



COMUNICATO STAMPA

“ATROFIA MUSCOLARE SPINALE: STATO DELL'ARTE E NUOVI OBIETTIVI IL CASO DEL TRIVENETO”

Padova, 16 Novembre 2018 – Nel corso dell'evento, organizzato da **Motore Sanità**, si è parlato della gestione della SMA a livello nazionale e regionale con particolare caso del triveneto, coinvolgendo le figure istituzionali e i clinici dei centri esperti nella patologia accreditati rispetto ai servizi erogati e al percorso di presa in carico della persona affetta da SMA. Si è discusso di Governance della SMA, facendo nascere un dibattito tra le figure che operano nell'ambito del SSN e SSR. Ha aperto la giornata, portando saluti della Regione Veneto, **Manuela Lanzarin**, Assessore ai Servizi Sociali, Attuazione Programma, Rapporti con il Consiglio Regionale. “È necessario un approccio di tipo multidisciplinare quando si parla di malattie rare; oggi, si sono fatti dei passi molto importanti e si stanno dando delle risposte sia per quello che riguarda la ricerca sia senza dimenticare tutta l'altra parte di vita reale, soprattutto il contesto familiare” – ha dichiarato l'Assessore.

A seguire è intervenuto **Luciano Flor**, Direttore Generale Azienda Ospedaliera Universitaria Padova, sul tema dell'atrofia muscolare spinale e più in generale delle patologie a bassa frequenza, dove l'Azienda Ospedaliera risulta presente e impegnata. “Per quanto riguarda il discorso Triveneto, bisogna stare attenti perché dobbiamo concordare cosa sappiamo fare e dobbiamo saperlo comunicare e dire, allineando le conoscenze, il modo di comportarci e di dare le informazioni a chi si rivolge a noi, facendo così sistema, che a livello Triveneto ha una storia prestigiosa sul tema delle malattie rare, per cui tanti pazienti oggi hanno uno standard di assistenza che è uniforme a livello Triveneto”.

Ha concluso la prima sessione di lavoro, dedicata al livello istituzionale, **Maria Chiara Corti**, Responsabile Servizio Epidemiologico Regionale Azienda Zero Regione del Veneto, in rappresentanza della Regione del Veneto, dell'Area Sanità e Sociale e dell'Azienda Zero, ha sottolineato l'importanza di essere riusciti a cambiare il modo e soprattutto il tempo con cui vengono curate le malattie. “Abbiamo cominciato a curare l'incidenza; nel momento in cui la malattia si manifesta nella sua fase clinica, nella sua fase più catastrofica, riusciamo effettivamente

ad intervenire, non modificando l'istologia però modificando l'impatto funzionale che queste malattie hanno. Nell'ambito in cui lavoro, riuscire a lavorare sull'incidenza e non sulla prevalenza è sicuramente una grande conquista per noi. Ci troviamo a celebrare anche il fatto che stiamo mettendo a disposizione dei pazienti i risultati di ricerche che vadano in inglese e che vedono altri paesi e altre culture di successo e che hanno avuto successo nel mettere a punto questi farmaci. Maria Chiara Corti ha poi concluso, dichiarando: "La Regione deve investire in ricerca, nel mandare all'estero i nostri professionisti e soprattutto farli tornare indietro perché noi curiamo con mezzi che sono stati messi a disposizione dalla ricerca ma dobbiamo essere di più all'avanguardia, dobbiamo cercare anche noi di contribuire alla scoperta di nuovi orizzonti. Dobbiamo anche aumentare la trasversalità, in modo tale che i medici ospedalieri escano e vedano il territorio, vedano le case di questi bambini, vedano cosa succede nelle case di queste famiglie e vedano il paziente all'interno degli ambulatori degli ospedali".

Paola Facchin, del Coordinamento Malattie Rare Regione del Veneto, ha dichiarato: "Il punto fondamentale, dal punto di vista della programmazione per creare un sistema che copra un'ampia area per le malattie rare, è quello di creare contemporaneamente due elementi: l'elemento della rete di centri di riferimento e di eccellenza, massima competenza clinica e di ricerca, collegata con l'elemento della rete ospedaliera e reti multidimensionali territoriali per la presa in carico della persona, dove la famiglia vive; a questi due bisogna aggiungere un terzo elemento che è quello del "centro", dedicato a gruppi di patologie, composto da più unità operative, capace di realizzare l'intero percorso diagnostico e di definire il piano globale di presa in carico e collegato alla rete dei servizi prossimi ai luoghi di vita della persona. Questi centri hanno due compiti fondamentali: definire la diagnosi in tutte le sue complessità e la capacità di prendere in carico il paziente. I centri devono avere più anime al loro interno, devono avere competenza ed esperienza, mediamente lontani luoghi di vita della persona. Non tutte le regioni hanno tutti i centri al proprio interno e per questo è nata la volontà di accordi tra amministrazioni per creare delle reti e delle politiche comuni e il primo accordo è stato quello del Triveneto". Paola Facchin tocca poi il tema dell'informazione: "Un unico sistema informativo collega i centri accreditati, gli ospedali, i distretti sanitari, i servizi farmaceutici territoriali e le farmacie ospedaliere, le riabilitazioni e le reti territoriali (cure palliative, domiciliari integrate, ecc)

Irene Bruno, Dirigente Malattie Metaboliche e Rare IRCCS Materno Infantile Burlo Garofolo Trieste. Il suo intervento si è incentrato sul far capire all'uditorio la patofisiologia della SMA, i possibili fenotipi clinici e, per quanto possibile, i fabbisogni assistenziali di pazienti e famiglie. Ha inoltre illustrato le novità terapeutiche attuali e quelle prevedibili nel futuro più prossimo.

Nella tavola rotonda dedicata al **ruolo delle istituzioni nella governance della SMA in Italia**, sono intervenuti:

Caterina Agosto, Referente Centro di Riferimento Regionale Cure Palliative e Terapia del Dolore Pediatriche, Regione del Veneto dichiarando: "La Atrofia Muscolare Spinale e soprattutto la forma più severa SMA di tipo 1 è sempre stata una patologia pediatrica ad alta morbilità ed a rischio di morte precoce, fino al 2016 il trattamento della SMA era basato sulla sola gestione dei sintomi con lo scopo di prevenirne l'evoluzione. Il Centro Regionale Veneto di Terapia del Dolore e Cure Palliative Pediatriche - Hospice Pediatrico si è sempre fatto carico di coordinare la cura di questi bambini, rispondendo ai bisogni fisici, emotivo-psicologici e sociali, nell'ottica della migliore qualità di vita dei bambini e delle loro famiglie. Un decisivo cambiamento nella prospettiva di malattia è stata l'introduzione del primo farmaco approvato anche da AIFA, la Clinica Pediatrica di Padova ne è

centro di somministrazione. Tutti gli esperti concordano nel ritenere l'efficacia del trattamento condizionata alle cure di supporto, nelle quali la rete coordinata dal Centro Veneto di TdD e CPP-Hospice Pediatrico detiene una eccellenza".

Maurizio Corbetta, Direttore Clinica Neurologica Azienda Ospedaliera Universitaria Padova: "La SMA è una malattia che richiede un approccio multidisciplinare integrato che coinvolge non solo il neurologo, ma anche lo pneumologo, fisioterapista, ortopedico, riabilitatore, nutrizionista, e neuroradiologo. E' indispensabile avere un *team* dedicato a questa patologia perché i nuovi trattamenti richiedono infusioni endorachide multiple all'anno, di cui molte sotto guida fluoroscopica, valutazioni comportamentali complesse, e competenze neuromuscolari specifiche. Però la nostra esperienza iniziale è positiva con risultati incoraggianti".

Daniela Lauro, Presidente Associazione Famiglie SMA: "La comunità SMA sta vivendo un periodo emozionante e intenso. Con l'arrivo del primo farmaco commerciale l'obiettivo dell'associazione è stato garantirne l'accesso in più regioni possibili. A questo si sono ormai aggiunti gli esiti positivi di molti studi clinici con altre molecole in corso e l'apertura dell'arruolamento nel trial con terapia genica, eventi che ci fanno premere sulle autorità perché lo screening neonatale esteso, che permetterebbe l'identificazione precoce dei nuovi pazienti, divenga presto una realtà".

Nella tavola rotonda dedicata alla **governance della SMA: focus Triveneto**, sono intervenuti:

Giulio Castelpietra, Direzione Centrale Salute, Politiche Sociali e Disabilità, Area Servizi Assistenza Primaria, Regione Friuli Venezia Giulia: "La Regione Friuli Venezia Giulia, con DGR n. 817/2017, ha deliberato la Rete regionale delle malattie neuromuscolari (MNM) e della Sclerosi Laterale Amiotrofica, con l'obiettivo di assicurare la presa in carico delle persone con MNM in maniera omogenea su tutto il territorio regionale. Il progetto relativo alla definizione e implementazione del percorso per la presa in carico dei pazienti con Atrofia Muscolare Spinale, che dovrebbe portare all'elaborazione di un percorso diagnostico-terapeutico assistenziale (PDTA) nell'anno 2019, si inserisce in questa cornice.

Bruno Giometto, Direttore UO Neurologia Trento: "L'Atrofia Muscolare Spinale (SMA) non è una malattia solo dell'età pediatrica ma anche dell'età adulta e adolescenziale con manifestazioni cliniche spesso proteiformi e complesse. In Trentino la prevalenza epidemiologica è limitata ma vi è un contesto ideale per l'approccio multidisciplinare alle disease-modifying therapies ed il supporto territoriale ai bisogni assistenziali. Verranno presentati i modelli assistenziali attualmente attuati dall'Azienda Provinciale per i Servizi sanitari (APSS)."

Verena Moser, Assistenza Farmaceutica, Ufficio Distretti Sanitari, Provincia Autonoma di Bolzano – Alto Adige: “Il medicinale di cui si tratta è il primo farmaco a essere stato approvato per la terapia dell'atrofia muscolare spinale 5q ed è erogabile a carico del Servizio sanitario nazionale da circa un anno. La disponibilità del farmaco rappresenta per le persone affette da questa malattia genetica rara una vera e propria rivoluzione. È però da considerare che per le Regioni e Province a statuto speciale che sono escluse dal Fondo nazionale dei farmaci innovativi, l'introduzione di questo farmaco significa dover far fronte mediante propri finanziamenti alla relativa spesa che ammonta nel caso della Provincia autonoma di Bolzano a circa 2 – 3 milioni di euro annui. Diventa pertanto indispensabile una programmazione dei trattamenti da erogare che si basa sulla stima puntuale dei pazienti eleggibili secondo i criteri stabiliti da AIFA e sul monitoraggio della terapia”.



L'evento è stato realizzato con il contributo incondizionato di

Per ulteriori informazioni e materiale stampa, visitate il nostro sito internet www.motoresanita.it

Ufficio stampa Motore Sanità

comunicazione@motoresanita.it

Cell. 327 8920962