

PAVIA L'ISTITUTO **MONDINO** SI CONFERMA CENTRO DI RICERCA E CURA DI VERA ECCELLENZA

Sma, nuovo farmaco dà speranza a bimbo di un anno

- PAVIA -

C'E' una speranza per la cura dell'atrofia muscolare spinale, la Sma. E' un farmaco, lo Spinraza (prodotto dalla casa statunitense Nusinersen) che ad un mese dalla sua commercializzazione è stato somministrato per la prima volta alla Fondazione **Mondino** e con risultati positivi. A beneficiarne è stato un piccolo di un anno di vita al quale era stata diagnosticata la forma intermedia della malattia, che colpisce un neonato ogni 10mila e costituisce la più comune causa genetica di morte infantile.

«Il bambino trattato con il nuovo farmaco - ha spiegato Angela Berardinelli, responsabile dell'Unità operativa di Neurologia dell'infanzia - è interessato dalla patologia che non permette una futura deambulazione. Il farmaco 'costringe' il gene Smn2 a produrre una proteina corretta. Viene somministrato per via intratecale (con una puntura lombare) sotto una guida radiologica, anestesistica e rianimatoria. Il ciclo prevede 4 somministrazioni nei primi 62 giorni e altri

interventi a distanza di 4 mesi. Il bambino è stato già dimesso e tornerà per le altre somministrazioni». La Sma causa un progressivo indebolimento dell'apparato muscolare che si manifesta con ipotonia, paralisi e atrofia muscolare. La mimica facciale rimane inalterata, ma tutto il resto del corpo (a seconda della gravità della malattia) presenta dei problemi. «Il farmaco non è un rimedio miracoloso - ha sottolineato il direttore sanitario Daniele Bosone - va monitorato per osservarne i benefici nel medio periodo».

IL PICCOLO curato si è trovato nel posto giusto al momento giusto, ma ora bisogna pensare agli altri bambini. «Una fiala di Spinraza costa 70mila euro, un ciclo completo annuo 500mila - ha detto il dg Livio Tronconi -. Non tutte le strutture riescono a coprire il gap tra costi della terapia, l'organizzazione per effettuare la somministrazione e i rimborsi a copertura. Il **Mondino** si è attivato da subito per l'approvvigionamento del farmaco, per ribadire la nostra eccellenza come istituto di ricerca e cura». **M.M.**



ALL'AVANGUARDIA Livio Tronconi direttore generale del **Mondino** di Pavia

