SMA 2 gazine

ANNO IV • Numero 2 • Giugno 2017

SMAGAZINE - Notiziario di informazione di Famiglia SMA | Genitori per la ricerca contro l'Atrofia Muscolare Spinale - ANNO IV | Numero 2 | Giugno 2017 - Autorizzazione n.1822 del 10/10/2014 Tribunale di Milano - Editore Famiglie SMA Onlus

postatarget creative
LOMBARDIA/00014/01.2014
Posteitaliane

Le Bomboniere di Famiglie SMA

Famiglie SMA

Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale

famigliesma.org

Scegli le nostre proposte sul sito sostienici.famigliesma.org
oppure contattaci scrivendo a regali.solidali@sostienici.famigliesma.org
o chiamando lo 02 56 56 8312 / 345 25 999 75

IN COPERTINA
Giorgia Misotti

SMAgazine

Notiziario di informazione | Famiglie SMA

Anno IV - Numero 2 - Giugno 2017
Autorizzazione n. 322 del 10/10/2014
Tribunale di Milano

EDITORE
Famiglie SMA Onlus

DIRETTORE RESPONSABILE
Marco Piazza

DIREZIONE EDITORIALE
Daniela Lauro, Luca Binetti

COORDINAMENTO DI REDAZIONE
Barbara Pianca

REDAZIONE
c/o Consorzio Cooperho
Via Lamarmora, 7 - 20020 Lainate (MI)

HANNO COLLABORATO
Eugenio Mercuri
Paolo Pisano
Jacopo Casiraghi
Clara Battaglia
Valentina Asero
Fabio Callegari
Cristina Ponzanelli

CONCEPT GRAFICO E IMPAGINAZIONE
Developing.IT - BARI

STAMPA
ElioCartoTecnica
Via G. Bergamo, 26 - 31044 Montebelluna (TV)

L'editoriale

Aspettando le decisioni dell'Italia

Eugenio Mercuri
Direttore Neuropsichiatria Infantile (UOC) Policlinico Gemelli

Dopo l'approvazione dello scorso 23 dicembre da parte della FDA (Food and Drug Administration) negli Stati Uniti, lo scorso 21 aprile anche in Europa il comitato dell'EMA (European Medical Agency) ha dato parere positivo alla commercializzazione del farmaco Spinraza, ovvero la molecola Nusinersen. I dati più recenti, presentati a Boston il 25 aprile scorso, sono quelli ottenuti alla fine degli studi Endear, nei bimbi con SMA 1, e Cherish, nelle altre forme. Essi confermano i risultati preliminari resi disponibili alla fine dello scorso anno e l'impressione positiva avuta dalle prime esperienze del farmaco utilizzato in uso compassionevole come parte dell'EAP (Extended Access Program). Questa decisione rappresenta un momento storico per le famiglie e premia il lavoro e l'impegno dell'intera comunità SMA che, per anni, ha lavorato non solo nell'esecuzione dello studio clinico ma anche nel creare le condizioni giuste, armonizzando a livello internazionale standard di cura e misure di valutazione affinché si raggiungesse questo obiettivo.

EUGENIO MERCURI

Il doppio parere positivo ottenuto in Europa e negli Stati Uniti apre le porte alla possibile commercializzazione del farmaco nei paesi europei. Ora la discussione si sposta all'interno di ciascun paese, che deciderà liberamente come procedere. In attesa di sapere cosa accadrà in Italia, ancora una volta bisogna restare coi piedi per terra sia emotivamente, con le giuste aspettative e speranze, sia praticamente, per essere pronti ad affrontare i diversi scenari che potrebbero profilarsi. Per quanto riguarda le attese, bisogna essere consapevoli che i risultati ottenuti finora riguardano popolazioni selezionate. Una possibile commercializzazione di Spinraza aperta a tutte le forme di SMA ci permetterebbe di capire in che modo il farmaco funzioni in bambini e adulti con caratteristiche cliniche diverse da quelle scelte negli studi completati. Comprendere meglio il meccanismo del farmaco e la sua efficacia sarà una sfida emozionante.

L'esperienza degli Stati Uniti, dove il farmaco è da poco disponibile commercialmente, sta mostrando le prime difficoltà pratiche, legate alla somministrazione di iniezioni intratecali su ampia scala in una situazione diversa da quella controllata. In questo momento l'Italia è studiata dalla comunità internazionale quale esempio eccellente di gestione del programma EAP e, certamente, anche nel momento della commercializzazione ci faremo forza del già collaudato lavoro di gruppo e della stretta collaborazione tra famiglie e clinici.

L'Europa approva Spinraza

Il Comitato per i medicinali per uso umano dell'Agenzia europea per i medicinali ha espresso un parere positivo, raccomandando che a Spinraza venga concessa l'autorizzazione all'immissione in commercio in Unione europea per il trattamento di pazienti con atrofia muscolare spinale.

DI **Paolo Pisano**

Il 21 aprile scorso il Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia europea per i Medicinali (EMA) ha annunciato il proprio parere positivo quale esito della revisione di Spinraza, la molecola Nusinersen di Biogen già assunta in Italia in via compassionevole dai bambini con SMA 1 dallo scorso novembre (si veda SMAgazine 4-2016, p. 4, e il box in questo articolo dedicato all'aggiornamento del Programma EAP) e già valutata positivamente dalla Food and drug administration (FDA) americana il 23 dicembre 2016 (si veda SMAgazine 1-2017, p. 4). La via percorsa dal Comitato europeo è stata quella della procedura di valutazione accelerata, che consente di facilitare l'accesso precoce da parte dei pazienti a medicinali che soddisfano necessità mediche non soddisfatte. Spinraza è il primo trattamento per la SMA a essere raccomandato dal CHMP per l'approvazione nell'Unione europea. Poiché il farmaco è somministrato per via intratecale, tale procedura deve essere effettuata da professionisti sanitari esperti in iniezioni lombari, a causa dei rischi associati, come cefalea, dolore lombare, vomito.

Il parere positivo del CHMP è ora sottoposto alla Commissione europea che concede l'autorizzazione all'immissione in commercio

EMA, e adesso?

L'aver ottenuto anche questo "via libera" da parte di EMA rappresenta l'ennesimo passo di avvicinamento al nostro obiettivo, ma ne restano ancora tanti e dobbiamo avere pazienza. A questo punto Biogen deve sottoporre un "Dossier Prezzo/Rimborso" ad AIFA, chiedendo una "Procedura dei 100 giorni" data la particolarità della SMA. Nella sua valutazione, AIFA dovrà considerare il prezzo del farmaco che Biogen propone e dovrà negoziarlo in base ai propri budget; dovrà considerare il numero di italiani con SMA che potrebbero beneficiarne e la cost-effectiveness dello stesso in relazione all'età del singolo e al suo impatto sociale; inoltre dovrà definire i centri prescrittori e somministratori del farmaco sul territorio. Solo successivamente a ciò, la decisione di AIFA (che speriamo possa riguardare il maggior numero di pazienti possibile, e Famiglie SMA vigilerà molto da vicino il processo decisionale) verrà pubblicata sulla Gazzetta Ufficiale. Biogen dovrà stipulare un contratto con AIFA per la fornitura del farmaco per 24 mesi, e dovrà incontrare ogni singola Regione in cui è presente un centro, per stabilire le regole per il rimborso e le compensazioni. La strada è lunga ma il traguardo si vede!

Luca Binetti

EAP, L'aggiornamento

Continua senza tregua il Programma di Accesso Esteso (EAP) del farmaco Spinraza ai bambini italiani con SMA 1. Al 30 aprile 2017 ne sono stati trattati 87 di età fra 2 mesi e 20 anni; tra questi, 16 nuove diagnosi che sono state valutate e trattate entro 7/10 giorni dalla richiesta. Ci sono stati anche 19 casi di pazienti ai quali non è stato possibile praticare una puntura intratecale a causa di operazione di fusione della colonna per una eccessiva curvatura o torsione della stessa o per rinuncia, ma sono allo studio procedure alternative che verranno sperimentate nei prossimi mesi dai nostri esperti clinici. Al 30 aprile rimangono 25 pazienti (sui 131 totali) che devono ricevere ancora la prima infusione delle 6 previste per il primo anno, e contiamo di vederli trattati entro il 30 giugno 2017, a 7 mesi esatti dall'inizio dell'EAP in Italia. Questo dato è l'ennesima dimostrazione del grande risultato ottenuto dalla collaborazione fattiva tra associazioni di pazienti, clinici, istituzioni e farmaceutiche, caso raro nelle malattie rare (e non solo) e sicuramente unico a livello mondiale per quanto riguarda la SMA.

L. B.

per i medicinali a livello centrale nell'UE. Il CHMP ha raccomandato un'indicazione terapeutica per il trattamento di tutti i tipi di SMA 5q, la forma più comune della malattia. La decisione della Commissione europea è attesa ora per i prossimi mesi.

La raccomandazione espressa dal CHMP è basata in primo luogo sulla valutazione di due studi cardine controllati, Endear (che riguarda la SMA a esordio infantile) e Cherish (con oggetto la SMA a esordio tardivo), che dimostrano entrambi l'efficacia clinica significativa e il profilo di sicurezza favorevole di Spinraza.

Nello studio Endear una buona percentuale, statisticamente significativa, di soggetti con SMA a esordio infantile trattati con Spinraza ha ottenuto un miglioramento molto importante della funzione motoria in confronto ai soggetti non trattati. Inoltre, nell'analisi condotta a conclusione dello studio, è stata osservata una riduzione statisticamente significativa del rischio di morte o di ventilazione permanente nei soggetti trattati con Spinraza rispetto ai soggetti non trattati. Nello studio Cherish è stato rilevato un miglioramento clinicamente e statisticamente significativo della funzione motoria in soggetti trattati con Spinraza con SMA a esordio tardivo rispetto ai soggetti non trattati. Recenti aggiornamenti dei dati di entrambi gli studi hanno migliorato le percentuali di efficacia del farmaco nei pazienti trattati, confermando dunque la valutazione positiva.

Biogen ha ottenuto i diritti globali per sviluppare, fabbricare e commercializzare Nusinersen, il principio attivo di Spinraza, da Ionis Pharmaceuticals, leader nei prodotti terapeutici antisenso. Biogen e Ionis hanno condotto un programma di sviluppo clinico innovativo che ha portato Nusinersen dalla sua prima somministrazione negli esseri umani nel 2011 alla prima approvazione regolatoria da parte della FDA statunitense, a tre mesi dalla richiesta di immissione in commercio. Inoltre, Biogen ha inoltrato richiesta regolatoria in Giappone, Canada, Australia e Svizzera e ha in programma di inoltrare ulteriori richieste in altri paesi nel 2017.

NeMo e Famiglie SMA,
un altro passo verso il futuro

DI **Jacopo Casiraghi**

Il Centro Clinico NeMO ha inaugurato il 6 aprile 2017 il NeMO Clinical Research Center, nuovo reparto all'interno dell'Ospedale Niguarda di Milano, dedicato alla ricerca e alla sperimentazione clinica di nuove terapie sulle malattie neuromuscolari.

Famiglie SMA, insieme ai suoi partner e amici di Wamba Onlus, ha supportato l'apertura del centro di eccellenza NeMO Clinical Research Center di Milano, inaugurato lo scorso 6 aprile, finanziando la costruzione della palestra riabilitativa grazie all'importante e determinante sostegno economico di Fondazione Vodafone Italia. Si è trattata di una lunga sfida, iniziata più di un anno fa, quando è stato presentato a Fondazione Vodafone il progetto.

Il Nuovo NeMO Clinical Research è una grande opportunità, anche alla luce del nuovo farmaco disponibile (Nusinersen-Spinraza), e per altri nuovi farmaci che saranno somministrati in spazi sempre più accoglienti. Già dai colori il nuovo reparto mostra le proprie ambizioni: se nel vecchio NeMO predominavano i blu e gli azzurri "per orientare le persone nel mare della patologia" nel nuovo reparto predominano i verdi, perché ora, con l'arrivo delle cure, "è possibile finalmente avere una terra ferma sotto i piedi".

WAMBA: ALTRI TRE ANNI INSIEME A NOI

L'inaugurazione del NeMO festeggiata insieme ai nostri partner di WAMBA è stata anche l'occasione per sancire un nuovo step nel viaggio intrapreso insieme tre anni fa. Sono stati tre anni di forte collaborazione, in cui WAMBA ci ha aiutato, con attenzione e scrupolo, nel finanziamento e nella raccolta fondi dedicata ai centri SMArt di Ancona e Padova, oltre che nel finanziamento ottenuto dalla Fondazione Vodafone per il NeMO di Milano. Non sempre è facile collaborare, soprattutto quando le consuetudini operative sono diverse. Raccontare da un lato e dall'altro cogliere i bisogni, le speranze, le paure e il bell'orgoglio delle nostre famiglie è stato intenso. Imparare a capirsi e capire come coordinare gli sforzi una vera e propria sfida. Ciò nonostante le soddisfazioni sono state numerose e pertanto è nata da ambo le parti la voglia di lavorare ancora insieme, anche alla luce dei futuri progetti di SMArt. Così abbiamo deciso di rinnovare la nostra partnership per altri tre anni, che speriamo altrettanto densi di soddisfazionii. Quindi, ancora una volta, grazie WAMBA per aver deciso di continuare il viaggio con noi e le nostre famiglie!

#vedremocose

Con il 5x1000 una promessa per il futuro

DI **Developing.it**

Il nostro spot video per la campagna #vedremocose è la visione del futuro che sappiamo di poter avere. Perché la ricerca scientifica ci ha già dato dimostrazione nella storia che cancellare una malattia spaventosa non è affatto impossibile. Nel futuro che abbiamo illustrato raccontiamo la storia di Nathan, un fenomeno del palleggio che è affetto da atrofia muscolare spinale in un futuro in cui la SMA non ci sarà più. Come questo potrà accadere, se grazie a una terapia o alla ricerca sulla genetica, non possiamo dirlo ancora, ma in questo spot abbiamo voluto vedere quel futuro con i nostri occhi almeno per 30 secondi. Così Nathan palleggia da vero campione e vive in un mondo di macchine volanti dove le carrozzine sono ormai oggetti destinati ai rifiuti. Sappiamo che, come sempre, avremmo potuto contare sul sentimentalismo, ma abbiamo preferito vedere rappresentato un sogno. Sulla realizzazione tecnica dello spot i racconti sono esilaranti, a partire dalla location. In principio lo spot doveva essere girato in un campetto di basket di un parco pubblico. Ma le previsioni davano maltempo e così, trovata una location alternativa all'ultimo minuto, regista, direttore della fotografia e copy, la sera precedente al set, partono in taxi per sopralluoghi last minute. Prima si ritrovano a giocare a basket con il tassista nel parchetto della prima location e poi tutti, incluso il tassista, vengono avvistati dalla scurezza a gironzolare di notte tra i padiglioni della Fiera del Levante, dove poi è stato girato lo spot. Il giorno del set è stata follia pura con una pioggia torrenziale e una grandinata epica solo ed esclusivamente nelle ore delle riprese, non un minuto prima non uno dopo. Questo ha comportato molti cambiamenti in corso d'opera ma anche tanto divertimento e spirito di adattamento. Quello che resta, oltre alla grande prova di amicizia verso l'associazione da parte di chi ha lavorato alla campagna, è la piacevole sensazione di aver sperimentato qualcosa di nuovo nella comunicazione di Famiglie SMA, ovvero un linguaggio "fashion", moderno, molto vicino a quello dei videoclip musicali. Una scelta insolita che, però, ci ha fatto provare la bella sensazione di essere un prodotto comunicativo "come" un altro nel mondo della pubblicità di qualità, e non un'associazione benefica a cui in genere questi canali sono negati.

Cosa significa davvero per i genitori di Famiglie SMA questo finanziamento e questo obiettivo progettuale raggiunto? Le parole di Alberto Fontana, presidente dei centri NeMO in Italia, lo spiegano in modo mirabile: «Non inauguriamo degli spazi, proseguiamo un percorso. Quel percorso oggi è proiettato al futuro, questi spazi parlano di futuro, diciamo alle persone con malattie neuromuscolari che la parola speranza può essere riempita di significato perché la ricerca oggi ci aiuta, anche a livello farmacologico».

Il supporto al NeMO è uno dei tanti modi in cui il progetto SMArt prosegue le proprie attività, avendo in mente di migliorare la qualità della vita delle famiglie a diversi livelli, supportando la speranza, non accontentandoci di quello che la società (o gli effetti della malattia) vorrebbero per noi. Finanziare un centro ospedaliero di cui siamo soci non è solo fonte di orgoglio ma un modo per lasciare un segno concreto, per portare avanti la battaglia che ogni genitore vorrebbe per il proprio figlio, che ogni paziente vorrebbe per sé stesso: non essere "preso in carico" ma essere "preso in cura".

Il convegno annuale fa festa a Mirabilandia

DI **Daniela Lauro**

Il 2 e 3 settembre a Ravenna si svolgerà il convegno nazionale, focalizzato sulle nuove terapie e le modifiche della presa in carico alla luce delle stesse. Con una novità: la giornata di domenica sarà dedicata ai festeggiamenti per i risultati raggiunti. Tutti insieme a Mirabilandia.

Il mondo della SMA è stato rivoluzionato. L'arrivo del primo farmaco, Spinraza, e l'avanzamento di altre sperimentazioni promettenti rendono concreto quello che per tanti anni avevamo sperato: il quadro clinico dei nostri bambini inizia a modificarsi non più solo nel segno di un progressivo peggioramento, ma anche in quello di lievi miglioramenti. Nonostante i ricercatori non possano ancora annunciare i dati definitivi, quelli parziali e i racconti dei genitori sono pieni di promesse.

A Ravenna, il 2 e 3 settembre si svolgerà il convegno annuale di Famiglie SMA, dal titolo "Presa in carico e nuove realtà terapeutiche". Il convegno si concentrerà nella giornata di sabato al Grand Hotel Mattei di Ravenna, perché per la prima volta abbiamo deciso di dare spazio ai festeggiamenti. Infatti, domenica le famiglie si sposteranno al Parco di Mirabilandia, a cui i bambini potranno accedere già sabato grazie a un servizio di animazione a loro dedicato. Sabato, invece, la giornata si occuperà di fare il punto sui trial chiusi e su quelli in corso, oltre che sulProgetto EAP. Verranno esaminati i risultati raccolti e analizzata la procedura per l'attribuzione di un costo a un farmaco o, se nel frattempo AIFA si sarà pronunciata, prevediamo una discussione sul costo stabilito.

Forti della convinzione che sia fondamentale oggi puntare sulla qualità della vita quotidiana dei bambini, in modo che arrivino nelle condizioni migliori possibili al momento dell'assunzione delle nuove molecole, dedicheremo degli interventi sia alle novità della presa in carico alla luce delle nuove terapie, sia all'associazione Registro, perché ora più che mai è importante essere tutti presenti all'appello. Immancabili anche gli spazi più prettamente associativi, con il resoconto del tanto fatto in quest'incredibile anno.

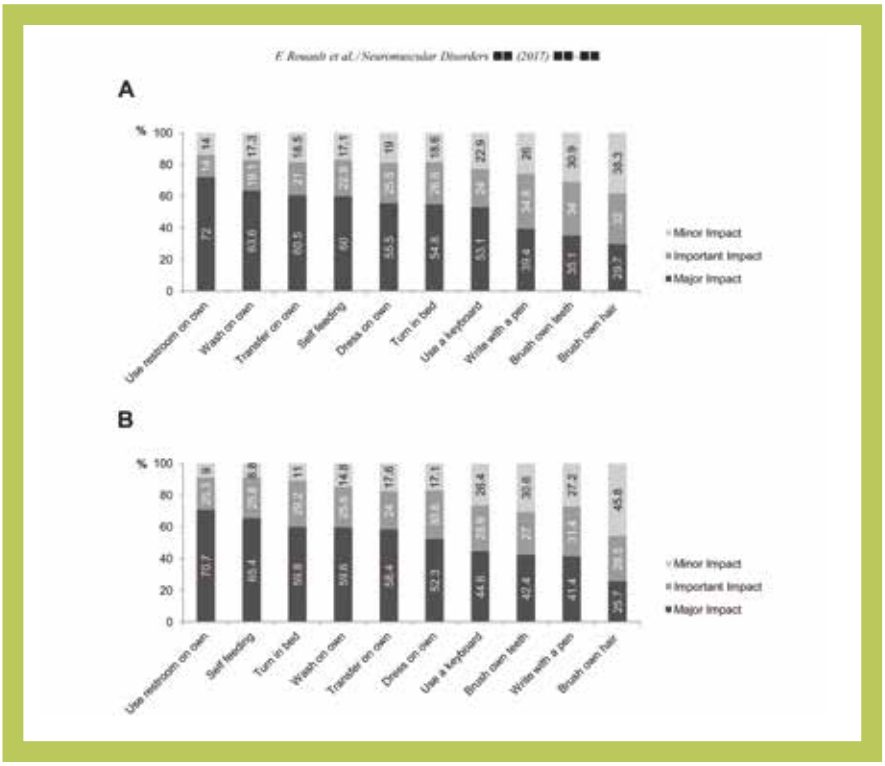
OTTOBRE 2017: IL TUO BANCHETTO PER FAMIGLIE SMA

Il prossimo ottobre ci sarà l'annuale raccolta fondi associativa. Partecipate in tanti con un banchetto nella vostra città, è importante che noi famiglie ci mobilitiamo tutte. Io l'ho fatto l'anno scorso in piazza castello a Torino, un desiderio che è nato nel profondo del mio cuore per mio figlio Matteo e per tutti coloro che lottano quotidianamente contro l'atrofia muscolare spinale. Nonostante il maltempo è stato un successo. I volontari non si sono demoralizzati e hanno contagiato l'intera piazza. Sono state difficili l'organizzazione dell'evento e le pratiche comunali, ma la perfetta riuscita e il coinvolgimento della piazza mi hanno regalato un'immensa gioia. Ogni attimo della raccolta è stato dedicato alla lotta contro questa terribile malattia, ormai a un passo dalla sconfitta. Non molliamo mai e lottiamo per sconfiggere la SMA!

Laura Giulianati, una "smamma"

La survey di SMA Europe

DI **Luca Binetti**



La survey condotta nel 2015 da SMA Europe tra le famiglie e gli operatori ha avuto una durata di circa sei mesi e ha coinvolto più di 800 persone fra pazienti, genitori e care giver. Anche l'Italia, tramite Famiglie SMA, ha partecipato alla raccolta dati, con 116 questionari compilati. Tra le altre nazioni coinvolte ricordiamo Austria, Bielorussia, Belgio, Finlandia, Francia, Germania, Irlanda, Moldavia, Polonia, Russia, Spagna, Svezia, Svizzera, Regno Unito e Ucraina.

I risultati hanno ottenuto una pubblicazione scientifica sulla rivista Science Direct, e sono stati presentati durante il workshop internazionale sulla SMA svoltosi a Londra presso l'headquarter EMA l'11 novembre scorso, oltre che durante un meeting Open AIFA a marzo 2017. Grazie a questo progetto, per la prima volta in assoluto sono stati coinvolti in un unico progetto centinaia di pazienti e familiari di tutta Europa. Inoltre, sono stati tradotti in azioni reali e concrete tutti i complicati numeri prodotti dalle scale di misurazione internazionali, a cui sono sottoposti periodicamente i pazienti e delle quali, a volte, può sfuggire il senso o il fine pratico. Pettinarsi, lavarsi i denti, girarsi nel letto, mangiare, scrivere: queste e tante altre sono le attività ritenute fondamentali e meritevoli di auspicati miglioramenti in seguito all'assunzione di un farmaco. La survey si rivolge soprattutto agli enti regolatori del farmaco (Food & Drug Administration negli Stati Uniti, European Medicine Agency in Europa e Agenzia Italiana del Farmaco in Italia), con l'intento di mostrare loro in cosa si traducono i miglioramenti a livello motorio e funzionale dovuti al trattamento farmacologico. Vengono messi in evidenza tali effetti nelle attività e nelle azioni della vita di tutti giorni e in particolare viene mostrato l'impatto che hanno i miglioramenti o la conservazione delle capacità motorie sulla qualità della vita dei pazienti e dei loro familiari. La raccolta dei dati è fondamentale sia per far comprendere l'importanza di accelerare quanto possibile i processi di approvazione della messa in commercio di un farmaco, sia per fornire agli enti regolatori gli strumenti migliori nel decidere la cost-effectiveness di un farmaco e della sua rimborsabilità.

A luglio 2015 SMA Europe, l'associazione ombrello che comprende circa 15 associazioni europee di pazienti e familiari, ha effettuato una survey fra le famiglie e gli operatori collegati alle famiglie, per identificare le aree di miglioramento atteso o desiderato a fronte dell'avvento di un potenziale trattamento farmacologico della malattia.

Siamo persone, non solo pazienti

DI **Luca Binetti**

Persone non solo Pazienti" nasce nel 2015 dall'esigenza condivisa di un gruppo di associazioni di crescere e acquisire nuove competenze attraverso la formazione, ma anche la condivisione e il confronto. Nel corso dei mesi il progetto è cresciuto e ha prodotto risultati concreti in ambiti che vanno dal bilancio sociale al calcolo dello SROI (il Social return on investment), fino alle recenti tematiche dell'accesso all'innovazione terapeutica. L'ultimo traguardo è quello del 30 marzo scorso, con la firma della Carta in cinque punti che mettono in primo piano la voce delle Associazioni e il punto di vista dei milioni di italiani che ogni giorno lottano contro una malattia. «L'informazione e il dialogo con chi vive la malattia sono due punti cardine della Carta» commenta Antonella Celano, presidente di APMAR Onlus «Affinchè le Associazioni possano affiancare le istituzioni e i decisori nel legiferare secondo le reali esigenze dei cittadini è necessario acquisire professionalità e competenze, in modo da mettere in luce esigenze e priorità e guidare il Sistema Salute verso un miglioramento del livello di qualità ed efficienza».

Sedici associazioni lanciano appello in cinque punti per migliorare la qualità del sistema salute: è la voce di "Persone non solo Pazienti", che chiede alle istituzioni un impegno concreto.

La Carta rappresenta una vera e propria call to action che punta al coinvolgimento dei principali attori del Sistema Salute. «Crediamo nella possibilità di realizzare un cambiamento e di contribuire a concreti miglioramenti. Sappiamo che il processo non sarà breve, ma contiamo sull'ispirazione e sulla forza che ci danno ogni giorno i milioni di italiani che supportiamo nella loro lotta contro la malattia»aggiunge Daniele Preti, direttore esecutivo di FedEmo.

Approva la Carta anche la casa farmaceutica Roche, che tramite la voce di Luisa De Stefano, Head of patient advocacy di Roche, dichiara: «Siamo orgogliosi di avere sostenuto questo progetto sin dalla sua nascita e siamo felici di averlo visto crescere mese dopo mese, forte della partecipazione e della condivisione di esperienze e competenze, nell'ottica di un empowerment comune. Abbiamo assistito a tanti risultati concreti che ciascuna Associazione ha raggiunto e oggi condividiamo appieno i cinque punti della Carta di Persone non solo Pazienti».

PERSONE NON SOLO PAZIENTI

Esperienze e competenze, verso un nuovo volto della Patient Advocacy

La Carta in cinque punti

1. Più welfare e integrazione, dalla famiglia, alla scuola, al lavoro. Promuoviamo una nuova cultura contro barriere e pregiudizi, a partire dai tavoli decisionali.
2. Informazione, ascolto e dialogo. Il punto di vista più importante è quello delle persone che affrontano una malattia e di chi le sostiene ogni giorno.
3. Il primo passo dell'innovazione è la prevenzione primaria, per una diagnosi equa, precoce e predittiva.
4. Vogliamo esserci. Le Associazioni devono avere voce nei momenti decisionali di politica sanitaria, al pari degli altri attori coinvolti.
5. Siamo cittadini, persone, non solo pazienti e vogliamo contribuire a guidare il miglioramento della qualità del nostro Sistema Salute.

Il bilancio del 2016

DI **Fabio Callegari**

A marzo 2017 il Consiglio direttivo di Famiglie SMA ha approvato il bilancio sociale 2016 che verrà presentato all'assemblea dei soci per l'approvazione e che evidenzia un trend positivo da diversi punti di vista. Il complesso delle attività ha generato un incremento complessivo di oltre il 30% del volume dei proventi rispetto al periodo precedente, consentendo di registrare un avanzo di gestione di 413.816 euro da destinare al rafforzamento delle dotazioni finanziarie già esistenti. Le attività hanno contribuito a rafforzare la visibilità dell'Associazione: oltre al finanziamento delle iniziative di ricerca e dei progetti di riabilitazione e assistenza, molto è stato fatto sul fronte delle attività di informazione e sensibilizzazione, le cui componenti più significative in termini di costi sono state rappresentate da:

Campagna Nazionale

A fronte di un consuntivo di spesa di 126.265 euro, ha generato proventi complessivi per euro 504.226 (di cui 254.288 da SMS e 249.938 da entrate per attività di raccolta nel territorio).

Campagna del 5 per mille

Con investimento di 44.218 euro, i cui frutti si vedranno quando l'amministrazione finanziaria renderà disponibili le risorse destinate dai contribuenti.

Campagna di Natale

A fronte di un consuntivo di spesa di 14.622 euro, ha generato proventi per 46.602 euro.

Va evidenziato poi che nel 2016 Famiglie SMA ha potenziato il servizio del Numero verde Stella con l'attività di assistenza legale alle famiglie e ha iniziato a sostenere le spese delle famiglie inserite nel Progetto EAP per la somministrazione del farmaco Spinraza. Dalla lettura del bilancio si notano, infatti, tra le "Iniziative per progetti di riabilitazione e assistenza", l'incremento rispetto allo stesso dato dell'anno precedente della voce Numero verde, e l'inserimento della nuova voce di spesa "Progetto EAP" per 44.425 euro. In questi primi mesi del 2017 Famiglie SMA ha continuato a sostenere le famiglie nel progetto EAP e ha deciso, visto i riscontri positivi ottenuti nel 2016, di confermare l'intera struttura del progetto Numero verde Stella.

BILANCIO 2016

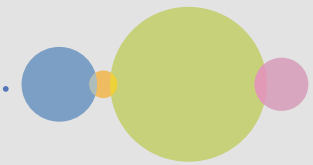
STATO PATRIMONIALE ATTIVO	
Totale immobilizzazioni	€ 10.492
Totale attivo circolante	€ 1.539.749
Ratei e risconti	€ 75.823
TOTALE ATTIVO	**€ 1.626.064**

STATO PATRIMONIALE PASSIVO	
Patrimonio sociale	€ 1.450.580
Fondi per rischi ed oneri	€ 5.900
Trattamento fine rapporto	€ 11.472
Debiti	€ 145.286
Ratei e risconti	€ 12.826
TOTALE PASSIVO	**€ 1.626.064**

CONTO ECONOMICO	
Quote associative	€ 2.710
Contributi 5 per mille Irpef	€ 217.657
Contributi e donazioni	€ 766.597
Donazioni da SMS solidale	€ 274.349
Proventi finanziari	€ 5.430
TOT. PROVENTI E CONTRIBUTI	**€ 1.266.743**
Iniziative e progetti di ricerca scientifica	€ 27.000
Iniziative e progetti per riabilitazione e assistenza	€ 442.365
Attività di informazione alle famiglie	€ 277.705
Spese generali di gestione	€ 105.582
TOTALE SPESE E ONERI	**€ 852.927**
RISULTATO DI GESTIONE	**€ 413.816**

RACCOLTA FONDI

DA CHI VENGONO	
Quote associative	€ 2.710
Aziende	€ 299.257
Non Profit	€ 117.534
Privati	€ 629.586
5x1000	€ 217.657
TOTALE	**€ 1.266.743**



DOVE VANNO	
Ricerca scientifica	€ 27.000
Riabilitazione e assistenza	€ 442.640
Convegno annuale	€ 17.432
Sensibilizzazione	€ 260.273
Amministrazione e varie	€ 105.582
TOTALE	**€ 852.927**

Terapia genica, terapia del futuro

DI **Paolo Pisano**

Si chiama AVXS-101 ed è il candidato farmaco di terapia genica progettato da AveXis per fornire una copia funzionale del gene SMN alle cellule motoneuronali al fine di migliorare la funzione motoria dei pazienti SMA. AVXS-101 è stato sviluppato per possedere gli elementi chiave di una terapia genica ottimale. La terapia è stata sperimentata in uno studio clinico di fase 1 come trattamento per la SMA di tipo 1 ed è somministrata mediante un virus innocuo, in grado di attraversare la barriera emato-encefalica, una barriera protettiva che regola le sostanze che il flusso sanguigno può trasportare nel sistema nervoso centrale.

AVXS-101 ha ottenuto lo status di farmaco orfano, il che si traduce in importanti incentivi economici e velocizzazione dei processi approvativi per le farmaceutiche che ne beneficiano.

TEST CLINICI

Un trial clinico di fase 1 è stato recentemente completato. Il suo scopo era valutare la sicurezza, la tollerabilità e l'efficacia del trasferimento genico in 15 neonati fino a 6 mesi con SMA di tipo 1. Questo studio in aperto ha valutato AVXS-101 somministrato a basso o alto dosaggio mediante un'iniezione endovenosa nel braccio o nella gamba. La sicurezza a breve termine del trattamento è stata valutata per un periodo di due anni. La sua efficacia è stata inizialmente valutata quando tutti i pazienti hanno raggiunto i 13,6 mesi di età. Un'analisi di sicurezza di follow-up sarà completata quando l'ultimo paziente raggiungerà i due anni dopo la somministrazione. I pazienti verranno quindi monitorati ogni anno secondo standard di cura fino a 15 anni. Un'analisi intermedia dei dati effettuata nel luglio 2016 ha dimostrato un profilo di sicurezza favorevole senza nuove osservazioni relative alla sicurezza o alla tollerabilità correlate al trattamento. Sono stati invece osservati miglioramenti delle abilità motorie, soprattutto nel gruppo di dosaggio più elevato.

AveXis ha divulgato recentemente i risultati finali dello studio di fase 1, che non mostrano nuovi dati relativi alla sicurezza o alla tollerabilità correlati al trattamento e nessun nuovo evento negativo riportato da alcun paziente fino al marzo 2017. Miglioramenti della funzione motoria sono stati osservati in tutti i neonati: 11 dei 12 piccoli che hanno ricevuto la dose terapeutica proposta di AVXS-101 hanno ottenendo il controllo della testa, 9 sono in grado di rotolarsi per un minimo di 180 gradi a sinistra e destra, 11 sono in grado di sedere senza aiuto.

PROSSIMI PASSI

AveXis sta pianificando un incontro con l'americana FDA (Food and Drugs Administration) nel secondo trimestre del 2017 per discutere della produzione di AVXS-101. Se l'incontro darà risultati positivi, la società spera di avviare una nuova sperimentazione con AVXS-101 in pazienti SMA 1 negli Stati Uniti nel secondo trimestre del 2017.

Allo stesso modo, a seconda dei risultati della riunione con la FDA, la società spera anche di avviare uno studio di sicurezza di fase 1 a dose crescente con AVXS-101 in pazienti SMA 2 a metà del 2017 e uno studio più ampio nella UE in pazienti con SMA 1 verso la fine dell'anno. A metà del 2017 AveXis parteciperà inoltre a una riunione di fine fase 1 con la FDA e una revisione completa del programma clinico con l'EMA (Agenzia Europea per i Medicinali).

Il cuore grande di Marika Pane

Dentro ci stanno sua figlia, i bambini con patologie neuromuscolari e anche gli occhi dei bambini del Kenya.

DI **Barbara Pianca**

Foto di Alice Emmanuello

Marika Pane è la responsabile del Centro NeMO Pediatrico di Milano, Fondazione Policlinico Universitario Gemelli. Sono molte le "famiglie SMA" che la conoscono, i bambini che l'hanno incontrata, i medici e gli operatori che fanno riferimento a lei. Laureata in medicina e chirurgia, specializzata in neuropsichiatria infantile e con un dottorato di ricerca in neuroscienze con focus sulle malattie neuromuscolari, l'abbiamo intervistata.

Perché questa specializzazione? «Mi è sempre piaciuta la neurologia pediatrica. Conoscendo i bambini con malattie neuromuscolari mi sono accorta che mi davano qualcosa in più dei bambini con altre disabilità: hanno un sorriso, una passione per la vita che non ritrovo altrove». Qual è la parte del suo lavoro che preferisce? «Amo vistare i bambini, arrivare alla diagnosi e proseguire nel percorso assistenziale». Che rapporto instaura con i piccoli pazienti? «Entrano a far parte della "famiglia NeMO", li sento se non come figli almeno come nipotini, e li tratto come tratterei qualunque bambino, come loro stessi chiedono di venire trattati. Li sgrido se c'è da sgridarli e li lodo ogni volta che se lo meritano».

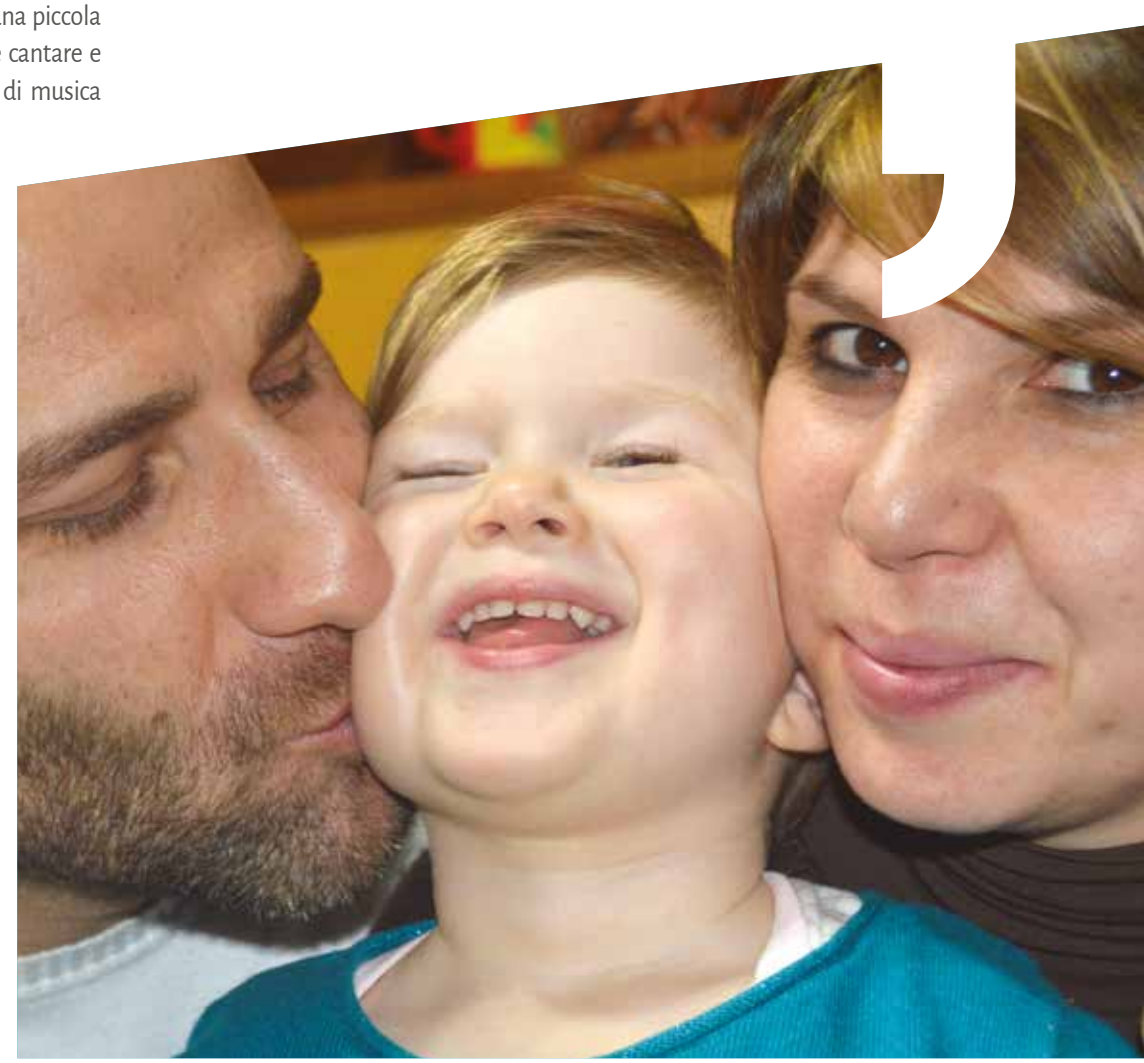
In qualità di medico, cosa tiene presente nel rapportarsi ai genitori in questo momento di trasformazione della storia della SMA? «La comunicazione è fondamentale, ai genitori ma anche ai ragazzi più grandi in grado di comprendere la loro situazione devo stare attenta a non vendere fumo: i piedi devono restare piantati a terra, l'attenzione alla qualità della vita quotidiana oggi. Certo, questo va insieme alla speranza ormai concreta del cambiamento. Il mio atteggiamento verso le nuove diagnosi è diverso, più fiducioso. Al NeMO oggi si respirano speranza, gioia ed entusiasmo, dopo tanti anni di frustrazione».

Quanto tempo della sua vita è dedicato alla sua professione? «Parecchio, direi il 75%!». Ha figli? «Sì, una bimba di 8 anni». Ritiene che la sua professione la renda una madre diversa? «Tutte le sere a cena faccio un gioco con mia figlia, ci raccontiamo la cosa più bella e la più brutta della giornata. Cerco di trasmetterle la passione e la gioia con cui facco questo lavoro. Mi fa piacere condividere con lei la diversità e la normalità all'interno della disabilità. Conosce i miei pazienti ed è capitato che cenassimo insieme. Conosce le loro storie ed è cresciuta insieme a loro». Come donna che qualità ha affinato tramite il suo lavoro? «Ho imparato a guardare il bicchiere mezzo pieno e a dare importanza alle cose importanti: prima mi capitava di dare importanza a cose poco importanti, ora le so dimensionare». Cosa fa nel 25% rimanente della sua vita, a parte la mamma? «Amo leggere e viaggiare». Qualche viaggio rimasto nel cuore? «In Messico, in Brasile. E in Kenya: gli occhi dei bambini africani mi sono rimasti nel cuore».

C'era una volta una pricipessa di nome SVEVA

DI **Barbara Pianca**

Le piace vestirsi da principessa. Ha tre anni e mezzo, è bionda con gli occhi azzurri e assomiglia davvero a una piccola principessa delle fiabe. Le piace cantare e conosce a memoria le canzoni di musica italiana che passano in televisione. Le basta vedere le prime immagini di un videoclip e ne indovina cantante e canzone. Le piace anche disegnare e dipingere, da poco ha scoperto gli acquerelli. Sveva Iannone vive a Milano con mamma Maria e papà Dario, e a 14 mesi le è stata diagnosticata la SMA di tipo 2. Chiediamo a Maria di raccontarci come si sono accorti dei primi problemi motori: «Avremmo trascorso le vacanze estive al mare e, per rendere più graduale il suo avvicinamento all'acqua, prima di partire mi iscrissi con Sveva a un corso in piscina. Fu durante quel corso che mi accorsi che gli altri bambini muovevano le gambe più di lei. Anche fuori dall'acqua, tendeva a cadere seduta e a non avere sufficiente forza nel reggere bene il tronco».



Come avete ricevuto la diagnosi? «La pediatra ci mandò al Besta. Lì, credo che il neurologo capì subito di cosa si trattasse, ma scelse una via dolce: ci invitò ad andare in vacanza e suggerì di affrontare gli esami necessari a settembre. Così, nel frattempo, io e il mio compagno continuammo a notare altri piccoli segnali di limitazione motoria. Ci aspettavamo una diagnosi di ritardo motorio, riparabile magari con della fisioterapia. Però, appunto, in qualche modo quei mesi ci servirono a prepararci alla diagnosi».

Com'è cambiata la vostra vita dopo la diagnosi? «Parecchio. Ci è voluto un po' per assimilare il fatto che Sveva avesse la SMA. Quanto agli aspetti pratici, io ne avevo già dimestichezza perché mia sorella ha una

IL BELLO DI LAVORARE IN SQUADRA

Parola di una terapista dell'età evolutiva del NeMO Milano

Siamo un'équipe di specialisti, in grado di coordinarci e seguire a 360 gradi la presa in carico dei bambini con patologie neuromuscolari»: è questo il punto di forza del NeMO Milano secondo Valentina Morettini, 31enne terapista dell'età evolutiva impiegata al NeMO dal 2009. Da allora cosa è cambiato? «Accogliamo il quintuplo dei bambini, le nostre valutazioni sono sempre più precise e coordinate con la rete italiana ed europea. La presa in carico riabilitativa è più completa e ogni terapista ha un incarico specifico. C'è il terapista respiratorio, quello che si occupa degli adulti e quelli dedicati ai bambini, che si coordinano con i terapisti occupazionali». Qual è il tuo incarico? «La valutazione e la riabilitazione motoria e psiocomotoria negli ambulatori e nei trial». Più nello specifico? «In reparto c'è molto spazio per la riabilitazione, in ambulatorio invece rilevano la valutazione dei bisogni, l'individuazione delle difficoltà articolari, la scelta di nuovi ausili, l'impostazione delle attività riabilitative». Cosa ti piace del tuo lavoro? «Stare con i bambini: anche se con le patologie neuromuscolari a volte sembra di lottare contro i mulini a vento, mi entusiasma come un piccolo miglioramento cambi la loro qualità della vita». Un esempio? «La carrozzina elettrica data a un bimbo di due anni può restituirgli la libertà che l'immobilità del corpo gli ha tolto, e permettergli di progredire nello sviluppo psicomotorio da diversi punti di vista. Il bello della figura del terapista dell'età evolutiva è che conosce le tappe teoriche dello sviluppo motorio e psicomotorio, per cui sappiamo intervenire con gli ausili e gli accorgimenti giusti per permettere al piccolo di crescere anche dal punto di vista, ad esempio, della sua partecipazione a scuola e della relazione con i pari». Quanti terapisti dell'età evolutiva ci sono al NeMO? «Due in reparto e tre dedicati a progetti specifici: la terapia in acqua, la comunicazione aumentativa e l'analisi dei dati di ricerca».

VALENTINA MORETTINI

B.P.

tetraparesi dalla nascita ed è non vedente. E pensare che, prima della nascita di Sveva, mi ero detta: la vita al fianco di una carrozzina l'ho già sperimentata, quindi non mi succederà di nuovo. Invece non è stato così. Ma un vantaggio c'è stato, sapevo già muovermi nel mondo della disabilità. Abbiamo comprato una casa più grande, progettata "a misura di Sveva": la sua stanza è la più ampia della casa, perché dentro ci stanno il lettino per i massaggi e lo spazio per la fisioterapia a terra. Abbiamo un lavandino domotico, che si abbassa in modo che lei possa utilizzarlo da seduta sulla sua panterina. In più abitiamo vicino ai miei genitori, che ci aiutano».

Che percezione ha Sveva della propria disabilità? «Non le abbiamo ancora parlato della SMA, si rende conto però di avere dei limiti fisici e cerca il modo di superarli. A volte la sento riflettere sul fatto che non può camminare o ballare. E poi vuole sempre vedere le scale. Le osserva». Com'è il suo rapporto con gli altri bambini? «È socievole e le piace stare con i coetanei. Mi dicono che all'asilo spadroneggi: ogni giorno sceglie un autista diverso per la sua panterina e si fa portare in giro».

Da quanto tempo conoscete Famiglie SMA? «Subito dopo aver ricevuto la diagnosi abbiamo incontrato Chiara Mastella e siamo entrati in contatto con l'associazione. Solo io e Dario abbiamo partecipato al convegno nazionale scorso a Bologna, senza Sveva. Il prossimo anno porteremo anche lei, ma questa volta è stato un bene fossimo da soli perché in quei giorni ho fatto i conti con la malattia e le sue possibili implicazioni, essendo stata la prima volta che incontravo tanti bambini con la SMA, in forme più gravi di quella che ancora oggi vedo in mia figlia».

A Milano siete in contatto con altri genitori? «Li incontriamo durante alcune attività in cui è coinvolta Sveva, come la piscina. Confrontandomi con loro scopro soluzioni a cui non avevo pensato, o mi rendo conto che alcune problematiche sono comuni». Rispetto a Spinraza e alle altre terapie in fase di sperimentazione avanzata come vi ponete? «Rimaniamo focalizzati sul presente, altrimenti non vivremmo più. Ci concentriamo su come fare per migliorare il più possibile la qualità della vita di Sveva con le limitazioni che ha adesso. So che Spinraza non è la cura definitiva ma potrebbe aiutarla. Sono una "tifosa" della terapia genica, credo che un giorno le cose cambieranno».

Foto di Silvia Pennisi

Con un soffio deciso i desideri si avvereranno

Storia di un'amicizia tra due "smamme"

DI **Barbara Pianca**

Al polso sinistro hanno disegnato lo stesso tatuaggio: un soffione con alcuni semi che si staccano. Si dice che soffiandoli con decisione i desideri si avverino. Valentina e Clara sono andate insieme a farselo disegnare, stupefatte da una serie di improbabili coincidenze. «Un giorno raccontai alla fisioterapista di mio figlio il progetto di tatuarmi al polso un soffione, e lei mi rispose che anche Valentina, mamma di Matteo, aveva avuto la stessa idea. Emozionata e incredula, le telefonai. Due giorni dopo eravamo nel negozio di una tatuatrice i cui figli si chiamano Matteo e Andrea, proprio come i nostri». A raccontarlo è Clara, mamma di Andrea. Matteo e Andrea hanno la SMA di tipo 2. Valentina e Clara sono le loro mamme. Sono coetanee, trentacinquenni, sono catanesi e si sono incontrate poco più di un anno fa tramite i figli. Da allora sono inseparabili e insieme hanno da poco organizzato il più grande convegno siciliano sull'atrofia muscolare spinale (29 aprile 2017).

Matteo e Andrea, amici per la vita come le loro mamme.

«Un giorno» racconta Valentina «Francesca Penno, operatrice del numero verde Stella, mi telefonò chiedendomi se fossi stata disponibile a incontrare una mamma che aveva appena ricevuto la diagnosi di SMA per suo figlio. Io, quella per mio figlio, l'avevo ricevuta proprio lo stesso giorno, il 3 febbraio, nello stesso luogo, il Gaslini, di un anno prima. È stato così che ho incontrato Clara». Ora Clara e Valentina si sentono anche più di una volta al giorno «fino a fine aprile per organizzare il convegno, ma anche per scambiare una confidenza, andare dal parrucchiere, bere un aperitivo in centro». Si aiutano se uno dei figli non riesce a fare il lavaggio nasale, si prestano il saturimetro. Andrea è salito sulla panterina per la prima volta provando quella di Matteo. Matteo, che ha avuto un rifiuto per la macchina per la tosse, ha ripreso a utilizzarla imitando Andrea. «La nostra amicizia mi fa sentire una mamma come le altre» spiega Clara «e anche i nostri figli, rincorrendosi in groppa alle loro panterine, si sentono bambini come gli altri. Una battuta tra noi a volte smorza la tensione, un'esperienza condivisa ne alleggerisce il peso».

Ma siete davvero mamme come tutte le altre? «La SMA mi ha tolto tanto ma mi ha dato tutto» dice Valentina commossa. «Sono una mamma come le altre ma più sensibile, e attiro persone più sensibili.

Avevo un'ideale di futuro ma mi sono scontrata con una realtà che l'ha contraddetto, e che mi fa restare legata al presente: non do per scontato nessuna gioia, nessuna piccola conquista che mio figlio fa oggi, e ne gioisco appieno, perché domani non so se sarà confermata».

Il successo del convegno siciliano

DI **Barbara Pianca**

Foto di Alice Emmanuello

Foto di Silvia Pennisi

Il convegno è solo l'inizio» sostengono Clara Battaglia e Valentina Asero, le due "smamme" organizzatrici del convegno regionale di Famiglie SMA "SMA, dalla diagnosi alle proposte terapeutiche" svoltosi lo scorso 29 aprile a Catania, il più importante convegno sulla SMA organizzato finora in Sicilia. Accreditato ECM, ha registrato oltre 300 iscritti e richiamato le famiglie di tutta la Sicilia, potendo vantare la partecipazione dei massimi esperti di atrofia muscolare spinale in Italia, a partire da Eugenio Mercuri del Gemelli di Roma, Claudio Bruno del Gaslini di Genova, Marika Pane del NeMO Milano, Enrico Bertini del Bambin Gesù di Roma e Anette Maria Wenzel del Vittorio Emanuele di Catania. Quest'ultima ha collaborato con Battaglia e Asero nella stesura del programma.

«L'obiettivo» spiegano le due "smamme" «era quello di gettare le basi per tessere una rete sul territorio e, al contempo, di permettere alle famiglie e agli operatori siciliani di accedere alle massime conoscenze sulla presa in carico della SMA».

Si è parlato di consulenza genetica e della complessità della diagnosi non invasiva, di respirazione e della ventilazione non invasiva. Si è, soprattutto, condiviso l'entusiasmo dei risultati raggiunti con il primo farmaco disponibile per la SMA, Spinraza, e gli esperti hanno presentato lo stato dell'arte dei diversi trial che ruotano attorno a questa molecola. Le novità – che riguardano anche la sperimentazione avanzata di altre molecole e la sperimentazione della terapia genica - hanno stimolato la produzione di nuovi standard di cura, di cui Pane ha annunciato l'imminente pubblicazione, ricordando che l'arrivo delle terapie non deve produrre l'effetto di allentare la presa sulla qualità della vita dei bambini oggi. «È anzi fondamentale» sottolinea la presidente di Famiglie SMA, Daniela Lauro, «che giungano nelle migliori condizioni possibili alla somministrazione delle nuove molecole. Curare la postura e correggere la scoliosi, utilizzare gli ausili, i macchinari e gli accorgimenti necessari per favorire la respirazione, curare gli aspetti nutrizionali sono quindi azioni fondamentali oggi, in un approccio necessariamente multidisciplinare».

In quest'ottica si è deciso di dedicare il pomeriggio alla "Vita quotidiana", con interventi sulla nutrizione artificiale, la ricerca sull'incidenza dello stile alimentare negli sviluppi della patologia, la scoliosi. A chiudere la ricca giornata gli interventi del Sapre di Milano, a proposito della formazione dei genitori e della comunicazione aumentativa, e di Famiglie SMA, i cui presidente e vicepresidente hanno descritto il ruolo organizzativo nella distribuzione di Spinraza in via compassionevole, e hanno illustrato le principali attività associative a sostegno dei bambini con atrofia muscolare spinale.

Appuntamento alla Scala

DI **Luca Binetti**

I giorni 30 marzo e 3 aprile 2017 si sono tenuti, presso lo storico Teatro alla Scala di Milano, due laboratori di canto dedicati ai bambini con SMA. Questa bellissima iniziativa, nata dalla grande caparbietà e generosità di Jane Odlum (una amica di Famiglie SMA) e della sovrintendenza del teatro stesso, è stata possibile anche grazie alla disponibilità dei due Maestri Dario Grandini e Sonia Franzese, che hanno offerto il loro tempo e le loro competenze per far vivere ai nostri bambini una mattinata speciale e unica nel suo genere. L'evento si colloca all'interno di un progetto di inclusione sociale e di apertura della Scala alla collaborazione con associazioni e onlus.

La meravigliosa cornice densa di storia e personaggi, che ha accolto i due gruppi di bambini, è stata lo spunto per fare loro visitare il teatro raccontando aneddoti e curiosità dalla costruzione fino ai giorni nostri. Successivamente, i gruppi si sono trasferiti un una sala dello storico museo, al fianco del maestoso pianoforte del Maestro Liszt, e lì, guidati dai Maestri, hanno cominciato il loro laboratorio di canto, divertenti esercizi di respirazione e vocalizzi, fino alla composizione ed esecuzione corale di un piccolo pezzo di musica d'insieme.

Un'esperienza unica e indimenticabile che ci ha regalato tante emozioni!

STELLA risponde

Salve, avrei bisogno di un chiarimento sulla tortuosa vicenda relativa al Fondo per le politiche sociali e al Fondo per la non autosufficienza.

Il Fondo nazionale per la non autosufficienza, diretto a potenziare l'assistenza domiciliare in aggiunta a quanto offerto dagli enti locali, è sceso per il 2017 da 500 a 450 milioni. Anche il Fondo per le Politiche Sociali, dai 311,58 milioni stanziati nell'ottobre 2016, è stato ridotto a 99,7 milioni di euro. È attraverso tale Fondo che si finanziano i Piani Sociali Regionali e Piani Sociali di Zona, che territorio per territorio disegnano una rete integrata di servizi alla persona rivolti all'inclusione dei soggetti in difficoltà e all'innalzamento del livello di qualità della vita.

La mobilitazione delle associazioni successiva ai tagli sembrava avere indotto a un ripensamento il Governo e le Regioni che, nella riunione del Tavolo sulla non autosufficienza di marzo, avevano garantito l'annullamento dei tagli il primo attraverso un'apposita legge e, per le Regioni, recuperando da risorse interne i 50 milioni necessari. Si auspicava che le disposizioni attese potessero trovarsi nel decreto-legge 24 aprile 2017, n. 50, ora all'esame alla Camera, nel quale, invece, non si affronta l'argomento. Si auspica che il Parlamento ripari all'omissione e che le Regioni tengano fede all'intesa raggiunta, bandendo le precedenti scelte politiche, ciniche al punto di sacrificare i più vulnerabili, negando diritti fondamentali e altissimi.

Avvocato CRISTINA PONZANELLI

SMA

Numero Verde STELLA

800 58 97 38

Con la tua firma a Famiglie SMA

#vedremocose

Con il tuo **5xmille all'Associazione Famiglie SMA** sostieni direttamente azioni e progetti concreti, come la distribuzione del **primo farmaco per il trattamento della Sma1**, cure a domicilio, formazione specifica di personale medico vicino ai pazienti e sostegno psicologico gratuito per affetti e famiglie.

Il 5xmille non è altro che una parte dell'Irpef che, senza un destinatario preciso, comunque verserai con la dichiarazione dei redditi.
Non sprecare un'occasione per contribuire a un presente migliore e a un futuro di risultati sempre più grandi grazie alla ricerca scientifica.

5xmille
|9|7|2|3|1|9|2|0|5|8|4| a Famiglie SMA
Non costa nulla, cambia le cose.

Famiglie SMA
famigliesma.org

Save the date!

CONVEGNO NAZIONALE
di FAMIGLIE SMA

Presa in carico e realtà terapeutiche

2-3 settembre 2017 RAVENNA

Grand Hotel Mattei e Mirabilandia Park

Famiglie SMA
Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale

Per info e iscrizioni: segreteria@famigliesma.org