

La corsa al farmaco per i piccoli pazienti con atrofia muscolare spinale
**Dal 22 settembre al 9 ottobre raccolta fondi nazionale:
anche quest'anno l'attore Checco Zalone al fianco delle famiglie**

**SMA, OBIETTIVO 2017: RADDOPPIARE LA RACCOLTA
«CON MEZZO MILIONE DI EURO FARMACO SALVAVITA PER 500 BAMBINI»**

Daniela Lauro, presidente dell'associazione: «La terapia funziona, la malattia non è più mortale: ora servono figure professionali e venti centri specializzati per la somministrazione»

ROMA - Alessandro le gambe non le ha mai mosse. Da quando è nato: un anno e mezzo fa. Oggi i suoi piccoli movimenti sono oscillazioni di speranza tra il baratro in cui cade il genitore di un piccolo affetto da **SMA1** (*la forma più grave di atrofia muscolare spinale*) e il silenzio del sistema sanitario, paralizzato da una patologia finora considerata incurabile e mortale.

Matteo ha due anni, e prima, oltre le emozioni tradotte dalla mimica facciale, c'era solo il peso della forza di gravità a schiacciare i sogni di un futuro diverso. Oggi dopo la quinta infusione del farmaco salvavita può utilizzare il tablet senza ausili elastici e la sua mamma può tenerlo in braccio senza il sostegno del busto ortopedico. Tutto questo ha un nome: **Spinraza**, un'iniezione di fiducia per le famiglie; la terapia che ha regalato la parola "vita" ai bambini con la forma più grave di patologia genetica degenerativa, che colpisce i muscoli volontari che controllano tutte le funzioni corporee.

Dal 22 settembre al 9 ottobre l'associazione Famiglie Sma, nata nel 2001 a sostegno della ricerca scientifica, lancia la nuova raccolta fondi nazionale per continuare il percorso sanitario intrapreso in Italia da 130 bambini che hanno avviato il trattamento presso cinque centri coinvolti (NeMo di Milano, Roma e Messina; Gaslini di Genova e Bambino Gesù di Roma) grazie alle donazioni e alla distribuzione gratuita in via compassionevole con l'Extended Access Program.

«I dati ufficiali sono ancora in fase di elaborazione – sottolinea il presidente dell'associazione Famiglie SMA **Daniela Lauro** - ma tutti i medici coinvolti hanno riscontrato visibili miglioramenti nel quadro clinico dei bambini in cura. È necessario intervenire precocemente: nella fascia 0-6 mesi la malattia viene infatti inibita, i piccoli hanno una ripresa della vocalizzazione e deglutizione, e conservano la forza muscolare. Cosa impensabile fino a qualche mese fa». Oggi non si tratta più di sperimentazione, ma di un Open Access: le richieste per ricevere il nuovo farmaco sono in progressivo aumento e occorrono figure professionali nell'ambito delle malattie neuromuscolari (*la somministrazione avviene tramite una puntura spinale, con la necessità di un ricovero in day hospital di almeno 24 ore*) e almeno un centro specializzato per ogni regione che possa somministrare in sicurezza il farmaco.

Per questo l'attore **Checco Zalone**, dopo i risultati dello spot televisivo dello scorso anno con il giovane Mirko Toller – *oltre 250mila euro di raccolta che hanno consentito di avviare le prime cure* - ha deciso di affiancare ancora una volta i genitori in questa nuova importante sfida: **raddoppiare le donazioni, salvare la vita e restituire il sorriso a 500 bambini colpiti da SMA.** «Grazie a Zalone – continua Lauro - oggi in molti sanno che questa patologia esiste e che insieme è possibile sconfiggerla. Quest'anno l'obiettivo è quello di raddoppiare la raccolta, per poter accogliere nuovi malati e proseguire con il programma di cure. Questo progetto è importante non solo per i nostri bambini, ma per tutto il Paese: è un messaggio che apre un dibattito, una riflessione sulle malattie genetiche rare e sui percorsi innovativi di guarigione che coinvolgono centinaia di famiglie».

CHE COSA È LA SMA

SMA è l'acronimo di atrofia muscolare spinale, una malattia delle cellule nervose del midollo spinale quelle da cui partono i segnali diretti ai muscoli. Colpisce i muscoli volontari usati per attività quotidiane quali andare carponi, camminare, controllare il collo e la testa, deglutire. Fino ad oggi la SMA è stata la prima malattia genetica per mortalità in età infantile, ma ora la cura è vicina. Famiglie SMA collabora con alcuni dei più prestigiosi centri clinici e di ricerca del nostro Paese, quali l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma, l'Università Cattolica, il Policlinico Gemelli di Roma e l'Ospedale Pediatrico Gaslini di Genova, sostenendo la realizzazione di un sistema di rete sul territorio per uniformare gli standard di cura.

SPINRAZA, IL FARMACO SALVAVITA

Il farmaco studiato appositamente per la SMA si chiama Spinraza: nell'ultimo anno, da novembre 2016 a luglio 2017, il trattamento è stato somministrato con iniezione a 130 bambini in Italia affetti da SMA1, la forma più grave di atrofia muscolare spinale, fino ad oggi tra le principali cause genetiche di mortalità infantile. Il farmaco è stato distribuito gratuitamente attraverso l'Extended Access Program come terapia compassionevole. I centri clinici dove i bambini hanno ricevuto lo Spinraza sono: i centri NeMO di Milano, Roma e Messina, specializzati nelle malattie neuromuscolari, l'ospedale Gaslini di Genova e il Bambino Gesù di Roma. Il farmaco a breve dovrebbe essere autorizzato dall'AIFA – Agenzia Italiana per il Farmaco.