



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA E NUOVE SFIDE

Roma 3-4 settembre 2022

A.Roma Lifestyle Hotel - via Giorgio Zoega, 59

CON IL PATROCINIO DI



REGIONE
LAZIO

Scoliosi: Come comportarsi con i nuovi fenotipi?

dott. Luca Labianca, PhD, Ortopedico Pediatrico

Azienda Ospedaliero-Universitaria S. Andrea, Università Sapienza, Roma



2021



**SMA: VITA QUOTIDIANA
E NUOVE FRONTIERE
TERAPEUTICHE**



Segreteria organizzativa: Pro Format Comunicazione
Tel. 06 5417093 - Viale Aventino 45, Roma
eventi@proformat.it - www.proformatcomunicazione.it

famigliesma.org

2022

**SMA:
RIVOLUZIONE
TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE**

SMA: COSA ABBIAMO IMPARATO?

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



SMA: COSA ABBIAMO IMPARATO?

UNLESS

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



SMA: COSA ABBIAMO IMPARATO?

1. SMA Type 1 is a life-limiting condition
2. Life expectancy is less than 18 months

UNLESS

Pharmacological Treatment has been Introduced



SMA COSA C'E' DI DIVERSO?

1. Spinal curvature is a common concern, with scoliosis affecting 60-90% of children with SMA types 1 and 2
2. The decision for surgery is based on the bone maturity

UNLESS

Growing rods are used



SMA COSA C'E' DI DIVERSO?

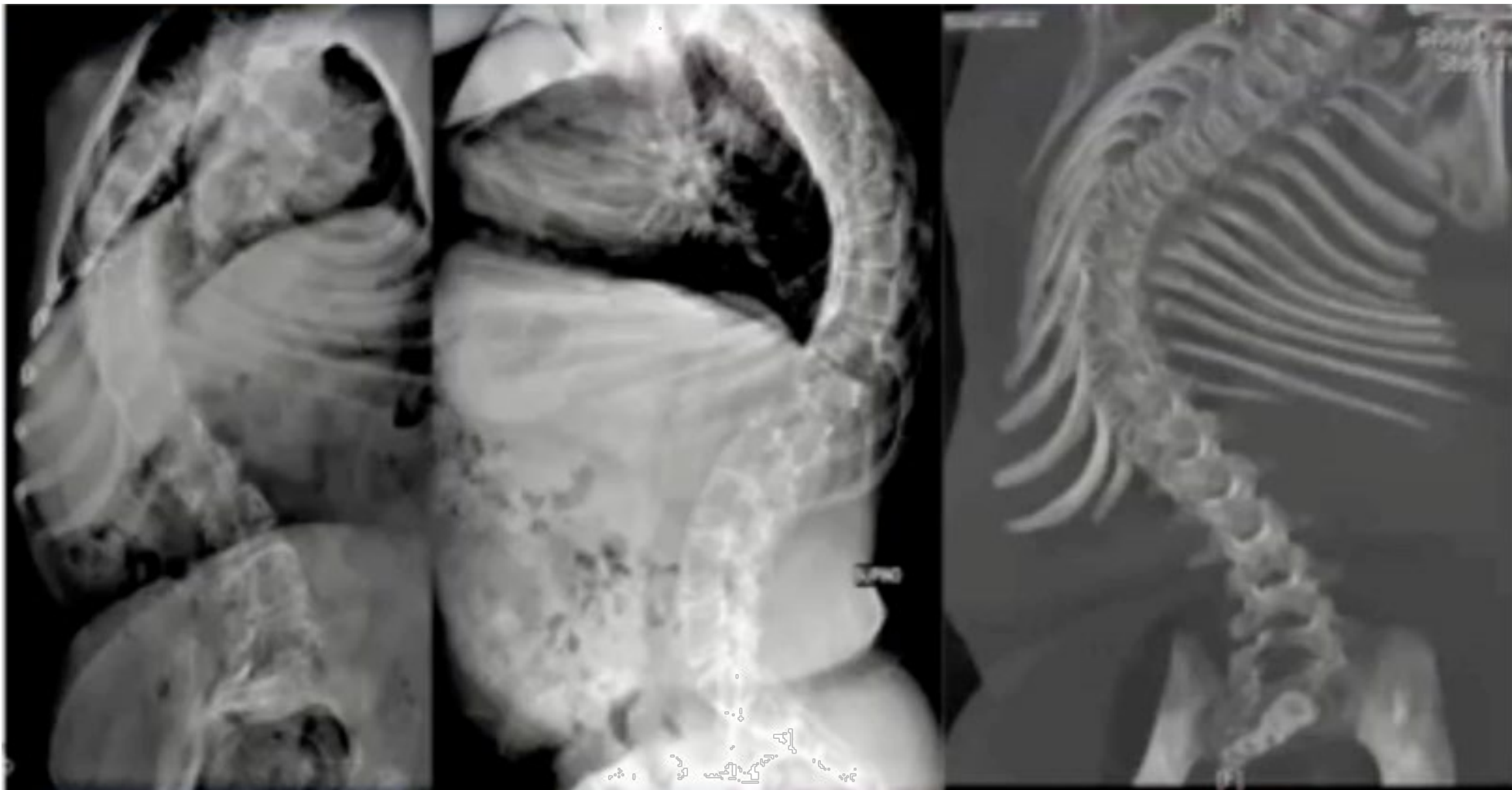
1. L'utilizzo di GROWING RODS è correlato a un **elevato tasso di complicanze**

UNLESS

Non vengano usate Growing rods con sistemi di allungamento non invasivi!!!



COS'E' UNA SCOLIOSI?



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



COSA VOGLIAMO EVITARE?



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



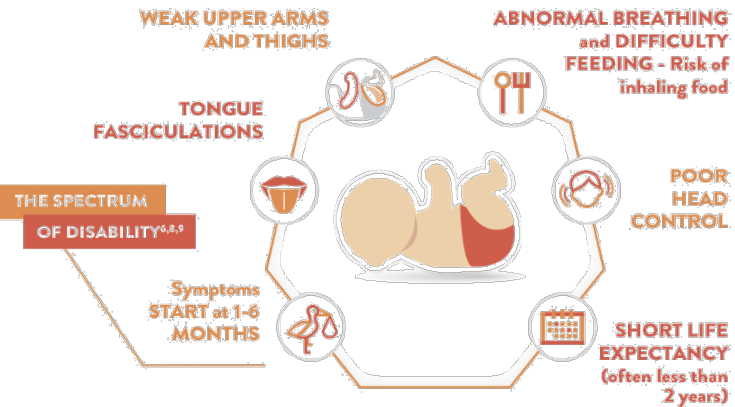
I COSIDDETTI FENOTIPI

0-6
months
(INFANT-ONSET)²⁻⁴

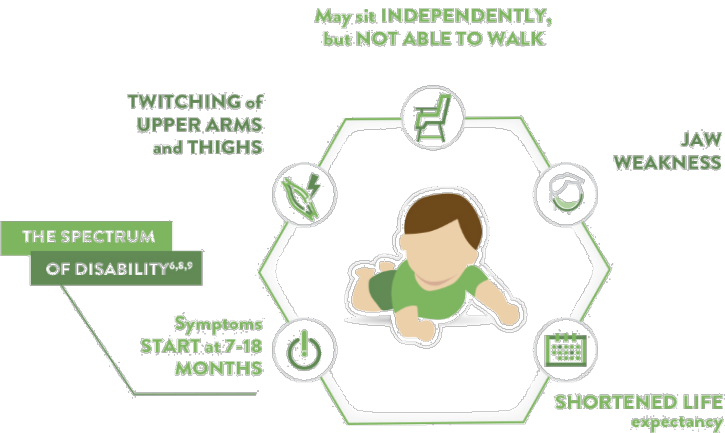
7-18
months
(INTERMEDIATE)³⁻⁶

18+
months
(JUVENILE-ONSET)^{2,3,7}

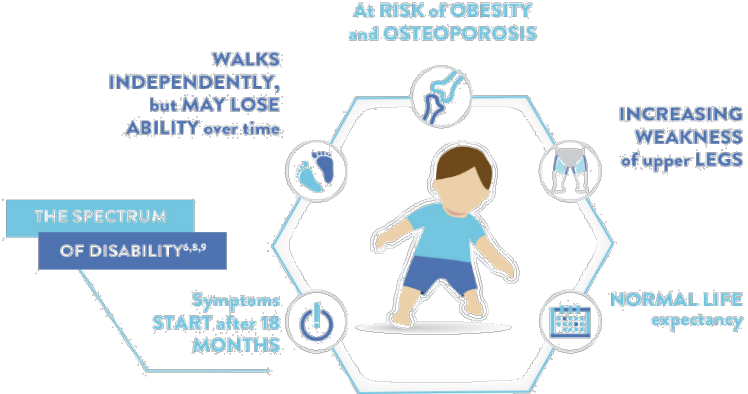
SMA TYPE 1



SMA TYPE 2



SMA TYPE 3








SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA E NUOVE SFIDE

INFUSIONI INTRATECALI



FARMACI A SOMMINISTRAZIONE ORALE

FORME DI SMA				
	CONTROLLO DELLA TESTA	POSIZIONE SEDUTA IN AUTONOMIA	CAMMINARE CON AUSILI	IN PIEDI AUTONOMAMENTE
SMA TIPO 1				
SMA TIPO 2	SI	SI		
SMA TIPO 3	SI	SI	POCO	POCO
SMA TIPO 4	SI	SI	SI	SI

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA E NUOVE SFIDE



EVOLUZIONE STANDARD OF CARE

	POTENZIALI BENEFICI	CONSIDERAZIONI
INTERVENTO CHIRURGICO	<ul style="list-style-type: none">• Può migliorare la postura da seduto, l'equilibrio e la resistenza, e offrire un risultato cosmetico²• Può rallentare il declino respiratorio^{2,3}• Può aumentare il comfort generale, la qualità della vita e l'indipendenza¹	<ul style="list-style-type: none">• Può compromettere la possibilità di eseguire una <u>puntura lombare</u>• La <u>tempistica ottimale della procedura è controversa</u>¹• Gli individui affetti da atrofia muscolare spinale possono essere a più <u>alto rischio di complicanze chirurgiche rispetto alla popolazione generale</u>¹
UTILIZZO DI UN BUSTO	<ul style="list-style-type: none">• Può migliorare l'equilibrio da seduto, la resistenza e l'aspetto fisico generale³• Approccio più conservativo che permette un'ulteriore crescita³	<ul style="list-style-type: none">• Probabilmente, non previene o ritarda lo sviluppo della scoliosi³• Può causare qualche disagio³• La funzionalità polmonare può essere compromessa da supporti rigidi nei bambini di età < 8 anni• Il volume polmonare espiratorio può essere inferiore con il supporto⁴



STANDARD OF CARE ATTUALI

	POTENZIALI BENEFICI	CONSIDERAZIONI
INTERVENTO CHIRURGICO	UNICA SOLUZIONE PER ARRESTARE LA DEFORMITA' PROGRESSIVA	OGGI: <ul style="list-style-type: none">- Procedura accessoria per permettere puntura lombare- Growing rods allungabili con procedura ambulatoriale per evitare interventi ripetuti- Tempistica intervento a 40°
UTILIZZO DI UN BUSTO	<ul style="list-style-type: none">• Può migliorare l'equilibrio da seduto, la resistenza e l'aspetto fisico generale³• Approccio più conservativo che permette un'ulteriore crescita³	<ul style="list-style-type: none">• Probabilmente, non previene o ritarda lo sviluppo della scoliosi³• Può causare qualche disagio³• La funzionalità polmonare può essere compromessa da supporti rigidi nei bambini di età 5-8 anni• Il volume polmonare espiratorio può essere inferiore con il supporto⁴



LETTERATURA IN AUMENTO

> Eur Spine J. 2021 Mar;30(3):768-774. doi: 10.1007/s00586-020-06564-8. Epub 2020 Aug 18.

Impact of growth friendly interventions on spine and pulmonary outcomes of patients with spinal muscular atrophy

Ishaan Swarup ^{1 2}, Elle M MacAlpine ¹, Oscar H Mayer ³, Robert K Lark ⁴, John T Smith ⁵,
Michael G Vitale ⁶, John M Flynn ¹, Jason B Anari ¹, Pediatric Spine Study Group,
Patrick J Cahill ⁷

Spinal muscular atrophy: manifestations and management

Adrian Mesfin ¹, Paul D Sponseller, Arabela I Leet

Affiliations + expand

PMID: 22681589 DOI: 10.5435/SPINE-20-06-393

> J Neurosurg Sci. 2020 Jun;64(3):253-257. doi: 10.23736/50390-5618.1704052-8. Epub 2017 May 31.

Effects of magnetically controlled growing rods surgery on pulmonary function in young subjects with spinal muscular atrophy type 2 and other neuromuscular scoliosis

Luca Colombo ¹, Carlotta Martini ¹, Chiara Bernasini ², Francesca Izzo ², Jorge H Villafañe ³, Pedro Berjano ¹, Claudio Lamartina ¹

Continuous lengthening potential after four years of magnetically controlled spinal deformity correction in children with spinal muscular atrophy

Heiko M Lorenz ¹, Marina M Hecker ¹, Lena Braunschweig ¹, Batoul Badwan ¹, Konstantinos Tsaknakis ¹, Anna K Hell ²

RESEARCH ARTICLE

OPEN ACCESS

Scoliosis in Spinal Muscular Atrophy Type 1 in the Nusinersen Era

Fatima Al Amrani, MD, Reshma Amin, MD, FRCPC, MSc, Jackie Chiang, MA, MD, FRCPC, Lena Xiao, MD, FRCPC, Jennifer Boyd, RN, MHSc, CNN(C), MSCN, Eugenia Law, RN, Elisa Nigro, RN(EC), CNN(C), MN, NP-Paediatrics, Lauren Weinstock, BSc, MScPT, Ana Stosic, BSc, MSc, and Hernan D. Gonorazky, MD, on behalf of the SickKids SMA Group

Correspondence

Dr. Gonorazky
hernan.gonorazky@sickkids.ca

Neurology: Clinical Practice August 2022 vol. 12 no. 4 279-287 doi:10.1212/CPJ.0000000000001179

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



PERCORSO VIRTUOSO

- **FISIOTERAPIA:** SMAH2O, TERAPIA A SECCO, TERAPIA QUOTIDIANA A CASA DI MANTENIMENTO



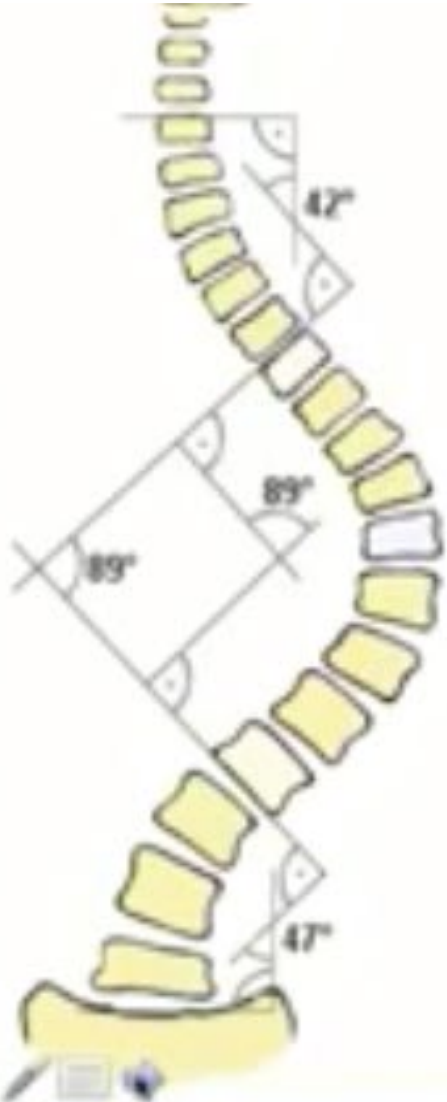
- **BUSTO FINO A 30-40°:** SOSTEGNO POSTURALE



- **INTERVENTO:** DEFINITIVO O BARRE ALLUNGABILI



INTERVENTO DI SCOLIOSI : DIAGNOSI



- NELLE SMA IL CHECK PER LA SCOLIOSI E' DA FARE **PRECOCEMENTE**:
- **CLINICAMENTE** GIA' NEI PRIMISSIMI ANNI D'ETA' DA ORTOPEDICO ESPERTO
- **RADIOLOGICAMENTE** UNA VOLTA EVIDENZIATA CLINICAMENTE LA DEVIAZIONE SCOLIOTICA
- LA DIAGNOSI E' CLINICA, LA QUANTIFICAZIONE DELLA GRAVITA' E' RADIOLOGICA

INTERVENTO: QUANDO COME PERCHE'

- SCOLIOSI AD ESORDIO PRECOCE
- RAGGIUNTI I 30° SI DEVE COMINCIARE A PRENDERE IN CONSIDERAZIONE L'INTERVENTO INTERVENENDO PRECOCEMENTE
- EVITARE DEFORMITA' GRAVEMENTE INVALIDANTI, RIDURRE IL RISCHIO CHIRURGICO, PERMETTERE MAGGIORE AUTONOMIA



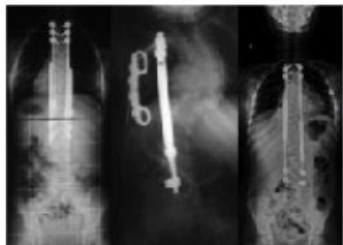
Growth-sparing Surgical Techniques

New Growth Modulation Technology

VEPTR

Forces Applied

Posterior implants



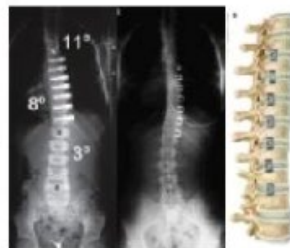
Concavity
Distraction



Active
Growth & correction



Anterior implants



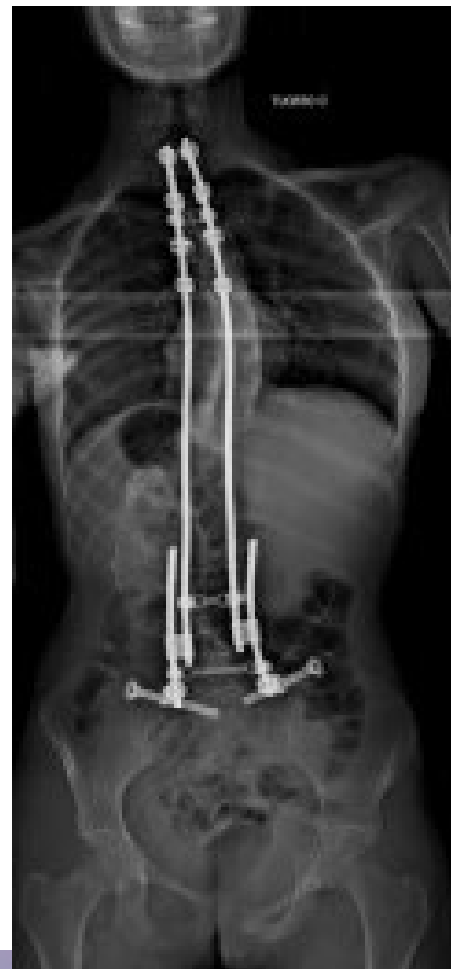
Convex
Tether



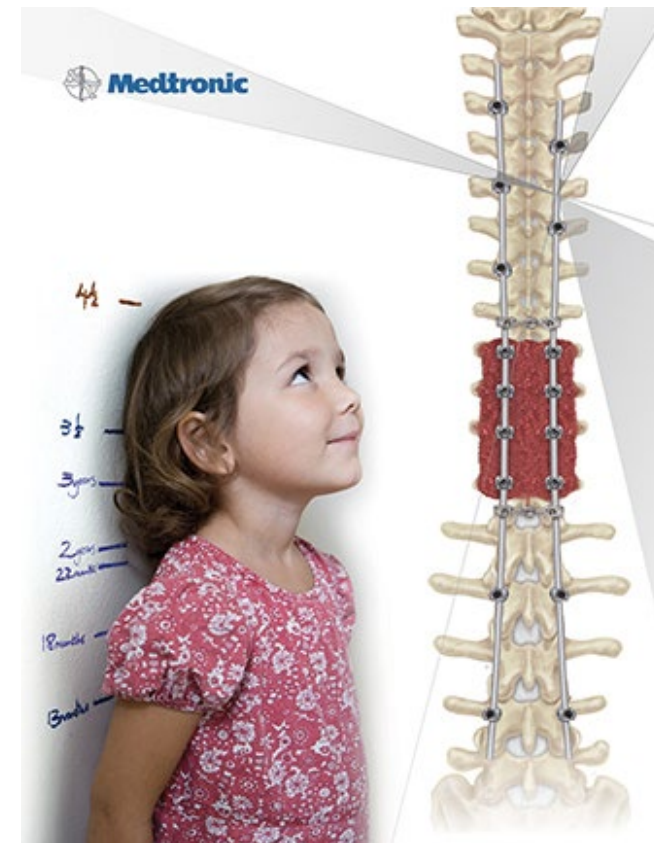
Passive

VERTEBRAL BODY TETHERING OR STAPLING

EUROS



Medtronic



SHILLA

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE

BARRE ALLUNGABILI MAGNETICAMENTE

MAGEC

Paradigm shift in the treatment of early onset scoliosis

- Proprietary MAGEC-EOS system developed using MAGEC technology to treat children suffering from EOS
 - Expandable spinal rods coupled with ERG allow for periodic, non-invasive adjustment of the rod
 - Close opportunity for application in idiopathic adolescent scoliosis, as well as adult spinal deformity and degenerative cases



Before



After

Revolutionary Therapy

- Eliminates lengthening surgeries
- Fewer complications
- Most frequent adjustment to accommodate growth
- Improved patient outcomes and quality of life



Highly Scalable Product

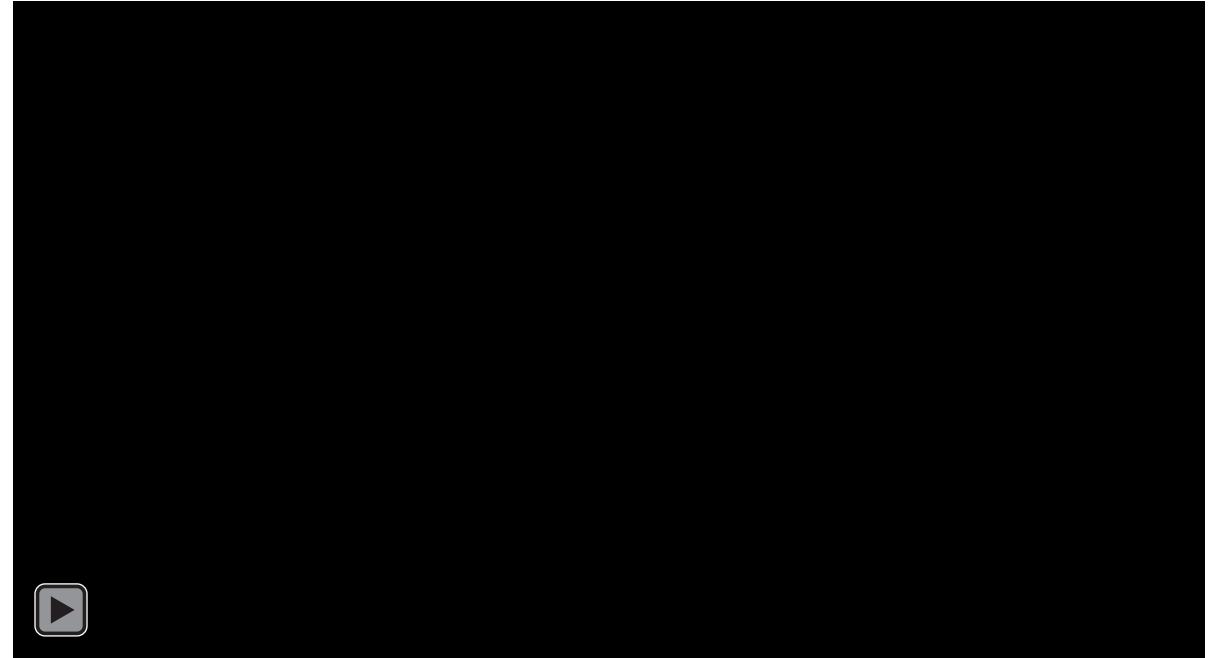
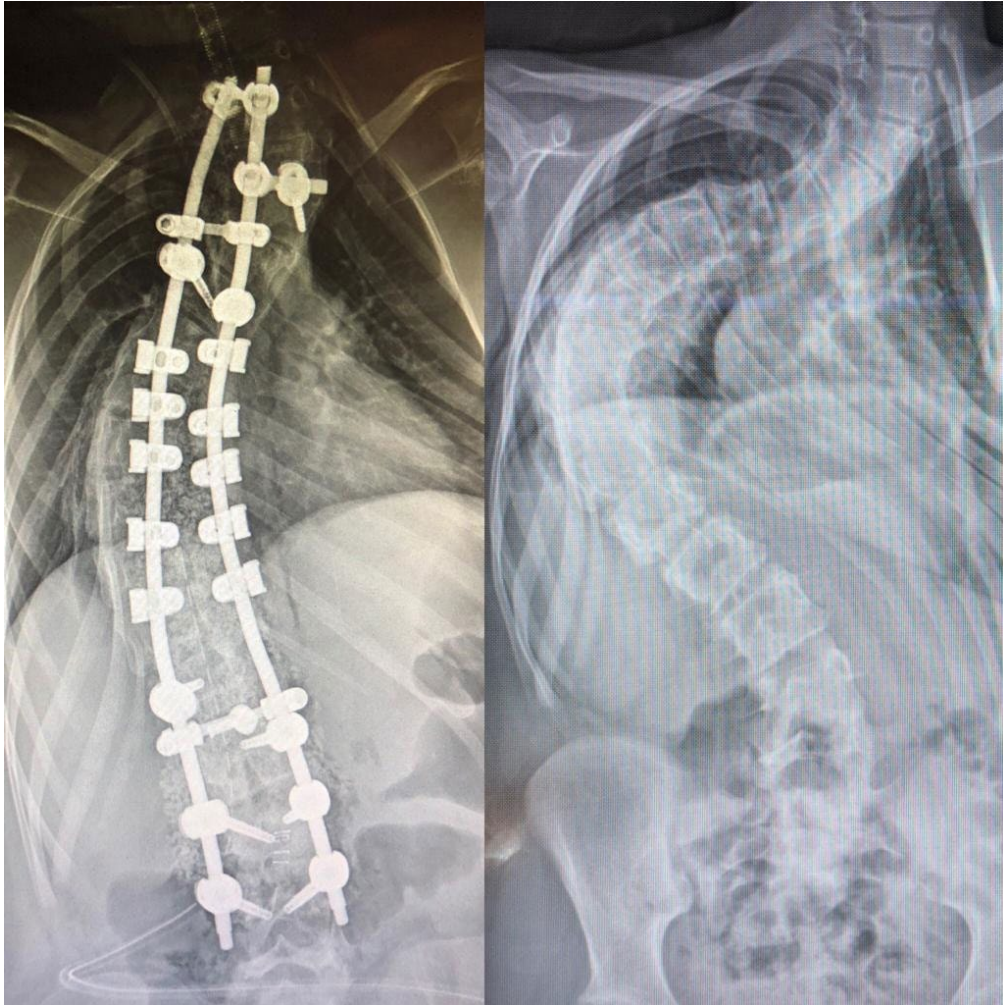
- "500mm" global market opportunity
- Rapid learning curve: same initial procedure as traditional rods
- Single implant: fewer steps, less instrumentation
- Additional applications for lumbar vertebrae



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



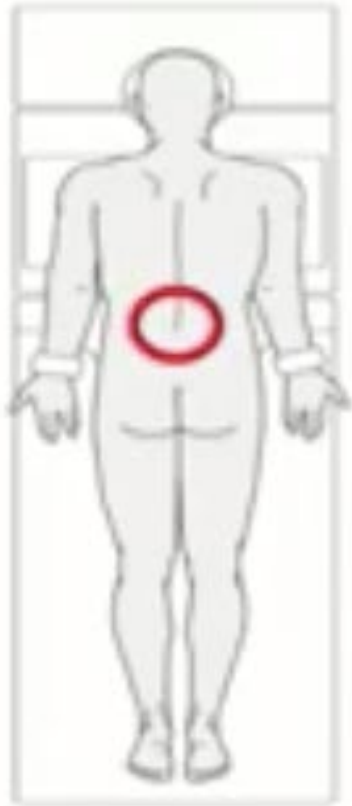
INTERVENTO DEFINITIVO



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



PROCEDURA ACCESSORIA PER INTERVENTO DEFINITIVO: FINESTRA DI ACCESSO PER NUSINERSEN



SPINE

Scoliosis and spinal muscular atrophy in the new world of medical therapy: providing lumbar access for intrathecal treatment in patients previously treated or undergoing spinal instrumentation and fusion

Labianca, Luca; Weinstein, Stuart L.

[Author Information](#)

Journal of Pediatric Orthopaedics B: July 2019 - Volume 28 - Issue 4 - p 393-396

doi: 10.1097/BPB.0000000000000632

LE NOSTRE STANZE FAMIGLIE SMA!!!



SMA: RIVOLUZIONE
E NUOVE SFIDE

OSPEDALE SANT'ANDREA: RICOVERO

Il ricovero avviene 5 giorni prima dell'intervento per poter eseguire gli accertamenti necessari:

- Radiografie
- TAC della colonna e del bacino
- Esami ematici
- Visita con l'anestesista
- Visita Fisiatrica
- Visita Cardiologica



IL PERCORSO DEL GIORNO INTERVENTO



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



IN SALA OPERATORIA



Si scende in sala operatoria alle 8 ma diverse procedure devono avvenire prima dell'inizio dell'intervento:

- Pre-anestesia
- Induzione Anestesia
- Inserimento Catetere Venoso Centrale sul collo
- Posizionamento sul tavolo operatorio

Inizio intervento ore 11 → NECESSARIE 5-6 ORE

IL SOGNO DEL CHIRURGO
SPINALE



L'INTERVENTO



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



POST- INTERVENTO: TERAPIA INTENSIVA



- SI SCENDE IN TERAPIA INTENSIVA POST-OPERATORIA (TIPO)
- QUESTO VIENE FATTO COMUNQUE
- SERVE A PORRE IL PAZIENTE IN UN AMBIENTE PROTETTO E SICURO PER LE PRIME 48-72H
- LA MAMMA PUO' STARE COL FIGLIO/A



RITORNO IN STANZA



- RITORNO IN STANZA DOPO 48-72H S.C.
- IL PZ PUO'ESSERE MESSO IN POSIZIONE SEDUTO
- **SENZA BUSTO**
- Dimissione a una settimana dall'intervento S.C.

Famiglia SMA

SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE

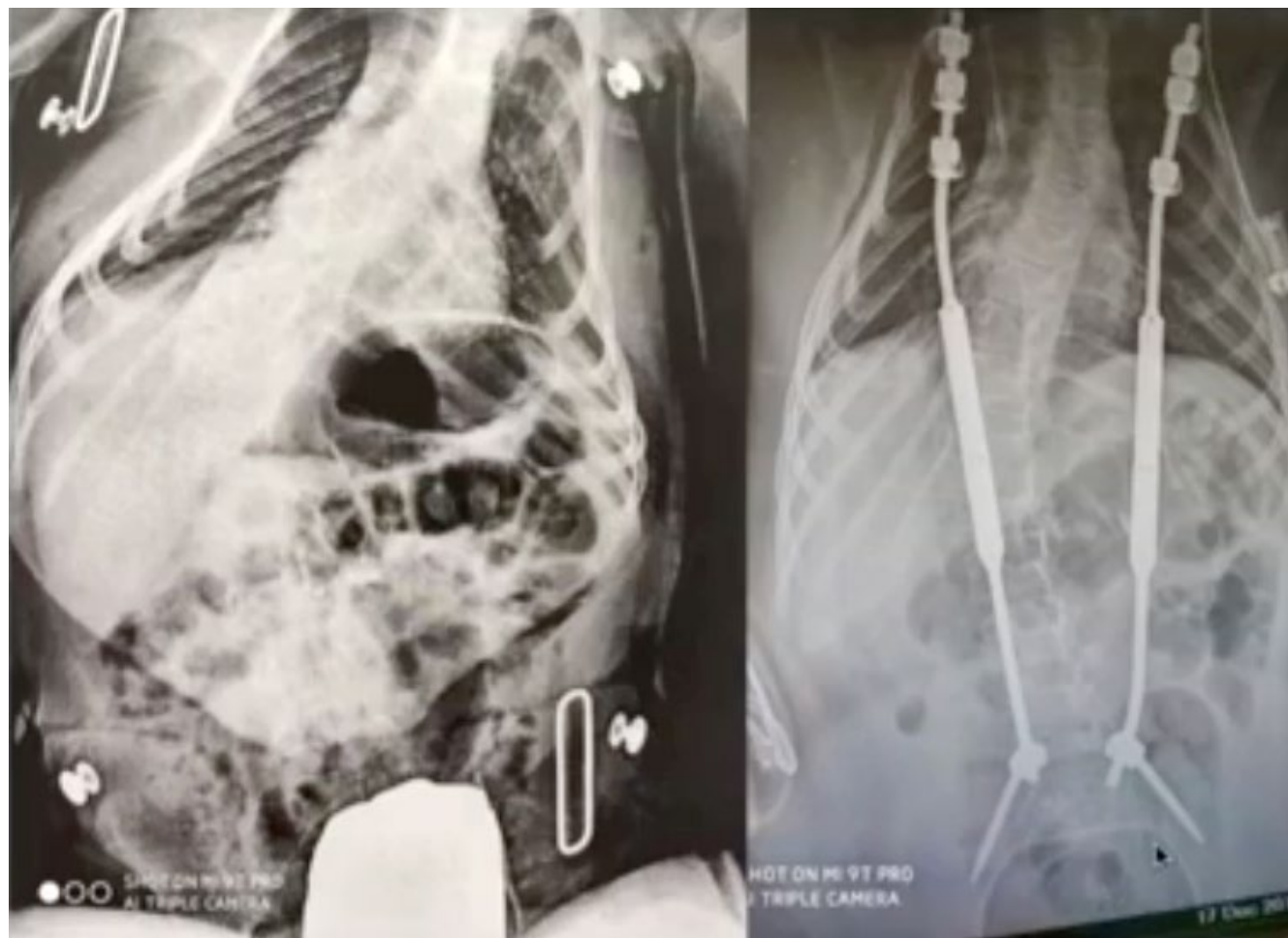
INTERVENTO DEFINITIVO



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



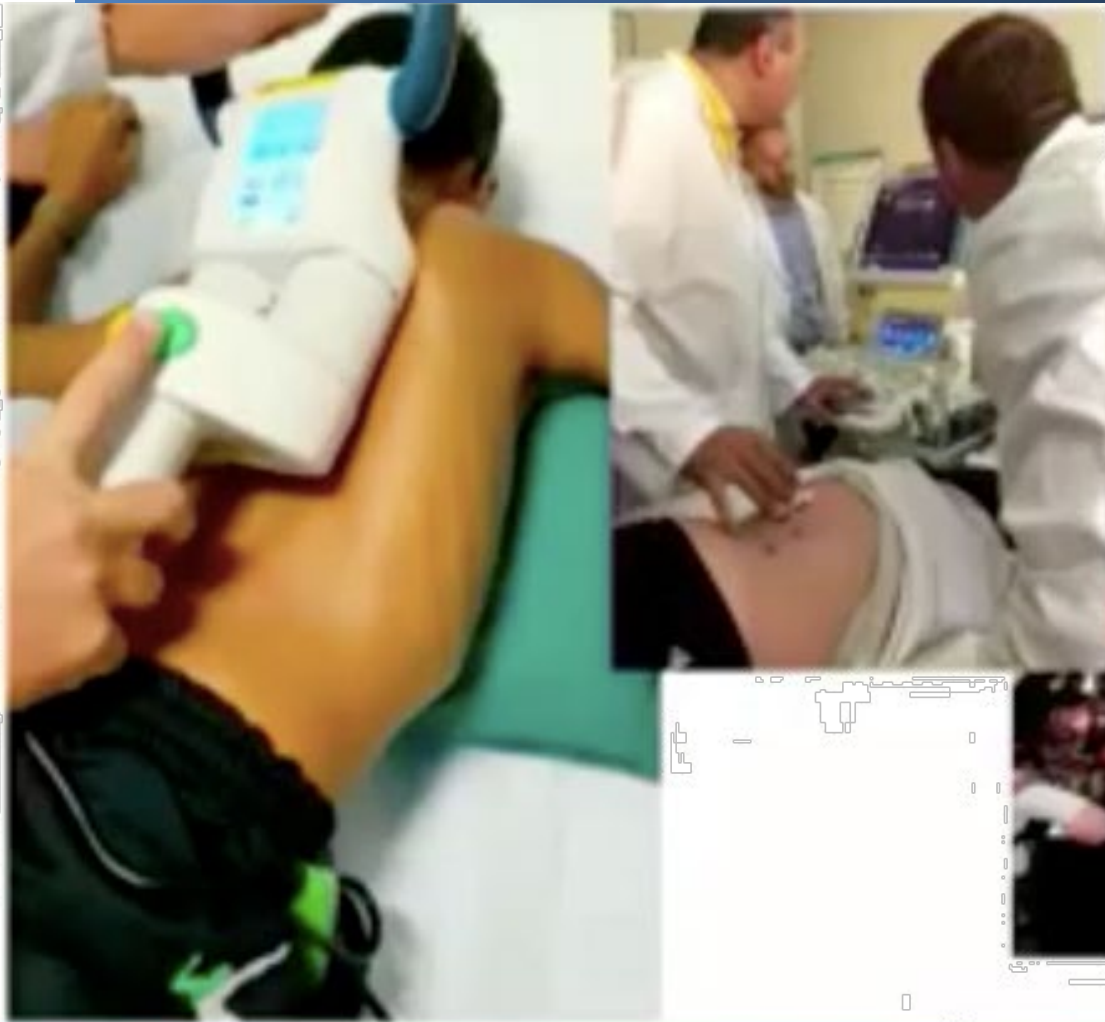
INTERVENTO CON MAGEC



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE



PROCEDURA DI ALLUNGAMENTO



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE

TAKE HOME MESSAGE

- La correzione chirurgica della scoliosi è generalmente raccomandata a partire dai 5 anni di età
- Il grado di curvatura della colonna vertebrale e la velocità di progressione sono gli indicatori principali.
- Scoliosi ad esordio precoce con angolo di Cobb superiore a 40-50 gradi sono candidate per questo tipo di intervento
- La decisione e la gestione pre e post intervento prevede un approccio MULTIDISCIPLINARE



LET'S FACE SMA





"Per un futuro senza SMA"

Donà il tuo 5x1000 a FamiglieSMA

#FIRMAILSOGNO

CODICE FISCALE 97231920584



SMA: RIVOLUZIONE TERAPEUTICA
E NUOVE SFIDE

