

## LA SCOPERTA

Al **Mondino** il primo farmaco che combatte l'atrofia spinale

■ A PAGINA 26

## LA SCOPERTA ■ MEDICINA

# Mondino sperimenta il primo farmaco che combatte la Sma

Lo Spinraza permette di trattare l'atrofia muscolare spinale Tronconi: «Solo lo Stato può pagare queste terapie»

► PAVIA

La fondazione **Mondino** di Pavia ha sperimentato con successo il primo farmaco approvato per la cura dell'atrofia muscolare spinale (Sma). A un mese dalla commercializzazione dello Spinraza (il cui principio attivo è il nusinersen), il **Mondino** ha infatti trattato il primo bambino con questo farmaco diventando così anche il primo centro in tutta la Lombardia a effettuare questa sperimentazione.

«Questa nuova terapia riduce in modo significativo gli effetti del decadimento fisiologico nei bimbi che hanno questa alterazione genetica – ha detto il direttore generale Livio Tronconi, durante la conferenza stampa di ieri al **Mondino** – È un farmaco, lo Spinraza, che non tratta i sintomi, ma che interviene alla fonte della malattia, rallentandone l'evoluzione». Il farmaco ha avuto l'autorizzazione di immissione in commercio da parte dell'Aifa a fine settembre e la disponibilità commerciale risale al 18 ottobre scorso. Il **Mondino** lo ha subito richiesto e lo ha ottenuto dopo qualche settimana.

Quindi il farmaco è stato somministrato a un bambino di un anno.

«Il bimbo è stato dimesso, ma il ciclo di trattamento continua: il farmaco prevede infatti 4 somministrazioni nei primi 62 giorni e poi una ogni 3-4 mesi per un tempo che non si può ancora prevedere», continua il direttore. Il prezzo di Spinraza è molto elevato: poiché ogni fiala costa 70mila euro. «Il primo ciclo su base annua sarà di mezzo milione e una somministrazione ogni 3-4 mesi si assesta come spesa corrente a circa 200mila euro per paziente annuo. La spesa è ingente, oggi più che mai lo Stato deve dare una risposta alle malattie rare per garantire a tutti i pazienti affetti da esse la possibilità di accedere alle terapie», spiega ancora Tronconi.

L'atrofia muscolare spinale è una malattia genetica neuromuscolare che coinvolge i motoneuroni, le cellule nervose da cui partono i nervi diretti ai muscoli e che trasmettono i segnali motori. Sintomi della malattia sono il progressivo indebolimento dell'apparato muscolare, che si manifesta attra-

verso paralisi e atrofia muscolare.

«Quando vediamo i sintomi della malattia, molti di questi motoneuroni sono già morti – spiega la neuropsichiatra Angela Berardinelli – Il farmaco aiuta il gene Smn2, presente nel corpo, a produrre la proteina corretta al 100%. Prima si comincia la terapia e prima è efficace. La prevenzione, i controlli e l'attento intervento dei pediatri, fin dai primi mesi, sono importanti. Il bambino su cui è stato testato il farmaco è stato scelto non per via selettiva ma prioritaria, poiché era la diagnosi più recente e che offriva le maggiori chance di risposta positiva».

Una terapia che dà speranza ma non illusioni, in una struttura che da 100 anni si fonda sulla ricerca scientifica di altissimo livello: «Il **Mondino** è il centro di riferimento nazionale per le malattie rare e il centro di riferimento regionale per le malattie neuromuscolari in età evolutiva – spiega Daniele Bosone, direttore sanitario – Nel 2016 abbiamo certificato 501 casi di patologie rare prendendo in carico più di 250 pazienti. A dispetto dei costi,

continueremo a fare ricerca per curare queste patologie».

**Caterina Caparello**



**Angela Berardinelli, Livio Tronconi e Daniele Bosone**

## La fondazione festeggia 100 anni tra mostre e premi

Nel 1917 nasceva l'allora clinica neuropatologica, oggi conosciuta come fondazione **Mondino**. Per festeggiare i suoi 100 anni, la fondazione ha organizzato una settimana di eventi, dal 21 al 26 novembre, dedicati alla città e alla comunità scientifica nazionale. In primis sarà allestita, nell'atrio del **Mondino**, una mostra documentaria dedicata alla storia della Fondazione che resterà in esposizione fino a febbraio. Martedì 21 novembre, nell'aula magna dell'università, verrà assegnato il premio Ottorino Rossi, per gli scienziati che hanno contribuito allo sviluppo delle neuroscienze pre-cliniche e cliniche, a Pierluigi Nicotera, esperto internazionale nello studio dei meccanismi di morte neuronale alla base delle malattie degenerative.

