

**Maggio 2014:
primo bambino arruolato per la terapia genica,
4 farmaci in fase clinica
e uno giunto con successo al termine del percorso**

*La **terapia genica** per la cura dell'Atrofia Muscolare Spinale (SMA) in questi giorni ha arruolato il primo bambino per il trial, e nel frattempo anche la ricerca farmacologica mostra per la prima volta di trovarsi in una fase cruciale, infatti sono **ben 4 i farmaci** la cui sperimentazione sarebbe entrata nella fase clinica umana e **uno ha già terminato il percorso** con risultati soddisfacenti: accade tutto contemporaneamente in questo inizio maggio 2014, segnando un momento storico nell'avanzamento della ricerca per la cura della SMA, che per la prima volta lascia l'ambito preclinico ed entra nel concreto del trial clinico umano.*

Dopo i risultati incoraggianti dello studio internazionale **Trophos** che ha da poco terminato il percorso clinico, altri approcci terapeutici stanno per avvicinarsi alla fase clinica. Sono in atto le ultime fasi di preparazione burocratica per far partire uno studio multicentrico con il farmaco **ISIS-SMNRx**, dopo che le fasi 1 e 2 negli Stati Uniti hanno dimostrato l'assenza di effetti collaterali e data qualche indicazione di efficacia. Starebbero inoltre per entrare in fase 1 il **Quinazoline**, prodotto dalla Pfizer, e un nuovo farmaco della **PTC/Roche**. Quest'ultimo ha mostrato dei risultati significativi sul modello murino e si attendono ora con molte aspettative le sue possibili applicazioni.

Durante il prossimo **Convegno nazionale di Famiglie SMA** (20-22 giugno, Lignano Sabbiadoro, Udine), gli esperti convocati offriranno una panoramica dello stato dell'arte delle nuove sperimentazioni, con la prospettiva di **avviare i trial a breve anche in Italia**. Per questo momento l'associazione italiana ha lavorato fin dal suo sorgere ed è ora pronta ad affiancare i ricercatori avendo stimolato la creazione di una rete clinica nazionale, sia per quanto riguarda le banche dati dei bambini per gli arruolamenti attraverso il Registro dei Pazienti, sia per la segnalazione dei Centri Clinici d'eccellenza.

Lo scorso fine settimana, durante la Conferenza Europea sulle Malattie Rare e i Farmaci Orfani 2014 svoltasi a Berlino, Famiglie SMA è stata convocata dalla casa farmaceutica americana **Biogen Idec** che sta collaborando con la ISIS farmaceutica e **intende coinvolgere nei prossimi mesi l'Italia** per la fase 3 del trial del farmaco ISIS-SMNRx. Il senior director Government Relation and Alliance Development **Adam Gluck** ha incontrato il rappresentante del Consiglio Direttivo di Famiglie SMA **Luca Binetti**, accompagnato da un membro del Board di SMA Europe.

prosegue >

Famiglie SMA O.n.l.u.s.

Sede operativa: c/o Consorzio Cooperho – via Lamarmora 7 – 20020 Lainate (MI) ☎Tel. 345 2599975 ☎Fax 178 2712609

Sede istituzionale: Viale Ortles 22/4, 20139 Milano ☎Sede legale: Via Agostino Magliani, 82-84 – 00148 Roma

Codice Fiscale 97231920584 ☎c/c postale n. 65702011

c/c bancario n. 3417887 presso Unicredit Banca ABI 02008 CAB 03209

IBAN IT90K020080520800003417887

E-mail: segreteria@famigliesma.org ☎PEC: famigliesma@pec.it ☎Internet: www.famigliesma.org



«Si tratta di una piccola casa farmaceutica» spiega **Binetti** «all'avanguardia nella ricerca su farmaci per malattie autoimmuni e altre meno affrontate dalle grandi concorrenti. Hanno compiuto un gesto raro che abbiamo apprezzato, quello di proporsi alle associazioni di famiglie, consapevoli che affideremo loro i nostri figli per i trial, e desiderosi di **costruire un rapporto di fiducia**. È loro intenzione adoperarsi concretamente affinché nei prossimi mesi, con la partenza della fase 3, venga coinvolta l'Italia». A tal proposito alcuni Centri in Italia sono già stati contattati e hanno superato positivamente le visite per il controllo della loro idoneità allo svolgimento dei trials.

Nonostante queste notizie della ricerca farmaceutica siano ciascuna di assoluto rilievo nella storia della ricerca di una cura per la SMA, in questo momento gli occhi sono puntati sulla fase clinica della terapia genica appena iniziata negli Stati Uniti, nel **North Carolina Children's Hospital in Ohio**. I risultati di questo studio preliminare infatti ci consentiranno di capire meglio l'impatto di questa terapia sulla malattia.

Ufficio Stampa: ufficio.stampa@famigliesma.org, 328 3466950
Segreteria: segreteria@famigliesma.org, 02 56568312
www.famigliesma.org

Famiglie SMA O.n.l.u.s.

Sede operativa: c/o Consorzio Cooperho – via Lamarmora 7 – 20020 Lainate (MI) ☎Tel. 345 2599975 ☎Fax 178 2712609

Sede istituzionale: Viale Ortles 22/4, 20139 Milano ☎Sede legale: Via Agostino Magliani, 82-84 – 00148 Roma

Codice Fiscale 97231920584 ☎c/c postale n. 65702011

c/c bancario n. 3417887 presso Unicredit Banca ABI 02008 CAB 03209

IBAN IT90K020080520800003417887

E-mail: segreteria@famigliesma.org ☎PEC: famigliesma@pec.it ☎Internet: www.famigliesma.org