

# Nuova speranza per i bambini ipovedenti



*In Italia, la prima terapia per le malattie ereditarie della retina. Possono colpire dalla nascita e far perdere totalmente la vista.*

C'è una **malattia rara** che colpisce fin dalla culla. Rientra in un ampio gruppo di patologie chiamate distrofie retiniche ereditarie: degenerazioni genetiche che compromettono la **vista**. In questa variante, la mutazione dei geni rende i bambini ipovedenti fin dalla tenerissima età. È progressiva: la maggior parte di loro peggiora col tempo, arrivando alla **cecità** totale.

La buona notizia di queste ore è che c'è un trattamento che può dare speranza a questi malati, **bambini** ma anche **adulti** cresciuti con la patologia. Si chiama Luxturna (Voretigene neparvovec): è una **terapia genica** innovativa appena arrivata in Italia, che agisce come una specie di «correttore» dei geni alterati.

Il trattamento è adatto in generale alle **malattie ereditarie della retina**, ma soprattutto a questa forma di distrofia dove il gene mutato è l'Rpe65, in entrambe le sue copie.

L'Agenzia italiana del farmaco (**Aifa**) ha dato l'ok alla rimborsabilità. Vuol dire che i pazienti interessati potranno finalmente accedere alla terapia, consistente in un

intervento a entrambi gli occhi: un'**iniezione** sottoretinica. È la prima cura per questo tipo di patologie.

«La disponibilità di una terapia ha il **potenziale** di ridurre il notevole onere fisico, emotivo e finanziario sui pazienti e sulle famiglie», dichiara Assia Andrao, presidente di Retina Italia Onlus.

Durante la sperimentazione, Luxturna aveva già dato **risultati promettenti**. È stata approvata nel 2017 negli Stati Uniti. Per i primi test in Italia si è dovuto aspettare fino al 2019, quando due bambini affetti da questa malattia hanno ricevuto «l'iniezione salva-vista» alla Clinica oculistica dell'Università degli studi della Campania Luigi Vanvitelli. Già dopo pochi giorni dall'intervento, avevano recuperato buona parte del campo visivo.

**Progressi** eccezionali e miglioramenti inalterati a distanza di un anno per questi due bimbi che, non riuscendo a vedere, non erano in grado di giocare a pallone, né di fare una passeggiata la sera in condizioni di luminosità ridotta.

«Dopo un anno - sottolinea Francesca Simonelli, che dirige la Clinica oculistica dell'ateneo campano - siamo in grado di dire che Voretigene neparvovec è una concreta opportunità, un risultato dal profondo valore scientifico poiché la sua **efficacia è duratura**».