



*Dalla scienza la speranza per i piccoli pazienti affetti da atrofia muscolare spinale (SMA). In Italia attivi 16 centri per la somministrazione della prima terapia al mondo*



Roma, 14 marzo 2018 - “La conclusione in tempi ridottissimi dell’iter di autorizzazione di Spinraza - commenta il Direttore Generale dell’AIFA, Mario Melazzini - è una vittoria della Scienza e del sistema regolatorio italiano. Finalmente i piccoli malati di SMA, in passato oggetto delle speculazioni di ciarlatani senza scrupoli, hanno a disposizione una terapia, sostenuta da robuste evidenze scientifiche e i cui costi sono sostenuti dal Servizio Sanitario Nazionale a conclusione di una procedura negoziale condotta in tempi molto serrati. Il sistema Paese conferma la capacità di offrire risposte concrete alla domanda di salute anche, come in questo caso, per le terapie innovative ad alto costo per le malattie genetiche rare”.

A pochi mesi dall’approvazione della prima terapia per l’atrofia muscolare spinale (SMA), Spinraza, sono già 16 i centri ospedalieri, distribuiti in 11 regioni italiane, abilitati alla somministrazione. Sono 135 i pazienti che hanno già iniziato a ricevere il trattamento e 190 quelli considerati eleggibili che sono in attesa della prima somministrazione, secondo i dati dei Registri di Monitoraggio AIFA, aggiornati al 12 marzo 2018.

Una vera e propria rivoluzione nel trattamento di una malattia genetica rara i cui sintomi si manifestano poco dopo la nascita. Il paziente più piccolo iscritto nel Registro AIFA ha un mese di vita, mentre l’età media di tutti i pazienti è di circa 4 anni.

La rimborsabilità di Spinraza ha rappresentato il coronamento di un lungo percorso scientifico, clinico e regolatorio. Una vera e propria sfida per il Servizio Sanitario Nazionale, rappresentata dalla definizione dei criteri per l’accesso al trattamento con questo medicinale innovativo dall’alto valore terapeutico e dal costo elevatissimo. Oltre 115 mila euro per singola dose il prezzo stabilito al pubblico, rispetto al quale AIFA ha contrattato una riduzione molto significativa, nel quadro di un accordo negoziale confidenziale.

Il medicinale è disponibile in Italia grazie al fondo nazionale dei farmaci innovativi (non oncologici), istituito con la legge di bilancio del dicembre 2016 e che prevede un finanziamento di 500 milioni di euro in tre anni, fino al 2019.

“L’obiettivo basilare delle nostre attività e della raccolta fondi che portiamo avanti, è supportare ciascuna regione nella dotazione di almeno una struttura specializzata - aggiunge Daniela Lauro, presidente di Famiglie Sma, l’associazione che riunisce i pazienti affetti dalla malattia e i loro genitori - Siamo a poco più della metà del percorso e per portare a compimento il progetto Famiglie Sma offre a tutti i centri specializzati un supporto a 360 gradi, attraverso il contributo di una squadra di esperti che interviene nei diversi ambiti: medico-scientifico, legislativo, logistico, psicoterapeutico”.

Consulta la [scheda AIFA su Spinraza](#)