



NORMATIVE LETTER ASES-CN-2026-0004-OC

TO: Managed Care Organizations contracted under the Government Health Plan or Plan Vital, Primary Medical Groups (GMP), and Participating Providers

SUBJECT: Access to cellular and gene therapies Casgevy® and Lyfgenia® for the treatment of Anemia Falciforme (Sickle Cell Disease) under the Government Health Plan of Puerto Rico (Plan Vital)

I. LEGAL BASIS

This Normative Letter is issued in compliance with Section 1927 of the Social Security Act and the Code of Federal Regulations, 42 C.F.R. 447 Subpart I, and applicable guidance from the Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS) and the Food and Drug Administration (FDA).

Additionally, this Normative Letter is issued under Section 4 of Article V of Law No. 72-1993, as amended, known as the Puerto Rico Health Insurance Administration Law, which authorizes the Executive Director of ASES to establish the rules and norms necessary for the operation of the Administration, as well as to implement and administer the Government Health Plan or Plan Vital). The Puerto Rico Health Insurance Administration (ASES), under its statutory authority, administers and negotiates contracts to guarantee access to high-quality medical and hospital services, as established in Articles IV and VI of the Law.

II. PURPOSE

ASES will implement, beginning July 31, 2026, the CMS Cellular and Gene Therapy (CGT) Access Model for the treatment of Sickle Cell Disease (SCD). Under this model, the therapies Casgevy® and Lyfgenia® will be covered, pursuant to their FDA-approved indications. Treatments will be available to Plan Vital beneficiaries who meet the clinical criteria established by ASES and will be subject to the pre-authorization process required by contracted insurers.

III. APPLICABILITY

This Normative Letter applies to all Managed Care Organizations (MCOs), health service providers, medical facilities, and entities contracted under the Government Health Plan of Puerto Rico or Plan Vital involved in the evaluation, coordination, management, and administration of cellular and gene therapies for SCD.

IV. DEFINITIONS

1. **Cell and Gene Therapy (CGT):** Advanced therapies based on cells or genetic modification.
2. **Confirmatory genetic testing:** Clinical requirement to confirm eligibility for gene therapy.
3. **Sickle Cell Disease (SCD):** Hereditary hematologic condition associated with vaso-occlusive events or crises.
4. **Vaso-occlusive events (EVO) or vaso-occlusive crises (CVO):** Pain crises or complications related to obstruction of blood flow.

V. GENERAL PROVISIONS

The CMS Cellular and Gene Therapy Access Model aims to expand equitably, early, and safe access to advanced therapies for severe and rare conditions, including Sickle Cell Disease. This model requires states to ensure uniform clinical criteria, standardized pre-authorization processes, access to certified treatment centers, and longitudinal monitoring of safety and efficacy.

In compliance with this federal model, ASES incorporates the applicable clinical and operational provisions for Casgevy® and Lyfgenia®.

Sickle Cell Disease (SCD) is a hereditary hematologic disorder characterized by a mutation in hemoglobin that causes deformation of red blood cells, restricted blood flow, and episodes of severe pain known as vaso-occlusive events (EVO). These recurring episodes cause progressive organ damage, disability, and increased risk of premature death. Though more prevalent in African Americans, SCD also affects Hispanic populations, including Puerto Rican patients who receive services under Plan Vital.

The FDA has approved two cell-based gene therapies for the treatment of SCD: Casgevy® and Lyfgenia®. Both therapies are authorized for patients within age ranges defined by the FDA and with a history of recurrent vaso-occlusive crises.

4 These therapies are administered once and use the patient's own hematopoietic stem cells, genetically modified to correct or compensate for the mutation responsible for the disease. Casgevy® is the first FDA-approved therapy to use CRISPR/Cas9, a precision genome-editing technology that modifies the patient's hematopoietic stem cells. Lyfgenia® uses a lentiviral vector to introduce HbA T87Q, a functional hemoglobin that reduces the risk of red blood cell deformation and vascular occlusion. Both therapies require stem-cell collection, myeloablative

conditioning, and single infusion of the modified cells as part of an autologous hematopoietic stem-cell transplant.

As required by CMS, patients treated with these therapies must participate in lifelong longitudinal clinical follow-up, including hematologic monitoring, surveillance of serious adverse effects, and ongoing reporting to federal and state safety systems.

1. Clinical data supports the efficacy of both therapies:

a. Casgevy®:

In a multicenter study, 93.5% of patients treated achieved absence of severe vaso-occlusive crises during a 12-month period within a 24-month follow-up window. All patients achieved successful engraftment with no graft failure. Observed adverse events were consistent with myeloablative conditioning.

b. Lyfgenia®:

88% of patients treated achieved complete resolution of vaso-occlusive events between 6 and 18 months post-infusion. Cases of hematologic cancer have been documented in treated patients, leading the FDA to require lifelong monitoring. The most common adverse events are consistent with chemotherapy and baseline disease.

Both products received accelerated regulatory designations (Orphan Drug, Priority Review, Fast Track, and RMAT) due to the severity of the condition and lack of effective therapeutic alternatives.

Under the CMS CGT Access Model, ASES will contract directly with the manufacturers to ensure uniform access, without preference for either product, considering clinical needs, availability of certified centers, and the specific benefits and risks described by each manufacturer.

2. Pre-authorization process for these therapies:

Insurers must follow ASES's clinical pre-authorization policies for both Casgevy® and Lyfgenia®, in a standardized manner. The intent of ASES is for patient management to be efficient, without delays in evaluation and with rapid access to treatment.

3. Certified center contracting for administration of therapies for patients in Puerto Rico and Florida:

By CMS directive, MCOs must coordinate with certified centers in Puerto Rico and, while local qualification processes are completed, must facilitate access to Holtz Children's

Hospital (NPI 1225033020) in Florida. Services will be managed through Single Case Agreements and Specialty Pharmacy.

4. Financing model (risk model):

ASES will assume the cost of the medications under the Non Risk Arrangement (Non at Risk) model. MCOs will assume financial risk for ancillary services, including laboratory work, complementary medications, medical visits, hospitalizations, and emergency services related to clinical management of the patient.

5. Payment and reimbursement methodology:

Insurers will be responsible for paying providers according to the applicable Non Risk medication management policy. ASES, recognizing the high cost of these therapies, will establish a reimbursement process through review and validation of claims in the Medicaid Management Information System (MMIS).

ASES will reimburse insurers after validating that the medication was administered, within the period established by policy. Monthly, MMIS will identify eligible claims and notify the Finance Area to issue the corresponding payments.

VI. SEVERABILITY CLAUSE

If any provision of this Normative Letter is declared null or unconstitutional by a court of competent jurisdiction, such declaration will not affect or invalidate the remaining provisions.

VII. REPEAL OR AMENDMENTS

This Normative Letter repeals any previous provisions that are incompatible with what is established here.

VIII. EFFECTIVE DATE

This Normative Letter shall become effective on July 31, 2026.

Approved on July 15, 2026, in San Juan, Puerto Rico.


Lcdo. Carlos A. Santiago Rosario, JD, LL.M. (Health Law), MHSA, FACHE, CHC
Executive Director



CARTA NORMATIVA ASES-CN-2026-0004-OC

A: Organizaciones de Cuidado Coordinado de Salud contratadas bajo el Plan de Salud del Gobierno (Plan Vital), Grupos Médicos Primarios (GMP) y Proveedores Participantes

ASUNTO: Acceso a las terapias celular y génicas de *Casgevy*® y *Lyfgenia*® para el tratamiento de la Anemia Falciforme (*Sickle Cell*) bajo el Plan de Salud del Gobierno de Puerto Rico (Plan Vital)

I. BASE LEGAL

Esta Carta Normativa se emite en cumplimiento con la Sección 1927 de la Ley del Seguro Social y el Código de Regulación Federal, 42 C.F.R. 447 Subparte I, y como las guías aplicables de los *Centers for Medicare and Medicaid Services (CMS)* y el *Food and Drug Administration (FDA)*.

Asimismo, esta Carta Normativa se promulga al amparo de la Sección 4 del Artículo V de la Ley Núm. 72-1993, según enmendada, conocida como *Ley de la Administración de Seguros de Salud de Puerto Rico*, que faculta al Director Ejecutivo de la Administración de Seguros de Salud de Puerto Rico (ASES) a establecer reglas y normas necesarias para el funcionamiento de la Administración, así como a implementar y administrar el Plan de Salud del Gobierno (Plan Vital). La ASES, conforme con su autoridad estatutaria, administra y negocia contratos para garantizar el acceso de los beneficiarios a servicios médico-hospitalarios de calidad, según lo dispuesto en los Artículos IV y VI de la Ley.

II. PROPÓSITO

La ASES implementará, a partir del 31 de julio de 2026, el Modelo de Acceso a Terapias Celulares y Génicas (CGT Access Model) de CMS para el tratamiento de la Anemia Falciforme (*Sickle Cell Disease* o SCD). Bajo este modelo, se cubrirán las terapias *Casgevy*® y *Lyfgenia*®, conforme sus indicaciones aprobadas por el *U.S. Food and Drug Administration (FDA)*. Los tratamientos estarán disponibles para los beneficiarios de Plan Vital que cumplan con los criterios clínicos establecidos por la ASES y estarán sujetos al proceso de pre-autorización requerido por las aseguradoras contratadas.

III. APLICABILIDAD

Esta Carta Normativa aplica a todas las Organizaciones de Cuidado Coordinado de Salud (MCOs, por sus siglas en inglés), proveedores de servicios de salud, facilidades médicas y entidades contratadas bajo el Plan de Salud del Gobierno de Puerto Rico o Plan Vital involucradas en la evaluación, coordinación, manejo y administración de terapias celulares y génicas para SCD.

IV. DEFINICIONES

1. **Terapia Celular y Génica (CGT, por sus siglas en inglés):** Terapias avanzadas basadas en células o modificación genética.
2. **Pruebas genéticas confirmatorias:** Requisito clínico para confirmar la elegibilidad para la terapia génica.
3. **Enfermedad de células falciformes (*Sickle Cell Disease o SCD*):** Condición hematológica hereditaria asociada a crisis o eventos vasooclusivos.
4. **Eventos vasooclusivos (EVO) o crisis vasooclusivas (CVO):** Crisis de dolor o complicaciones relacionadas con obstrucción del flujo sanguíneo.

V. DISPOSICIONES GENERALES

El Modelo de Acceso a Terapias Celulares y Génicas (CGT) de CMS tiene como objetivo ampliar el acceso equitativo, temprano y seguro a terapias avanzadas para condiciones graves y raras, incluyendo la anemia falciforme. Este modelo requiere que los estados garanticen criterios clínicos uniformes, procesos estandarizados de pre-autorización, acceso a centros certificados de tratamiento y monitoreo longitudinal de seguridad y eficacia.

En cumplimiento con este modelo federal, la ASES incorpora las disposiciones clínicas y operacionales aplicables a Casgevy® y Lyfgenia®.

La enfermedad de células falciformes (SCD) es un trastorno hematológico hereditario caracterizado por una mutación en la hemoglobina que provoca deformación de los glóbulos rojos, limitación del flujo sanguíneo y episodios de dolor severo, conocidos como eventos vasooclusivos (EVO). Estos episodios recurrentes causan daño orgánico progresivo, discapacidad y riesgo de mortalidad prematura. Aunque es más prevalente en afroamericanos, también afecta a poblaciones hispanas, incluyendo pacientes puertorriqueños que reciben servicios bajo Plan Vital.

La FDA aprobó dos terapias génicas basadas en células para el tratamiento de SCD: Casgevy® y Lyfgenia®. Ambas terapias están autorizadas para pacientes dentro de los grupos de edad definidos por la FDA y con historial de crisis vasooclusivas recurrentes.

Estas terapias son administradas una sola vez y utilizan las propias células madre hematopoyéticas del paciente, las cuales se modifican genéticamente para corregir o compensar la mutación responsable de la enfermedad. Casgevy® es la primera terapia aprobada por la FDA que utiliza CRISPR/Cas9, una tecnología de edición genómica de precisión que modifica las células madre hematopoyéticas del paciente. Lyfgenia® emplea un vector lentiviral para introducir HbA T87Q, una hemoglobina funcional que disminuye el riesgo de deformación eritrocitaria y oclusión vascular. Ambas terapias requieren recolección de células madre, acondicionamiento mieloablativo y posterior infusión única de las células modificadas como parte de un trasplante autólogo de células madre hematopoyéticas.

Conforme dispone CMS, los pacientes tratados con estas terapias deben participar en un seguimiento clínico longitudinal de por vida, que incluye monitoreo hematológico, vigilancia de efectos adversos graves y reportes continuos a los sistemas de seguridad federales y estatales.

1. Datos clínicos respaldan la eficacia de ambas terapias:

a. Casgevy®:

En un estudio multicéntrico, 93.5 % de los pacientes tratados lograron ausencia de crisis vasooclusivas graves durante un periodo de 12 meses dentro del seguimiento de 24 meses. Todos los pacientes lograron injerto exitoso sin falla del injerto. Los efectos adversos observados son congruentes con el acondicionamiento mieloablativo.

b. Lyfgenia®:

El 88 % de los pacientes tratados logró resolución completa de eventos vasooclusivos entre los 6 y 18 meses posteriores a la infusión. Se han documentado casos de cáncer hematológico en pacientes tratados, por lo que FDA requiere monitoreo de por vida. Los efectos adversos más comunes están alineados con la quimioterapia y la condición basal.

Ambos productos recibieron designaciones regulatorias aceleradas (Medicamento Huérfano, Revisión Prioritaria, Vía Rápida y RMAT) dada la severidad de la condición y la falta de alternativas terapéuticas efectivas.

En el marco del Modelo de CMS, ASES contratará directamente con las manufactureras para asegurar acceso uniforme, sin preferencia por uno u otro producto, considerando las necesidades clínicas del paciente, disponibilidad de centros certificados y los beneficios y riesgos específicos descritos por cada fabricante.

2. Proceso de preautorización de estas terapias:

Las aseguradoras tendrán que seguir las políticas clínicas de preautorización de la ASES tanto para Casgevy® como para Lyfgenia® de forma que el manejo sea un proceso estandarizado para las aseguradoras. La intención de la ASES es que el manejo de estos pacientes sea uno ágil, sin dilaciones en el cernimiento y de rápido acceso a tratamiento.

3. Contratación de centros certificados para la administración de las terapias para los pacientes en PR y en la Florida:

Por directriz de CMS, los MCOs deberán coordinar con centros certificados en Puerto Rico y, mientras se completan los procesos locales de cualificación, deberán facilitar acceso al Holtz Children's Hospital (NPI 1225033020) en el estado de Florida. La prestación de servicios se manejará mediante *Single Case Agreements* y Farmacia Especializada.

4. Modelo de financiamiento (modelo de riesgo):

La ASES asumirá el costo de los medicamentos bajo el modelo de *Non Risk Arrangement* (*Non at Risk*). Los MCOs asumirán riesgo financiero por servicios ancilares, incluyendo laboratorios, medicamentos complementarios, visitas médicas, hospitalizaciones y servicios de emergencia relacionados al manejo clínico del paciente.

5. Metodología de pago y reembolso:

Las aseguradoras serán responsables de pagar a los proveedores según la política aplicable al manejo de medicamentos bajo el modelo Non Risk. ASES, reconociendo el alto costo de estas terapias, establecerá un proceso de reembolso mediante revisión y validación de reclamaciones en el *Medicaid Management Information System* (MMIS).

La ASES reembolsará a las aseguradoras después de validar que el medicamento fue administrado, dentro del período establecido por política. Mensualmente, MMIS identificará las reclamaciones elegibles y notificará al Área de Finanzas para efectuar los pagos correspondientes.

VI. CLÁUSULA DE SEPARABILIDAD

Si alguna disposición de esta Carta Normativa fuese declarada nula o inconstitucional por un tribunal de jurisdicción y competencia, la declaración no afectará ni invalidará las disposiciones restantes.

VII. DEROGACIÓN O ENMIENDAS

Esta Carta Normativa deja sin efecto cualquier disposición anterior que sea incompatible con lo establecido en esta.

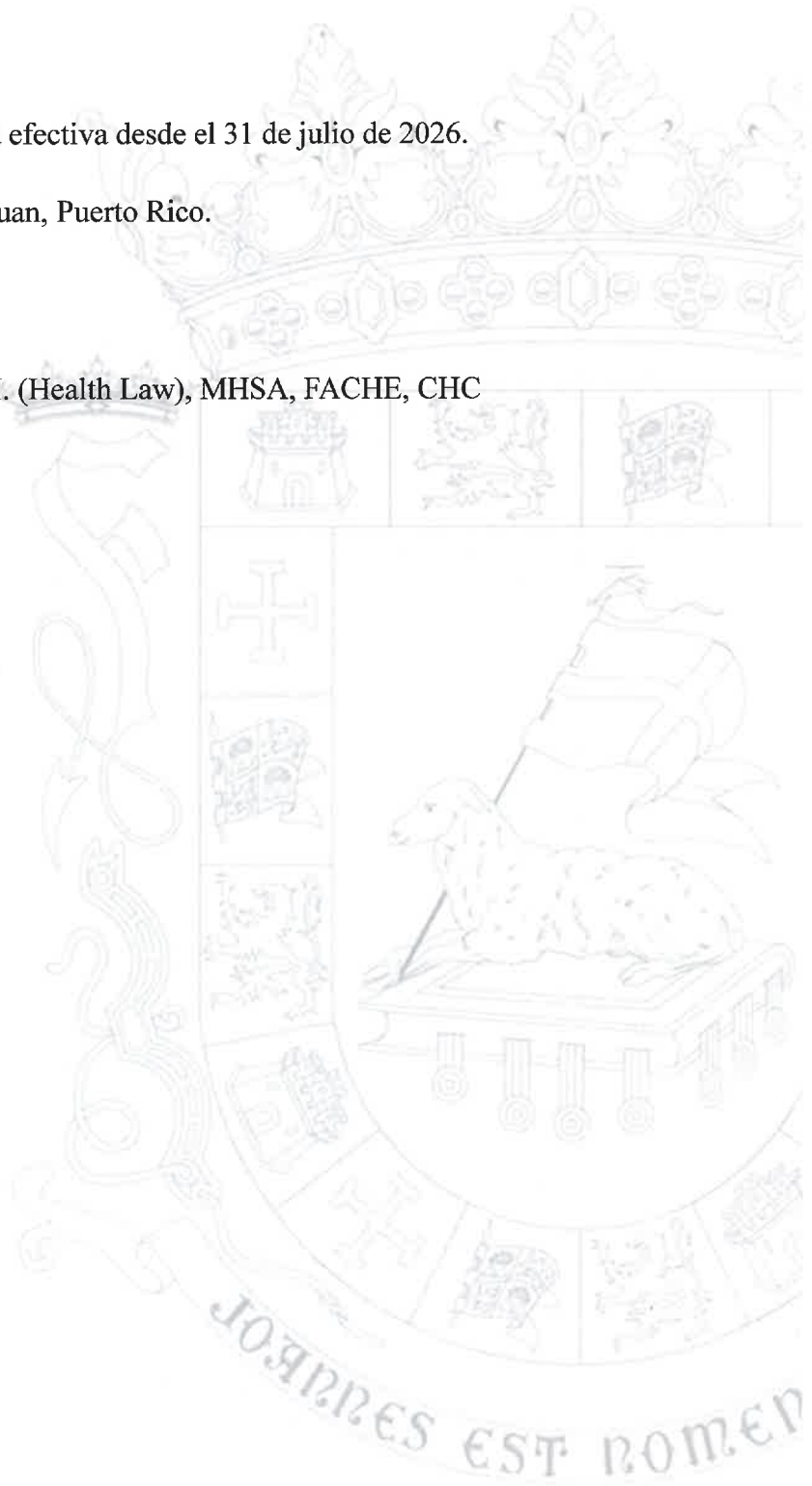
VIII. VIGENCIA

Esta Carta Normativa entrará en vigor y será efectiva desde el 31 de julio de 2026.

Aprobada hoy, 15 de julio de 2026, en San Juan, Puerto Rico.



Lcdo. Carlos A. Santiago Rosario, JD, LL.M. (Health Law), MHSA, FACHE, CHC
Director Ejecutivo





Puerto Rico Health Insurance Administration (ASES) Clinical Operations Office			
Policy: Coverage of the Gene Therapy LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel) for Sickle Cell Disease (SCD)			
Policy Number: ASES-OC-2026/P003	Effective Date: 7/31/2026	Revision Date:	Pages: 03
Approved by:			
Carlos Santiago Rosario, Esq., MHSA Executive Director		Signature: 	Date: 9 / 7 / 2026
Diraida Maldonado, MHSA Clinical Operations Director		Signature: 	Date: 9 / 7 / 2026 July 9, 2026
Reference: Section 1927 of the Social Security Act, 42 C.F.R. §447 Subpart I, and applicable CMS and FDA guidance related to cellular and gene therapies			

I. PURPOSE

The purpose of this policy is to establish the clinical criteria, operational requirements, and responsibilities applicable to the access and coverage of Cell and Gene Therapies (CGT) for the treatment of Sickle Cell Disease (SCD) under the Government Health Plan (Plan Vital).

This policy incorporates the clinical and operational criteria applicable to the gene therapy **LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel)** in accordance with its FDA-approved indications and regulatory guidance.

II. SCOPE

 This policy applies to the PBM/RA, Managed Care Organizations (MCOs), the Puerto Rico Medicaid Program (PRMP), and any entity or subcontractor involved in administering the pharmacy benefit under Plan Vital.

III. LEGAL BASIS

This policy is established in compliance with Section 1927 of the Social Security Act, 42 C.F.R. § 447 Subpart I, and applicable CMS and FDA guidance related to cellular and gene therapies.

IV. DEFINITIONS

- **CGT (Cell and Gene Therapy):** Advanced therapies based on cells or genetic modification.
- **Confirmatory Genetic Testing:** Clinical requirement to confirm eligibility for gene therapy.
- **Sickle Cell Disease (SCD):** Hereditary hematologic condition associated with vaso-occlusive crises.
- **Vaso-Occlusive Events (VOEs):** Pain crises or complications related to obstructed blood flow.
- **ASES Special Coverage:** A component of Covered Services provided by the MCO. Services under this coverage are more extensive than the Basic Coverage services, and for which Enrollees are eligible only by "registering." Registration for Special Coverage is based on intensive medical needs occasioned by serious illness. Conditions under this coverage are established by ASES.

V. POLICY

ASES requires that the therapy LYFGENIA® obtain prior authorization and meet all clinical, administrative, and programmatic criteria described herein.

VI. COVERAGE CRITERIA

LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel) must meet **ALL** the following:

1. Confirmatory genetic testing; AND
2. Documented failure or intolerance to hydroxyurea (including clinical judgment indicating inability to take hydroxyurea) at any time in the past; AND
3. Age $\geq$ twelve (12) years at the anticipated time of gene therapy administration; AND
4. Clinically stable and fit for transplantation; AND
5. Prescribed by, or in consultation with, a board-certified hematologist with expertise in SCD; AND
6. Treatment center must be a certified Sickle Cell Center or Qualified Treatment Center; AND
7. Beneficiary has not received a prior hematopoietic stem cell transplant; AND
8. Beneficiary has not received LYFGENIA® or any other gene therapy for this condition previously; AND
9. Meets one of the following (per provider attestation):
 - a. Currently receiving chronic transfusion therapy for recurrent VOEs; OR
 - b. Has experienced four (4) or more VOEs in the prior twenty-four (24) months as determined by the treating clinician.

VII. ELEGIBLE BENEFICIARY

A beneficiary is eligible when **all** the following requirements are met:

1. Documented medical diagnosis of Sickle Cell Disease (SCD); AND
2. LYFGENIA® has been prescribed in accordance with the FDA-approved label; AND
3. Beneficiary has Medicaid or Title XXI-funded Medicaid Expansion (CHIP) as the primary payer for the therapy; AND/OR
4. Beneficiary is enrolled in the Medicaid Program of a Model Participating State on the anticipated infusion date; AND
5. Beneficiary is enrolled in a Plan Vital managed care organization (MCO) on the infusion date.

VIII. CLINICAL CLARIFICATION

These clinical criteria pertain solely to eligibility for the use and administration of the medication and do not necessarily determine eligibility for registry in Special Coverage for Sickle Cell Disease.

IX. PROCEDURE AND RESPONSIBILITIES

The MCOs will start the process through a preauthorization (PA) request from a provider and adjudicate requests according to applicable criteria; MCOs will verify clinical and documentation requirements; ASES will evaluate out-of-criteria cases.

The request for the product to a specialty pharmacy will be done by the MCOs after preauthorizing the case to the pharmacies contracted by ASES to provide the medication to the institution with whom the MCOS has agreement to treat the patient with Sickle cell.

Prior authorization approval duration: 12 months

X. COMPLIANCE

Noncompliance may result in corrective actions, financial accountability, or regulatory review.

XI. EXCEPTIONS

ASES reserves the right to grant exceptions when justified and approved by the Executive Director or authorized representative.

XII. REVIEWS AND APPROVALS

Date	Section Review	Modification and Reason
July 2, 2026	Policy Creation	



Administración De Seguros De Salud De Puerto Rico (ASES) Oficina de Operaciones Clínicas			
Política: Cobertura de la Terapia Génica LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel) para la Anemia de Células Falciformes (SCD)			
Número de Política: ASES-OC-2026/P003	Fecha de Vigencia: 7/31/2026	Fecha de Revisión:	Páginas: 03
Aprobado por:			
Lcdo. Carlos Santiago Rosario, MHSA Director Ejecutivo		Firma: 	Fecha: 7 / 14 / 2026
Diraida Maldonado, MHSA Directora de Operaciones Clínicas		Firma: 	Fecha: 7 / 15 / 2026
Referencia: Sección 1927 de la Ley de Seguridad Social, 42 C.F.R. §447 Subparte I, y guías aplicables de CMS y FDA relacionadas con terapias celulares y génicas.			

I. PROPÓSITO

El propósito de esta política es establecer los criterios clínicos, requisitos operacionales y responsabilidades aplicables para el acceso y la cobertura de las Terapias Celulares y Génicas (CGT) para el tratamiento de la Anemia de Células Falciformes (SCD) bajo el Plan de Salud del Gobierno (Plan Vital).

Esta política incorpora los criterios clínicos y operacionales aplicables a la terapia génica **LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel)** conforme a sus indicaciones aprobadas por la FDA y guías regulatorias pertinentes.

II. ALCANCE

Esta política aplica al PBM/RA, organizaciones de cuidado manejado (MCOs), el Programa Medicaid de Puerto Rico (PRMP) y cualquier entidad o subcontratista involucrado en la administración del beneficio de farmacia bajo Plan Vital.

III. BASE LEGAL

Establecida en cumplimiento con la Sección 1927 de la Ley de Seguridad Social, 42 C.F.R. §447 Subparte I, y guías aplicables de CMS y FDA relacionadas con terapias celulares y génicas.

IV. DEFINICIONES

- **Terapia Celular y Génica (CGT):** Terapias avanzadas basadas en células o modificación genética.
- **Prueba Genética Confirmatoria:** Requisito clínico para confirmar elegibilidad para terapia génica.
- **Anemia de Células Falciformes (SCD):** Condición hematológica hereditaria asociada a crisis vaso-oclusivas.
- **Eventos Vaso-Oclusivos (VOEs):** Crisis de dolor o complicaciones asociadas a obstrucción del flujo sanguíneo.
- **Cobertura Especial de ASES:** Componente de los Servicios Cubiertos provisto por el MCO. Los servicios bajo esta cobertura son más amplios que los de la Cobertura Básica y los asegurados son elegibles únicamente mediante "registro", basado en necesidades médicas intensivas por enfermedad grave. Las condiciones cubiertas son establecidas por ASES.

V. POLÍTICA

ASES requiere que la terapia LYFGENIA® sea sometida a autorización previa y cumpla con todos los criterios clínicos, administrativos y programáticos incluidos en esta política.

VI. CRITERIOS DE COBERTURA

LYFGENIA® (lovotibeglogene autotemcel) debe cumplir **TODOS** los siguientes criterios:

1. Prueba genética confirmatoria; Y
2. Fracaso o intolerancia documentada a la hidroxiaurea (incluyendo juicio clínico que indique incapacidad de usarla) en cualquier momento previo; Y
3. Edad igual o mayor a doce (12) años al momento anticipado de la administración de la terapia génica; Y
4. Estabilidad clínica y aptitud para trasplante; Y
5. Prescripción por, o en consulta con, un hematólogo certificado con experiencia en SCD; Y
6. El centro de tratamiento debe ser un Centro Certificado de Células Falciformes o Centro de Tratamiento Calificado; Y
7. El beneficiario no debe haber recibido previamente un trasplante de células madre hematopoyéticas; Y
8. El beneficiario no debe haber recibido previamente LYFGENIA® ni otra terapia génica para esta condición; Y
9. Debe cumplir uno de los siguientes, según certificación del proveedor:
 - a. Recibir terapia de transfusión crónica para VOEs recurrentes; O

b. Haber experimentado cuatro (4) o más VOEs en los últimos veinticuatro (24) meses según evaluación del clínico tratante.

VII. BENEFICIARIO ELEGIBLE

Un beneficiario es elegible cuando cumple **todos** los siguientes requisitos:

1. Diagnóstico médico documentado de SCD; Y
2. LYFGENIA® prescrito conforme a la etiqueta aprobada por la FDA; Y
3. Beneficiario con Medicaid o Expansión de Medicaid (CHIP) financiada por Título XXI como pagador primario; Y/O
4. Beneficiario inscrito en el Programa Medicaid de un Estado Participante Modelo en la fecha anticipada de la infusión; Y
5. Beneficiario inscrito en un MCO de Plan Vital en la fecha de infusión.

VIII. ACLARACIÓN CLÍNICA

Estos criterios clínicos aplican únicamente para determinar elegibilidad para el uso y administración del medicamento y no determinan elegibilidad para inscripción en la Cobertura Especial de SCD.

IX. PROCEDIMIENTOS Y RESPONSABILIDADES

Los MCOs iniciarán el proceso mediante una solicitud de autorización previa (PA) realizada por un proveedor y adjudicarán la solicitud conforme a los criterios aplicables. Los MCOs verificarán los requisitos clínicos y documentales. ASES evaluará casos fuera de criterio.

La solicitud del producto a la farmacia especializada será gestionada por los MCOs después de preautorizar el caso, utilizando las farmacias contratadas por ASES para proveer el medicamento a la institución con acuerdo para tratar pacientes con SCD.

Duración de la autorización previa: 12 meses.

X. CUMPLIMIENTO

El incumplimiento puede resultar en acciones correctivas, responsabilidad financiera o revisión regulatoria.

XI. EXCEPCIONES

ASES se reserva el derecho de conceder excepciones cuando sean justificadas y aprobadas por el Director Ejecutivo o su representante autorizado.

XII. REVISIÓN Y APROBACIONES

Fecha	Revisión de Sección	Modificación y Razón
2 de julio de 2026	Creación de Política	



Puerto Rico Health Insurance Administration (ASES) Clinical Operations Office			
Policy: Coverage of the Gene Therapy CASGEVY® (exagamglogene autotemcel) for Sickle Cell Disease (SCD)			
Policy Number: ASES-OC-2026/P002	Effective Date: 7/31/2026	Revision Date:	Pages: 03
Approved by:			
Carlos Santiago Rosario, Esq., MHSA Executive Director		Signature: 	Date: 9 / 7 / 2026
Diraida Maldonado, MHSA Clinical Operations Director		Signature: 	Date: 9 / 7 / 2026 July 9, 2026
Reference: Section 1927 of the Social Security Act, 42 C.F.R. §447 Subpart I, and applicable CMS and FDA guidance related to cellular and gene therapies			

I. PURPOSE

The purpose of this policy is to establish the clinical criteria, operational requirements, and responsibilities applicable to the access and coverage of Cell and Gene Therapies (CGT) for the treatment of Sickle Cell Disease (SCD) under the Government Health Plan (Plan Vital).

This policy incorporates the clinical and operational criteria applicable to the gene therapy **CASGEVY (exagamglogene autotemcel)**, in accordance with its FDA-approved indications and regulatory guidance.

II. SCOPE

This policy applies to the PBM/RA, Managed Care Organizations (MCOs), the Puerto Rico Medicaid Program (PRMP), and any entity or subcontractor involved in administering the pharmacy benefit under Plan Vital.

III. LEGAL BASIS

This policy is established in compliance with Section 1927 of the Social Security Act, 42 C.F.R. § 447 Subpart I, and applicable CMS and FDA guidance related to cellular and gene therapies.

IV. DEFINITIONS

- **CGT (Cell and Gene Therapy):** Advanced therapies based on cells or genetic modification.
- **Confirmatory Genetic Testing:** Clinical requirement to confirm eligibility for gene therapy.
- **Sickle Cell Disease (SCD):** Hereditary hematologic condition associated with vaso-occlusive crises.
- **Vaso-Occlusive Crisis (VOCs):** Pain crises or complications related to obstructed blood flow.

V. POLICY

ASES requires that the therapy CASGEVY® obtain prior authorization and meet all clinical, administrative, and programmatic criteria described herein.

VI. COVERAGE CRITERIA

CASGEVY® (exagamglogene autotemcel) must meet **ALL** the following:

- 
1. Confirmatory genetic testing; AND
 2. Documented failure or intolerance to hydroxyurea (including clinical judgment indicating inability to take hydroxyurea) at any time in the past; AND
 3. The product should be prescribed consistently with the FDA approved indications or label; AND
 4. Clinically stable and fit for transplantation; AND
 5. Prescribed by, or in consultation with, a board-certified hematologist with expertise in SCD; AND
 6. Treatment center must be a certified Sickle Cell Center; AND
 7. Beneficiary has not received a prior hematopoietic stem cell transplant; AND
 8. Beneficiary has not received CASGEVY® or any other gene therapy for this condition previously; AND
 9. Meets one of the following (per provider attestation):
 - a. Currently receiving chronic transfusion therapy for recurrent VOCs; OR
 - b. Has experienced four (4) or more VOCs in the prior twenty-four (24) months as determined by the treating clinician.

VII. ELEGIBLE BENEFICIARY

A beneficiary is eligible when **all** the following requirements are met:

1. Documented medical diagnosis of Sickle Cell Disease (SCD); AND
2. CASGEVY® has been prescribed in accordance with the FDA-approved label; AND

3. Beneficiary has Medicaid or Title XXI-funded Medicaid Expansion (CHIP) as the primary payer for the therapy; AND/OR
4. Beneficiary is enrolled in the Medicaid Program of a Model Participating State with an effective Supplemental Rebate Agreement (SRA) on the anticipated infusion date; AND
5. Beneficiary is enrolled in a Plan Vital managed care organization (MCO) on the infusion date and is included in the population covered under the SRA.

VIII. CLINICAL CLARIFICATION

These clinical criteria pertain solely to eligibility for the use and administration of the medication and do not necessarily determine eligibility for registry in Special Coverage for Sickle Cell Disease.

IX. PROCEDURE AND RESPONSIBILITIES

The MCOs will start the process through a preauthorization (PA) request from a provider and adjudicate requests according to applicable criteria; MCOs will verify clinical and documentation requirements; ASES will evaluate out-of-criteria cases.

The request for the product to a specialty pharmacy will be done by the MCOs after preauthorizing the case to the pharmacies contracted by ASES to provide the medication to the institution with whom the MCOs has agreement to treat the patient with Sickle cell.

X. COMPLIANCE

Noncompliance may result in corrective actions, financial accountability, or regulatory review.

XI. EXCEPTIONS

ASES reserves the right to grant exceptions when justified and approved by the Executive Director or authorized representative.

XII. REVIEWS AND APPROVALS

Date	Section Review	Modification and Reason
July 2, 2026	Policy Creation	



Administración De Seguros De Salud De Puerto Rico (ASES) Oficina de Operaciones Clínicas			
Política: Cobertura de la Terapia Génica CASGEVY® (exagamglogene autotemcel) para la Anemia de Células Falciformes (SCD)			
Número de Política: ASES-OC-2026/P002	Fecha de Vigencia: 7/31/2026	Fecha de Revisión:	Páginas: 03
Aprobado por:			
Lcdo. Carlos Santiago Rosario, MHSA Director Ejecutivo		Firma: 	Fecha: 7 / 14 / 2026
Diraida Maldonado, MHSA Directora de Operaciones Clínicas		Firma: 	Fecha: 7 / 15 / 2026
Referencia:			
Sección 1927 de la Ley de Seguridad Social, 42 C.F.R. §447 Subparte I, y guías aplicables de CMS y FDA relacionadas con terapias celulares y génicas.			

I. PROPÓSITO

Establecer los criterios clínicos, requisitos operacionales y responsabilidades aplicables al acceso y cobertura de las Terapias Celulares y Génicas (CGT) para el tratamiento de la Anemia de Células Falciformes (SCD) bajo el Plan de Salud del Gobierno (Plan Vital).

Esta política incorpora los criterios clínicos y operacionales aplicables a la terapia génica **CASGEVY® (exagamglogene autotemcel)**, conforme a las indicaciones aprobadas por la FDA y guías regulatorias pertinentes.

II. ALCANCE

Esta política aplica al PBM/RA, organizaciones de cuidado manejado (MCOs), el Programa Medicaid de Puerto Rico (PRMP) y cualquier entidad o subcontratista involucrado en la administración del beneficio de farmacia bajo Plan Vital.

III. BASE LEGAL

Establecida conforme a la Sección 1927 de la Ley de Seguridad Social, 42 C.F.R. §447 Subparte I, y guías aplicables de CMS y FDA para terapias celulares y génicas.

IV. DEFINICIONES

- **Terapia Celular y Génica (CGT):** Terapias avanzadas basadas en células o modificación genética.
- **Prueba Genética Confirmatoria:** Requisito clínico para confirmar elegibilidad para terapia génica.
- **Anemia de Células Falciformes (SCD):** Condición hematológica hereditaria asociada a crisis vaso-oclusivas.
- **Crisis Vaso-Oclusiva (VOCs):** Crisis de dolor o complicaciones relacionadas con obstrucción del flujo sanguíneo.

V. POLÍTICA

ASES requiere que la administración de CASGEVY® se someta a autorización previa y cumpla con todos los criterios clínicos, administrativos y programáticos establecidos.

VI. CRITERIOS DE COBERTURA

CASGEVY® debe cumplir **TODOS** los siguientes requisitos:

1. Prueba genética confirmatoria; Y
2. Fracaso o intolerancia documentada a la hidroxiurea (incluyendo juicio clínico que indique incapacidad de usarla) en cualquier momento previo; Y
3. El producto debe ser prescrito conforme a las indicaciones aprobadas por la FDA; Y
4. Estabilidad clínica y aptitud para trasplante; Y
5. Prescripción por, o en consulta con, un hematólogo certificado con experiencia en SCD; Y
6. El centro de tratamiento debe ser un Centro Certificado para Células Falciformes; Y
7. El beneficiario no debe haber recibido un trasplante previo de células madre hematopoyéticas; Y
8. El beneficiario no debe haber recibido previamente CASGEVY® ni otra terapia génica para esta condición; Y
9. Cumplir con **uno** de los siguientes, según conste por el proveedor:
 - a. Recibir actualmente terapia de transfusión crónica por VOCs recurrentes; O
 - b. Haber experimentado cuatro (4) o más VOCs en los últimos veinticuatro (24) meses según el clínico tratante.

VII. BENEFICIARIO ELEGIBLE

Un beneficiario es elegible cuando cumple **todos** los siguientes requisitos:

1. Diagnóstico médico documentado de SCD; Y
2. CASGEVY® prescrito conforme a la etiqueta aprobada por la FDA; Y

3. Beneficiario con Medicaid o Expansión Medicaid (CHIP) como pagador primario; Y/O
4. Beneficiario inscrito en un Estado Participante con un Acuerdo de Rebajo Suplementario (SRA) vigente en la fecha prevista de infusión; Y
5. Beneficiario inscrito en un MCO de Plan Vital en la fecha de infusión y dentro de la población cubierta bajo el SRA.

VIII. ACLARACIÓN CLÍNICAS

Estos criterios clínicos aplican únicamente para la elegibilidad del uso y administración del medicamento y no determinan elegibilidad para el registro en Cobertura Especial para SCD.

IX. PROCEDIMIENTOS Y RESPONSABILIDADES

Los MCOs iniciarán el proceso mediante una solicitud de autorización previa del proveedor y adjudicarán conforme a los criterios aplicables. Los MCOs verificarán requisitos clínicos y documentales. ASES evaluará casos fuera de criterio.

La solicitud del producto a la farmacia especializada será gestionada por los MCOs después de preautorizar el caso, utilizando las farmacias contratadas por ASES para suplir el medicamento a la institución con acuerdo para tratar al paciente con SCD.

X. CUMPLIMIENTO

El incumplimiento puede resultar en acciones correctivas, responsabilidad financiera o revisión regulatoria.

XI. EXCEPCIONES

ASES se reserva el derecho de conceder excepciones cuando sean justificadas y aprobadas por el Director Ejecutivo o su representante autorizado.

XII. REVISIÓN Y APROBACIONES

Fecha	Section Review	Modificación y Razón
2 de julio de 2026	Creación de Política	