



## **DISEGNO DI LEGGE**

**d’iniziativa dei senatori GAUDIANO, VANIN, VACCARO, TRENTACOSTE, ANGRISANI, L’ABBATE, CORRADO, PIARULLI, MAUTONE, PRESUTTO, LANNUTTI, DONNO, MOLLAME, FENU e MANTOVANI**

**COMUNICATO ALLA PRESIDENZA IL 21 GENNAIO 2021**

Disposizioni a favore dei pazienti con diagnosi genetica, con mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2, o con diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1)

ONOREVOLI SENATORI. – L'atrofia muscolare spinale (SMA) è una malattia neuromuscolare rara caratterizzata dalla perdita dei motoneuroni, ovvero quei neuroni che trasportano i segnali dal sistema nervoso centrale ai muscoli, controllandone il movimento. Di conseguenza, la patologia provoca debolezza e atrofia muscolare progressiva, che interessa in particolar modo gli arti inferiori e i muscoli respiratori. La SMA ha un'incidenza di circa un paziente su diecimila nati vivi.

Tale malattia, rientrando nel codice RFG050, afferente al gruppo delle atrofie muscolari spinali, è compresa tra le malattie rare indicate dall'allegato 7 del decreto del Presidente del Consiglio dei ministri 12 gennaio 2017, pubblicato nel supplemento ordinario alla *Gazzetta Ufficiale* n. 65 del 18 marzo 2017, che definisce e aggiorna i livelli essenziali di assistenza (LEA).

Nel mese di marzo 2020, con il parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA), è stata raccomandata l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata del farmaco Zolgensma per il trattamento di alcuni tipi di pazienti affetti da atrofia muscolare spinale (SMA).

L'approvazione riguarda neonati e bambini con SMA fino a 21 kg di peso, secondo la posologia approvata. La Commissione europea quindi non ha fornito indicazioni di età e ha fissato un limite di peso abbastanza alto che lascia aperta la possibilità di trattare anche bambini un po' più grandi rispetto a quelli dello studio che è stato condotto su neonati di sei mesi. Secondo lo studio sulla

storia naturale della SMA, *Pediatric Neuromuscular Clinical Research* (PNCR), quasi tutti i pazienti di età inferiore ai 5 anni – e alcuni di età pari a 6, 7 o 8 anni – hanno un peso inferiore a 21 kg.

Il dosaggio raccomandato in funzione del peso corporeo del paziente compreso tra 2,6 kg e 21,0 kg è riportato in una tabella riassuntiva delle caratteristiche del farmaco Zolgensma.

La determina del 12 novembre 2020 dell'Agenzia italiana del farmaco, pubblicata nella *Gazzetta Ufficiale* n. 286 del 17 novembre 2020, ha inserito il medicinale Zolgensma (Onasemnogene abeparvovec) nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio sanitario nazionale ai sensi dell'articolo 1, comma 4, del decreto-legge 21 ottobre 1996, n. 536, convertito, con modificazioni, dalla 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 due copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1).

Il presente disegno di legge ha il fine di assicurare ai soggetti affetti da atrofia muscolare spinale, con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1), le cure a totale carico del Servizio sanitario nazionale, fino al peso corporeo di 21 chilogrammi del paziente, che consentirebbe l'ampliamento della platea anche a bambini più grandi affetti da tale patologia nel nostro Paese.

## DISEGNO DI LEGGE

---

### Art. 1.

*(Disposizioni a favore dei pazienti con diagnosi genetica o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1)*

1. Il trattamento e la cura dei pazienti con diagnosi genetica, con mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a due copie del gene SMN2, o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1 (SMA 1) sono garantiti a totale carico del Servizio sanitario nazionale fino al peso corporeo di 21 chilogrammi del paziente.

2. Per l'attuazione delle finalità di cui al comma 1 è autorizzata la spesa complessiva annua nel limite massimo di 50 milioni di euro annui a decorrere dall'anno 2021. È corrispondentemente incrementato il livello del finanziamento del fabbisogno sanitario *standard* cui concorre lo Stato a decorrere dall'anno 2021.

### Art. 2.

*(Copertura finanziaria)*

1. All'onere derivante dall'attuazione della presente legge, pari a 50 milioni di euro per ciascuno degli anni 2021, 2022 e 2023, si provvede mediante corrispondente riduzione dello stanziamento del fondo speciale di parte corrente iscritto, ai fini del bilancio triennale 2021-2023, nell'ambito del programma « Fondi di riserva e speciali » della missione « Fondi da ripartire » dello stato di previsione del Ministero dell'economia e delle finanze per l'anno 2021, allo scopo parzialmente utilizzando l'accantonamento relativo al Ministero della salute.

2. Il Ministro dell'economia e delle finanze è autorizzato ad apportare, con propri decreti, le occorrenti variazioni di bilancio.