

---

## **Salute: al via “OneGene”, programma di supporto per pazienti con Sma trattati con terapia genica. Per ora al Niguarda di Milano e al Gemelli di Roma**

Al via “OneGene”, un programma di supporto al paziente (Psp) promosso da Novartis Gene Therapies, per supportare i bambini che vivono con atrofia muscolare spinale (Sma) trattati con terapia genica e le loro famiglie. Il programma nasce per accompagnare il percorso di cura e le successive fasi di follow-up dopo il trattamento con Zolgensma®, la prima e unica terapia genica per la Sma che si somministra una sola volta nella vita e interviene sulla causa genetica della patologia, attraverso una serie di servizi che potranno essere attivati sulla base delle specifiche esigenze riscontrate da pazienti e famiglie. Considerata la principale causa genetica di morte infantile, la Sma è una rara malattia genetica neuromuscolare causata dalla mancanza di un gene *Smn1* funzionante, con una conseguente perdita rapida e irreversibile di motoneuroni, che compromette le funzionalità muscolari. Il progetto, nato dall’ascolto delle esigenze dei pazienti e in collaborazione con l’associazione Famiglie Sma, risponde ai loro bisogni con numerosi servizi: esecuzione di prelievi di sangue presso il domicilio del paziente, gestione logistica degli spostamenti dal domicilio al centro clinico specializzato (e viceversa), erogazione di visite specialistiche come nutrizionista, consulti fisioterapici. Il progetto partirà dai Centri clinici Nemo di Milano, presso l'Asst Ospedale Niguarda, e Roma, presso il Policlinico Gemelli, a cui si aggiungeranno nei prossimi mesi altri centri specializzati su tutto il territorio nazionale.

Giovanna Pasqualin Traversa