

## Comunicato stampa

### IL PRIMO FARMACO PER VIA ORALE PER LA SMA IL CONTRIBUTO ALLA RICERCA DELL'ISTITUTO BESTA

“FDA ha di recente approvato l'uso di risdiplam per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (SMA), in tutte le forme cliniche della patologia sopra i due mesi di età,” **dice il dott. Riccardo Masson, ricercatore della Unità di Neurologia dello sviluppo della Fondazione IRCCS Istituto Neurologico "Carlo Besta",**” si tratta del primo farmaco per la SMA che può essere assunto per via orale a domicilio del paziente. Rappresenta pertanto una conquista davvero importante per i nostri pazienti e la loro qualità della vita. Aumenta la produzione di proteina SMN. Il nostro Istituto ha svolto un ruolo determinante in questo successo, di cui potrà beneficiare l'intera comunità dei pazienti con SMA”. L'unità di Neurologia dello Sviluppo è il centro che a livello internazionale ha reclutato il maggior numero di pazienti nell'ambito dello studio multicentrico Firefish (SMA 1), e tra i principali centri dello studio Sunfish (SMA 2 e 3). Questo è stato possibile grazie all'impegno di tutta l'equipe e di tutti coloro che in Istituto hanno lavorato e lavorano a questo progetto, che ha finalmente dato i primi importanti frutti. “E' per noi motivo di grande soddisfazione”, **sottolinea il dott. Riccardo Masson, dell'Unità Operativa Neurologia dello Sviluppo diretta dalla dr.ssa Chiara Pantaleoni, della Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta**” non solo poter apprezzare i risultati di una nuova ed efficace terapia sui nostri piccoli pazienti, ma anche la consapevolezza che l'approvazione del farmaco renderà disponibile questo prodotto a molte altre famiglie e bambini nel mondo. L'Unità si occupa di ricerca e cura; l'approccio riabilitativo è stato recentemente integrato anche dall'utilizzo di una telemedicina personalizzata e dalla produzione di un opuscolo sulle attività domiciliari ad hoc per i genitori”.

La SMA - atrofia muscolare spinale è una malattia caratterizzata da degenerazione dei motoneuroni delle corna anteriori del midollo spinale cui consegue atrofia e debolezza dei muscoli del tronco e degli arti. E' possibile dividere la SMA in tre tipi clinici. La diagnosi è soprattutto clinica e deve essere confermata dall'indagine genetica. La SMA ha un'incidenza di circa 1 paziente su diecimila nati.

**Ufficio stampa Fondazione I.R.C.C.S. Istituto Neurologico Carlo Besta  
tel 0039-3389282504 email: [cinzia.boschiero@istituto-besta.it](mailto:cinzia.boschiero@istituto-besta.it)**