Aggiornamento sulla sicurezza di Zolgensma® – novembre 2026

Il Comitato Scientifico di FamiglieSMA

Il Comitato Scientifico di FamiglieSMA desidera condividere un aggiornamento sulle nuove informazioni di sicurezza recentemente comunicate da Novartis, l'azienda produttrice di Zolgensma® (onasemnogene abeparvovec), la terapia genica utilizzata per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA).

Novartis ha informato gli operatori sanitari di 9 segnalazioni a livello mondiale di tumori diagnosticati in bambini che avevano precedentemente ricevuto Zolgensma®. Le informazioni attualmente disponibili su questi bambini sono ancora limitate.

Finora, sono stati completati gli esami istopatologici sui tumori di 3 dei 9 bambini. Questi esami hanno dimostrato che 2 tumori sono specificamente correlati al trattamento con Zolgensma®, mentre 1 sembra non esserlo. Sono attese ulteriori informazioni da parte delle autorità regolatorie.

Comprendiamo che questa notizia possa suscitare preoccupazione nelle famiglie e riteniamo importante condividerla con trasparenza, contribuendo a una corretta informazione della comunità SMA.

È fondamentale contestualizzare i dati attualmente disponibili: oltre 6.000 bambini nel mondo hanno ricevuto Zolgensma® e il numero di casi segnalati e confermati è, al momento, limitato. Le informazioni disponibili sono tuttavia ancora in fase di approfondimento e richiedono un'attenta valutazione.

Sulla base delle informazioni attualmente disponibili, non sono raccomandate modifiche alla routine di cura o al follow-up dei bambini che hanno ricevuto Zolgensma®. Al momento, non sono indicati ulteriori esami, test o monitoraggi rispetto a quelli già previsti.

Il Comitato Scientifico di FamiglieSMA continuerà a seguire con attenzione l'evoluzione della situazione e gli aggiornamenti che saranno resi disponibili dall'azienda e dalle autorità regolatorie, con l'obiettivo di garantire alle famiglie informazioni corrette, chiare e tempestive.

La sicurezza delle persone con SMA e il diritto delle famiglie a essere informate rappresentano una priorità. Condivideremo ulteriori aggiornamenti non appena saranno disponibili nuove informazioni rilevanti.

Per eventuali domande o dubbi riguardanti il proprio bambino, invitiamo le famiglie a rivolgersi all'équipe neuromuscolare di riferimento, che potrà fornire indicazioni appropriate sulla base della situazione clinica individuale.

Il Comitato Scientifico di FamiglieSMA