

# SLA. I Centri NeMO dimostrano l'impatto positivo del Tofersen



Nuovi segnali di speranza emergono dallo studio clinico sulla SLA condotto dai Centri Clinici NeMO. Dopo la recente approvazione di Tofersen da parte di EMA (l'Agenzia Europea per i Medicinali), la conferma concreta sull'efficacia clinica di questo farmaco arriva dal primo studio tutto italiano che ha analizzato il più alto numero di persone con SLA con mutazione SOD-1 nel nostro Paese e per il più lungo periodo di tempo.

“Questo studio sul campo, nella realtà della pratica clinica fornisce dati importanti e convincenti – afferma il prof. Mario Sabatelli, Direttore Clinico del Centro NeMO Roma, presso la Fondazione Policlinico Gemelli e presidente della Commissione medico-scientifica di AISLA – Grazie all'esperienza clinica sulla Sla della rete dei Centri NeMO e alla loro capacità di collaborazione è stato possibile

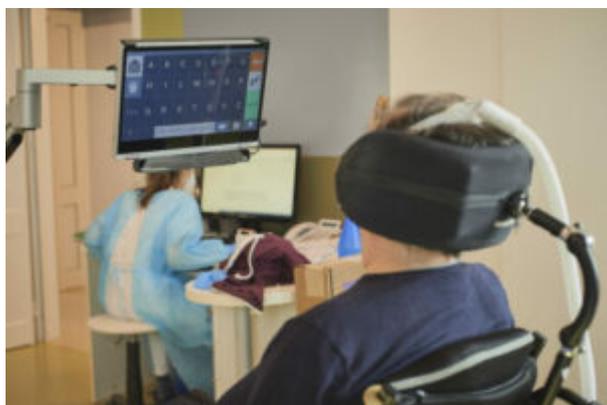


monitorare il gruppo dei pazienti per un periodo di tempo molto lungo, elemento fondamentale per comprendere l'impatto del farmaco in relazione all'evoluzione della malattia”.

Per un periodo di almeno un anno dopo la somministrazione iniziale del Tofersen, i Centri

NeMO di Roma, Milano, Brescia, Trento e Ancona hanno raccolto

e analizzato i dati di 17 pazienti. Questo gruppo di pazienti rappresenta una parte dei 27 che hanno avuto la possibilità di accedere al farmaco a partire dal 2021 attraverso il programma di accesso anticipato. A questo periodo, si sono uniti 12 mesi di monitoraggio clinico antecedenti l'arrivo del farmaco, per un totale di circa 2 anni di valutazione. Proprio la numerosità del campione ed il lungo periodo di osservazione clinica sono da considerarsi estremamente significativi, data la rarità di questa specifica mutazione (2-3% delle persone con Sla in Italia, circa 150 in tutto) e la complessità stessa della malattia nel suo decorso clinico.



“Il valore dei risultati raggiunti è dato dalla possibilità di confrontare i dati clinici dello studio, con i medesimi dati raccolti nella pratica clinica quotidiana nel periodo precedente l'assunzione del farmaco sperimentale –

conferma Federica Cerri, neurologa referente area Sla del Centro NeMO di Milano e anche lei tra gli esperti della commissione medico-scientifica di AISLA, che continua – Questa continuità nella presa in carico della persona, infatti, permette di condurre un'analisi dettagliata della storia di malattia, tracciando chiaramente due traiettorie del suo andamento, ossia prima e dopo il trattamento con Tofersen”.

I risultati dello studio, appena pubblicati su *Journal of Neurology*, la rivista ufficiale della Società Europea di Neurologia, mostrano una stabilizzazione o addirittura un lieve miglioramento clinico per un significativo numero di pazienti coinvolti (il 53% del gruppo di studio). Ciascun paziente è stato monitorato ogni 12 settimane con le scale di valutazione clinica standardizzate (ALSFRS-R, FVC, MRC) per verificare la funzionalità generale, la capacità respiratoria e la forza muscolare negli arti.

Inoltre, la ricerca ha dimostrato che il farmaco ha un effetto positivo sul piano biologico nel processo di degenerazione dei

motoneuroni, come confermato dalla significativa riduzione del dosaggio dei neurofilamenti, proteine indicatrici di tale processo. Nello studio si è osservata una marcata riduzione di questi neurofilamenti nell'82% dei pazienti. Ciò conferma l'impatto positivo sulla malattia di Tofersen in almeno un sottogruppo di pazienti.

Fulvia Massimelli, Presidente nazionale di AISLA esprime grande soddisfazione: "Questo risultato rinnova la nostra speranza nella ricerca, adesso attendiamo la rapida approvazione di AIFA. Voglio esprimere a nome della comunità delle persone con SLA la nostra gratitudine ai Centri NEMO, per tutti noi un riferimento nella cura, nella ricerca e nell'assistenza sulla Sla e le malattie neuromuscolari.

Segni concreti di speranza, dunque, nella ricerca sulla Sla che confermano come la forza dell'esperienza clinica sulla malattia si possa tradurre in modo concreto nella qualità della ricerca scientifica.