

INTERVISTA A DANIELA LAURO, PRESIDENTE FAMIGLIE SMA*

Il punto La casa farmaceutica Biogen alla fine del 2016, dati i risultati positivi raccolti dalla sperimentazione del farmaco Nusinersen, si è resa disponibile alla sua distribuzione a titolo gratuito per i bambini con diagnosi di SMA di tipo 1, la forma più grave di atrofia muscolare spinale. In Italia ciò è stato possibile grazie alla normativa sulla distribuzione dei farmaci ad uso compassionevole. Nel frattempo negli Stati Uniti è stata approvata la commercializzazione di Nusinersen con il nome di Spinraza. Si attende ora la stessa approvazione per l'Europa.

Il primo farmaco che migliora il quadro clinico dei bambini con SMA viene distribuito in Italia in via compassionevole dallo scorso novembre. Cos'ha comportato l'accesso alla via compassionevole per la vostra associazione?

«Un sogno che si realizza. La nostra associazione è nata all'inizio di questo millennio da un gruppo di genitori con l'intento di sostenere da vicino la ricerca scientifica. Oggi finalmente è giunto il momento di raccogliere i primi frutti, perché tutto ciò che desideriamo è la miglior qualità possibile della vita per i nostri bambini. Questo è il primo farmaco per l'atrofia muscolare spinale. Dallo scorso novembre viene distribuito in via compassionevole a tutti coloro che sono affetti dalla forma più grave della patologia, quella di tipo 1. Vi accedono anche neonati che hanno appena ricevuto la diagnosi, e questo significa aprire per loro un destino del tutto diverso da quello prospettato solo alcuni mesi prima e che, in alcuni casi, purtroppo si concludeva con la morte. La via compassionevole permette l'accesso al farmaco prima dell'approvazione per la sua commercializzazione, e questo per noi significa aiutare oggi bambini che domani avremmo potuto perdere. Inoltre, la gratuità della distribuzione permette l'accesso a tutti, mentre è ignoto il futuro della commercializzazione, nella speranza che il sistema sanitario nazionale si assuma i gravosi costi della molecola».

Qual è il coinvolgimento dell'associazione Famiglie SMA nella distribuzione del farmaco per via compassionevole?

«Abbiamo con prontezza preso in mano tutti gli aspetti di coordinamento logistico. Abbiamo collaborato con le altre associazioni interessate e abbiamo costituito il Comitato EAP (Extended Access Program) con al suo interno gli esperti dell'ambito scientifico e i rappresentanti delle famiglie. Il responsabile europeo dell'EAP (Extend Open Access) dello studio Nusinersen-Spinraza della Biogen per i bambini con SMA 1 si è congratulato con noi e con tutti i clinici «(...) per l'ottima gestione dell'EAP. Attualmente siamo la prima nazione europea per numero di pazienti trattati, secondi nel mondo solo agli USA. Un risultato straordinario per molte famiglie che da anni attendevano una terapia, reso possibile grazie al vostro grande spirito di collaborazione (...)». Questa frase disegna il grande lavoro del Comitato EAP, che Famiglie SMA ha coordinato di concerto con altre associazioni, perché l'accesso a un farmaco è patrimonio di una intera comunità. Unici a livello mondiale, abbiamo organizzato le liste d'attesa per i cinque centri clinici coinvolti in base a criteri condivisi, fornito ove necessario un supporto economico alle famiglie e, infine, supportato dal punto di vista burocratico-amministrativo i centri, i cui medici sono stati infaticabili e disponibili a comprendere le ansie di chi, da tanto, aspettava questo giorno. Entro il primo semestre del 2017 l'elenco di chi ha aderito alla somministrazione del farmaco verrà esaurito, nonostante rimanga aperta la possibilità in ogni momento di presentare la richiesta. Già molte nuove diagnosi sono state accolte con massima priorità e i dati clinici dei prossimi mesi ci diranno se le nostre aspettative sono state ben riposte».

*A cura dell'Ufficio Stampa di Famiglie SMA