Comunicato stampa

SMA: QUANDO L'INNOVAZIONE APRE NUOVE PROSPETTIVE DI VITA, ROCHE ANNUNCIA LA NUOVA FORMULAZIONE DI RISDIPLAM

- *La nuova formulazione in compresse di Risdiplam, disponibile anche in Italia, rappresenta un'evoluzione terapeutica pensata per integrarsi sempre più nella vita quotidiana e accompagnare i bisogni delle persone con SMA nelle diverse fasi della vita.*
- *Ricerca e innovazione terapeutica, insieme alla collaborazione tra comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti e istituzioni, hanno trasformato profondamente la gestione dell'Atrofia Muscolare Spinale.*
- *Oggi, per molte persone con SMA, l'orizzonte è anche la possibilità di progettare il proprio futuro, tra studio, lavoro, relazioni e crescente autonomia.*

Milano, 13 ottobre 2026 – C'è un prima e un dopo nella storia dell'Atrofia Muscolare Spinale (SMA). Fino a pochi anni fa, soprattutto nelle forme più severe, una diagnosi significava confrontarsi con una patologia progressiva e con prospettive di vita di pochi anni. Oggi lo scenario è profondamente diverso: le persone nate con la SMA possono diventare adulte, studiare, lavorare, costruire relazioni e immaginare il proprio futuro. E mentre evolve l'innovazione terapeutica, cambiano anche le prospettive di vita, grazie a una gestione della patologia sempre più compatibile con la quotidianità. **In questo percorso si inserisce oggi la nuova formulazione di Risdiplam in compresse, ora disponibile per i pazienti italiani, che si affianca alla soluzione orale in sciroppo e rappresenta un'ulteriore evoluzione nella modalità di assunzione della terapia.**

A rendere possibile questa trasformazione non è stato un singolo passaggio, ma un percorso costruito nel tempo. Il progresso della ricerca e l'arrivo di terapie in grado di modificare il decorso della malattia si sono accompagnati a una crescente capacità di fare rete tra comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e azienda. È cambiata la conoscenza della SMA, sono cambiate le possibilità terapeutiche e la capacità di diagnosticarla precocemente; soprattutto, è cambiato il modo di gestire la patologia e di guardare alla persona che ci convive: non più soltanto un paziente da trattare, ma una persona da accompagnare lungo un percorso di vita oggi più lungo, articolato e ricco di prospettive. È questa la nuova realtà emersa durante il "**Brunch & Science: parliamo di Atrofia Muscolare Spinale – L'evoluzione del trattamento della SMA: quando l'innovazione apre la strada verso l'indipendenza"**, promosso da Roche Italia. Un confronto tra comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e azienda per raccontare non soltanto quanto sia cambiata la gestione della malattia, ma soprattutto quanto sia cambiata la vita di chi convive ogni giorno con la SMA.

«La SMA che vediamo oggi è profondamente diversa da quella che conoscevamo in passato. L'innovazione terapeutica ci ha permesso di modificare la traiettoria della malattia e oggi seguiamo persone lungo fasi della vita che prima, soprattutto nelle forme più severe,

difficilmente riuscivamo a osservare. Questo ci pone davanti a una sfida nuova: non dobbiamo più guardare soltanto alla malattia, ma alla persona nel suo intero percorso di vita», ha spiegato **Valeria Sansone, Professore di Neurologia dell'Università degli Studi di Milano e Direttore Clinico-Scientifico, Centro Clinico NeMO Milano**.

Se cambia l'orizzonte della malattia, cambiano inevitabilmente anche le domande. Non soltanto come curarsi, ma come vivere. Studio, lavoro, relazioni, mobilità, viaggi e autonomia entrano sempre di più nel percorso di vita indipendente delle persone con SMA. In questo nuovo scenario assume un valore centrale anche il **concetto di stabilità**: preservare nel tempo quanto raggiunto e poter contare sulla continuità del percorso terapeutico significa creare le condizioni per una quotidianità più programmabile, nella quale la malattia possa progressivamente lasciare maggiore spazio ai progetti di vita.

"Nell'atrofia muscolare spinale, patologia cronica e progressiva, garantire la continuità del trattamento e il mantenimento dell'efficacia nel tempo è fondamentale per preservare le capacità motorie e l'autonomia dei pazienti. La disponibilità di risdiplam in compresse, a parità di efficacia e sicurezza rispetto alla soluzione orale, rappresenta un'ulteriore opportunità, soprattutto per gli adulti, semplificando la gestione quotidiana della terapia. La nuova formulazione offre vantaggi anche organizzativi per le strutture ospedaliere e amplia le possibilità di scelta in base alle esigenze individuali, nella prospettiva di una medicina sempre più personalizzata e centrata sul paziente", ha sottolineato **Lorenzo Maggi, Direttore, Neurologia 4 – Neuroimmunologia e Malattie Neuromuscolari della Fondazione IRCCS Istituto Neurologico Carlo Besta**.

Ma il cambiamento diventa realmente comprensibile quando viene raccontato da chi vive ogni giorno con la SMA.

«I progressi della ricerca, insieme alla possibilità di riconoscere precocemente la SMA grazie allo screening neonatale, hanno cambiato profondamente la prospettiva delle famiglie, permettendo di guardare al futuro con maggiore fiducia», ha dichiarato **Anita Pallara, Presidente di Famiglie SMA.** *«Per le persone adulte, poter contare su modalità di assunzione sempre più semplici ed efficaci significa guadagnare autonomia nella vita di ogni giorno e sentirsi più liberi di costruire i propri progetti»*, ha continuato **Stefania Pedroni, Presidente nazionale UILDM.** *«È questo il valore più concreto della ricerca: trasformare i bisogni delle persone in nuove possibilità. Per continuare a farlo è fondamentale lavorare insieme con un obiettivo comune: migliorare sempre di più la qualità di vita»*, ha concluso **Valentina Baldini, Presidente di ASAMSI.**

La trasformazione della SMA, tuttavia, non passa soltanto dall'innovazione scientifica. Diagnosi precoce, screening, presa in carico, accesso alle terapie, riconoscimento dei bisogni e inclusione richiedono un modello capace di mettere in relazione competenze e responsabilità diverse. Negli anni, comunità medico-scientifica, associazioni dei pazienti, istituzioni e aziende hanno contribuito, ciascuna nel proprio ruolo, a costruire una nuova cultura della SMA: portando i bisogni delle persone dentro il percorso di ricerca e cura, favorendo una diagnosi sempre più precoce e lavorando perché l'innovazione possa tradursi in opportunità concrete.

"L'estensione dello Screening Neonatale Esteso alla SMA in tutta Italia è stato un esempio virtuoso di come la sinergia tra associazioni, mondo scientifico e istituzioni possa fare la differenza: oggi, avere una diagnosi tempestiva significa permettere ai nuovi farmaci e alle scoperte mediche più avanzate di esprimere la loro massima efficacia. L'incessante evoluzione della ricerca farmaceutica ci offre oggi strumenti terapeutici straordinari che fino a pochi anni fa erano impensabili. Continuare a lavorare insieme è l'unico modo per far sì che ogni innovazione della scienza si traduca tempestivamente in un diritto alla cura equo, omogeneo e accessibile a tutti." ha commentato **Lisa Noja, Consigliera regionale della Lombardia, coordinatrice dell'Intergruppo "Malattie rare, malattie neurodegenerative e neuroscienze".**

Una collaborazione che guarda anche alla diagnosi precoce e allo screening e che pone oggi una nuova questione: fare in modo che i progressi raggiunti siano accessibili in maniera omogenea su tutto il territorio italiano, perché una nuova prospettiva di vita possa essere davvero una possibilità per tutte le persone con SMA.

"L'evoluzione del trattamento della SMA va nella direzione di una cura sempre più integrata nella vita delle persone. Semplificare la modalità di assunzione significa ridurre il carico che la terapia può comportare nella quotidianità e, al tempo stesso, favorire una maggiore continuità e aderenza al trattamento. Per una persona adulta con SMA, poter gestire la propria terapia in modo più semplice e autonomo non è un dettaglio: significa avere una cura che si adatta maggiormente alla propria vita, e non una vita che deve continuamente adattarsi alla cura.", ha aggiunto **Katia Patanella**, **Medico Neurologo del Centro Clinico NeMO Armida Barelli – Roma.**

La nuova formulazione diventa così un altro tassello di un cambiamento più ampio: dall'innovazione che ha contribuito a modificare la storia della malattia a un'innovazione che continua a evolvere insieme alle persone, cercando di ridurre progressivamente anche il peso della gestione terapeutica sulla quotidianità. Perché oggi, nella SMA, poter contare sulla stabilità e sulla continuità del percorso significa anche avere maggiore spazio per progettare il futuro.

"Sono orgogliosa del contributo che Roche ha dato e continua a dare, attraverso la ricerca, all'evoluzione delle possibilità di trattamento per le persone con SMA"– ha dichiarato **Anna Maria Porrini, Direttore Medico di Roche Italia** – *"Il percorso compiuto in questi anni dimostra quanto la ricerca e l'innovazione, quando si accompagnano all'ascolto dei bisogni delle persone e alla collaborazione tra comunità scientifica, associazioni dei pazienti e istituzioni, possano cambiare significativamente la storia di una malattia e la prospettiva di vita di chi la affronta. È un modello che deve guidarci anche in altre patologie neurologiche in cui sono ancora presenti bisogni importanti. Il nostro impegno è continuare a fare ricerca e lavorare insieme affinché i progressi della scienza possano tradursi in nuove possibilità di trattamento e in una migliore qualità di vita per sempre più persone."*

Contatti
Comunicazione Roche Italia

Donatella Armienti donatella.armienti@roche.com

Ufficio stampa || SEC and Partners
Alessandra Campolin alessandra.campolin@secnewgate.it
Beatrice Marzocchi beatrice.marzocchi@secnewgate.it
Giulio Trussoni giulio.trussoni@secnewgate.it