



München, im November 2017

Liebe SMA'ler, liebe Angehörige und liebe Freunde,

als wir im November letzten Jahres von einem aufregenden Jahr berichtet haben, ahnten wir nicht, dass noch vor Weihnachten 2016 **Spinraza**, das erste Medikament für die Spinale Muskelatrophie, zuerst in den USA und ein halbes Jahr später auch in Europa zugelassen werden würde. Die Freude darüber war und ist groß. Schließlich ist es auch ein Erfolg der Selbsthilfegruppen in den USA und Europa, die seit fast 30 Jahren SMA-Forschungsgruppen unterstützt haben. Natürlich ist das zuerst ein Erfolg der Firmen Ionis und Biogen. Beiden wurde kürzlich der renommierte Prix Galien USA 2017 für die Entwicklung von Spinraza zuerkannt.

Dank unseres Gesundheitssystems können seit der **Zulassung in der EU am 1. Juni 2017** in Deutschland alle Patienten mit SMA 5q mit Spinraza behandelt werden. Schon vor der Zulassung geschah das seit Ende 2016 bei Patienten mit SMA Typ I im Rahmen eines Härtefallprogramms. **Gegenwärtig werden in Deutschland ca. 250 Patienten behandelt, darunter auch ca. 30 Erwachsene.**

Auf die Zulassung des Medikaments waren viele Kliniken in Deutschland und die Krankenkassen nicht vorbereitet. Die Nachfrage der Patienten nach Behandlungsmöglichkeiten war groß. Sie konnte dank der Mithilfe der DGM und der Initiative SMA und der folgenden Veröffentlichung von Listen der Kliniken, die bereit sind, Kinder bzw. Erwachsene zu behandeln, koordiniert werden. In vielen Fällen konnten wir dazu beitragen, Probleme zwischen den Patienten, Kliniken und den Krankenkassen zu lösen.

Eine besondere Schwierigkeit ergab sich dadurch, dass in den durchgeführten klinischen Studien die erwachsenen SMA-Patienten nicht beteiligt waren. Zu ihrer Behandlung konnten in Zusammenarbeit der DGM mit der Initiative SMA und der Deutschen Gesellschaft für Neurologie Empfehlungen erarbeitet werden.

Unser besonderer Dank soll an dieser Stelle der **Uniklinik Freiburg** gelten, die sofort nach Zulassung mit großem Einsatz begonnen hat, Kinder zu behandeln und der **Uniklinik Ulm**, die sich ohne Zögern auch der Jugendlichen und Erwachsenen angenommen hat, die wegen einer Skoliose oft schwierig zu behandeln sind.

Ein erstes Medikament steht nun zur Verfügung. Für weitere potentielle Medikamente werden von den Firmen Roche und Novartis klinische Studien durchgeführt oder vorbereitet. Nicht alle Patienten reagieren, unabhängig vom Alter, gleich gut auf Spinraza. Es ist zu erwarten, dass das bei anderen Medikamenten ähnlich sein wird. Hier muss weiter geforscht werden, um den Ursachen nachzugehen. Wir brauchen weiterhin auch Grundlagenforschung an den Universitäten, um noch andere Ansatzpunkte für eine Therapie der SMA zu finden und um mögliche Folgen der SMA für den menschlichen Organismus zu untersuchen. Diese Arbeiten wollen wir in Zukunft fördern.

In diesem Jahr haben wir uns mit 75.000,- Euro an der Forschungsförderung von SMA Europe beteiligt und 52.000,- Euro für eine begleitende wissenschaftliche Dokumentation der Behandlung von SMA I-Patienten durch die Uniklinik Freiburg zur Verfügung gestellt. Eine Dokumentation der Behandlung aller SMA-Patienten ist ebenfalls in Vorbereitung.

Ein Highlight des Jahres 2018 wird der erste internationale wissenschaftliche **Kongress von SMA Europe vom 25.-27. Januar in Krakau** sein. Dann folgt am **3. März der SMA-Tag in Leipzig** und vom **7.-10. September das bewährte SMA-Symposium in Hohenroda**, beides veranstaltet von der Diagnosegruppe SMA in der DGM unter Mitwirkung der Initiative SMA.

Wie in jedem Jahr danke ich Ihnen sehr für Ihre Spenden, die unsere Forschungsförderungen ermöglichen und bitte Sie sehr herzlich unsere Arbeit auch im kommenden Jahr zu unterstützen.

Und ich wünsche Ihnen und Ihren Familien einen infektfreien Winter und ein geruhames und friedvolles Weihnachtsfest!

Mit herzlichen Grüßen