



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTENTZIA SOTZIALE

ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITÀ E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

12-01-00 - Direzione Generale della Sanita'

12-00-00 - Ufficio di Gabinetto dell'Assessorato
dell'Igiene e Sanita' e dell'Assistenza Sociale

Oggetto: **Centri regionali autorizzati alla prescrizione del medicinale per uso umano Libmeldy (Atidarsagene autotemcel) indicato per "il trattamento della leucodistrofia metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: nei bambini con forme infantili tardive o giovanili precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia; nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo"**

VISTO lo Statuto Speciale per la Regione Sardegna e le relative norme di attuazione;

VISTO il Decreto Legislativo 30 dicembre 1992, n. 502 "Riordino della disciplina in materia sanitaria a norma dell'art. 1 della legge 23 ottobre 1992, n. 421" e le successive modificazioni ed integrazioni;

VISTA la Legge Regionale n. 24 del 11.09.2020 "Riforma del sistema sanitario regionale e riorganizzazione sistematica delle norme in materia. Abrogazione della legge regionale n. 10 del 2006, della legge regionale n. 23 del 2014 e della legge regionale n. 17 del 2016 e di ulteriori norme di settore";

VISTO l'art. 48 del Decreto Legge 30 settembre 2003, n. 269, convertito nella Legge 24 novembre 2003, n. 326, che istituisce l'Agenzia Italiana del Farmaco (AIFA);

VISTO il Decreto del Ministero della Salute di concerto con i Ministri della funzione pubblica e dell'economia e finanze in data 20 settembre 2004, n. 245 recante norme sull'organizzazione ed il funzionamento dell'Agenzia Italiana del farmaco;

VISTO il Decreto del Ministero della Salute n. 53 del 29 marzo 2012 che modifica il regolamento e funzionamento dell'Agenzia Italiana del farmaco, in attuazione dell'art. 17, comma 10, del decreto Legge 6 luglio 2011, n. 98, convertito, con modificazioni dalla legge 15 luglio 2011, n. 11;



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTENTZIA SOTZIALE

ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITÀ E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

VISTO il Decreto Legislativo 24 aprile 2006, n. 219 e ss.mm.ii "Attuazione della direttiva 2001/83/CE (e successive direttive di modifica) relativa ad un codice 1 comunitario concernente i medicinali per uso umano, nonché della direttiva 2003/94/CE";

VISTA la Determinazione AIFA n. 246 del 24 marzo 2022 "*Riclassificazione del medicinale per uso umano Libmeldy*", pubblicata in G.U. Serie Generale n. 82 del 7 aprile 2022;

PRESO ATTO che la Determinazione AIFA 246/2022 dispone che, ai fini della prescrizione a carico del SSN, i centri utilizzatori devono essere individuati dalle Regioni;

RITENUTO di dover procedere alla identificazione dei Centri autorizzati alla prescrizione del medicinale in oggetto;

VISTA la Legge Regionale n°31/98;

VISTA la Legge Regionale 25 novembre 2014, n. 24 "Disposizioni urgenti in materia di organizzazione della Regione";

VISTA la deliberazione della Giunta regionale n. 44/35 del 22 settembre 2017 "Malattie Rare. Aggiornamento della Rete Regionale ai sensi dell'art. 64 comma 4 del DPCM del 12.1.2017 "Definizione e aggiornamento dei livelli essenziali di assistenza, di cui all'articolo 1, comma 7, del decreto legislativo 30 dicembre 1992, n. 502" e successive modificazioni ed integrazioni;

VISTO il Decreto del Presidente della Giunta Regionale n. 111 del 5.12.2018 e il n. 42 del 03.12.2021 con il quale sono state conferite e prorogate le funzioni di Direttore del Servizio qualità dei servizi e governo clinico alla Dott.ssa Donatella Garau;

VISTO il Decreto dell'Assessore degli Affari Generali, Personale e Riforma della Regione n. 42 del 03.12.2021, con il quale sono state prorogate alla Dott.ssa Donatella Garau le funzioni di Direttore del Servizio Qualità dei servizi e Governo clinico di questa Direzione Generale;

DETERMINA

ART.1 Di individuare per la prescrizione del medicinale per uso umano Libmeldy® (atidarsagene autotemcel) per il "*trattamento della leucodistrofia metacromatica (MLD) caratterizzata da mutazioni bialleliche del gene arilsulfatasi A (ARSA) che comportano una riduzione dell'attività enzimatica di ARSA: nei bambini con forme infantili tardive o giovanili*



**REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA**

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTENTZIA SOTZIALE

ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITÀ E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

precoci, senza manifestazioni cliniche della malattia; nei bambini con la forma giovanile precoce, con manifestazioni cliniche precoci della malattia, che conservano la capacità di camminare autonomamente e prima dell'inizio del declino cognitivo” i centri sottoelencati:

AZIENDA SANITARIA	STRUTTURA
ASL 8 di Cagliari	P.O. Cao U.O. Clinica Pediatrica, U.O. Endocrinologia Pediatrica e Centro Screening neonatali, U.O. Neurologia e epilettologia
ARNAS Brotzu	P.O. San Michele U.O. Neurologia e Stroke Unit, Neuropsichiatria dell'infanzia e dell'adolescenza
AOU CA	Policlinico D. Casula U.O. Neurologia
AOU SS	P.O. SS. U.O. Annunziata Istituto di Neuropsichiatria infantile, U.O. Neonatologia e terapia intensiva neonatale, U.O. Neurologia, U.O. Genetica clinica

ART. 2 Attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica, in relazione all'indicazione terapeutica negoziata

ART. 3 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://servizionline.aifa.gov.it>

ART. 4 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 eleggibilità e appropriatezza prescrittiva riportati nella documentazione consultabile sul portale istituzionale dell'AIFA: <https://www.aifa.gov.it/registri-e-piani-terapeutici1>.

ART. 5 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 disponibilità delle funzionalità informatiche, i medici ed i farmacisti dovranno comunque inserire i dati dei trattamenti effettuati nella piattaforma web, secondo le modalità di cui al precedente articolo

ART. 6 Copia della presente Determinazione è trasmessa all'Assessore dell'Igiene e Sanità e Assistenza Sociale ai sensi dell'articolo 21 della L.R. 31/1998.



REGIONE AUTÒNOMA DE SARDIGNA
REGIONE AUTONOMA DELLA SARDEGNA

ASSESSORADU DE S'IGIENE E SANIDADE E DE S'ASSISTENTZIA SOTZIALE
ASSESSORATO DELL'IGIENE E SANITÀ E DELL'ASSISTENZA SOCIALE

Cagliari,

IL DIRETTORE DEL SERVIZIO

Donatella Garau

(Documento firmato digitalmente)