



Sma, disponibile in Italia nuova formulazione risdiplam in compresse

Descrizione

(Adnkronos) È un prima e un dopo nella storia dell'atrofia muscolare spinale (Sma). Fino a pochi anni fa, soprattutto nelle forme più severe, una diagnosi significava confrontarsi con una patologia progressiva e con prospettive di vita di pochi anni. Oggi lo scenario è profondamente diverso: le persone nate con la Sma possono diventare adulte, studiare, lavorare, costruire relazioni e immaginare il proprio futuro. E mentre evolve l'innovazione terapeutica, cambiano anche le prospettive di vita, grazie a una gestione della patologia sempre più compatibile con la quotidianità. In questo percorso informa una nota si inserisce oggi la nuova formulazione di risdiplam in compresse, ora disponibile per i pazienti italiani, che si affianca alla soluzione orale in sciroppo e rappresenta un'ulteriore evoluzione nella modalità di assunzione della terapia.

A rendere possibile questa trasformazione è stato un percorso costruito nel tempo. Il progresso della ricerca e l'arrivo di terapie in grado di modificare il decorso della malattia si sono accompagnati a una crescente capacità di fare rete tra comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e azienda. È cambiata la conoscenza della Sma, sono cambiate le possibilità terapeutiche e la capacità di diagnosticarla precocemente; soprattutto, è cambiato il modo di gestire la patologia e di guardare alla persona che ci convive: non più soltanto un paziente da trattare, ma una persona da accompagnare lungo un percorso di vita oggi più lungo, articolato e ricco di prospettive. È questa la nuova realtà emersa durante il "Brunch & Science: parliamo di Atrofia muscolare spinale". L'evoluzione del trattamento della Sma: quando l'innovazione apre la strada verso l'indipendenza, promosso da Roche Italia. Un confronto tra comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e azienda per raccontare non soltanto quanto sia cambiata la gestione della malattia, ma soprattutto quanto sia cambiata la vita di chi convive ogni giorno con la Sma.

La Sma che vediamo oggi è profondamente diversa da quella che conoscevamo in passato spiega Valeria Sansone, professore di Neurologia dell'Università degli Studi di Milano e direttore clinico-scientifico, Centro clinico Nemo Milano. L'innovazione terapeutica ci ha permesso di modificare la traiettoria della malattia e oggi seguiamo persone lungo fasi della vita che prima, soprattutto nelle forme più severe, difficilmente riuscivamo a osservare. Questo ci pone davanti a una sfida nuova: non dobbiamo più guardare soltanto alla malattia, ma alla persona nel suo intero percorso

di vita?». In questo nuovo scenario assume un valore centrale anche il concetto di stabilità : preservare nel tempo quanto raggiunto e poter contare sulla continuità del percorso terapeutico significa creare le condizioni per una quotidianità più programmabile, nella quale la malattia possa progressivamente lasciare maggiore spazio ai progetti di vita.

«Nell'atrofia muscolare spinale, patologia cronica e progressiva» sottolinea Lorenzo Maggi, direttore Neurologia 4 e Neuroimmunologia e malattie neuromuscolari della Fondazione Irccs Istituto neurologico Carlo Besta, Milano «garantire la continuità del trattamento e il mantenimento dell'efficacia nel tempo» fondamentale per preservare le capacità motorie e l'autonomia dei pazienti. La disponibilità di risdiplam in compresse, a parità di efficacia e sicurezza rispetto alla soluzione orale, rappresenta un'ulteriore opportunità, soprattutto per gli adulti, semplificando la gestione quotidiana della terapia. La nuova formulazione offre vantaggi anche organizzativi per le strutture ospedaliere e amplia le possibilità di scelta in base alle esigenze individuali, nella prospettiva di una medicina sempre più personalizzata e centrata sul paziente?».

Il cambiamento diventa realmente comprensibile quando viene raccontato da chi vive ogni giorno con la Sma. «I progressi della ricerca, insieme alla possibilità di riconoscere precocemente la Sma grazie allo screening neonatale, hanno cambiato profondamente la prospettiva delle famiglie, permettendo di guardare al futuro con maggiore fiducia», commenta Anita Pallara, presidente di Famiglie Sma. Aggiunge Stefania Pedroni, presidente nazionale Uildm: «Per le persone adulte, poter contare su modalità di assunzione sempre più semplici ed efficaci significa guadagnare autonomia nella vita di ogni giorno e sentirsi più liberi di costruire i propri progetti». Come evidenzia Valentina Baldini, presidente di Asamsi, «questo è il valore più concreto della ricerca: trasformare i bisogni delle persone in nuove possibilità. Per continuare a farlo è fondamentale lavorare insieme con un obiettivo comune: migliorare sempre di più la qualità di vita?».

La trasformazione della Sma, tuttavia, non passa soltanto dall'innovazione scientifica. Diagnosi precoce, screening, presa in carico, accesso alle terapie, riconoscimento dei bisogni e inclusione richiedono un modello capace di mettere in relazione competenze e responsabilità diverse. Negli anni, comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e aziende hanno contribuito, ciascuna nel proprio ruolo, a costruire una nuova cultura della Sma: portando i bisogni delle persone dentro il percorso di ricerca e cura, favorendo una diagnosi sempre più precoce e lavorando perché l'innovazione possa tradursi in opportunità concrete.

«L'estensione dello Screening neonatale esteso alla Sma in tutta Italia è un esempio virtuoso di come la sinergia tra associazioni, mondo scientifico e istituzioni possa fare la differenza» commenta Lisa Noja, consigliera regionale della Lombardia, coordinatrice dell'Intergruppo «Malattie rare, malattie neurodegenerative e neuroscienze» «oggi, avere una diagnosi tempestiva significa permettere ai nuovi farmaci e alle scoperte mediche più avanzate di esprimere la loro massima efficacia. L'incessante evoluzione della ricerca farmaceutica ci offre oggi strumenti terapeutici straordinari che fino a pochi anni fa erano impensabili. Continuare a lavorare insieme è l'unico modo per far sì che ogni innovazione della scienza si traduca tempestivamente in un diritto alla cura equo, omogeneo e accessibile a tutti?».

La nuova questione Ã¨ fare in modo che i progressi raggiunti siano accessibili in maniera omogenea su tutto il territorio italiano. L'evoluzione del trattamento della Sma va nella direzione di una cura sempre piÃ¹ integrata nella vita delle persone Ã¨ osserva Katia Patanella, medico neurologo del Centro clinico Nemo Armida Barelli, Roma. Semplificare la modalitÃ di assunzione significa ridurre il carico che la terapia puÃ² comportare nella quotidianitÃ e, al tempo stesso, favorire una maggiore continuitÃ e aderenza al trattamento. Per una persona adulta con Sma poter gestire la propria terapia in modo piÃ¹ semplice e autonomo non Ã¨ un dettaglio: significa avere una cura che si adatta maggiormente alla propria vita, e non una vita che deve continuamente adattarsi alla cura. La nuova formulazione diventa cosÃ¬ un altro tassello di un cambiamento piÃ¹ ampio: dall'innovazione che ha contribuito a modificare la storia della malattia a un'innovazione che continua a evolvere insieme alle persone, cercando di ridurre progressivamente anche il peso della gestione terapeutica sulla quotidianitÃ. PerchÃ© oggi, nella Sma, poter contare sulla stabilitÃ e sulla continuitÃ del percorso significa anche avere maggiore spazio per progettare il futuro.

Sono orgogliosa del contributo che Roche ha dato e continua a dare, attraverso la ricerca, all'evoluzione delle possibilitÃ di trattamento per le persone con Sma Ã¨ conclude Anna Maria Porrini, direttore medico di Roche Italia. Il percorso compiuto in questi anni dimostra quanto la ricerca e l'innovazione, quando si accompagnano all'ascolto dei bisogni delle persone e alla collaborazione tra comunitÃ scientifica, associazioni dei pazienti e istituzioni, possano cambiare significativamente la storia di una malattia e la prospettiva di vita di chi la affronta. Ã¨ un modello che deve guidarci anche in altre patologie neurologiche in cui sono ancora presenti bisogni importanti. Il nostro impegno Ã¨ continuare a fare ricerca e lavorare insieme affinchÃ© i progressi della scienza possano tradursi in nuove possibilitÃ di trattamento e in una migliore qualitÃ di vita per sempre piÃ¹ persone.

Ã¨

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 13, 2026

Autore

redazione