

Approvata la terapia genica che ha restituito la vista a due bimbi Al Policlinico Vanvitelli il primo centro per la somministrazione

A un anno dal primo intervento che ha **restituito la vista a due piccoli pazienti ipovedenti** dalla nascita, **arriva la certificazione per il centro del Policlinico dell'Università Vanvitelli per la somministrazione di Luxturna®** (voretigene neparvovec), terapia genica di **Novartis**.

Il via libera di AIFA alla rimborsabilità è una tappa fondamentale di un lungo percorso che ha visto protagonisti **la Clinica Oculistica dell'Università della Campania "Luigi Vanvitelli" e il TIGEM - Istituto Telethon di Genetica e Medicina di Pozzuoli**.

Nei prossimi mesi altri pazienti, provenienti da tutta Italia, potranno quindi essere trattati con questa innovativa terapia genica, così come è avvenuto a dicembre del 2019 per due bambini pugliesi di 8 e 9 anni che, dopo circa 10 giorni dall'iniezione in retina del farmaco, ebbero miglioramenti della loro visione straordinari, al punto che subito recuperarono una piena autonomia nel muoversi, scendere le scale, camminare da soli, correre e giocare a pallone.

*"I risultati evidenti di efficacia della terapia riscontrata a pochi giorni dal trattamento e di durabilità confermati dopo un anno, ci dimostrano che siamo all'inizio di una nuova pagina della medicina e di fronte a un vero e proprio cambio di paradigma di cui siamo orgogliosi di esserne tra i protagonisti – ha dichiarato **Francesca Simonelli, Professore Ordinario Oftalmologia e Direttrice Clinica Oculistica dell'Università della Campania Luigi Vanvitelli** – Quello che mi auguro è che quanto raggiunto in campo clinico, genetico e tecnologico, sia solo il primo di una lunga e futura serie di successi."*

Voretigene neparvovec rappresenta oggi una speranza per quei pazienti e le loro famiglie che altrimenti non avrebbero altre opzioni terapeutiche a disposizione e andrebbero, invece, incontro ad una perdita quasi totale della vista sin dalla tenera età.

*"La sinergia messa in campo tra Università, Tigem e Novartis ha reso possibile risultati che fino a poco tempo fa avremmo considerato irraggiungibili – afferma il **Rettore dell'Ateneo Vanvitelli, Gianfranco Nicoletti** – E oggi gli anni di studi e ricerche si trasformano in un'opportunità concreta per i pazienti affetti da questa malattia genetica di tutto il Paese: curarsi nel nostro Centro e riacquistare la vista, riappropriandosi della propria vita"*.

Il Policlinico dell'Ateneo Vanvitelli di Napoli e la Campania sono quindi al centro di una vera e propria rivoluzione: l'applicazione di una terapia innovativa ed efficace su una malattia rara.

Lo sforzo congiunto del Centro di Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania, della Direzione Generale Tutela della Salute, della UOD Ospedaliera e del Farmaco, insieme al

Centro di Malattie Oculari della Università Vanvitelli – dice il professor Giuseppe Limongelli, direttore del Centro di Coordinamento Malattie Rare della Regione Campania - il porterà alla definizione dei primi percorsi diagnostici terapeutici assistenziali per le distrofie retiniche ereditarie. Questo faciliterà una presa in carico ed un accesso semplificato a trattamenti altamente innovativi per i numerosi pazienti campani e provenienti da altre regioni”.

Il processo di somministrazione della terapia genica è estremamente complesso e coinvolge un'equipe altamente specializzata e adeguatamente formata composta da clinici, medici, chirurghi, farmacisti ospedalieri, infermieri e tecnici che collaborano in sinergia durante l'intervento.

*“Si parte dai bisogni del paziente e tutto ruota intorno a questo concetto. Questa è la forza della Clinica Oculistica dell’Azienda ospedaliera Vanvitelli che ha avuto la capacità di sperimentare tecniche innovative, all’avanguardia, studiate secondo le prove di efficacia scientifica e le esigenze dei pazienti. L’Azienda, che enfatizza la soddisfazione dei bisogni, ha immediatamente attivato le procedure e sostenuto la spesa per erogare tali tecniche, trasformando così la speranza in realtà” - spiega **Antonio Giordano, Direttore generale dell’Azienda ospedaliera universitaria “Luigi Vanvitelli”**.*

Il disco verde di AIFA non celebra solo un successo in ambito terapeutico ma anche di un nuovo modello di sanità che vede una sempre maggiore sinergia tra istituzioni, pubblico e privato, un nuovo sistema, basato sulla co-creazione, virtuoso ed efficiente di cui la sanità campana, con le sue eccellenze, fa già parte.

La patologia: Le distrofie retiniche ereditarie sono malattie geneticamente determinate, che comportano una progressiva degenerazione dei fotorecettori della retina (coni e bastoncelli) con grave riduzione della capacità visiva nel corso degli anni. Le persone nate con mutazioni in entrambe le coppie del gene RPE65 possono andare incontro ad una perdita quasi totale della vista sin dalla tenera età, con la maggior parte dei pazienti che progredisce fino alla cecità totale. Si tratta quindi di una malattia progressiva, con gravissima invalidità anche nelle fasi molto precoci e pertanto di notevole rilevanza sociale sia perché si presenta con frequenza elevata pur essendo malattia rara, sia perché fortemente invalidante sul piano della formazione scolastica e dell’inserimento nel mondo del lavoro.

Luxturna® (Voretigene neparvovec) rappresenta la prima terapia genica approvata sia da FDA che EMA per una forma di distrofia retinica ereditaria, quella causata da mutazioni bialleliche del gene RPE65, che compromette gravemente la vista. Le distrofie ereditarie della retina rappresentano la principale causa di cecità nell’infanzia e nella età lavorativa. Le ricerche dimostrano che nei bambini la compromissione della vista e la cecità spesso causano isolamento sociale, stress emotivo, perdita di indipendenza e rischio di cadute e lesioni. Voretigene neparvovec rappresenta un punto di svolta promettente per i pazienti che potrebbero trarre beneficio dalla terapia genica, considerata l’assenza, fino ad oggi, di una qualsiasi opzione terapeutica. Luxturna è indicato per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici con perdita della vista dovuta a distrofia retinica ereditaria causata da mutazioni bialleliche confermate in RPE65 e che abbiano sufficienti cellule retiniche vitali.

Per ulteriori informazioni:



Fabrizia Ruggiero T: +39 3358799619 E: fabrizia.ruggiero@unicampania.it

Rosa Coppola M: +39 3387448237 E: ufficiostampa@policliniconapoli.it

Annachiara Del Boca M: +39 345 9742071- E: adelboca@webershandwickitalia.it

Valentina Crovetti M: +39 335 6111394- E: vcrovetti@webershandwickitalia.it