



*L'Azienda Ospedaliera dell'Università degli Studi della Campania "Luigi Vanvitelli" protagonista di una nuova pagina della Medicina. La Clinica Oculistica dell'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli è il primo Centro in Europa per numero di pazienti pediatriche con una forma di malattia ereditaria della retina trattati con terapia genica. Un trattamento una tantum (Luxturna - Voretigene neparvovec), che combina durabilità, efficacia e un profilo di sicurezza favorevole, indicato per pazienti con distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche del gene RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali*



Napoli, 19 ottobre 2021 - Sono dieci i bambini, provenienti da diverse regioni del Centro e del Nord Italia, ad aver riacquisito la vista grazie alla prima terapia genica, voretigene neparvovec di Novartis, per distrofie retiniche ereditarie effettuata presso l'Azienda ospedaliera dell'Ateneo Vanvitelli di Napoli. Una terapia, approvata e rimborsata in Italia, per una rara forma di distrofia retinica ereditaria, quella legata a mutazioni in entrambe le copie del gene RPE65, che ha visto il suo esordio, circa 15 anni fa, con una sperimentazione di fase I realizzata grazie alla collaborazione tra l'Università Vanvitelli, la Fondazione Telethon e il Children Hospital di Philadelphia.

Un successo che conferma l'eccellenza

della sanità campana nella capacità di visione, nella ricerca scientifica e nella pratica clinica e che rende Napoli un punto di riferimento a livello nazionale per il trattamento di malattie rare della retina. Non solo, mostra l'efficacia e il valore della collaborazione tra pubblico e privato nel garantire a pazienti che fino a poco tempo fa non avevano possibilità di cura l'accesso alle terapie più innovative.



*Prof.ssa Francesca Simonelli*

“I dieci pazienti trattati oggi possono scrivere, leggere (passando di fatto, in alcuni casi, dal braille alla carta e alla penna) e muoversi in autonomia. I risultati che abbiamo ottenuto - allargamento del campo visivo, aumento della capacità visiva da vicino, da lontano e in condizione di scarsa luminosità - hanno, quindi, un profondo valore scientifico e clinico oltre a testimoniare che, in una patologia degenerativa, la via del trattamento precoce è quella vincente”, ha dichiarato Francesca Simonelli, Professore Ordinario di Oftalmologia e Direttrice della Clinica Oculistica dell'Università degli Studi della Campania Luigi Vanvitelli.

“Nel 2019, inoltre, autorizzati da AIFA abbiamo trattato i primi due bambini in Italia, e oggi dopo quasi 2 anni dalla terapia possiamo confermare un'assoluta stabilità dei risultati ottenuti e un buon profilo di sicurezza. Dati che ci rendono fiduciosi che quanto ottenuto in termini di capacità visiva perduri nel lungo periodo”, prosegue Simonelli.

Risultati importanti frutto di anni di ricerca in campo clinico, genetico e tecnologico e che mostrano prospettive rivoluzionarie nella cura di patologie invalidanti come le distrofie retiniche ereditarie. Tuttavia, trattare un paziente affetto da distrofia retinica ereditaria con terapia genica richiede un percorso preparatorio per staff clinico e paziente ed un processo di somministrazione estremamente complessi che richiedono una lunga preparazione.

La Clinica Oculistica dell'Università Vanvitelli di Napoli è il primo centro in Italia a essere stato certificato per la somministrazione della terapia genica (voretigene neparvovec), un processo articolato che coinvolge un'equipe altamente specializzata e adeguatamente formata composta da clinici, medici, chirurghi, farmacisti ospedalieri, infermieri e tecnici che collaborano in sinergia durante l'intervento.

“Siamo particolarmente entusiasti che il nostro Centro, che in Europa ha la maggiore casistica di pazienti in età pediatrica trattati con Luxturna, possa scrivere questa nuova pagina della Medicina insieme alla Regione Campania - ha commentato la prof.ssa Simonelli - Fino a inizio anno non avevamo terapie approvate per il trattamento delle distrofie retiniche ereditarie, mentre ora abbiamo a disposizione una terapia una tantum che ci permette di offrire una speranza reale ai pazienti e alle loro famiglie”.

Il raggiungimento di questo importante traguardo è solo il primo passo di una nuova strada verso il futuro e non celebra soltanto un successo in ambito clinico e terapeutico, ma anche un nuovo modello di sanità che garantisce l'accesso alle terapie più innovative grazie a una profonda sinergia tra istituzioni, pubblico e privato, un nuovo sistema, basato sulla co-creazione, virtuoso ed efficiente di cui la sanità campana, con le sue eccellenze, fa già parte.

“Tra i pazienti curati al Vanvitelli non c'era nessun campano, ma bambini provenienti anche da Piemonte e Lombardia, regioni considerate come le eccellenze del nostro Paese. Siamo orgogliosi di questo risultato e di poter dire di essere tra i protagonisti di una rivoluzione. I viaggi della speranza al Nord si stanno riducendo e questo è il frutto del lavoro dei nostri ricercatori, clinici e chirurghi”, ha dichiarato il Presidente della Regione Campania Vincenzo De Luca durante la conferenza stampa di presentazione dei risultati della somministrazione della terapia genica per la distrofia retinica ereditaria legata al gene RPE65, effettuata dall'AOU Luigi Vanvitelli.