



C.I.A.T.D.M

Coordinamento Internazionale
Associazioni per la Tutela dei
Diritti dei Minori



Trieste/Pordenone, 12 luglio 2023

Al Presidente della Repubblica
SERGIO MATTARELLA

Al Presidente del Consiglio
GIORGIA MELONI

Al Ministro della Salute
ORAZIO SCHILLACI

Al Presidente del Senato della Repubblica
IGNAZIO LA RUSSA

Al Presidente della Camera dei Deputati
LORENZO FONTANA

Al Parlamento

**OGGETTO: RYPLAZIM FARMACO SALVAVITA PER IL PICCOLO
NICOLO' ANTONIO CASTIGLIONI**

Il C.I.A.T.D.M. risponde all'appello della famiglia di Nicolò Antonio Castiglioni, affetto da Malformazione di Dandy-Walker, idrocefalo e deficit di plasminogeno. La Dandy-Walker e l'idrocefalo comportano un accumulo di liquidi nella cavità cranica e la conseguente necessità di drenare tale liquido attraverso l'inserimento di tubicini (cd. shunt) che dal cranio sfociano in addome. A causa però di un deficit congenito del plasminogeno, di cui Nicolò è purtroppo affetto, si formano attorno agli shunt delle

membrane di fibrina (sostanza proteica plasmatica) che li otturano e che ciclicamente debbono essere rimosse chirurgicamente.

Nicolò ha già subito, in soli 14 mesi di età, 19 interventi chirurgici, ed altri due dovrà subirne nei prossimi giorni, tutti eseguiti per gestire la situazione dell'idrocefalo e le compromissioni che si hanno a causa del deficit.

La sua vita si svolge interamente in ospedale e così è destinata a proseguire, fino a che il suo organismo potrà tollerarlo. Perché ad ogni intervento aumenta il rischio futuro di formazione di queste membrane, e ciò rappresenta il classico “gatto che si morde la coda”.

La situazione può essere solo parzialmente tenuta sotto controllo tramite infusioni di plasma, che però non costituiscono la soluzione ideale poiché Nicolò non necessita di tutte le sostanze presenti nel plasma umano ma soltanto di plasminogeno. Le infusioni di plasma comportano quindi il rischio di accumulo di altre sostanze, non necessarie ed anzi dannose se presenti in percentuale eccessiva.

Il farmaco salvavita per Nicolò però esiste. Si chiama Ryplazim, è a base di plasminogeno purificato (cioè solo ciò che serve a Nicolò) ed è prodotto dalla casa farmaceutica canadese Kedrion, che ha uno stabilimento anche in Toscana. In base alla % di attività di plasminogeno in Nicolò, ovvero 2,5, necessiterebbe inizialmente di somministrazioni a giorni alterni di Ryplazim, come consigliato sul bugiardino, con la grande possibilità che con il passare del tempo questa possa aumentare e le somministrazioni distanziarsi, come verificato in altri pazienti americani; riducendo peraltro la continua otturazione degli shunt e con essa la continua sottoposizione a interventi.

Il farmaco è stato autorizzato dalla FDA americana nel giugno 2021, ma non ancora da Ema né da Aifa, la quale, a settembre 2022, ha però autorizzato il farmaco per Nicolò solo ad uso compassionevole.

Purtroppo però la produzione di questo farmaco è stata sospesa da Kedrion e riprenderà, forse, in autunno.

Il Ryplazim è quindi per Nicolò un farmaco salvavita, la cui approvazione in Europa e in Italia costituisce solo una formalità, a fronte della già avvenuta approvazione da parte della FDA americana.

Chiediamo quindi a tutti i destinatari della presente di farsi parte attiva affinché sia avviato un trial clinico del farmaco anche in Italia e in Europa, o che ne sia in ogni caso garantito l'approvvigionamento a tutti coloro ne hanno bisogno, costituendo in casi come quello di Nicolò l'unica speranza di sopravvivenza.

La referente del Dipartimento Salute del C.I.A.T.D.M.
avv. Alessandra Devetag



Sede Presidenza: Via Col Di Lana 3 – 33170 Pordenone – Italy
Cell. 328/2220335
Pec : ciatdm@legalmail.it – mail
Sezione Veneto : ciatdm.ve@gmail.com
Sezione Friuli Venezia Giulia : fvg.ciatdm@gmail.com
<http://ciatdmcoordinamento.altervista.org/>
<https://www.childrenprotectionworld.org/>