



27 febbraio 2020

Lettera circolare AI n. 397

Rimborso del medicamento Spinraza® (Nusinersen)

L'AI assume i costi del preparato Spinraza® (Nusinersen) per i pazienti presintomatici e per quelli sintomatici affetti da atrofia muscolare spinale (SMA) di tipo I, II o III al prezzo (al pubblico) di 90'063.70 franchi per flacone (flacone perforabile 12mg/5ml; categoria di dispensazione A). Un corrispondente accordo con il titolare dell'omologazione è stato concluso fino al 31 dicembre 2022. Il prezzo al pubblico è stato adeguato all'attuale confronto dei prezzi all'estero ed è valido per tutti i trattamenti a partire dal 21 febbraio 2020.

Sono state aggiornate anche le condizioni per l'assunzione dei costi (restrizioni) di Spinraza®.

Le seguenti condizioni (restrizioni) vanno prese in considerazione per il trattamento e devono essere comunicate ai medici specialisti curanti.

Criteri di inclusione

Spinraza® può essere prescritto e somministrato esclusivamente da un medico specialista in neurologia/neuropediatria in centri ospedalieri specializzati in malattie neuromuscolari della rete Myosuisse (v. p. es. <http://www.fsrm.ch/it/progetti/la-rete-myosuisse/>). Il personale medico curante deve imperativamente avere esperienza nella diagnosi e nella terapia di pazienti affetti da SMA e nell'esecuzione di somministrazioni intratecali mediante punture lombari.

Il medico curante è tenuto a inserire costantemente i dati richiesti nel Registro svizzero per le malattie neuromuscolari Swiss-Reg-NMD (<https://www.swiss-reg-nmd.ch/registro-svizzero-per-le-malattie-neuromuscolari/>).

Garanzia delle spese accordata dall'ufficio AI previa consultazione del Servizio medico regionale (SMR).

Per poter prolungare il trattamento, dopo 12 mesi il medico curante deve compilare un'apposita richiesta e inoltrarla all'ufficio AI.

Trattamento della SMA associata a un difetto del cromosoma 5q in pazienti pediatriche per i quali la diagnosi è stata effettuata prima del compimento del 20° anno di età (per i pazienti che hanno già compiuto 20 anni v. EFIC).

Delezione omozigote, mutazione omozigote o eterozigosi complessa documentate (p. es. delezione dell'esone 7 del gene SMN1 [allele 1] e mutazione del gene SMN1 [allele 2] con almeno due copie del gene SMN2).

Pazienti presintomatici:

- copie del gene SMN2 \geq 2.

Pazienti affetti da SMA di tipo I (forma infantile):

- copie del gene SMN2 \geq 2.
- inizio dei sintomi e dei segni clinici \leq 6 mesi (180 giorni).

Pazienti affetti da SMA con inizio più tardivo della malattia (tipi II e III):

- copie del gene SMN2 \geq 2.
- inizio dei sintomi $>$ 6 mesi.

Tutti i pazienti trattati con Spinraza® sono esaminati regolarmente presso il centro specializzato in questione dal medico specialista curante, che ne valuta i progressi in base ai parametri di valutazione e alla risposta al preparato. Il medico esegue valutazioni in base all'età e alle capacità motorie (p. es. CHOP-INTEND, HINE, HFMSE, RULM, 6MWT) e valuta la funzione polmonare.

Motivi di esclusione

L'assunzione dei costi è esclusa in caso di:

- SMA dei tipi 0 e IV nonché tutte le atrofie muscolari spinali o neurogene non riconducibili a delezione o mutazione genetica sul cromosoma 5q;
- pazienti per i quali la somministrazione intratecale mediante puntura lombare è resa impossibile da difficoltà tecniche o a causa di rischi per la salute (p. es. condizioni dovute a una fusione vertebrale);
- Spinraza® non può essere somministrato: prima, dopo o durante l'esecuzione di una terapia genetica specifica per le SMA; assieme a un altro trattamento medicamentoso della SMA che agisce sull'espressione della proteina SMN.

Motivi di interruzione

L'assunzione dei costi è interrotta in caso di:

- peggioramento complessivo delle funzioni motorie, confermato in almeno due rilevazioni consecutive, senza altra possibile spiegazione:
 - peggioramento di almeno 2 punti registrato nella categoria «scalciare in orizzontale» o 1 punto con l'esame HINE, esclusa la categoria «afferrare consapevolmente»;
 - peggioramento di oltre 4 punti registrato con l'esame Children's Hospital of Philadelphia Infant Test of Neuromuscular Disorders (CHOP-INTEND);
 - peggioramento di oltre 3 punti registrato in base alla scala Revised Hammersmith Scale (HFMSE);
- respirazione artificiale permanente (almeno 16 ore o più al giorno per 21 giorni consecutivi, in assenza di infezioni reversibili acute) o necessità di una tracheotomia permanente in concomitanza di un peggioramento delle funzioni motorie;
- mancato rispetto del piano terapeutico.