

Concluso domenica 22 giugno il Convegno Nazionale di Famiglie SMA Onlus
La sperimentazione clinica arriva in Italia

Per la prima volta una coinvolta platea di giovani genitori di bambini con Atrofia Muscolare Spinale, una delle più gravi e diffuse malattie neuromuscolari che colpiscono i più piccoli, ha ascoltato dalla voce dei ricercatori dei risultati concreti: sia la ricerca farmaceutica che quella genetica, infatti, da pochissimo sono uscite dal laboratorio e arrivate alla sperimentazione clinica umana con risultati promettenti. È accaduto ieri, domenica 22 giugno, a Lignano Sabbiadoro (UD), nella mattinata conclusiva della tre giorni di Convegno Nazionale di Famiglie SMA: il trial clinico appena concluso sul farmaco della Trophos ha dimostrato effetti concreti di stabilizzazione del decorso della malattia; l'azienda farmaceutica Roche sta lavorando a una molecola, in fase preclinica e con un primo studio di Fase 1 nei volontari sani, con riscontri positivi in laboratorio; contemporaneamente, negli Stati Uniti prosegue in queste settimane la **terapia genica** con il primo bambino arruolato e in Francia uno studio parallelo sta mostrando risultati significativi sui topi; ancora, sempre negli USA il trial clinico di un farmaco della ISIS, che ora coinvolge una trentina di bambini, ha risposto positivamente alle verifiche di sicurezza, mostrando già importanti segnali di efficacia.

In un momento tanto emotivo, **Luca Pani**, in rappresentanza dell'**AIFA** (Agenzia Italiana per Farmaco), ha sottolineato come alcuni di questi risultati siano certamente promettenti e meritino tutta l'attenzione che le agenzie regolatorie come AIFA stanno dedicando loro in tutto il mondo, ma ha contemporaneamente ribadito l'importanza imprescindibile del rispetto delle regole e dei tempi della ricerca scientifica. Questa osservazione ha dato validità ai contenuti dell'esposizione del professor **Eugenio Mercuri** del Policlinico Gemelli di Roma. Mercuri ha infatti spiegato che il recente percorso dei clinici Italiani in questo campo è stato proprio teso a qualificarsi e adeguarsi alle regole e agli standard internazionali, per poter al più presto accogliere i trial clinici partiti da poco in America, coinvolgendo direttamente i nostri bambini. Grazie anche al contributo di Famiglie SMA, 13 Centri Italiani sono oggi in grado di partecipare ai trial internazionali e mancano ormai **pochi mesi** perché si concluda il necessario iter burocratico per la loro attivazione anche nel nostro Paese.

Famiglie SMA chiude con entusiasmo l'incontro annuale, suggellando un momento significativo per la propria storia perché al fermento per i risultati delle sperimentazioni scientifiche corrisponde una **crescita interna in termini di adesioni e organizzazione**. Il desiderio di condivisione e collaborazione si è tradotto quantitativamente e qualitativamente. Quantitativamente, il Consiglio Direttivo è raddoppiato nei suoi membri e le famiglie iscritte al Convegno sono state circa un centinaio, per un totale 400 persone tra famiglie e operatori. Qualitativamente, l'atmosfera vivace, l'entusiasmo e la voglia dei Soci di agire in prima persona hanno reso speciale ognuna delle tre giornate, e ancor più lo hanno fatto i bambini, con le loro piccole carrozzine e la voglia di giocare.

Ufficio Stampa, cell. 328 3466950, ufficio.stampa@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

IBANIT90K020080520800003417887

E-mail: segreteria@famigliesma.org • Internet: www.famigliesma.org