
- c) di evidenziare che i centri individuati alla prescrizione dei medicinali sono tenuti ad effettuare la diagnosi e a compilare la scheda di eleggibilità dei pazienti alle terapie sottoposte a registro AIFA;
- d) di stabilire che:
  - struttura somministrante dovrà inserire tempestivamente la dispensazione farmaco (DF), corrispondente alla somministrazione e la relativa data nel registro di monitoraggio e, in caso di fallimento, dovrà compilare la scheda di rivalutazione e/o scheda di fine trattamento sotto la diretta responsabilità del clinico prescrittore;
  - in ragione del meccanismo di pagamento, il c.d. "payment at results" (PaR), previsto dagli accordi negoziali intervenuti tra AIFA e l'azienda farmaceutica, la struttura acquirente non anticipi l'intero prezzo del farmaco, vincolando i successivi pagamenti al raggiungimento di determinati outcome: I tranche alla consegna del farmaco, II tranche a 12 mesi, III tranche a 24 mesi, IV tranche a 36 mesi e V tranche a 48 mesi dalla somministrazione del farmaco;
  - al fine di dare applicazione al modello di pagamento (PaR), per la contabilizzazione a Conto economico (CE) il centro utilizzatore dovrà procedere all'imputazione secondo le tranche di fatturazione previste al raggiungimento dei diversi risultati clinici, come previsto dagli accordi negoziali intercorsi tra AIFA e l'azienda farmaceutica, anche per evitare l'imputazione dell'intero costo del farmaco acquistato e per garantire, inoltre, l'allineamento con i vari flussi informativi (es. flusso Traccia);

- per gli aspetti relativi alla mobilità interregionale, considerato che il farmaco <<Zolgensma>> accede al fondo innovativi, deve essere rendicontato in File F a costo zero, garantendo così la tracciabilità del farmaco grazie all'inserimento in mobilità;
- e) di ribadire l'obbligo per le Aziende, gli Enti, e gli IRCCS del SSR di assicurare:
- la completezza, la correttezza e la qualità dei dati registrati sui flussi ministeriali dell'erogazione diretta ed ospedaliera;
  - la corrispondenza tra il flusso dei consumi e i dati inseriti nei registri di monitoraggio AIFA in quanto rientra tra gli indirizzi operativi per gli anni 2019 e 2020, per l'area farmaceutica, approvati rispettivamente con DGR n 7 dell'11.01.2019 e DGR n. 1 del 10.01.2020;
- f) di richiamare gli obblighi del personale sanitario in ordine al puntuale monitoraggio del profilo di sicurezza dei medicinali tramite la tempestiva segnalazione delle sospette reazioni avverse secondo le modalità e tempistiche previste dalla normativa vigente;
- g) di dare atto che i maggiori oneri derivanti dall'adozione del presente provvedimento sono ricompresi nelle quote del Fondo Sanitario assegnate alle Aziende;
- h) di trasmettere il presente provvedimento alle Aziende sanitarie, agli Enti ospedalieri, all'Istituto G. Gaslini e all'Ospedale Policlinico San Martino, al SUAR e ai Direttori di Farmacia delle Aziende sanitarie, degli Enti ospedalieri, dell'Istituto G. Gaslini e dell'Ospedale Policlinico San Martino;
- i) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sul proprio albo pretorio on – line;
- j) di disporre la pubblicazione del presente provvedimento sulla sezione farmaceutica del sito web aziendale;
- k) di dare atto che il presente provvedimento è composto da n. 4 pagine.

## IL PROPONENTE

Il Direttore della S.C. Politiche del Farmaco

( Dott.ssa Barbara Rebesco )



Parere favorevole formulato ai sensi del D.Lgs. n. 502/92 e ss.mm.ii.

## IL SUB COMMISSARIO

con funzioni di Direttore Amministrativo

(Dott.ssa Laura Lassalaz)



## IL SUB COMMISSARIO

con funzioni di Direttore Sanitario

(Prof. Filippo Ansaldi)



## IL SUB COMMISSARIO

con funzioni di Direttore Socio Sanitario

(Dott.ssa Cristina Giordano)



## II COMMISSARIO STRAORDINARIO

(Dott. Francesco Quaglia)

