

im Januar 2017



## Rückblick und Ausblick

Ein aufregendes und arbeitsintensives Jahr für SMA ist zu Ende gegangen. Am Beginn des Jahres gab es eine große Enttäuschung. Die Europäische Zulassungsbehörde für Medikamente (EMA) forderte von Roche für die Zulassung von **Olesoxime** eine weitere Phase 3-Studie. Nachdem bei diesem Beschluss keine Patientenvertreter mitgewirkt hatten, verlangten SMA Europe zusammen mit Eurordis und EAMDA eine weitere Sitzung mit Patientenvertretern. Zu der Sitzung bei EMA im November waren deshalb zwei Vorstandsmitglieder von SMA Europe eingeladen, Mencia Delemus-Belmonte aus Spanien und ich selbst. Wir haben unser Bestes gegeben; eine endgültige Antwort von EMA zur Zulassung von Olesoxime steht noch aus.

Im August hat Biogen bekanntgegeben, dass wegen überzeugender Zwischenergebnisse der Placeboarm der Studie mit **Nusinersen** bei Kindern mit Typ I geschlossen wird. Ein Härtefallprogramm wurde bei der deutschen Zulassungsbehörde, dem BfArM, beantragt und dort am 13. Oktober genehmigt. Kinder mit Typ I können seit einigen Wochen behandelt werden. Die Zulassung von SPINRAZA (Nusinersen) für alle Patienten mit SMA hat Biogen am 7. Oktober bei der EMA beantragt.

Am 23. Dezember erreichte uns die gute Nachricht, dass die amerikanische Zulassungsbehörde **SPINRAZA** für alle Patienten mit SMA zugelassen hat. Wir warten gespannt auf die Entscheidung der EMA.

Bei **SMA Europe** hat es mehrere Veränderungen gegeben. Prof. Thomas Voit, London, hat den Vorsitz des wissenschaftlichen Beirats abgegeben. Neue Vorsitzende ist Prof. Brunhilde Wirth, Köln. Wir dürfen einige neue Mitglieder begrüßen, Prof. Thomas Gillingwater, Edinburgh, Prof. Stefania Corti, Brescia, Dr. Laurant Servais, Paris und Dr. Cecile Martinat, Paris für den Teil der wissenschaftlichen Beratung und Prof. Ulrika Kreicbergs, Stockholm für Fragen der Versorgung. Auch im Vorstand des SMA Europe gab es Veränderungen, Casimir Knight, London, hat den Vorsitz niedergelegt. Als Nachfolgerin wurde Marie-Christine Ouillade, Bordeaux, einstimmig gewählt. Mencia Delemus-Belmonte, Madrid, bleibt zweite Vorsitzende. Mir selbst wurde weiterhin das Vertrauen als Kassenwartin ausgesprochen.

SMA Europe hat 2016 mit knapp 500.000 € neue Forschungsprojekte gefördert. Auch den ENMC-Workshop in Naarden zum Thema „Versorgungsstandards“ wurde sowohl finanziell als auch mit Patientenexpertise durch Anna Wittchen, Berlin, und Mencia Delemus-Belmonte, Madrid, unterstützt.

Anfang November hat SMA Europe ein wichtiges Meeting bei der europäischen Zulassungsbehörde EMA mit dem Thema: „Herausforderungen bei der Therapieentwicklung für SMA“ veranstaltet. Teilnehmer waren Mitarbeiter der Zulassungsbehörde, Vertreter der pharmazeutischen Industrie und Vertreter aus Klinik und Wissenschaft bei SMA. Ein [Video dieses wichtigen Workshops](#) ist auf der Webseite der EMA abrufbar.

Die Fragebogenaktion von SMA Europe zu SMA vom Sommer 2015, an der auch deutsche Betroffene teilgenommen haben, wurde gemeinsam von einigen Vorstandsmitgliedern ausgewertet. Das Manuskript wurde bei Neuromuscular Disorders zur Veröffentlichung eingereicht.

Für 2017 haben wir natürlich das Ziel, eine Therapie für alle Typen der SMA voranzutreiben. Wir werden wie-der an Veranstaltungen der **Diagnosegruppe SMA** in der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke mitarbeiten, z. B. am geplanten SMA-Tag in Magdeburg am 6. Mai 2017.

Ein großes Vorhaben von SMA Europe für Januar 2018 ist die erste europäische wissenschaftliche SMA-Konferenz. Hier befinden wir uns in der Vorplanung.

Die Initiative SMA wird auch im kommenden Jahr gemeinsam mit den 13 im SMA Europe zusammenarbeitenden Selbsthilfegruppen die Forschung fördern. Die Grundlage hierfür bilden die Spenden, die wir von Ihnen erhalten haben. 120.000 Euro wurden 2016 an die Initiative SMA überwiesen! Dafür danke ich allen Spendern auch an dieser Stelle sehr herzlich.

Allen SMA'lern, den Eltern und Angehörigen, Freunden und Spendern wünsche ich ein frohes neues Jahr!

Inge Schwersenz