

## **RELAZIONE SULLA GESTIONE DEL 2017**

L'attività dell'associazione si è svolta perseguendo gli obiettivi statutari e indirizzando i propri sforzi su ricerca scientifica, assistenza e vita quotidiana, ma anche informazione e sensibilizzazione. I fondi raccolti sono stati destinati ai progetti di ricerca e di sostegno alle famiglie già in essere all'inizio dell'anno. Famiglie SMA nel corso del 2017 ha:

- continuato il progetto S.m.a.r.t. dando seguito all'apertura dei centri Smart in Italia o potenziando i centri già in funzione grazie anche al supporto economico di Wamba Onlus;
- rafforzato il servizio Numero Verde Stella rendendo maggiormente disponibili le risorse dedicate all'assistenza legale;
- principalmente finanziato il progetto EAP (open access program) che ha visto l'apertura del farmaco Nusinersen/Spinraza, dopo l'interruzione del trial in corso, ai tutti i bambini affetti da SMA 1. L'Associazione ha creato un comitato che ha stabilito i criteri di priorità in base a età, gravità e prossimità al centro somministratore, gestito direttamente le liste attraverso il supporto del numero verde, sostenuto il personale dei centri dedicati alla somministrazione, gestito la logistica, le eventuali ambulanze, gli spostamenti garantendo il rimborso economico a tutti quelli che ne hanno fatto richiesta. Hanno avuto accesso al farmaco in questa fase in tutto 130 bambini di tutte le età;
- finanziato progetti di comunicazione e informazione.

Gli oneri di gestione sostenuti nel corso dell'esercizio appena trascorso vengono sintetizzati qui di seguito con la precisazione che si tratta di costi contabilizzati per cassa e non per competenza ossia, che hanno avuto la loro manifestazione finanziaria nel corso del 2017 anche se relativi a progetti di spesa già deliberati dall'associazione in anni precedenti.

### **ONERI IN SINTESI**

Ricerca scientifica	44.547
Riabilitazione e assistenza	608.706
Convegno annuale	32.577
Sensibilizzazione	334.390
Amministrazione e varie	108.951
<b>TOTALE</b>	<b>1.129.171</b>

Per una migliore lettura dei dati, nello schema di bilancio, sono stati riportati i Fondi Patrimoniali utilizzabili dall'Associazione alla data di chiusura dell'esercizio per il finanziamento delle attività istituzionali, che ammontano complessivamente a euro 1.480.264, dettagliando però separatamente i fondi già impegnanti in progetti, ma le cui uscite monetarie devono ancora manifestarsi e il cui ammontare è pari ad euro 225.394.

### **MISSIONE E FINALITÀ DELL'ORGANIZZAZIONE**

Famiglie SMA Onlus, costituita nel 2001 a Roma da un gruppo di genitori di tutta Italia, in pochi anni è cresciuta fino a raccogliere alcune centinaia di famiglie, diventando un punto di riferimento in Italia e all'estero tra quanti si occupano, per motivi personali o professionali, di Atrofia muscolare spinale. Nel complesso, dalla sua fondazione, l'associazione ha già raccolto oltre 1 milione di euro per finanziare la ricerca sulla SMA.

L'Associazione ha tre principali obiettivi.

- informare le famiglie sugli sviluppi della ricerca scientifica, sulle terapie disponibili;

- promuovere e finanziare anche in Italia la ricerca scientifica sulla SMA e sulle possibili terapie;
- promuovere l'organizzazione di sperimentazioni cliniche di farmaci e terapie, promuovere la partecipazione degli enti di ricerca italiani alle sperimentazioni cliniche sulla SMA realizzate all'estero.

L'Atrofia Muscolare Spinale (SMA acronimo dal nome inglese) è una malattia neuromuscolare che colpisce gradualmente i muscoli del corpo a seconda della gravità: gambe, braccia, muscoli della respirazione, quelli della deglutizione. Quadro clinico molto simile alla più famosa SLA: solo che colpisce in età pediatrica. Non esiste al momento nessuna cura.

1 persona su 40 è portatore sano.

1 bambino su 6.000 nati vivi è affetto da SMA.

Si può stimare in circa 1.500-2.000 il numero di bambini e adulti affetti da SMA che vivono in Italia.

In quasi tutti i casi la SMA provoca l'invalidità completa, nei casi più gravi la malattia è mortale.

Inutile dire come tale condizione richieda da parte del personale tecnico preparazione adeguata, sia dal punto di vista pratico, sia dal punto di vista psicologico. Occorre infatti un training post-specialistico di alcuni anni.

Dal 2008 l'Associazione FAMIGLIE SMA è tra i partner fondatori di SMA Europe, un progetto federativo sostenuto attualmente da 17 Associazioni di pazienti e Fondazioni che si occupano di atrofia muscolare spinale in Europa (Italia, Francia, Spagna, Gran Bretagna, Germania, Olanda, Svizzera, Svezia, Ukraina, Islanda, Romania, Polonia, Repubblica Ceca, Russia e Repubblica di Macedonia) cui ha destinato negli ultimi sei anni più di 500 mila euro. Il nostro grande sforzo, unito a quello delle altre organizzazioni, ha permesso a SMA Europe di co-finanziare dal 2008 al 2017 ben 38 progetti, per un valore totale di oltre 4 milioni e 400 mila euro. Alcuni di questi progetti di ricerca sono oggi diventati Trial rispettando le attese dei medici che circa due anni fa hanno cominciato a parlare di sperimentazioni. Da uno di questi trial è nato il Progetto eap relativo alla somministrazione gratuita del Farmaco Spinraza agli affetti da Sma di tipo 1. Questa sperimentazione nel corso del 2017 è diventata il primo farmaco autorizzato in Italia da A.I.F.A. (Agenzia Italiana del farmaco) e reso disponibile dal servizio sanitario nazionale a tutti gli affetti da atrofia muscolare spinale.

Famiglie SMA finanzia il servizio "STELLA" che offre alle famiglie assistenza telefonica legale, amministrativa, psicologica, fiscale, scolastica, sanitaria e sociale: il team risulta attualmente composto da 4 addetti, più il supporto di 3 avvocati che forniscono il servizio di assistenza legale.

Parte dei fondi raccolti nel corso del 2017, in particolare durante la Campagna Nazionale attraverso SMS Solidale e banchetti informativi, oltre a finanziare il "Progetto Smart", sono stati destinati al sostegno del percorso sanitario di accesso al nuovo farmaco avviato negli ultimi mesi del 2016, con gli obiettivi di: ampliare il target dei piccoli pazienti in terapia, reclutare e potenziare personale medico specializzato e approntare centri regionali specializzati nel trattamento.

#### **DESTINAZIONE DEI FONDI A INIZIATIVE E PROGETTI DI RICERCA SCIENTIFICA**

In continuità con gli anni precedenti è proseguito il finanziamento dei progetti internazionali di Sma Europe:

- 25.000 euro - Identification of microRNAs as biomarkers & potential therapeutic targets in SMA - Muntoni- 2° tranche;
- 9.000 euro - Combinatorial ASO therapy using SMN-dependent and SMN-independent protection against SMA - Dr. Laura Torres-Benito – unica tranche;
- 8.000 euro - Restoring Disturbed Energy Homeostasis in SMA motor neurons - Dr. Min Jeong Kye – 1° tranche.

#### **DESTINAZIONE DEI FONDI A INIZIATIVE E PROGETTI PER RIABILITAZIONE E ASSISTENZA**

Nel corso del 2017 l'Associazione ha speso euro 608.706 per i seguenti progetti di riabilitazione e assistenza alle famiglie:

- spese per i lavori di ampliamento del "Centro di Eccellenza" presso il Policlinico "Gemelli" di Roma che l'Associazione sostiene grazie al contributo messo a disposizione dalla Fondazione Enel Cuore, l'importo di spesa del 2017 è pari a 2.026 euro;

- spese per il mantenimento del progetto Numero Verde: Il Consiglio Direttivo dell'associazione, visti i dati positivi del servizio messo a disposizione degli associati, che vengono costantemente monitorati dallo stesso organo di gestione, ha investito euro 30.023 per il mantenimento del Numero Verde Stella;

- spese per il "Progetto SMART", per un importo di euro 135.396. Il progetto sta volgendo al termine e l'Associazione sta continuando a finanziare i cicli, mediamente di tre anni, stabiliti per rendere funzionali i centri di presa in carico individuati sul territorio nazionale. Nel frattempo, nuovi accordi si stanno stendendo per rendere la rete dei centri specializzati sempre più ampia. Va sottolineato che parte della spesa per finanziare questi centri è stata sostenuta da fondi diretti di Wamba Onlus che ha sposato le iniziative di Famiglie SMA;

- spese per il progetto EAP, per una somma pari ad euro 234.365. Come nel 2016 l'Associazione ha sostenuto fino alla conclusione del progetto EAP i costi di trasferta, di vitto e alloggio degli affetti SMA di tipo 1 ai quali viene somministrato il farmaco;

- nella voce Riabilitazione e assistenza, per un importo di euro 39.575, sono compresi i contributi a progetti in collaborazione con altre Associazioni e Fondazioni, le spese per i trasporti sanitari per alcuni pazienti SMA meno abbienti e il sostegno alla FIWH (Federazione Italiana Wheelchair Hockey) per la promozione di uno degli sport preferiti dai bambini e dai ragazzi SMA d'Italia. Tra i progetti si evidenziano:

- "I SWIM SMA" progetto di "acquaticità" e attività ludica per tutti i bimbi affetti da SMA;
- "SMA-H2O" progetto che ha il duplice obiettivo di pianificare un'attività di riabilitazione/ri-educazione neuro-psico-motoria, dedicata a pazienti SMA e di costituire delle linee guida per produrre dati scientifici che definiscano gli effetti della terapia in acqua.

#### **DESTINAZIONE DEI FONDI AD ATTIVITÀ DI INFORMAZIONE ALLE FAMIGLIE E SENSIBILIZZAZIONE**

Le principali voci di spesa nell'ambito dell'attività di informazione e sensibilizzazione sono rappresentate inevitabilmente dai costi per la campagna nazionale, dai costi per la campagna 5 per mille e dai costi per l'organizzazione del convegno nazionale.

Ai fini dell'implementazione delle attività di informazione e sensibilizzazione sono da segnalare sia l'organizzazione del Convegno Annuale Nazionale riproposto nella formula a due giornate a Ravenna (RA) presso il **Grand Hotel Mattei**, dal titolo "**Presa in carico e nuove realtà terapeutiche**" con la partecipazione di alcuni dei maggiori esperti nazionali e internazionali di Atrofia Muscolare Spinale il cui costo complessivo è stato di euro 32.577 e del Convegno regionale (il primo promosso dall'associazione) svoltosi in Sicilia per famiglie e operatori con formazione ECM il cui costo complessivo è stato di 6.643 euro, sia le attività di promozione finalizzate alla donazione del "5 per mille" per le quali l'Associazione ha investito complessivi euro 53.788.

Con l'Organizzazione del Convegno nazionale l'Associazione ha questa volta voluto festeggiare insieme ai propri associati l'arrivo del farmaco Spinraza proponendo agli stessi, e soprattutto ai più piccoli la possibilità di accedere al Parco di Mirabilandia accompagnati da un gruppo di volontari.

Anche per il 2017 Famiglie SMA ha poi prodotto e inviato a tutti gli associati lo "SMAGazine" ossia l'iniziativa editoriale di Famiglie SMA, una rivista dove è possibile trovare notizie associative, di ricerca ed interviste alle nostre famiglie. Tale iniziativa è già stata confermata dal Direttivo anche per gli anni futuri

#### **DESTINAZIONE DEI FONDI A SPESE DI SUPPORTO GENERALE**

Questa categoria comprende gli oneri di gestione ed amministrazione generale, non riconducibili quindi né ad attività istituzionali, né ad attività di raccolta fondi vere e proprie se non per la parte corrispondente all'acquisto di gadget e materiale pubblicitario. Il totale delle spese risulta pressoché invariato rispetto allo stesso dato dello scorso anno.

### **RISORSE UMANE, PROFESSIONALI E VOLONTARIE**

Al perseguimento delle finalità istituzionali di Famiglie SMA Onlus concorrono principalmente una struttura volontaria, ma inevitabilmente anche una struttura professionale.

L'Associazione è diretta dal consiglio direttivo che è formato esclusivamente da soci nominati dall'Assemblea e che opera gratuitamente in favore dell'Ente. Il consiglio direttivo, attualmente è composto da 11 membri eletti nell'assemblea dei soci che ha approvato il bilancio relativo al 2016 e si avvale di una segreteria costituita da due dipendenti di cui una a tempo parziale. Da quest'anno è presente, quale organo di vigilanza, il Collegio dei Revisori composto da 3 revisori effettivi e 2 supplenti. Sul territorio nazionale l'Associazione si presenta ai terzi attraverso i delegati regionali scelti all'interno degli associati e nominati dal consiglio direttivo. Per le varie iniziative in corso l'associazione si avvale anche della collaborazione di professionisti esterni.

### **CONCLUSIONI**

Per l'esercizio 2017 il rendiconto di Famiglie SMA Onlus evidenzia un avanzo di gestione pari a Euro 29.684 a fronte di un totale entrate pari ad euro 1.157.975 e un totale uscite 1.129.171 oltre alla gestione finanziaria. di euro attivo circolante pari ad euro 1.516.378. Le entrate sono rimaste pressoché invariate rispetto lo stesso dato dell'anno precedente evidenziando una riduzione di circa l'8% mentre le uscite hanno registrato un incremento di circa il 32% rispetto lo stesso dato del 2016: maggiori uscite sono concentrate soprattutto nei progetti per la riabilitazione e l'assistenza e precisamente nel progetto EAP dove l'associazione ha fatto fronte agli impegno di spesa a sostegno delle famiglie che hanno partecipato alla somministrazione del farmaco Spinraza. Da un punto di vista patrimoniale il rendiconto evidenzia una dotazione patrimoniale praticamente invariata rispetto l'anno precedente ma con una disponibilità di fondi liberi maggiore e precisamente 1.254.870 euro di fondi da poter utilizzare per i progetti e le iniziative che verranno.

In ambito scientifico si presentano sempre più trial che saranno a disposizione degli affetti Sma e che il Direttivo di Famiglie SMA monitora costantemente così come ha monitorato e sta tuttora verificando che le Regioni italiane ed i relativi centri autorizzati somministrino a tutti i pazienti Sma il farmaco Spinraza nei tempi e nei modi concordati con A.I.F.A.

Da un punto di vista giuridico si segnala che l'Associazione Famiglie SMA anche in ottica di modifica della normativa del Terzo Settore ha fatto richiesta alla Prefettura di Roma (RM) della Personalità Giuridica.

Il Consiglio direttivo