

Santobono, a bimba di 21 giorni somministrata terapia genica per bloccare l'Atrofia Muscolare Spinale

Di Pierluigi Frattasi

La malattia SMA le era stata diagnosticata grazie alla diagnosi precoce neonatale, uno screening che in Campania si può fare alla nascita da due mesi.

All'ospedale Pediatrico Santobono di Napoli somministrata ad una neonata di appena 21 giorni la terapia genica sostitutiva in grado di bloccare la atrofia muscolare spinale (SMA) prima dell'insorgere della patologia. La malattia le era stata diagnosticata con la diagnosi precoce neonatale che in Campania è possibile fare da due mesi, grazie all'avvio del progetto regionale di screening alla nascita. Ad annunciare l'avvio della somministrazione è stato il Presidente della Regione Campania, Vincenzo De Luca, durante una conferenza stampa questa mattina nella sede di Palazzo Santa Lucia.

Il progetto per la diagnosi precoce della SMA

A beneficiare della terapia salvavita, somministrata presso la divisione di Neurologia pediatrica del Santobono, una bambina di appena 21 giorni, nata presso il centro nascite dell'AOU Federico II. Questo è stato possibile grazie al progetto NEOSMA, protocollo sperimentale ad adesione volontaria da parte delle famiglie, che è coordinato dall'AORN Santobono-Pausilipon in collaborazione con il Ceinge-Biotecnologie avanzate Franco Salvatore di Napoli ed è finanziato dalla Regione Campania e da Novartis Gene Therapies.

"La terapia genica può bloccare l'insorgere della malattia"

Grazie a questo protocollo la Regione Campania offre a tutti i neo genitori la possibilità di aggiungere alle malattie per le quali è già previsto lo screening alla nascita anche la diagnosi precoce della SMA, patologia gravemente invalidante che è una delle principali cause genetiche di morte ed invalidità infantile. La tempestività di intervento terapeutico gioca un ruolo fondamentale sulle aspettative di vita. La somministrazione di terapia genica agisce sulla causa primaria della patologia e ha mostrato risultati estremamente positivi in termini di sopravvivenza e sviluppo motorio, in particolare modo se si interviene nei primi giorni di vita.

[Santobono, a bimba di 21 giorni somministrata terapia genica per bloccare l'Atrofia Muscolare Spinale \(fanpage.it\)](https://www.fanpage.it/2023/05/31/santobono-a-bimba-di-21-giorni-somministrata-terapia-genica-per-bloccare-l-atrofia-muscolare-spinale/)



The screenshot shows a fanpage.it article with the following content:

- Header: fanpage.it
- Navigation: NAPOLI, ATTUALITÀ, POLITICA, CRONACA, TRASPORTI, EVENTI
- Title: Santobono, a bimba di 21 giorni somministrata terapia genica per bloccare l'Atrofia Muscolare Spinale
- Text: La malattia SMA le era stata diagnosticata grazie alla diagnosi precoce neonatale, uno screening che in Campania si può fare alla nascita da due mesi.
- Byline: A cura di Pierluigi Frattasi
- Engagement: 575 condivisioni, COMMENTI (0), CONDIVIDI (A)
- Image: A close-up photo of a newborn baby's hand.
- Text below image: All'ospedale Pediatrico Santobono di Napoli somministrata ad una neonata di appena 21 giorni la terapia genica sostitutiva in grado di bloccare la atrofia muscolare spinale (SMA) prima dell'insorgere della patologia. La malattia le era stata diagnosticata con la diagnosi precoce neonatale che in Campania è possibile fare da due mesi, grazie all'avvio del progetto regionale di screening alla nascita. Ad annunciare l'avvio della somministrazione è stato il Presidente della Regione Campania, Vincenzo De Luca, durante una conferenza stampa questa mattina nella sede di Palazzo Santa Lucia.