

## L'ANNUNCIO

### Speranza per la Sla: positivi i primi test su un farmaco

Arriva una speranza di cura per i pazienti con la Sla. Ieri al congresso annuale dell'European Networkto Cure Als sono stati annunciati i dati a 12 mesi di uno studio che mostrano un «beneficioclinicamente significativo» per un trattamento precoce con tofersen in grado di rallentare il declino della capacità respiratoria vitale lenta sia della capacità muscolare.

«L'informazione che abbiamo ricevuto da Biogen pochi minuti fa su questi nuovi incredibili risultati dello studio è una notizia che ci entusiasma - ha detto Fulvia Massimelli, presidente nazionale di Aisla - . Il professor Mario Sabatelli ha fortemente creduto e combattuto per accelerare le risposte di questa molecola che, seppur in fase sperimentale, dimostrava già chiaramente importanti risposte per il trattamento delle persone colpite da Sla con mutazione del gene Sod1». I dati preliminari mostrano che il trattamento precoce con il tofersen dell'americana Biogen non solo rallenta il declino sia della capacità respiratoria vitale lenta sia di quella muscolare: sono state infatti osservate riduzioni della proteina Sod1 totale e del neurofilamento, vale a dire di uno dei marcatori associati alla neurodegenerazione. La maggioranza dei partecipanti, inoltre, è sopravvissuta senza ventilazione permanente, e questo lascia pensare che il farmaco agisca positivamente sia sulla sopravvivenza che sulla capacità di prevenire eventi avversi.

«Aisla ringrazia tutti i pazienti e le famiglie che hanno accettato di partecipare allo studio - ha proseguito il presidente - . La fase determinante, tuttavia, è stata senz'altro l'apertura della somministrazione a tutti i pazienti Sod1. Non possiamo che essere profondamente grati verso tutti i medici che li hanno seguiti, primi fra tutti i Centri Clinici NeMO». Per Aisla si tratta di un cambiamento di prospettiva terapeutica che segna per la prima volta, dopo 150 anni, l'inizio di una prima nuova pagina della malattia. L'appello, ora, è che tutti i pazienti Sla Sod1 in Italia possano accedere tempestivamente al farmaco: l'associazione, a questo proposito, ricorda che il Centro di Ascolto Aisla (<https://www.aisla.it/il-centro-di-ascolto/>) è a completa disposizione per agevolare ogni paziente con le caratteristiche adeguate per accedere al farmaco. «È bene ricordare che la mutazione su cui agisce è una forma genetica rara della malattia che riguarda circa il 2-3% delle persone con Sla, cioè circa 120-150 persone in Italia. Ad oggi ci risultano trattate poco più di 50 persone». RIPRODUZIONE RISERVATA. La terapia efficace nei pazienti con mutazione Sod1 Aisla: una svolta, sia disponibile per tutti.

