



München, im November 2019

Liebe SMA'ler, liebe Angehörige und liebe Freunde,

jetzt sind wir im 2. Jahr der Behandlung mit Spinraza[®], dem ersten Medikament für die SMA und 2 weitere Medikamente sind am Horizont, eines – Zolgensma[®] von Novartis / AveXis – ist bereits im Zulassungsprozess und mit Risdiplam von Roche laufen klinische Studien. So werden Wünsche wahr!

Manch einer erwartet von der Genersatztherapie mit Zolgensma[®] die Wunderheilung. Mit fragwürdigen Behauptungen und unrealistischen Erwartungen wurden in den letzten Monaten unsägliche Diskussionen betrieben und falsche Hoffnungen geweckt. Deshalb erhalten Sie heute den Sonderdruck eines sehr guten Aufsatzes zur Genersatztherapie aus dem Forum Sanitas von Dr. Andreas Ziegler und Dr. Afshin Saffari vom Universitätsklinikum Heidelberg mit der Absicht, zu mehr Sachlichkeit und Realismus in den Diskussionen beizutragen.

Als sehr wichtig bleibt festzuhalten, dass die Therapie der SMA so früh wie möglich erfolgreich muss, um gute Erfolge zu erzielen. Wir unterstützen deshalb die Einführung des Neugeborenen-Screenings, wie es als Pilotprojekt in Teilen von Bayern und Nordrhein-Westfalen bereits erfolgt. So wird es möglich, Kinder unmittelbar nach der Geburt erfolgreich zu behandeln. Beim Gemeinsamen Bundesausschuss läuft bereits das notwendige Antragsverfahren zur Aufnahme in das Neugeborenen-Screening.

In diesem Zusammenhang sei auch der **Brief an die EMA, die europäische Zulassungsbehörde**, erwähnt, den die DGM und die Initiative SMA geschrieben haben, um darauf hinzuwirken, dass der Zulassungsprozess für Zolgensma[®] beschleunigt wird. In der inzwischen vorliegenden Antwort der EMA wird betont, dass sie sich der Bedürfnisse der SMA-Patienten voll bewusst sei und alles in ihrer Macht Stehende unternimmt, um die Bewertung so zeitnah wie möglich vorzunehmen und damit die Zulassung zu ermöglichen.

Als Patientenvertreterin habe ich im vergangenen Jahr an vielen **Besprechungen mit Pharmafirmen und an Beratungen des Gemeinsamen Bundesausschuss** teilgenommen. Im Lenkungsausschuss von SMArtCare ging es um Themen, die sich aus den neuen Behandlungsmöglichkeiten ergeben. Die Behandlung mit Zolgensma[®] stellt die neuropädiatrischen Kliniken vor umfangreiche organisatorische Herausforderungen. Zur Koordinierung der Durchführung der Behandlungen hatte die DGM im August zu einer ersten Besprechung eingeladen. Mitte November wird es hierzu ein weiteres Treffen mit Neuropädiatern geben, in dem es um das Vorgehen bis zur Zulassung von Zolgensma[®] gehen wird.

Im SMA Europe e.V. sind jetzt 20 europäische Selbsthilfegruppen vertreten. Bei Ihrem Treffen im April in Warschau wurde Eva Stumpe aus Kaufbeuren, Mutter einer Tochter mit SMA, zur neuen Schatzmeisterin berufen, eine Aufgabe, die ich seit der Gründung des Vereins im Jahre 2007 wahrgenommen habe. Mitglied des Vorstands bin ich weiterhin.

Bei der gemeinsamen Tagung mit dem wissenschaftlichen Beirat im Oktober wurde über die **Vergabe der Gelder für die Forschungsförderung** entschieden. Hierfür standen SMA Europe 700.000 Euro zur Verfügung. **Die Initiative SMA hat hierzu 200.000 Euro beigetragen. Zu den Preisträgern gehören auch zwei deutsche Forscher, Prof. Peter Claus, Medizinische Hochschule Hannover und Dr. Christian Simon, Universität Leipzig,** die mit je 150.000 Euro gefördert werden.

Vom 5.-7. Februar 2020 veranstaltet SMA Europe seinen 2. Wissenschaftlichen Kongress in Evry, Frankreich organisiert vom französischen Mitglied AFM-Téléthon. Am ersten Kongress 2017 in Krakau hatten über 800 Wissenschaftler teilgenommen.

Es gab in den zurückliegenden Monaten eine Reihe von Veranstaltungen in Deutschland, bei denen die Information der SMA-Patienten selbst im Vordergrund stand. Sie konnten sich bei den SMA-Tagen im März in Ulm, im September in Düsseldorf und im April bei einem gemeinsamen SMA-Fachtag mit dem Landesverband Berlin der DGM bei Vorträgen und Hilfsmittelausstellungen über neue Entwicklungen informieren und natürlich auch für den persönlichen Austausch untereinander nutzen. Im kommenden Jahr wird am **18. April ein SMA-Tag in Lüneburg** gemeinsam mit dem Landesverband Bremen/Niedersachsen veranstaltet, zu dem alle SMA'ler im Norden Deutschlands eingeladen sind. **Zum SMA-Symposium vom 10.-13. September werden dann wieder viele kleine und große und ältere SMA'ler in Hohenroda erwartet.**

Neben diesen Veranstaltungen, die von der Diagnosegruppe SMA in der DGM organisiert und in Personalunion von der Initiative SMA unterstützt wurden, gab es viele telefonische Beratungsgespräche mit ratsuchenden Eltern hinsichtlich der Behandlung ihrer Kinder und mit älteren SMA'lern zu den Möglichkeiten der Behandlung bei Erwachsenen.

Eine besondere Ehrung erfuhren meinen Mann und ich in diesem Jahr durch die Verleihung des Verdienstkreuzes am Bande der Bundesrepublik Deutschland durch Herrn Bundespräsident Frank-Walter Steinmeier. Bei der Aushandigung der Auszeichnung würdigte der Bayerische Staatsminister der Justiz, Georg Eisenreich, unser Engagement im SMA-Bereich. Hierzu haben Sie mit Ihren Spenden an die Initiative SMA entscheidend beigetragen. **Mit diesem Brief möchten wir einen Teil der Ehrung an Sie weitergeben und Ihnen sehr herzlich für Ihre Unterstützung danken.**

Die SMA-Forschung muss unbedingt von den Patientenorganisationen weiter vorangetrieben werden. Bei der Gründung der Initiative „Forschung und Therapie für SMA“ im Jahre 2001 gab es die Vision einer Therapie, die damals von einigen als Utopie angesehen worden ist. **Das nächste Ziel heißt Regeneration des neuromuskulären Systems! Um daran mitzuwirken, bitte ich Sie mit diesem Brief um eine Spende.**

Wie in allen zurückliegenden Jahren danke ich Ihnen für Ihre Spenden und wünsche Ihnen allen wieder einen möglichst infektfreien Winter!

Mit herzlichen Grüßen



Dr. Inge Schwersenz