



im November 2014

Liebe SMA'ler, liebe Freunde und Angehörige,

wie immer möchten wir am Jahresende über unsere Aktivitäten des vergangenen Jahres berichten und über das, was sich auf dem Gebiet der SMA getan hat und was noch getan werden muss. Und natürlich auch mitteilen, was mit den Spendengeldern, die uns anvertraut wurden, geschehen ist.

Zunächst gibt es die sehr erfreuliche Nachricht, dass in diesem Jahr mehrere klinische Studien bei SMA begonnen haben, beziehungsweise deren Beginn für Ende 2014 fest geplant ist. Es handelt sich fast ausnahmslos um Studien, die darauf abzielen, die Menge des bei SMA fehlenden SMN-Proteins zu steigern. Man kann die vorsichtige Hoffnung haben, dass diese Strategie einen Erfolg bringen wird. Mit einer Ausnahme sind die Grundlagen für diese Studien zum ganz großen Teil durch die jahrelangen Forschungsförderungen der Selbsthilfegruppen gelegt worden. Das wiederum war nur dank der Spenden der Betroffenen und ihrer Freunde möglich!

Jetzt übernehmen große Pharmafirmen zum Glück die Finanzierung der sehr kostenintensiven und für Selbsthilfegruppen unbezahlbaren klinischen Studien. Über die laufenden klinischen Studien können Sie auf unserer Webseite (www.initiative-sma.de) alles Wichtige nachlesen.

Was haben wir im vergangenen Jahr getan? Anfang März haben wir hier **in München das jährliche Treffen von SMA Europe**, aller Mitgliedsorganisationen und des wissenschaftlichen Beirats, organisiert. Der Vorstand hat über die Förderung von **neuen Forschungsprojekten mit insgesamt ~ 400.000 Euro** Beschlüsse gefasst. Die „Initiative Forschung und Therapie für SMA“ beteiligt sich mit 80.000 Euro an der gemeinsamen Förderung.

Ein künftiger Arbeitsschwerpunkt von SMA Europe wird die Förderung der Entwicklung von Beurteilungsmethoden sein, die die Wirksamkeit neuer Wirkstoffe bzw. Medikamente beschreiben, ein sehr wichtiges Instrument bei der Durchführung klinischer Studien. Wir haben hierzu beim European Neuromuscular Centre (ENMC) im November 2014 einen Workshop in die Wege geleitet, den wir mitfinanzieren. Zu diesem Thema gab es bereits im Juli ein Treffen in Paris, zu dem der AFM eingeladen hatte, um die vom Institute de Myologie neu entwickelten Beurteilungsmethoden bei Muskelkrankheiten (Myotools) vorzustellen.

Im Juni haben wir wie in jedem Jahr zur **Förderung junger SMA-Wissenschaftler** zwei Personen die Reise zum Kongress von Families of SMA (jetzt Cure SMA) in Washington finanziert. Ihr ausführlicher Bericht über den wissenschaftlichen Teil der Veranstaltung ist auf unserer Webseite nachzulesen.

Im September hat die Initiative SMA zusammen mit der Diagnosegruppe SMA in der DGM einen ersten **SMA-Tag in München** veranstaltet. Die Teilnehmer konnten zwei sehr gute Vorträge über orthopädische Probleme bei SMA und die Durchführung von klinischen Studien sowie einen Bericht über den Kongress in Washington hören. Der nächste SMA-Tag wird 2015 in Thüringen stattfinden.

Warum ist weiterhin Forschungsförderung durch die Selbsthilfegruppen nötig? Schließlich führen doch jetzt große Firmen Studien durch! Noch wissen wir nicht, ob diese Studien tatsächlich zum Erfolg führen werden. Die Steigerung des SMN-Proteins ist *eine mögliche* Behandlungsstrategie. Selbst wenn die Studien (hoffentlich!) erfolgreich sein werden, ist es sehr wahrscheinlich, dass für eine optimale Therapie zusätzliche therapeutische Angriffspunkte, z.B. im Muskel, untersucht werden müssen. Deshalb dürfen wir nicht aufhören, die Forschung an den Universitäten zu unterstützen. **Deshalb sind wir weiter auf Ihre Spenden angewiesen!**

Schließlich wollen wir uns herzlich bei allen bedanken, die im laufenden Jahr selbst gespendet haben oder einen persönlichen Anlass hatten, Freunde und Bekannte um eine Spende für die Initiative SMA zu bitten. Inzwischen organisieren immer mehr Betroffene, Freunde und Förderer Veranstaltungen mit dem Ziel, Spenden zu sammeln. Für Spendensammlungen erhalten sie auf Wunsch auch Plakate, Faltblätter und Spendendosen von uns. Ein besonderer Dank gilt unseren „Dauerspendern“, die uns mit ihren monatlichen Überweisungen sehr helfen, und der überaus erfolgreichen Aktion „Muskeln für Muskeln“.

Wie in jedem Jahr wünsche ich allen eine besinnliche Adventszeit, ein schönes Weihnachtsfest und vor allem einen Infekt freien Winter!

Mit herzlichen Grüßen

Ihre



Inge Schwersenz

Seit kurzem können Sie auf der Webseite der Initiative SMA auch online spenden!