

Spinraza non è più da solo

ACURADI **Barbara Pianca**

Continua a evolvere lo scenario attorno alla SMA e, con la fine del 2020, ci troviamo di fronte a un altro importante "turning point", carico di aspettative.

Tramite il progetto di screening neonatale attivo in Lazio e Toscana, finanziato fino a settembre 2021, sono stati analizzati oltre 50 mila bambini, 11 dei quali sono risultati positivi. Nel frattempo, l'obiettivo di ottenerne l'estensione a tutta la penisola si fa sempre più concreto e il 30 novembre si è insediato il Gruppo di Lavoro Screening Neonatale Esteso (SNE), che opera in seno al Ministero della Salute, sotto la Direzione generale della prevenzione sanitaria, e che ha sei mesi di tempo per individuare le patologie da inserire nel panel e un anno per definire i protocolli e renderli operativi.

Ed ecco la notizia che ci ha fatto parlare di "turning point": tramite il progetto di screening neonatale i prossimi neonati con diagnosi di SMA avranno la possibilità di accedere tempestivamente a ben tre terapie disponibili. Infatti, sono da poco arrivate in Italia altre due proposte terapeutiche per la SMA che da oggi si affiancano a Spinraza: Risdiplam e Zolgensma. In attesa della loro distribuzione commerciale, ne è stato autorizzato l'accesso anticipato. ■

In questa tabella riassumiamo le informazioni più importanti e aggiornate.

	RISDIPLAM	ZOLGENSMA
Casa farmaceutica	Roche	Novartis Gene Therapies
Cos'è	Farmaco sperimentale in fase di studio in un ampio gruppo di pazienti con SMA 1, 2 e 3, dalla nascita ai 60 anni	L'unica terapia genica per la SMA
Somministrazione	Si somministra quotidianamente per via orale	Si somministra una sola volta nella vita del paziente per via endovenosa

	RISDIPLAM	ZOLGENSMA
Come funziona	Sostituisce la funzione del gene mancante attraverso la modifica dello splicing del gene SMN2, aumentando la presenza della proteina SMN all'interno dell'organismo	Agisce sostituendo la funzione del gene mancante o non funzionante
Inizio dell'accesso anticipato	A partire da gennaio 2020, il farmaco è a disposizione per i pazienti con SMA 1 e 2 privi di alternative terapeutiche, grazie all'attivazione del programma globale di uso compassionevole (CUP)	Il 18 novembre Aifa ha approvato l'inserimento di Zolgensma nell'elenco dei medicinali erogabili a totale carico del Servizio Sanitario Nazionale ai sensi della Legge n. 648/96
A chi si rivolge oggi	In attesa di rimborsabilità italiana, è attivo un programma di uso compassionevole per rendere disponibile il farmaco per le persone con SMA 1 e SMA 2 che non hanno alternative terapeutiche	Per il trattamento entro i primi sei mesi di vita di pazienti con diagnosi genetica (mutazione biallelica nel gene SMN1 e fino a 2 copie del gene SMN2) o diagnosi clinica di atrofia muscolare spinale di tipo 1
Come si accede	Occorre rivolgersi al medico competente o al proprio centro specializzato nella cura della SMA	Occorre rivolgersi al medico competente o al centro specializzato nella cura della SMA
Numero di persone che hanno ricevuto il farmaco in Italia	A oggi più di 200 pazienti sono trattati con Risdiplam	Con questa legge non è ancora stato trattato nessuno. 23 bambini sono stati trattati in Italia nei sei centri italiani coinvolti negli studi clinici di fase 3
Numero di centri clinici che lo somministrano	Tutti i centri di riferimento per la patologia ove vi sia un medico esperto in SMA	Tutti i centri SMA identificati dalle Regioni come centri prescrittori. Rivolgersi a Famiglie SMA
Cosa manca per ottenere l'approvazione alla distribuzione commerciale	Il farmaco è attualmente in fase di valutazione da parte di Ema; la finalizzazione dell'iter di rimborsabilità in Italia è stimato entro il 2021	L'iter di approvazione per finalizzare la pratica di rimborso è alle fasi finali. Si stima un'approvazione tra la fine di quest'anno e il primo trimestre del prossimo anno.