



Direzione Regionale Salute e Integrazione Sociosanitaria
Area Farmaci e Dispositivi - GR/39/21

Ai Direttori generali e
 Commissari straordinari di:

- Aziende USL
- Aziende Ospedaliere
- Policlinici Universitari
- IRCCS
- Ospedali ex classificati

Oggetto: farmaco Exagamglogene Autotemcel (CASGEVY® - Vertex Pharmaceuticals) – Beta Talassemia (TDT) e Anemia Falciforme (SCD) - MR RDG 010

Con la Determina AIFA n. 1249 del 30.09.2025, pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale n. 233 del 07.10.2025, è stata autorizzata l'erogazione a Carico del SSN del medicinale Casgevy per le seguenti indicazioni terapeutiche:

- Casgevy 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.
- 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 farmaco Casgevy, per le indicazioni sopra riportate, è soggetto a prescrizione tramite Registro di monitoraggio AIFA, ed è somministrato nella Regione Lazio dai Centri trapianto di cellule staminali ematopoietiche (HSCT) per la terapia genica di seguito riportati, in applicazione ai criteri stabiliti dalle linee di indirizzo di cui alla Determinazione RL G17364 del 18.12.2025:

1. UOC Ematologia- Policlinico Umberto I,
2. Ospedale Pediatrico Bambino Gesù;
3. Fondazione Policlinico Gemelli

Per tale farmaco è garantito l'accesso al Fondo per i farmaci innovativi (Legge n. 232 del 1° dicembre 2016), subordinato all'espletamento di tutte le procedure relative alla corretta rendicontazione nel registro AIFA. L'attribuzione del requisito dell'innovazione terapeutica ha una validità di trentasei mesi; inoltre, pur trattandosi di un prodotto somministrato in un'unica infusione, è obbligatorio, anche per la finalizzazione dell'accordo negoziale, compilare le rivalutazioni previste con cadenza periodica, come indicato nelle schede.

L'utilizzo del medicinale Casgevy, per l'indicazione sopra riportata, presso tutte le strutture private accreditate sopraccitate, sarà subordinato all'acquisto da parte della ASL capofila RM2, ai sensi del DCA 70, non appena verranno espletate le procedure di acquisto tramite gare da parte della ASL medesima.

La Dirigente dell'Area
 Marzia Mensurati

Il Direttore
 Andrea Urbani