PODALIŚMY LEK GENOWY NA SMA PIERWSZEMU NOWORODKOWI NA DOLNYM ŚLĄSKU!

Pierwszy noworodek na Dolnym Śląsku otrzymał w marcu Zolgensma – najdroższy lek stosowany w leczeniu rdzeniowego zaniku mięśni (SMA*). Podanie leku (cała procedura trwa około godziny) dziecko zniosło dobrze. Czeka je teraz dalsza obserwacja i postepowanie terapeutyczne.
W momencie podania leku noworodek miał ponad dwa tygodnie i został zakwalifikowany do nowej terapii lekowej w **Oddziale Neurologii Dziecięcej szpitala im. Marciniaka**. - Test przesiewowy wykonany u dziecka potwierdził, że ma rdzeniowy zanik mięśni – mówi dr Barbara Czapska-Ujma, ordynator Oddziału Neurologii Dziecięcej, konsultant wojewódzki w dziedzinie neurologii dziecięcej. - *Po przebadaniu noworodka, wystąpiliśmy do komisji kwalifikacyjnej w Warszawie i uzyskaliśmy zgodę na podanie leku. Bardzo się cieszymy, że wszystko udało się załatwić bardzo szybko i sprawnie, bo w tej terapii czas jest kluczowy!* - dodaje neurolog.
- Im szybciej dziecko go przyjmie, tym większa jest jego skuteczność.
W Polsce nowy lek wprowadzony jest dla dzieci do 6 miesiąca życia, u których zdiagnozowano SMA w badaniach przesiewowych. Zolgensma podana w okresie przedobjawowym jest w stanie zapobiec wystąpieniu objawów choroby w znakomitej większości przypadków.
Dotychczas **Oddział Neurologii Dziecięcej** w szpitalu im. Marciniaka prowadził program lekowy rdzeniowego zaniku mięśni, w którym małym pacjentom podawano lek o nazwie nusinersen. W programie jest już kilkadziesiąt dzieci. To właśnie na Dolnym Śląsku, dzięki współpracy naszego szpitala i Uniwersyteckiego Szpitala Klinicznego przy ul. Borowskiej podano nusinersen pierwszemu noworodkowi w pierwszej dobie życia.
Teraz zespół Oddziału Neurologii Dziecięcej podał nowy lek genowy pierwszemu noworodkowi na Dolnym Śląsku.

W tym programie lekowym samo podanie wiąże się z wykonaniem szeregu badań, a potem z monitorowaniem pacjenta i dłuższą hospitalizacją. Noworodek po podaniu Zolgensma, został przewieziony na Oddział Neonatologii szpitala im. Gromkowskiego.
Dr Czapska-Ujma dodaje, że mali pacjenci po podaniu leku genowego mogą wymagać skomplikowanego leczenia – m.in. długoterminowej sterydoterapii.

Lek. Dorota Cichosz, neurolog z Oddziału Neurologii Dziecięcej, koordynatorka programu lekowego dla dzieci z SMA: - *Podanie leku wymagało współpracy i zaangażowania wielu osób, którym bardzo dziękujemy.*

*__SMA (rdzeniowy zanik mięśni) -__ bez szybkiej diagnozy i leczenia prowadzi do stopniowego osłabienia mięśni, co skutkuje powikłaniami ze strony układu oddechowego, pokarmowego oraz kostno-szkieletowego. W najcięższej postaci choroby, przed dostępem do skutecznej terapii, długość życia pacjentów nie przekraczała 2-3 lat. Nowy program z wykorzystaniem leku *Zolgensma* jest refundowany w Polsce od września 2022 roku.