

# Initiative „Forschung und Therapie für SMA“

im Förderverein für die Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) e.V.



**2001 - 2011**

## 10 Jahre Initiative „Forschung und Therapie für SMA“

im November 2011

### Liebe SMA´ler, liebe Eltern und liebe Freunde,

im Oktober 2001 hat der Vorstand der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke (DGM) e.V. dem Antrag zugestimmt, eine Initiative zu bilden, die sich speziell der Forschungsförderung und der Entwicklung einer Therapie bei SMA widmet. Die Initiative „Forschung und Therapie für SMA“ wurde dem Förderverein der DGM angegliedert und konnte dadurch ihre Arbeit sofort als gemeinnützige Organisation aufnehmen.

Die Gründung der Initiative SMA wurde von den SMA-Betroffenen von Beginn an durch zahlreiche Spenden großzügig unterstützt. Vor wenigen Wochen wurde mit der Überweisung einer Geburtstagsspende die 1-Million-Euro-Grenze übersprungen!

**Ich danke allen, die sich mit Fantasie und Engagement um Spenden bemüht haben, die Firmen und andere Organisationen als Sponsoren gewinnen konnten oder bei Familienfesten dem Motto folgten „Spenden statt Blumen“. Ein ganz besonderer Dank gilt den Familien Andreas Mörl und Florian Bauer, die seit 2 Jahren mit ihrer erfolgreichen Aktion „muskeln für muskeln“ viele Sportler dafür gewinnen konnten, die Initiative SMA zu unterstützen.**

10 Jahre sind für die Forschung keine lange Zeit, für die Betroffenen und ihre Familien, die auf eine wirksame Therapie hoffen, sind 10 Jahre aber eine sehr lange Zeit.

### Was konnte erreicht werden?

Am Anfang wurde Families of SMA bei dem ersten **Medikamentensuchprogramm** für eine SMA-Therapie finanziell unterstützt. Ein durch dieses Programm gefundener Wirkstoff, das Quinazolin, wurde in den letzten Monaten in Phase I klinisch an gesunden Freiwilligen getestet. Im nationalen Rahmen wurden in den folgenden Jahren **Forschungsarbeiten deutscher Universitäten** gefördert. Hier war es vor allem die Universität Köln mit der Forschung zu Valproinsäure, die dann mit Unterstützung der Initiative SMA als deutsches Zentrum an einer internationalen **klinischen Studie mit Valproat** bei Kindern mit SMA I teilnahm. Auch wenn sich hier leider nicht der so ersehnte Erfolg gezeigt hat, konnten doch viele neue Erkenntnisse gewonnen werden. Schließlich ist noch der Aufbau eines deutschen **SMA-Patientenregisters** an der Universität München mitfinanziert worden.

Im Jahre 2007 wurde mit 6 weiteren europäischen Organisationen **SMA Europe e.V.** gegründet. Einziger Zweck ist die Unterstützung der SMA-Forschung. Durch die Bündelung von Geldmitteln und die große Erfahrung des französischen Muskelverbandes im Forschungsbereich ergeben sich so bessere Möglichkeiten der Forschungsförderung. Forscher aus aller Welt stellen Projektanträge an SMA Europe, allein 2011 gingen 21 Anfragen ein. Seit 2008 wurden von SMA Europe - nach Prüfung durch den international besetzten wissenschaftlichen Beirat - Arbeiten aus allen wichtigen Bereichen der SMA-Forschung gefördert. Das reicht von der Stammzellforschung bis zu einer möglichen Therapie mit Antisense-Oligonukleotiden oder einer Gentherapie mit einem Virusvektor. Auch Forschungen zur Stabilisierung des SMN-Proteins und ein weiteres Medikamentensuchprogramm wurden finanziell unterstützt, um nur einige „Highlights“ zu nennen. SMA Europe hat **seit seiner Gründung 1,8 Mio Euro für die SMA-Forschung** bereitgestellt. Die Initiative SMA hat sich daran jährlich mit 100.000 Euro beteiligt.

**Wie in jedem Jahr möchte ich herzlich um eine Spende bitten, damit die erfolgreiche Arbeit der Initiative „Forschung und Therapie für SMA“ weitergehen kann!** Vielleicht haben Sie anlässlich eines runden Geburtstags oder eines Jubiläums die Möglichkeit, im Verwandten- und Freundeskreis oder bei einer Firma um eine Spende zu bitten.

**Ich wünsche Ihnen wie immer von ganzem Herzen einen weitgehend infektfreien Winter**

**und**

**Frohe Weihnachten**

Ihre



Dr. Inge Schwersenz