

München, im November 2016

**Liebe SMA'ler, liebe Angehörige und liebe Freunde,**

**ein aufregendes Jahr liegt bald hinter uns! Es hat uns einen großen Schritt weiter in Richtung einer Therapie für die Spinale Muskelatrophie gebracht.**

Wie die meisten wissen werden, wurde eine Behandlungsstudie von Biogen/Ionis mit dem Wirkstoff Nusinersen für SMA Typ I ein Jahr vor dem geplanten Ende nach einer Zwischenanalyse aufgrund guter Ergebnisse vorzeitig beendet. Im Rahmen eines Härtefallprogramms können ab sofort Kinder mit Typ I an den drei deutschen Zentren mit dem Medikament behandelt werden.

**Die Firma Biogen hat bereits eine Zulassung von Nusinersen für alle SMA-Typen sowohl bei der europäischen als auch bei der amerikanischen Zulassungsbehörde beantragt.**

Noch sind wir aber nicht an unserem Ziel, einer optimalen Behandlung für alle SMA-Patienten!

Vor 15 Jahren haben wir die Initiative „Forschung und Therapie für SMA“ gestartet. In dieser Zeit konnten wir dank Ihrer Spenden 1,5 Millionen Euro in die Forschung investieren. Seit 2007 geschieht dies in der gemeinsamen SMA Europe-Forschungsförderung. Wir haben Grundlagenforschung, aber auch wichtige internationale Workshops zur Standardbehandlung bei SMA mitfinanziert. Wichtige Erkenntnisse zum Krankheitsgeschehen sind dabei gewonnen und entscheidende Informationen zur SMA vermittelt worden. Die Basis der jetzigen therapeutischen Entwicklungen wurde von den Patientenvereinigungen durch die Förderung der Forschung an universitären Einrichtungen gelegt. Die Ergebnisse wurden anschließend von verschiedenen Pharmafirmen weiterentwickelt, z.B. von Ionis und Roche.

Im November wird von SMA Europe ein **Workshop bei der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA)** in London mit Teilnehmern aus den Zulassungsbehörden, Kliniken, forschenden Pharmafirmen und Patientenvertretern veranstaltet. Er soll helfen, Probleme im Zulassungsverfahren von Medikamenten für diese seltene Krankheit zu erkennen und rechtzeitig zu beseitigen.

Was wir weiterhin tun möchten:

- Nach wie vor ist bei SMA Grundlagenforschung nötig! Im kommenden Jahr wollen wir hierzu ein kleineres nationales Projekt fördern.
- Wir wollen zusammen mit der Diagnosegruppe SMA qualifizierte Patientenveranstaltungen durchführen, wo sich Betroffene und Eltern über alles Wichtige informieren können. 2017 soll es einen SMA-Tag in Magdeburg und 2018 wieder ein großes SMA-Symposium in Hohenroda geben.

**Für alle Vorhaben brauchen wir Ihre finanzielle Unterstützung!**

Wir möchten Sie daher wie in jedem Jahr um eine Spende bitten. Vielleicht haben Sie im Bekanntenkreis Zugang zu Firmen, die gerne ihre Weihnachtsspende an die Initiative SMA leisten würden. Selbstverständlich gibt es dafür eine steuerlich wirksame Spendenbescheinigung.

Herzlichen Dank für Ihre so wichtige Mitwirkung!

**Und wie immer wünsche ich Ihnen und Ihren Familien einen infektfreien Winter.**

Mit herzlichen Grüßen

Ihre