



Giunta Regionale della Campania
Direzione Generale per la Tutela della Salute ed il
Coordinamento del Sistema Sanitario Regionale

Settore Accreditamento Istituzionale Health
Technology Assessment (HTA) rapporti con il mercato
UOS Politiche del Farmaco e Dispositivi Medici - HTA

Ai Direttori Generali
AA.SS.LL., AA.OO., AA.OO.UU., IRCCS Pascale
e per loro tramite

Ai Direttori Sanitari Aziendali
Ai Direttori Sanitari di Presidio Ospedaliero
Ai Responsabili Dipartimenti farmaceutici ASL
Ai Responsabili Farmacie Ospedaliere

e, p.c. Al Direttore Generale SO.RE.SA. S.p.A.
Al referente Flussi Informativi SORESA
flussifarmaceutici@soresa.it
Al Referente Piani Terapeutici Soresa SpA
piani.terapeutici@soresa.it
Al Coordinamento Malattie Rare
malattie.rare@ospedalideicolli.it

**Oggetto: Determina AIFA Pres. N° 1249-2025. Specialità medicinale CASGEVY
(exagamglogene autotemcel)**

L'Agenzia Italiana del Farmaco AIFA, con la Determina Pres. n.1249 del 30 settembre 2025, (coma da G.U. n.233 del 07.10.2025), ha disposto la classificazione con regime di rimborsabilità SSN del medicinale per uso umano **CASGEVY (exagamglogene autotemcel)** per le seguenti indicazioni terapeutica:

β-talassemia

Casgevvy è indicato per il trattamento della β-talassemia trasfusione-dipendente (transfusion-dependent β-thalassemia, TDT) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (haematopoietic stem cell, HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (human leukocyte antigen, HLA) compatibile.

Anemia falciforme

Casgevy è indicato per il trattamento dell'anemia falciforme (sickle cell disease, SCD) severa in pazienti di età pari o superiore a 12 anni con crisi vaso-occlusive (vaso-occlusive crises, VOC) ricorrenti, per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSC) e non è disponibile un donatore consanguineo di HSC con antigene leucocitario umano (HLA) compatibile.

Il medicinale **CASGEVY (exagamglogene autotemcel)**, nella confezione: "4 - 13 × 10 alla sesta cellule/mL - Dispersione per infusione - Uso endovenoso -Flaconcino di copolimero di olefina ciclica (COC) specifico per il paziente, da 1,5 mL a 20 mL"1 o più flaconcini -AIC n. 051103012/E (in base 10), è classificato ai fini della rimborsabilità in classe **H**.

Ai fini della fornitura il medicinale **CASGEVY** è soggetto a prescrizione medica limitativa, utilizzabile esclusivamente in ambiente ospedaliero o in struttura ad esso assimilabile (**OSP**).

È istituito un Registro dedicato al monitoraggio dell'uso del medicinale CASGEVY, a base di exagamglogene autotemcel, per ciascuna indicazione ammessa alla rimborsabilità: **Registro CASGEVY ANEMIA FALCIFORME (SICKLE CELL DISEASE, SCD)** e **Registro CASGEVY BETA TALASSEMIA**.

Il Farmaco CASGEVY è soggetto ad accordo negoziale di tipo Payment by result (PbR) e con attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica, in relazione alle indicazioni terapeutiche negoziate, da cui consegue, ai sensi dell'art. 1, commi da 281 a 292, della L. 30 dicembre 2024, n. 207:

- accesso alle risorse del Fondo istituito ai sensi dell'art. 1, comma 401, della Legge 11 dicembre 2016, n. 232;
- sospensione delle riduzioni di legge (determinazioni AIFA del 3 luglio 2006 e del 27 settembre 2006);
- inserimento nei Prontuari Terapeutici Regionali ai sensi dell'articolo 10, comma 2, Legge n. 189/2012;
- esclusione, ai sensi dei commi 577 e 578, dell'art. 1 della Legge n. 145 del 2018, dal calcolo dell'ammontare complessivo della spesa farmaceutica per gli acquisti diretti ai fini del rilevamento del superamento del tetto nonché dalla determinazione della quota di mercato a carico del titolare di AIC.

Pertanto, 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> con particolare riferimento alla dispensazione e alle rivalutazioni a 18-24-36 e 48 mesi, finalizzate al riconoscimento dell'accesso al fondo e dell'accordo MEAs.

A seguito di valutazione da parte del Tavolo Tecnico Regionale Farmaceutico (D.P.G.R.C. n. 163/2021), nelle more dell'adozione di apposito provvedimento amministrativo di aggiornamento del PTR, sono autorizzati alla prescrizione e somministrazione del medicinale **CASGEVY** i Centri HUB : **A.O.R.N. Santobono-Pausilipon** (per i pazienti di età compresa tra 12 e 18 anni) e **A.O.R.N. Cardarelli** e **AOU S.Giovanni di Dio e Ruggi d'Aragona** (per i pazienti di età compresa tra 19 e 35 anni) quali centri incaricati della presa in carico multidisciplinare, della prescrizione e della somministrazione della terapia genica per tutti i pazienti campani potenzialmente eleggibili e afferenti ai diversi Centri della Rete regionale, ai quali resta in capo il percorso clinico e amministrativo di propria competenza.

Il medicinale **CASGEVY** è somministrato in ambiente ospedaliero e quindi rendicontato nel Flusso NSIS-CO.

Nel corso dell'anno 2026, è stato programmato il trattamento di 3 pazienti residenti in Regione Campania da parte dei Centri Hub di riferimento regionale, pertanto eventuali richieste di trattamento provenienti da centri extra-regione dovranno preventivamente essere autorizzati dalla Regione anche ai fini dell'accantonamento rispetto ai fondi innovativi.

Si chiede alle Direzioni Generali dei Centri HUB, A.O.R.N. Santobono-Pausilipon ,A.O.R.N. Cardarelli e AOU S.Giovanni di Dio e Ruggi d'Aragona, la comunicazione puntuale dell'avvio delle attività e del loro svolgimento (screening, arruolamento, prescrizione, somministrazione e pagamenti). Eventuali ulteriori richieste di trattamento rispetto a quelle programmate dovranno essere parimenti sottoposte ad autorizzazione regionale che su tali basi rivedrà la programmazione regionale dei fondi dedicati.

All'uopo, si chiede al Direttore del Centro di Coordinamento Malattie rare di attivare procedure di monitoraggio del percorso regionale.

Come da Nota PG/2024/0503681 del 24/10/2024 "**Chiarimento del Percorso di abilitazione sulla piattaforma regionale SINFONIA**", le prescrizioni dovranno essere implementate sul sistema SINFONIA Piani Terapeutici 2.0.

Infine, nelle more della gara SO.RE.SA. di aggiudicazione centralizzata, la prescrizione del medicinale è subordinata alla disponibilità effettiva del farmaco presso la farmacia ospedaliera. Le Aziende Sanitarie individuate potranno procedere ad acquisti in autonomia, al fine di garantire l'accessibilità al farmaco secondo la programmazione regionale.

Referente per i centri prescrittori e Registri Aifa: Dott.ssa Imma Mancini , tel. 081/7969788, e-mail imma.mancini@regione.campania.it.

La Funzionaria
Dott.ssa Imma Mancini

La Dirigente UOS
Dott.ssa Francesca Futura Bernardi

Il Dirigente del Settore
Dr. Ugo Trama