Senato della Repubblica
XVIII Legislatura

Fascicolo Iter
DDL S. 2072

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)

18/12/2022 - 05:47

Indice

1. DDL S. 2072 - XVIII Leg. 1
1.1. Dati generali 2
1.2. Testi 3
1.2.1. Testo DDL 2072 4

1. DDL S. 2072 - XVIII Leg.

1.1. Dati generali

collegamento al documento su www.senato.it

Disegni di legge
Atto Senato n. 2072
XVIII Legislatura

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)

Iter
8 aprile 2021: assegnato (non ancora iniziato l'esame)
Successione delle letture parlamentari

S.2072	**assegnato (non ancora iniziato l'esame)**

Iniziativa Parlamentare
Felicia Gaudiano (M5S)
Cofirmatari
Orietta Vanin (M5S), **Sergio Vaccaro** (M5S), **Fabrizio Trentacoste** (M5S), **Luisa Angrisani** (M5S), **Patty L'Abbate** (M5S), **Margherita Corrado** (M5S), **Angela Anna Bruna Piarulli** (M5S), **Raffaele Mautone** (M5S), **Vincenzo Presutto** (M5S), **Elio Lannutti** (M5S), **Daniela Donno** (M5S), **Francesco Mollame** (M5S), **Emiliano Fenu** (M5S), **Maria Laura Mantovani** (M5S)
Natura
ordinaria
Presentazione
Presentato in data **21 gennaio 2021**; annunciato nella seduta n. 295 del 26 gennaio 2021.
Classificazione TESEO
GENETICA , MALATTIE EREDITARIE , ASSISTENZA SANITARIA
Articoli
LIMITI E VALORI DI RIFERIMENTO (Art.1)
Assegnazione
Assegnato alla **12ª Commissione permanente (Igiene e sanita')** **in sede redigente** l'8 aprile 2021.
Annuncio nella seduta n. 313 dell'8 aprile 2021.
Pareri delle commissioni 1ª (Aff. costituzionali), 5ª (Bilancio), Questioni regionali

1.2. Testi

1.2.1. Testo DDL 2072

collegamento al documento su www.senato.it

Senato della Repubblica XVIII LEGISLATURA

N. 2072

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, rientrante 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.

SERVIZIO INFORMATICA

Il presente fascicolo raccoglie i testi di tutti gli atti parlamentari relativi all'iter in Senato di un disegno di legge. Esso e' ottenuto automaticamente a partire dai contenuti pubblicati dai competenti uffici sulla banca dati Progetti di legge sul sito Internet del Senato (https://www.senato.it) e contiene le sole informazioni disponibili alla data di composizione riportata in copertina. In particolare, sono contenute nel fascicolo informazioni riepilogative sull'iter del ddl, i testi stampati del progetto di legge (testo iniziale, eventuale relazione o testo-A, testo approvato), e i resoconti sommari di Commissione e stenografici di Assemblea in cui il disegno di legge e' stato trattato, sia nelle sedi di discussione di merito sia in eventuali dibattiti connessi (ad esempio sul calendario dei lavori). Tali resoconti sono riportati in forma integrale, e possono quindi comprendere contenuti ulteriori rispetto all'iter del disegno di legge.