

DE LUCA: AL SANTOBONO SOMMINISTRATA TERAPIA GENICA PER LA ATROFIA MUSCOLARE SPINALE A BIMBA DI SOLO 21 GIORNI

31/05/2023 - A distanza di appena due mesi dall'avvio del progetto regionale di screening alla nascita per la diagnosi precoce della Atrofia Muscolare Spinale (SMA) è stata effettuata la prima diagnosi neonatale della malattia e, tempestivamente, è stata somministrata la terapia genica sostitutiva in grado di bloccare l'insorgenza della patologia.

La notizia è stata data questa mattina dal Presidente della Regione Campania, Vincenzo De Luca, durante una conferenza stampa nella sede di Palazzo Santa Lucia.

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.

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.

[DE LUCA: AL SANTOBONO SOMMINISTRATA TERAPIA GENICA PER LA ATROFIA MUSCOLARE SPINALE A BIMBA DI SOLO 21 GIORNI - Primo Piano - Regione Campania](#)

The screenshot shows the top of a news article on the Regione Campania website. The header includes the logo of Regione Campania, navigation buttons for 'CITTADINI' and 'IMPRESA', and social media icons for Facebook, Twitter, YouTube, and Instagram. A search bar is located on the right. The main navigation menu on the left lists various topics: Ambiente, Sanità, Lavoro e Sviluppo, Trasporti, Fondi Europei, Politiche sociali, Turismo e Cultura, Tutte le Tematiche, and La Tua Campania. The article title is 'DE LUCA: AL SANTOBONO SOMMINISTRATA TERAPIA GENICA PER LA ATROFIA MUSCOLARE SPINALE A BIMBA DI SOLO 21 GIORNI'. Below the title is a photo of Vincenzo De Luca and another man sitting at a table. The article text begins with: '31/05/2023 - A distanza di appena due mesi dall'avvio del progetto regionale di screening alla nascita per la diagnosi precoce della Atrofia Muscolare Spinale (SMA) è stata effettuata la prima diagnosi neonatale della malattia e, tempestivamente, è stata somministrata la terapia genica sostitutiva in grado di bloccare l'insorgenza della patologia. La notizia è stata data questa mattina dal Presidente della Regione Campania, Vincenzo De Luca, durante una conferenza stampa nella sede di Palazzo Santa Lucia. 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. 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.'