



München, im November 2018

Liebe SMA 1er, liebe Angehörige und liebe Freunde,

nun ist schon über ein Jahr vergangen, seit das erste Medikament für die Behandlung von SMA zugelassen wurde. Die Zulassung von Spinraza® war ein riesiger Schritt in die richtige Richtung, aber wir sind noch lange nicht am Ziel!

Nicht jeder profitiert gleichermaßen von der Behandlung, bei vielen ist die Gabe des Medikaments schwierig, weil eine Wirbelsäulenverkrümmung vorliegt oder diese operiert wurde. In manchen Kliniken bestehen lange Wartezeiten auf die Behandlung. Mitunter gab es Verzögerungen in der Behandlung, weil die Krankenkassen die Kostenübernahme verweigerten. Hier konnten wir häufig helfen, Schwierigkeiten auszuräumen.

Warum das Medikament nicht bei jedem gleichermaßen wirksam ist, auch nicht bei Jüngeren, wird ein Gegenstand zukünftiger Forschung sein. Alles in allem bedeutet diese Medikamentenentwicklung jedoch einen Meilenstein in der Behandlung von SMA. Es ist ein Durchbruch in der Behandlung mit Antisenseoligonukleotiden, die für andere neurodegenerativer Erkrankungen auch infrage kommen könnte. Die Firma Biogen und die beiden Forscher, die die Grundlagen für diese Entwicklung gelegt haben, sind reichlich mit Preisen bedacht worden.

Weitere Behandlungsmöglichkeiten werden mit hoher Wahrscheinlichkeit in nicht allzu ferner Zukunft zur Verfügung stehen. Die Firma Avexis hat für ihre Genersatztherapie bereits eine Zulassung in den USA (FDA) und Europa (EMA) beantragt, allerdings nur für kleine Säuglinge mit Typ I. Die Firmen Roche und Novartis führen derzeit Studien mit Substanzen zum Schlucken durch. Leider haben beide Firmen aufgrund der hohen Anforderungen, die von den hiesigen Behörden gestellt werden, bisher kein Studienzentrum in Deutschland.

Die Grundlagen für nahezu alle bisherigen Medikamentenentwicklungen wurden mit Geldern der Forschungsförderung der Selbsthilfegruppen gelegt. SMA ist in dieser Beziehung eine ziemlich einmalige Community!

Was hat die Initiative SMA im letzten Jahr gemacht? Wir waren an der Vorbereitung und Durchführung des **ersten wissenschaftlichen Kongresses nur für SMA in Europa** beteiligt. Veranstalter war SMA Europe, Veranstaltungsort war Krakau. Der Kongress stieß auf großes Interesse und wurde von ungefähr 800 Teilnehmern aus aller Welt besucht. Wir sind sehr stolz auf diesen Erfolg! Die Veranstaltungen sollen künftig im zweijährigen Abstand an wechselnden Orten in Europa stattfinden. Der nächste Kongress findet 2020 in Frankreich statt.

Im März fand der **SMA-Tag in Leipzig** statt, eine gemeinsame Veranstaltung der Diagnosegruppe SMA in der DGM und der Initiative SMA. Prof. Dr. Andreas Hahn, Universitätsklinikum Gießen, berichtete über erste Erfahrungen mit der Anwendung von Spinraza, Petra Mann, Weserbergland-Klinik Höxter, über physiotherapeutische Möglichkeiten. Verschiedene Hilfsmittel wurden vorgestellt. Die ca. 80 Teilnehmer, Familien mit Kindern und erwachsene SMA'ler, nutzten das Treffen auch für einen intensiven Erfahrungsaustausch über ihre Behandlung mit Spinraza.

Anfang September fand das **SMA-Symposium wie immer in Hohenroda** statt, auch eine gemeinsame Veranstaltung mit der Diagnosegruppe SMA. Mit diesmal 160 Teilnehmern war es eine gelungene Veranstaltung, bei der alle wichtigen Themen rund um SMA behandelt wurden. Das Symposium findet inzwischen regen Zuspruch nicht nur bei Familien mit Kindern sondern auch bei den Erwachsenen.

In Freiburg ist bei Prof. Dr. Kirschner ein neues SMA-Register – **SMartCare** – entstanden, in dem die Daten zum natürlichen Krankheitsverlauf und mögliche Behandlungseffekte gesammelt werden sollen. Die Dateneingabe erfolgt durch den behandelnden Arzt. Wir sind im Lenkungsgremium vertreten.

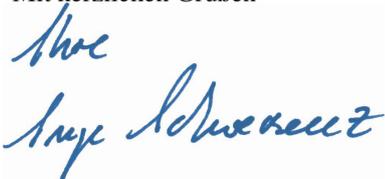
Das Hauptanliegen der Initiative SMA ist die **Forschungsförderung**. Leider musste SMA Europe in diesem Jahr eine Pause in Bezug auf Forschungsförderung einlegen, da nicht genügend Geld von den Mitgliedsländern bereitgestellt wurde. In einigen Vereinen gab es Umstrukturierungen, mehrere neue aus kleineren Ländern sind dazugekommen, die noch nicht finanzkräftig genug sind. Inzwischen sind Selbsthilfegruppen aus 14 Ländern Mitglied im SMA Europe. Im nächsten Jahr geht es aber weiter mit der Forschungsförderung! Wir möchten diese bewährte Art der Mittelvergabe mit einem hochkarätigen wissenschaftlichen Beirat in jedem Fall beibehalten.

Wir bitten deshalb wie in jedem Jahr herzlich um Ihre Spende! Eine unabhängige, zielgerichtete Forschung ist nach wie vor sehr wichtig.

Für Ihre Planung des kommenden Jahres: Es wird **2019 zwei SMA-Tage** geben: Am **30. März in Ulm** mit Unterstützung des Universitätsklinikums Ulm und am **14. September in Düsseldorf**. Näheres erfahren Sie auf den Webseiten der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke und der Initiative SMA in den kommenden Wochen. Sie sind schon jetzt herzlich eingeladen, daran teilzunehmen!

Wie immer wünsche ich Ihnen einen infektfreien Winter und ... eine problemlose Behandlung mit guten Ergebnissen!

Mit herzlichen Grüßen



Dr. Inge Schwersenz