



Milano, 21 dicembre 2020 - Giuseppe è il primo bimbo dei Centri Clinici NeMO che ha accesso al trattamento con terapia genica erogata dal Sistema Sanitario Nazionale. Grazie a una stretta sinergia con l'ASST Ospedale Niguarda, il trattamento è avvenuto in regime di ricovero protetto e ha visto la collaborazione tra il team clinico-assistenziale e riabilitativo del Centro Clinico NEMO di Milano con l'équipe Infermieristica e l'anestesista del Blocco Operatorio Pediatrico dell'Ospedale.

Sarà un Natale speciale quello del piccolo Giuseppe. Affetto da SMA di tipo 1, la forma più grave di atrofia muscolare spinale, il piccolo è stato trattato il 16 dicembre con Zolgensma, il farmaco in grado di correggere il difetto genetico alla base della sua malattia. Questa rara patologia neuromuscolare genetica causa la progressiva morte dei motoneuroni deputati al movimento. L'équipe del Centro NeMO di Milano dal mese di settembre ha preso in carico il piccolo, avviando un costante monitoraggio clinico delle sue condizioni neuromotorie e respiratorie e, in accordo con la famiglia, al suo quinto mese di vita Giuseppe è stato trattato con questa nuova opzione terapeutica.

La SMA colpisce circa 1 neonato ogni 10.000, è la più comune causa genetica di morte infantile e ad oggi non esiste una cura. Il progresso scientifico degli ultimi anni ha permesso di individuare, tuttavia, diverse

opzioni terapeutiche. La più recente riguarda proprio l'accesso anticipato alla terapia genica con il Zolgensma (onasemnogene abeparvovec). Il farmaco è stato oggetto di una sperimentazione internazionale che ha visto in Italia il reclutamento di 9 bambini trattati e monitorati dall'agosto 2018 presso il Policlinico Gemelli/Centro Clinico NeMO Roma, con la direzione scientifica del Prof. Mercuri.

Alla luce dei risultati scientifici, lo scorso 17 novembre, l'Agenzia Italiana del Farmaco, AIFA, ha accolto la domanda sottomessa attraverso l'Associazione Famiglie SMA di inserimento del farmaco secondo i criteri stabiliti dalla Legge 648 del 23 dicembre 1996 che prevede, quando non vi è alternativa terapeutica valida, l'erogazione di medicinali innovativi a totale carico del Sistema Sanitario Nazionale.

“Parlare di SMA oggi significa raccontare di un nuovo scenario che sta cambiando la storia naturale della patologia, nella misura in cui i nuovi trattamenti di cura stanno portando a modificare le aspettative di futuro dei bambini e ridefinendo gli approcci stessi di presa in carico - afferma la prof.ssa Valeria Sansone, Direttore Clinico del Centro Clinico NeMO di Milano - In questo senso, la terapia genica rappresenta un'ulteriore opportunità di trattamento che va a ad agire sulla correzione del difetto genico in un'unica somministrazione e che si aggiunge alle altre opzioni terapeutiche oggi in uso. È un grande traguardo della ricerca, consapevoli che i risultati del trattamento dovranno con cautela e responsabilità essere monitorati nel tempo”.

L'accesso alle opzioni terapeutiche, assieme ai programmi di screening neonatale per la SMA che in Italia, per ora, sono un progetto pilota in Toscana e Lazio, sta cambiando la storia di molte famiglie. I Centri NeMO - presenti a Milano, Roma, Arezano, Messina, Brescia e Napoli - sono riconosciuti dal SSN e si impegnano quotidianamente nella ricerca clinica al fine di poter attivare terapie innovative per contrastare la progressione delle patologie neuromuscolari. Per ognuna di esse è previsto un rigoroso protocollo di monitoraggio che permette di valutarne gli effetti, come anche di essere al fianco di ogni famiglia per accogliere i vissuti, i bisogni e le aspettative in merito al percorso intrapreso.

Dichiara Marco Bosio, Direttore Generale ASST Grande Ospedale Metropolitano Niguarda: “La collaborazione storica tra Niguarda e il Centro Clinico NeMO ha permesso ancora una volta di raggiungere un obiettivo importante e particolarmente significativo soprattutto perché conseguito in ambito pediatrico: mi piace pensare che questa notizia positiva possa rappresentare per tutti un segnale di speranza a pochi giorni da un Natale così peculiare come quello che ci apprestiamo a vivere in un anno segnato significativamente dall'emergenza sanitaria”.

Alberto Fontana, presidente dei Centri Clinici NeMO, dichiara: “Mi emoziona pensare che proprio al termine di un anno così difficile per tutti noi, abbiamo l'opportunità di vivere gesti straordinari e concreti

di speranza. È il frutto di un lungo viaggio iniziato dodici anni fa con il primo Centro Clinico NeMO a Milano e che oggi continua insieme a tutta la rete dei Centri NeMO, realizzati in sinergia con i più importanti Ospedali Pubblici del territorio, sostenuti da quell'alleanza tra la comunità dei pazienti, la comunità scientifica e le istituzioni. E oggi non posso che essere grato alla ricerca scientifica, che ci permette di dare risposte concrete al desiderio di vita dei nostri bambini”.