

## Europa. Parere favorevole al primo farmaco contro la Sla

Enrico Negrotti venerdì 23 febbraio 2024



*Il tofersen si è dimostrato efficace nel contrastare la malattia nei pazienti con la mutazione del gene Sod1. Massimelli (Aisla): si apre un nuovo capitolo, ma bisogna incentivare i test genetici*



undefined - Ansa

Per una piccola fetta di malati di sclerosi laterale amiotrofica (Sla) si apre la prospettiva di una cura. L'Agenzia europea dei medicinali (Ema) ha infatti dato **parere favorevole al primo farmaco, il tofersen, che si è dimostrato efficace nel contrastare la progressione della patologia nei pazienti in cui la malattia è causata dalla mutazione del gene Sod1**. Ora però, sottolinea la presidente dell'Associazione italiana Sla (Aisla), Fulvia Massimelli, occorre dare nuovo impulso ai test genetici.

Il tofersen, prodotto dalla azienda farmaceutica Biogen, era già stato approvato nello scorso mese di aprile negli Stati Uniti dalla Food and Drug Administration. Ora è giunto il parere favorevole del Comitato per i medicinali a uso umano (Chmp) dell'Ema: **dopo il via libera definitivo della stessa Ema e poi dell'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), sarà disponibile per tutti i pazienti interessati. Si tratta di circa 120-150 persone in Italia, perché la mutazione del gene Sod1 riguarda il 2-3% di tutti i malati di Sla.**

«Questo segna un nuovo capitolo nella storia della Sla – osserva Massimelli – tuttavia non è sufficiente». Infatti diventa cruciale l'accesso ai test genetici: **«Rivolgo il nostro appello – ha proseguito Massimelli – alle Istituzioni e autorità sanitarie e regolatorie perché si adoperino al fine di promuovere una collaborazione più stretta tra i laboratori di genetica e i centri specializzati in modo da ridurre i tempi di attesa per i test genetici».**

Infatti, aggiunge Mario Sabatelli (direttore clinico dell'area adulti del Centro Nemo di Roma e presidente della Commissione medico-scientifica di Aisla) «è importante considerare che **gli studi scientifici dimostrano che l'efficacia di tofersen nel trattamento delle persone con la mutazione Sod1 è maggiore se somministrato tempestivamente».**

Finora, grazie all'uso compassionevole concesso dalla azienda produttrice, promosso da Aisla, da due anni alcuni pazienti italiani hanno avuto accesso a questo farmaco, circa 50-60 persone. Ma ora, sottolinea Massimelli, «è fondamentale che ogni paziente abbia la possibilità di conoscere la propria mutazione genetica e poter accedere tempestivamente al trattamento».

Aisla ricorda che **il test genetico rientra tra le competenze del Servizio sanitario ed è gratuito per i malati**, ma ci sono disuguaglianze sul territorio: dai 4 ai 10 mesi per la diagnosi, 1-3 mesi per il test genetico, altri due mesi per ottenere il farmaco. Per questo Aisla ha avviato un'indagine per valutare l'accessibilità dei test genetici, e invita tutti coloro che hanno ricevuto una diagnosi di Sla a sollecitare l'esecuzione del test genetico al proprio centro di riferimento.

© RIPRODUZIONE RISERVATA

[ISCRIVITI ALLE NEWSLETTER DI AVVENIRE](#)