

15 Jahre Initiative SMA

im November 2015

Liebe SMA'ler, liebe Angehörige und Freunde,

wie schon im letzten Rundbrief angekündigt, gibt es jetzt Studien bei SMA zu Medikamenten, die sehr gezielt in das Krankheitsgeschehen eingreifen sollen.

Als Mitglied von SMA Europe habe ich in diesem Jahr an vielen Terminen mit Wissenschaftlern aus dem SMA-Bereich und Vertretern der Pharmaindustrie teilgenommen. Immer ging es um die möglichst baldige Zulassung eines Medikaments für SMA. Uns geht es als Eltern eines Sohnes mit SMA nicht anders als vielen von Ihnen. Man schwankt zwischen Hoffen auf ein wirksames Medikament und Bangen, wann es endlich verfügbar sein wird.

Leider ist auch, wie sicher die meisten von ihnen gelesen haben, eine der Studien aus Sicherheitsgründen gestoppt worden, weil sich bei Versuchstieren ein vollkommen unerwarteter Befund in der vorgeschriebenen Studie zur Langzeitverträglichkeit gezeigt hat. Das wird gerade näher untersucht und Ende dieses Jahres will die Firma F. Hoffmann-La Roche das weitere Vorgehen bekanntgeben. Sie werden darüber auf unserer Seite lesen können.

Wie wir auch berichtet haben, hat die Firma F. Hoffmann-La Roche die Firma Trophos aufgekauft und damit Olesoxime, für das bereits eine Studie bei SMA mit positivem Ausgang vorliegt. Ein Statement hierzu wird die Firma in Kürze abgeben und auch darüber werden wir auf unserer Webseite berichten.

Die Studien der Firmen ISIS/Biogen und Novartis laufen bisher ohne Komplikationen, allerdings kann noch keine Aussage über Wirksamkeit getroffen werden.

Es geht also voran, ein wirksames Medikament gegen die SMA zu finden. Es liegt allerdings noch ein Stück Weg vor uns!

Wie sicherlich viele von Ihnen gesehen haben, haben wir in diesem Jahr einige von Firmen durchgeführte Fragebogenaktionen aktiv unterstützt. Auch SMA Europe hat eine Fragebogenaktion durchgeführt, die dazu dienen soll, sogenannte „patient reported outcomes“ zu identifizieren. Also zu erfragen, welche Verbesserungen den Patienten im Alltag wichtig sind, bzw. welche Wirkung sie sich von einem künftigen Medikament erhoffen. Die Beteiligung, auch die deutsche, war überwältigend groß. Dafür danken wir allen sehr. Noch läuft die Auswertung bei der AFM, unserer französischen Partnerorganisation. Es ist ein sehr wichtiges Projekt, unter anderem um bei den Zulassungsbehörden mehr Verständnis für die Erkrankung zu erzeugen.

Hierzu diene auch ein erstes **Treffen von SMA Europe mit der europäischen Zulassungsbehörde für Medikamente, der EMA** (European Medicines Agency). Ein weiteres, größeres Treffen mit der EMA soll im kommenden Jahr folgen. Wir können und wollen keine Lobbyarbeit für bestimmte Medikamente machen, aber wir können die Sichtweise der Patienten darlegen und ihr großes Interesse an einer sehr raschen Zulassung eines Medikaments deutlich machen.

Selbstverständlich hat SMA Europe wieder eine Ausschreibung für die **Förderung wissenschaftlicher Projekte** durchgeführt. Vom wissenschaftlichen Berat wurden 4 Projekte aus dem europäischen Raum vorgeschlagen, die **mit insgesamt 450.000 Euro** gefördert werden. Daran konnte sich die Initiative SMA dank Ihrer Spenden mit 120.000 Euro beteiligen.

Wie es schon Tradition ist, hat die Initiative SMA auch 2015 zwei jungen Wissenschaftlern die Teilnahme am SMA-Kongress von Cure SMA (früher Families of SMA) ermöglicht. Den Bericht können sie auf unserer Webseite lesen.

An den **Aktionen der Diagnosegruppe SMA** in der Deutschen Gesellschaft für Muskelkranke hat sich die Initiative SMA auch 2015 beteiligt. Der SMA-Tag in Erfurt wurde von Familien aus nah und fern besucht. **Die Vorbereitung des nächsten SMA-Symposiums vom 30.10.-3.11.2016 hat begonnen.**

Was wollen wir im kommenden Jahr erreichen? SMA Europe wird seine **Kontakte zu den Pharmafirmen**, die an der Entwicklung eines Medikaments arbeiten, intensiv fortsetzen. Wir wollen selbstverständlich unabhängig bleiben, wollen aber so gut wie möglich, die Durchführung von Studien voranbringen und die Zulassung eines Medikaments für SMA beschleunigen.

Und wir wollen im nächsten Jahr wieder – gemeinsam mit inzwischen 13 weiteren europäischen SMA-Selbsthilfegruppen im SMA Europe e. V. – die bestmögliche Forschung unterstützen. Der Weg zu einem Medikament ist noch nicht am Ende. Hierfür bitte ich um Ihre Unterstützung. **Helfen Sie bitte mit Ihrer Spende dieses gemeinsame Ziel zu erreichen.**

Am Ende unseres jährlichen Rundbriefes steht der Dank an alle, die uns wieder in so beeindruckender Weise mit Ihren Spenden unterstützt haben. Herzlicher Dank gebührt all den Unermüdlichen, die Jahr um Jahr in ihrem Freundes- und Bekanntenkreis um Spenden für die Initiative SMA werben, allen voran „Muskeln für Muskeln“ und Norbert Ferber von der Firma ITC IT-Consulting GmbH. Und ein großes Dankeschön unseren treuen Dauerspendern, die jeden Monat an uns denken.

Eine besinnliche Weihnachtszeit, ein schönes Weihnachtsfest und insbesondere allen SMA'lern einen Infekt freien Winter!

wünscht Ihnen mit herzlichen Grüßen

Ihre



Inge Schwersenz