SMA 3 gazine

ANNO IV • Numero 3 • Settembre 2017

SMAGAZINE - Notiziario di informazione di Famiglia SMA - Genitori per la ricerca contro l'Atrofia Muscolare Spinale - ANNO IV | Numero 3 | Settembre 2017 - Autorizzazione n. 322 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
Mirko e Luca Medici (Checco Zalone)

SMAgazine

Notiziario di informazione | Famiglie SMA

Anno IV - Numero 3 - Settembre 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
Giampiero Griffo
Claudio Arrigoni
Developing
Grazia Zappa
Monica Nizzardo
Francesca Braguti
Simona Spinoglio

CONCEPT GRAFICO E IMPAGINAZIONE
Developing.IT - BARI

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

Vuoi ricevere questa rivista gratuitamente a casa tua?
Manda una mail a: segreteria@famigliesma.org

L'editoriale

Vediamo cose e ancora ne vedremo

Luca Binetti
CONSIGLIERE DI FAMIGLIE SMA

#Vedremocose. Questo è il claim che la nostra agenzia di comunicazione ha creato per noi quest'anno; in effetti è quello di cui tutti noi siamo certi, anche perché di fatto noi le cose le stiamo già vedendo! Stiamo vedendo 130 bambini con SMA1 che tra lo scorso novembre e oggi hanno ricevuto almeno il primo trattamento con Spinraza e molti di loro sono arrivati già alla sesta infusione. Stiamo vedendo il primo farmaco al mondo per il trattamento della SMA entrare nella procedura approvativa e di rimborso di AIFA, l'ente regolatore italiano del farmaco che, dopo l'approvazione di EMA a fine maggio, ha preso in carico il dossier e promette di deliberare un parere in tempi molto stretti.

LUCA BINETTI

Stiamo vedendo il nostro annuale convegno che si prospetta più che mai all'insegna del divertimento e della condivisione: svolgendosi a Ravenna darà la possibilità ai nostri bambini di trascorrere due giorni di grande gioia nel parco di Mirabilandia mentre i genitori, nella giornata di sabato, potranno ascoltare gli aggiornamenti su tutte le novità in campo clinico e di vita quotidiana. Sarà quella anche l'occasione per dare vita a un nuovo Consiglio direttivo che per i prossimi tre anni guiderà l'Associazione verso obiettivi ambiziosi e condivisi. Vedremo anche quest'anno il volto amico e dissacrante di Luca Medici, in arte Checco Zalone che, grazie alla perseveranza della nostra amata Anita Pallara, ha deciso di sostenere Famiglie SMA con un nuovo spot, sequel di quello dello scorso anno, che i mass media stanno già aspettando con ansia.

In questo numero di SMAgazine, vedremo un Primo piano che affronta il tema del linguaggio: scopriremo come le persone senza disabilità definiscono le persone con disabilità e anche come le persone con disabilità definiscono se stesse, con lo spirito ironico e ottimista che contraddistingue la nostra Associazione, perché è vero che le parole sono importanti ma ancor più lo è come noi decidiamo di vivere la nostra condizione.

Parole, parole, parole

A CURA DI **Barbara Pianca**

Qualche tempo fa lo spot di una Onlus straniera lanciò una provocazione. Un ragazzo disabile spiegava di essere Down per il dottore, ritardato per l'insegnante, mongoloide per i vicini, e Pietro per la famiglia e gli amici. Non ricordo se fossero queste le parole scelte ma il senso è chiaro: siamo persone uniche e le etichette rischiano di non farlo emergere. La condizione di salute è solo una delle caratteristiche che contraddistinguono alcuni, e bisogna tenerlo presente per non assecondare l'approccio che identifica la persona con la malattia».

Se le parole creano la realtà, sceglierle diventa importante. Ne è consapevole il movimento delle persone con disabilità che dagli anni Settanta sulle definizioni ha costruito una battaglia politica, perché di un handicappato ci si prende cura mentre di una persona con disabilità si rispettano i diritti umani.

A parlare è Giampiero Griffo, presidente di DPI Italia (Disabled Peoples'International), che da anni è fautore di un'azione culturale per condividere, anche a livello universitario, lo studio delle scelte politiche ma anche del linguaggio più adatto a promuovere il rispetto dei diritti delle persone con disabilità. Proponiamo qui una riflessione sull'utilizzo delle parole e del loro diverso valore a seconda del contesto in cui vengono pronunciate, pubblico o privato.

TRA DI NOI LE PAROLE CREANO SENSO DI APPARTENENZA

DI **Simona Spinoglio**

COUNSELOR, RESPONSABILE DEL SERVIZIO NUMERO VERDE STELLA

Incontrando i bambini per il nostro progetto "A scuola con l'aquilone di Famiglie SMA", riflettiamo insieme su quanto la SMA sia una malattia ma su quanto io educatrice, nonostante abbia la SMA, non sembri ai loro occhi "malata". Spesso giungiamo alla conclusione che, sotto alcuni punti di vista, la SMA sia una sfumatura che porto con me, unita a tante altre che mi rendono l'essere unico e irripetibile che sono. Le parole hanno un peso dentro e fuori da noi; queste tre lettere, l'acronimo che indica ciò che accade ai nostri muscoli, ci accompagnano da sempre "contagiando" il nostro linguaggio fino a dar vita a neologismi come 'SMAmme', 'bimbi SMA', 'popolo SMA', 'cibi e ausili SMA-friendly'. Identificarsi con il nome di una patologia può significare attribuire a questa parte della nostra esistenza un'importanza superiore rispetto al resto, oscurando ciò che siamo, pensiamo, possiamo, desideriamo. Se relaziono questo concetto alla SMA, mi chiedo però quando questo possa essere significativo o possa addirittura, paradossalmente, diventare per alcuni una risorsa. Certo le situazioni singole sono diverse ma mi chiedo quanto, in alcuni casi, a una mamma che riceve una diagnosi così difficile possa essere utile sentire di appartenere a un gruppo di persone che da queste tre lettere non si sono fatte annientare ma che vivono, lottano, imparano, ridono e gridano al mondo l'amore per questa vita così diversa da come la immaginavano. Mi chiedo poi se, per molti dei nostri bambini e adolescenti spesso caratterizzati da una forte personalità, una vita sociale attiva e un'intelligenza viva, giocare con la parola SMA sia un modo per mostrare di non temerla perché consapevoli di essere molto di più. ■

Foto di Ariel Palmer

DIETRO ALLE PAROLE IL SOGNO DI UN MONDO INCLUSIVO

DI **Giampiero Griffo**

PRESIDENTE DI DPI ITALIA (DISABLED PEOPLES'INTERNATIONAL)

Storpi, zoppi, turpi: aggettivi come questi, che indicano una distorsione della normalità, prima dell'avvento della scienza erano i nomi con cui venivano comunemente chiamate le persone il cui aspetto fisico era segnato da una disabilità. Solo dopo che la scienza studiò e catalogò le diverse condizioni di salute si cominciò a nominare le persone con riferimento alla specifica patologia e se da una parte tale studio è stata la premessa fondamentale per la ricerca delle cure e del miglioramento della qualità della vita, dall'altra ha favorito - dal punto di vista politico e sociale - un allontanamento dalla persona. Per questo a partire dagli anni Settanta, sulla spinta delle associazioni, è andato via via prendendo piede il cosiddetto modello sociale della disabilità, secondo cui "io sono disabile perché la società mi disabilita". Nel 2001 l'Organizzazione Mondiale della Sanità ha accolto questa visione introducendo una catalogazione della disabilità dimensionata sulla relazione tra la persona e l'accessibilità del contesto in cui si trova. La Convenzione ONU sui diritti umani delle persone con disabilità, che l'Italia ha ratificato nel 2009, accoglie a sua volta il modello biopsicosociale dell'OMS basandolo sul rispetto dei diritti umani: occorre abbattere le barriere e permettere a tutti in eguale misura la partecipazione sociale. Questa nuova concettualizzazione, che è il risultato di battaglie sociali e culturali, mette al centro la persona e i suoi diritti umani indipendentemente dalla condizione di salute. Il linguaggio che parte dalla persona riflette dunque gli sforzi di questo movimento internazionale che lotta ancora oggi per un mondo inclusivo.

IL LINGUAGGIO INFLUISCE SULLA CULTURA E LA CULTURA CAMBIA LA SOCIETÀ

DI **Claudio Arrigoni**

GIORNALISTA, DIRETTORE RESPONSABILE DI DM,
RIVISTA ULIDM (UNIONE ITALIANA LOTTA ALLA DISTROFIA MUSCOLARE)

Esistono quelle che, con un termine impreciso e nemmeno tanto giusto, sono definite "categorie deboli". Sono quelle formate da persone che, per loro caratteristiche personali o sociali, sono a rischio discriminazione. Un linguaggio sbagliato è la prima, grande forma di discriminazione. Crea stigma. E, lo sappiamo bene, lo stigma è spesso marchio che rimane impresso. Quanto è importante parlare, scrivere, comunicare in maniera corretta, rispettando ognuno nelle proprie condizioni di vita. Anche in questo modo si porta a far sì che ogni persona diventi risorsa per la comunità. Ecco la parola fondamentale: persona. "People first language", dicono gli anglosassoni. Il linguaggio che mette al primo posto la persona (la bambina, il ragazzo, l'uomo, la donna). La sua condizione, se servisse indicarla, viene dopo. Semplice, ma così importante. Non scambiare un bimbo o una bimba, un ragazzo o una ragazza, un uomo o una donna per la condizione in cui vive. Prima di tutto si è una persona. Veniamo al particolare nostro: bambini SMA, affetti da SMA (quasi che ci possa essere il rischio di un contagio), gli SMA1, oppure 'gli affetti' tout court. Sentite la differenza: un bambino con SMA, una ragazza nata con atrofia muscolare spinale, una donna che ha SMA. Ancora: semplice. Ma cambia tutto. Nel secondo caso al centro c'è la persona, nel primo una delle sue condizioni di vita. Una rivoluzione di pensiero. Non banale: modificare il linguaggio influisce sulla cultura e la cultura sa cambiare la società. C'è chi dice: basta il buon senso. Forse. A volte serve chi sappia mostrare la strada. Queste indicazioni generali, poi, se ci pensate, nascono proprio da quello. Che sa dirci: niente è più importante di ciò che siamo.

ZALONE again!

DI **Barbara Pianca**

Ci siamo quasi! 22 settembre - 9 ottobre 2017: è alle porte la quindici giorni più entusiasmante dell'anno, la campagna di sensibilizzazione e raccolta fondi di Famiglie SMA che, per la seconda volta consecutiva, vanta l'eccezionale partecipazione dell'attore e comico barese

Checco Zalone. Il suo coinvolgimento nella campagna del 2016, con uno spot esilarante entrato nel cuore degli italiani e rimbalzato dai principali media, ha permesso all'associazione di farsi conoscere dalla massa e soprattutto di rendere meno rara la SMA, una patologia che ancor oggi è sconosciuta ai molti che non la incontrano direttamente nel loro cammino. Nel 2016 la raccolta finanziava il pluriennale progetto SMArt, con particolare attenzione alla gestione operativa dell'imminente programma EAP per la distribuzione in via compassionevole di Spinraza, il primo farmaco in grado di migliorare il quadro clinico della SMA. Con la fine di luglio 2017 l'EAP è terminato e tutti i bambini con SMA1 in lista hanno avuto accesso alla molecola. Su cosa verterà dunque la campagna 2017? La risposta è quella che ha convinto Zalone a rimetterci la faccia, accettando l'impegno con una frase molto semplice: «Abbiamo fatto 30, facciamo 31!».

E mentre i bambini che stanno assumendo il farmaco registrano i primi miglioramenti, di fatto impressionanti, durante l'estate gli occhi di tutti noi sono puntati su AIFA, che a inizio agosto ha dichiarato terminata la procedura sulla possibile commercializzazione di Spinraza in Italia e sulla definizione del suo prezzo, in accordo con il ministero italiano e la casa farmaceutica. Tra settembre e ottobre sapremo se AIFA ha autorizzato l'accesso alla cura per tutte le persone con qualsiasi forma di SMA e di qualsiasi età. Se così fosse, come tutti speriamo, tenendo conto che a oggi il metodo di somministrazione rimane l'iniezione intratecale, occorrerà raccogliere una cifra consistente per permettere a tutti di beneficiare della molecola nel tempo più breve possibile, poiché il tempo è il peggiore nemico di ogni patologia progressiva.

«Di fronte ai video dei bambini in terapia Checco non ha resistito» racconta Anita Pallara, consigliera di Famiglie SMA e amica del comico. È grazie al loro rapporto personale che Zalone, da anni già vicino all'associazione "dietro le quinte", ha deciso di regalare prima uno e, ora, un altro bellissimo spot ai bambini con la SMA.

I fondi che verranno raccolti anche grazie alla sua straordinaria influenza sul pubblico italiano serviranno, ancora una volta attraverso il progetto SMArt, a finanziare la gestione logistica della distribuzione del farmaco ad ampio raggio.

Il giorno delle riprese

Sul set quasi un'ora prima dell'arrivo dei bambini scelti per recitare insieme a lui, Zalone è rimasto sulla porta ad accogliere ogni nuovo venuto. Ha memorizzato il nome di ciascuno e ha intrattenuto i bambini con la sua spontanea simpatia, facendoli sentire a loro agio e dirigendoli nella messa in scena. I piccoli, alle prime armi con la recitazione, si sono fatti coinvolgere imitando le espressioni proposte dal comico. Quello che ha fatto la differenza nelle lunghe ore di ciack ripetuti è stato il suo delicato humour. «Luca Medici, questo il suo vero nome, è un uomo intelligente e colto, con due lauree. Allo stesso tempo, è divertente come nei film. Ironico e alla mano, sa mettere tutti a proprio agio»: lo descrive così Anita e lo confermano i bambini e i genitori che hanno partecipato alle riprese.

Un parziale del set dello spot, girato a Bari nello spazio di coworking dell'Impact Hub, al quartiere fieristico.

Sotto, Mirko Toller. A sinistra, Checco Zalone con Jacopo e Angelica.

Tra loro non poteva mancare Mirko Toller.

Squadra vincente non si cambia. In scena Checco&Mirko

Mirko Toller è l'altra star del 2016. Adolescente trentino, era il compagno di scena di Zalone nell'acclamato spot. Nei giorni della campagna la sua casa è stata presidiata da giornalisti di quotidiani, magazine e televisioni che hanno voluto conoscerlo e che sono rimasti catturati dalla sua simpatia. Il canale Youtube di skatch che cura con la sorella Linda, "Mirko&Linda Show", dopo la notorietà ha acquisito 400 nuovi iscritti. «Quando sono arrivato sul set Checco mi è venuto incontro e mi ha abbracciato. Ci siamo sentiti durante l'anno, per esempio ci siamo fatti gli auguri di Natale, ed è stato fantastico rivederlo di persona e potergli consegnare il disegno che ci raffigura insieme e che ha fatto per me un amico. Durante le riprese, poi, anche se ormai so un po' cosa bisogna fare, ero agitato lo stesso. Ma credo sia andato tutto bene, anche perché Checco ha avuto l'idea giusta».

L'idea giusta

Dalla primavera Luca Medici aveva dato la sua disponibilità a «fare 31», però doveva aspettare «l'idea giusta». Sì perché se Checco Zalone ha dei modi cialtroni, Luca Medici è un uomo davvero preciso «ed è probabilmente questo uno dei segreti del suo inimitabile successo» aggiunge Anita. Ma, si sa, l'ispirazione non ama le regole e nemmeno i tempi stretti. Immaginatevi lo staff di Famiglie SMA a sudare staccando un altro giorno dal calendario... finché finalmente l'idea è arrivata. A essere sicuro che fosse quella giusta era proprio lui, Luca: «L'anno scorso ho voluto parlare di disabilità in generale, ma quest'anno parliamo di voi e del momento emozionante che state vivendo con l'arrivo del farmaco per tutti». Un'idea talmente cucita su misura che è stata accompagnata da altre riprese, realizzate da Ariel Palmer, alle famiglie e anche ai medici del NeMO.

È stato fantastico rivedere Checco! Sul set credo sia andato tutto bene, anche perché lui ha avuto l'idea giusta.

I ringraziamenti

«Quello che sta accadendo alla nostra associazione è un sogno che si realizza» commenta emozionata la presidente di Famiglie SMA Daniela Lauro, «ed è un sogno nel sogno avere come nostro portavoce Checco Zalone. La sua sensibilità ci colpisce e non finiremo mai di ringraziarlo. Approfitto per ringraziare anche un altro personaggio pubblico che ci è vicino da anni con altrettanto affetto, Vittorio Brumotti. Checco e Vittorio sono due persone straordinarie, prima che due personaggi di successo, e noi siamo davvero fortunati ad averli vicini.

Con loro ringraziamo i medici e le famiglie che si sono prestati alle interviste, il nostro staff e Developing.it, l'agenzia di comunicazione che ci segue per il secondo anno consecutivo, rafforzando con freschezza e creatività "l'effetto Zalone"».

Il dono del tempo per #liberareilsogno

DI **Developing.it**

La campagna di raccolta fondi 2017. Saremo in tutte le piazze d'Italia il 30 settembre e il 1 ottobre con il motto #liberiamoilsogno. La ricerca scientifica ci ha recentemente regalato il primo farmaco per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale: quest'anno, donare significa sostenere le attività dei centri di somministrazione e liberare sempre più i sogni dei bambini di Famiglie SMA. E la libertà di sognare il futuro è la cosa più bella che c'è.

LA SCATOLA DEI SOGNI "TIN BOX COLLECTION 2017"

L'anno scorso, la nostra prima Scatola dei Sogni, contenente 500g di farfalle di grano duro, ha registrato il tutto esaurito. Lo slogan impresso su ogni scatola era stato "Siamo fatti anche noi della stessa pasta di cui son fatti i sogni" e, con questa semplice presentazione, ci avete aperto il vostro cuore. Quest'anno abbiamo scelto un vecchio detto orientale: "Tante ali di farfalla da piegare i fiori" per ricordare a noi stessi, prima di tutto, che, con l'aiuto di tutti, le vite dei nostri bambini non rimarranno fragili per sempre, ma potranno avere un peso nel mondo e la forza di piegare la realtà grazie ai progressi della ricerca scientifica.

I volontari. Anche quest'anno tanti volontari saranno presenti ai banchetti sensibilizzando la propria comunità a una maggiore conoscenza della SMA e raccogliendo fondi. Anche tu puoi donarci un po' del tuo tempo collaborando alle attività di piazza già previste o, magari, organizzando un banchetto nella tua città: è facilissimo e l'associazione ti fornirà tutto quello che ti occorre. Più persone si impegnano al fianco di Famiglie SMA e più riusciremo a liberare i sogni dei nostri bimbi.

L'appuntamento con le Piazze. Il 30 settembre e il 1 ottobre ci riconoscerai dalla SMAglietta #controlaSMAnientescuse e dal nostro gadget "La Scatola dei sogni". L'elenco completo delle piazze in cui saremo è in continuo aggiornamento ed è consultabile su www.famigliesma.org. La nostra missione è quella di far conoscere a tutti la forza e la contagiosa energia vitale delle persone con la SMA e delle loro famiglie.

Foto di Arriel Palmer

Ilaria e Arianna, una settimana senza tablet e tv

Succede solo allo stage "MF4R"

DI **Grazia Zappa**

Si è conclusa a Lignano Sabbiadoro in provincia di Udine la IX edizione dello stage residenziale teorico e pratico di formazione sull'amiotrofia muscolare spinale e patologie affini "Mio Figlio ha una 4 Ruote", conosciuto anche con il nome abbreviato "MF4R"

Organizzato dal 18 al 25 giugno dal Sapre (Settore di Abilitazione Precoce dei Genitori) dell'Unità Operativa di Neuropsichiatria dell'Infanzia e dell'Adolescenza (UONPIA) della Fondazione IRCCS Ca' Granda-Ospedale Maggiore Policlinico di Milano, lo stage ha coinvolto cinquantasei famiglie italiane e straniere. Anche quest'anno obiettivi dell'evento sono stati aumentare la confidenza, il piacere e l'accettazione della carrozzina; conoscere altri bambini, genitori e famiglie; condividere esperienze e raccogliere consigli utili e, soprattutto, divertirsi.

Elena e Maurizio, genitori di Ilaria e Arianna, hanno partecipato per la prima volta allo stage: «È stata un'esperienza bella e unica, dove tutto è stato organizzato a misura di bambino con la SMA. Anche se siamo arrivati a programma iniziato, ci siamo subito sentiti a nostro agio. Abbiamo partecipato alle attività proposte per i genitori, conosciuto tante famiglie con cui avevamo avuto solo contatti virtuali e in un paio di occasioni ci siamo perfino dimenticati alle attività nostra figlia maggiore Arianna, tanto ci sentivamo tranquilli sul fatto che fosse al sicuro con un buon gruppo di animatori». A proposito degli animatori, come vi siete trovati? «Si sono dimostrati competenti e professionali. Ci ha agevolato ad esempio il fatto che fossero in grado di sistemare Ilaria in piedi sullo "smalera" - un tutore con stivali e corsetto incorporati - durante le attività e che sapessero gestire tutori e ausili in autonomia». Le vostre figlie si sono ambientate quanto voi? «Si sono divertite, hanno giocato tutti i giorni dalla mattina alle nove fino alla sera alle undici. Non ci hanno mai chiesto né di guardare la televisione né di giocare con il tablet, mentre di solito a casa insistono, perfino ora che Arianna partecipa all'oratorio estivo, con un impegno di otto ore al giorno, quando torna a casa ci chiede di potersi rilassare con il tablet o la televisione».

Lo staff dello stage è soddisfatto per la buona riuscita della IX edizione di MF4R, apprezzata non solo da chi l'ha sperimentata per la prima volta ma anche da chi è tornato per ripeterla, come Giovanni Paolo, da poco maggiorenne, che racconta di aver vissuto «un'esperienza unica, che mi ha lasciato un bagaglio di ricordi ed emozioni; una settimana intensa, ricca di momenti indimenticabili che mi fanno capire sempre di più che amo la mia vita. Grazie al Sapre, grazie a tutti i volontari che con dedizione, impegno e pazienza rendono tutto ciò possibile!».

EAP, tutti i bambini con SMA1 hanno avuto accesso a Spinraza

Ora l'eccellenza della gestione italiana è allo studio nel mondo

DI **Luca Binetti**

Il 30 luglio 2017 gli oltre 130 bambini italiani con SMA1 iscritti alla lista per accedere alla somministrazione in via compassionevole di Spinraza hanno iniziato il trattamento. In attesa di conoscere i contenuti della decisione di AIFA alla commercializzazione in Italia del primo farmaco che, pur non guarendo, migliora il quadro clinico delle persone con atrofia muscolare spinale, la lista rimane aperta alle nuove diagnosi e più in generale agli italiani con SMA1, per lo più bambini nei primi anni d'età, che ancora non hanno dato il proprio nominativo.

Gli oltre 130 iscritti hanno avuto accesso al farmaco in circa otto mesi: un risultato unico al mondo se si pensa che nello stesso arco temporale in Germania e Inghilterra ne sono stati trattati solo cinque. Famiglie SMA è orgogliosa e soprattutto soddisfatta per aver contribuito ad aiutare in un tempo così breve un numero così alto di pazienti con uno stato di salute fortemente compromesso. Tra questi, oggi una parte sta già riscontrando i primi miglioramenti, ma non è questa la sede per documentarli. I dati raccolti saranno oggetto di almeno tre pubblicazioni scientifiche nel futuro prossimo. Oggi, alle nazioni che si rivolgono a Biogen per predisporre un programma di accesso esteso al farmaco, la casa farmaceutica porta l'esempio dell'Italia dichiarandolo una *best practice*.

Alessandro, la prima infusione a Natale dello scorso anno. Ad oggi ne ha ricevute cinque.

Come siamo stati in grado di conquistare un tanto straordinario traguardo? Grazie alla collaborazione tra medici, associazioni di pazienti, casa farmaceutica e istituzioni. Insieme abbiamo gettato il cuore oltre l'ostacolo e oggi l'affiatamento raggiunto è la solida base su cui costruire sinergie future.

Tutto è nato a ottobre quando il professor Eugenio Mercuri del Policlinico universitario Gemelli di Roma ha indetto una *conference call* con le famiglie, in seguito alla quale si è deciso di costituire un comitato per gestire il programma di accesso esteso al farmaco. Nome del gruppo: Comitato EAP (Extended Access Program). Costituito da due sottogruppi di dieci esperti ciascuno tra clinici, eticisti, psicologi, genetisti, rappresentanti di associazioni e persone con SMA e da un terzo gruppo con funzione puramente operativa e senza potere di voto, nel primo mese e mezzo dalla sua costituzione ha raggiunto tramite i centri le famiglie con diagnosi di SMA1 – che non potevano venire contattate direttamente per questioni di privacy – consegnando loro la documentazione prodotta dal Comitato stesso e invitandole, se interessate, a conferire il proprio nominativo e compilare un form predisposto in accordo dai clinici. Il Comitato, insieme ai 5 centri autorizzati alla distribuzione di Spinraza (Gemelli e Bambin Gesù di Roma, Gaslini di Genova, NeMO di Milano e Martino-NeMO Sud di Messina), ha quindi stabilito procedure standard per la somministrazione che, avvenendo per via intratecale, ha comportato il ricovero in terapia intensiva. I centri si sono detti in grado di trattare 5 bambini al mese perciò, una volta raccolti i nominativi, il Comitato ha affrontato con fermezza la fase più delicata, quella di stabilire i criteri di priorità e stratificazione, che sono poi stati seguiti con precisione fino all'esaurimento della lista.

Non ci è riuscito nessun altro. In Italia da fine luglio i pazienti iscritti alla lista per la somministrazione di Spinraza hanno ricevuto, tutti, almeno il primo trattamento. E mentre attendiamo di conoscere i contenuti della decisione di AIFA, la lista rimane aperta.

> **www.ricercasma.it**

Foto di Ariel Palmer

Tutti i farmaci e come funzionano

SMA Foundation ha predisposto un riepilogo dei farmaci approvati e in sperimentazione per aiutare i medici a orientarsi tra le diverse opzioni disponibili per i pazienti. Ecco di cosa si tratta:

TRADUZIONE A CURA DI **Famiglie SMA**

Obiettivi per gli interventi terapeutici nella SMA

SMN1 delezione o mutazione	**Diminuzione del mRNA di SMN e della proteina SMN**
STRATEGIA	
Fornire un gene SMN1 funzionante	Aumentare mRNA e proteina dal gene SMN2
MECCANISMO	
Utilizzo di virus per portare il gene SMN1 alle cellule	Modificare lo splicing di SMN2 per aumentare la quantità di proteina SMN funzionante
TERAPIA	
Terapica genica: AVXS-101	Oligonucleotide antisenso: Spinraza. Piccola molecola: RG7916 E LM1070

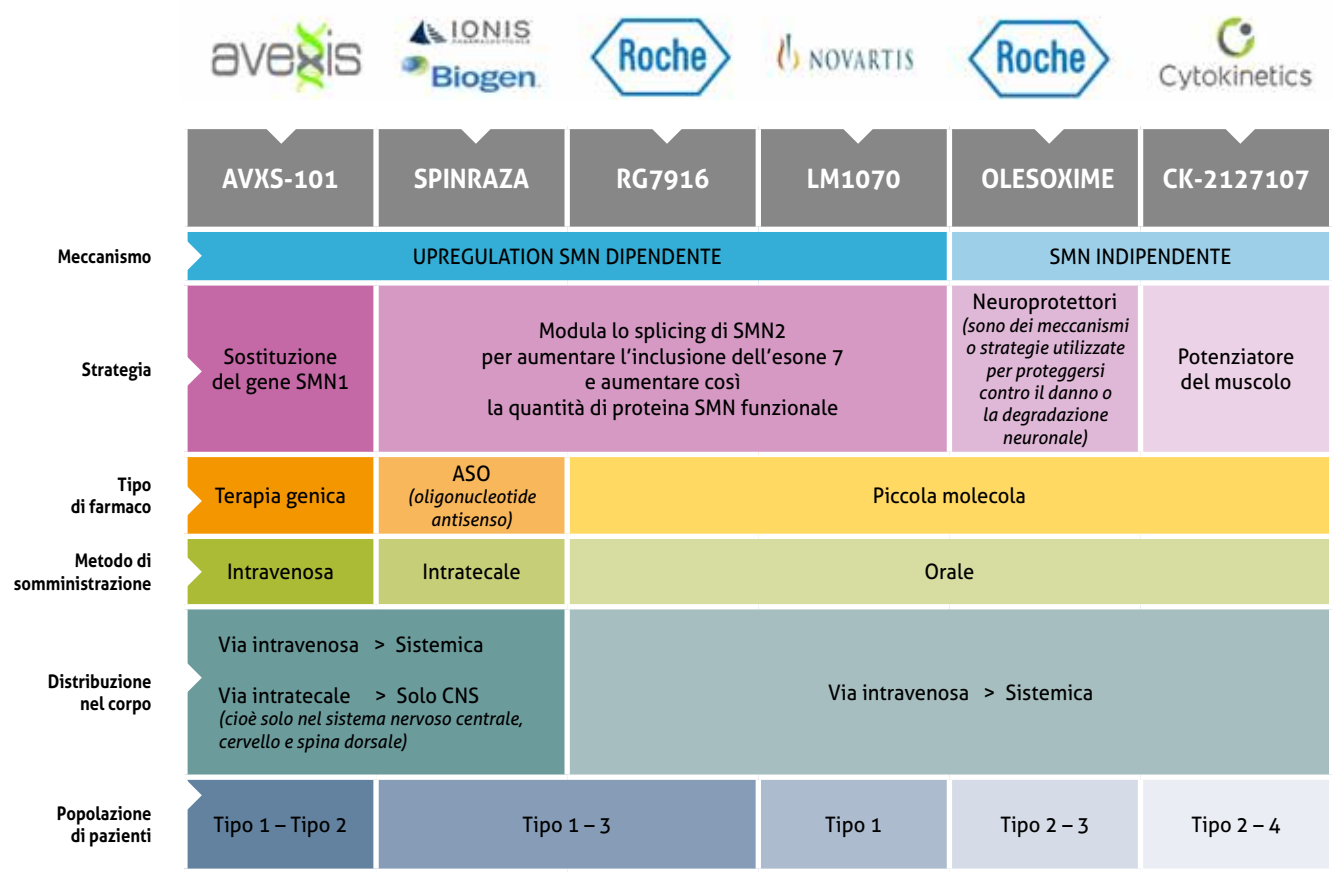
UPREGULATION SMN DIPENDENTE

Agisce tramite un meccanismo che aumenta i livelli della proteina SMN. La SMA è causata dai livelli ridotti di questa proteina.

Perdita di motoneuroni	**Debolezza/atrofia muscolare**
STRATEGIA	
Prevenire la morte del motoneurone	Migliorare la forza e la resistenza muscolare
MECCANISMO	
Mantenere l'integrità dei mitocondri nei neuroni	Attivare velocemente la troponina scheletrica per amplificare la risposta del muscolo
TERAPIA	
Piccola molecola: Olesoxime	Piccola molecola: CK-2127107

SMN INDIPENDENTE

Agisce tramite un meccanismo che non aumenta il livello di proteine SMN.



FARMACO	PROFILO DI SICUREZZA CLINICA	POPOLAZIONE DI PAZIENTI E STATUS DELLO SVILUPPO
AVEXIS: AVXS-101	Risultati dallo studio di fase I in pazienti con SMA1 dimostrano che il farmaco è ben tollerato, con un profilo di sicurezza favorevole	Uno studio di fase I in pazienti con SMA1 è stato completato nel 2017 ed è in previsione uno studio di fase I tramite assunzione intratecale in pazienti con SMA2 e un trial decisivo in pazienti con SMA1 tramite assunzione intravenosa. Alcuni pazienti potrebbero non essere candidabili per la terapia di trasferimento del gene a causa di anticorpi preesistenti per il virus AAV9
BIOGEN: SPINRAZA	Il farmaco ha mostrato un profilo di sicurezza favorevole nelle fasi I-III della sperimentazione clinica	Approvato per i pazienti con tutti i tipi di SMA negli Stati Uniti e in Europa da EMA; programmi di accesso esteso (EAP) per i pazienti con SMA1 sono stati avviati in più luoghi fuori dagli USA
ROCHE: RG7916	Uno studio di fase I in volontari sani ha dimostrato che il farmaco era sicuro e ben tollerato a tutte le dosi studiate	Attualmente testato in sperimentazioni di fase II in pazienti con SMA1,2,3
NOVARTIS: LM1070	Uno studio di fase I in pazienti con SMA1 è attualmente in corso per verificare la sicurezza del farmaco	Attualmente testato in una sperimentazione di fase I/II in pazienti con SMA1
ROCHE: OLESOXIME	I trattamenti con il farmaco non hanno sollevato alcuna preoccupazione sulla sicurezza nelle fasi II e III delle sperimentazioni con pazienti con SLA	È stata completata una sperimentazione di fase II in pazienti con SMA2 e 3
CYTOKINETICS: CK-2127107	Cinque studi di fase I in volontari sani sono stati completati e hanno dimostrato che il farmaco è sicuro e ben tollerato	Attualmente testato in una sperimentazione di fase II in pazienti con SMA2,3,4

Il progetto di ricerca per sostituire l'iniezione intratecale

DI **Monica Nizzardo**

LABORATORIO CELLULE STAMINALI NEURALI, CENTRO DINO FERRARI, UNIVERSITÀ DI MILANO IRCCS FONDAZIONE CA' GRANDA OSPEDALE MAGGIORE POLICLINICO

Il gruppo del Laboratorio Cellule Staminali Neuronali del Centro Ferrari. Monica Nizzardo è la seconda da destra.

La molecola Nusinersen, che appartiene alla categoria degli oligonucleotidi antisenso (ASO), è da poco in commercio come primo farmaco per la SMA con il nome di Spinraza, avendo ottenuto straordinari risultati a livello preclinico e dimostrando grandi potenzialità negli studi clinici sui pazienti. Il farmaco viene somministrato direttamente nel midollo spinale e, purtroppo, la sua efficacia dipende in significativa parte dalla tempestività dell'intervento. Per questo riteniamo necessario ottimizzare a livello preclinico la strategia di somministrazione degli ASO, per ridurne l'invasività, migliorarne l'efficacia, soprattutto per ottenere un ottimo risultato su tutti i pazienti a tutti gli stadi della malattia. Ha proprio questi scopi il progetto del nostro laboratorio, finanziato da Fondazione Telethon. Il profilo farmacologico e la biodistribuzione degli oligonucleotidi antisenso possono essere infatti migliorati coniugandoli con delle molecole chiamate "peptidi", in grado di veicolarli nel sistema nervoso centrale anche dopo una semplice somministrazione endovenosa. Nel nostro progetto abbiamo coniugato gli ASO con tre differenti tipi di peptidi e li testeremo nel modello murino di SMA, soprattutto in situazioni di patologia conclamata e avanzata, analizzando la sopravvivenza e la neuropatologia dei campioni trattati. Questo progetto contribuirà al miglioramento della terapia chiarendo se sarà possibile ricorrere a un'iniezione sistemica non invasiva e se sarà possibile trattare con efficacia la malattia in una fase sintomatica, permettendo l'espansione della finestra terapeutica. Questo approccio potrà essere applicato nei trial clinici per la SMA.

> www.ricercasma.it

La ricerca dedicata alla SMARD1

Il nostro laboratorio è tra i pochi a livello internazionale a occuparsi di SMARD1, un sottotipo di SMA con lo stesso decorso fatale in età infantile e la stessa selettiva morte dei motoneuroni, per cui non esiste ancora una cura. Causata da mutazioni nel gene IGHMBP2 che lo rendono non funzionante, potrebbe rispondere bene alla terapia genica rispetto cui sta dando risultati positivi la SMA. Abbiamo già dimostrato come questa strategia ripristini completamente la degenerazione dei motoneuroni e il fenotipo patologico, sia in un modello cellulare che nel modello murino di SMARD1. Speriamo di traslare al più presto il nostro studio a livello clinico, sebbene il percorso sia lungo e costoso. Parallelamente, grazie a un finanziamento della Fondazione Cariplo, il nostro laboratorio sta analizzando i meccanismi non ancora noti alla base della patologia. La comprensione delle sue cause è infatti fondamentale per disegnare nuove terapie efficaci.

Simone

il fuoriclasse del powerchair hockey

DI **Barbara Pianca**

In salotto in bella vista ci sono quattro coppe. Nella sua camera da letto, invece, ha trovato posto il cannone, che rappresenta il traguardo più importante raggiunto finora. Simone Ranzato ha 12 anni, a settembre inizia la seconda media e a scuola se la cava niente male. Ma la sua vera specialità è il powerchair hockey, l'attività sportiva più adatta a giocatori che, come lui, hanno una patologia neuromuscolare, nel suo caso una SMA2. Il piccolo cannone di ferro che con cura tiene nella sua cameretta corrisponde al "Pallone d'oro" per l'"Electric Wheelchair Hockey Top Player 2017", un premio finora riservato agli attaccanti. «Per questo è un cannone, di solito va a un cannoniere» ci spiega Simone. «Io però sono un portiere e non sapevano che altro simbolo utilizzare».

Foto di Gabriele Maus per FIWH

Simone ha incontrato l'hockey cinque anni fa, nel 2012. «Pochi mesi prima, durante l'estate» ricorda mamma Elettra, «Simone si è imbattuto nel responsabile di UILDM Chioggia che gli ha proposto di sperimentare il wheelchair hockey. Ne avevo già sentito parlare da un'altra "smamma" ma non sapevo se ci fosse vicino a casa». Simone abita in provincia di Treviso e a settembre 2012 Irene, "smamma" di Padova, lo invita al primo allenamento della stagione per i veneziani Black Lions Under 21. «Già in quella prima prova hanno capito che sarebbe stato un buon portiere» ricorda Elettra.

Cinque anni dopo il giovane indossa la stessa maglia. Ora però fa parte della squadra di A1 che ha trionfato all'ultimo campionato. «Durante la finale c'era un casino pazzesco ed era impossibile rimanere concentrato. Non è mai stato né così difficile né così eccitante» racconta Simone mentre Elettra aggiunge con una punta di orgoglio: «La nostra tifoseria è riuscita a fare più baccano di quella dei rivali Sharks Monza, che sono una squadra storica». Simone durante i playoff non ha preso neanche un goal e non è una novità: dopo solo sei mesi di gioco, nel 2013 era già stato premiato come Miglior portiere delle fasi finali. La sua carriera è continuata con un trofeo all'anno. Nel 2014 la Coppa con la squadra nazionale Under 21 al Brusati Challenge; nel 2015 e 2016 quelle come Miglior portiere ai tornei Butyrose e Frattini. È il più giovane della sua squadra e gli vogliono bene tutti. Anche perché si vedono spesso, allenandosi due volte a settimana.

I suoi amici coetanei, invece, sono quelli della scuola. Con alcuni di loro si trova anche d'estate mentre con il fratello Matteo, 17 anni, condivide la passione per la Playstation. Sperando non sia un fuoriclasse anche nei videogiochi, altrimenti per Matteo ci sono poche speranze di vittoria!

Viaggiare fuori. Viaggiare dentro.

A settembre inizia la terza liceo, cioè il quinto anno del liceo classico. Non ha scelto un indirizzo semplice Carlo Savini, diciassettenne determinato che cerca le sfide e ama essere indipendente. Si definisce, sperando di non risultare presuntuoso, un "tipo un po' avventuroso", o per lo meno è convinto che sia importante esserlo. L'anno scorso ha scritto una lettera di ringraziamento agli autisti dei mezzi pubblici milanesi perché lui a scuola ci va con l'autobus nonostante la SMA2. E perché no, dal momento che gli autobus sono accessibili e gli autisti disponibili. Il suo gesto ha richiamato l'attenzione dei media e gli autisti l'hanno apprezzato al punto da raccogliere una cifra significativa donata in beneficienza a Famiglie SMA lo scorso Natale. Ma a Carlo non basta girare da solo per la sua città. Lui ama viaggiare anche oltre i confini di Milano e dell'Italia. La sua destinazione per l'estate 2017, solo per nominare l'ultima, è stata Barcellona. Due amici, un accompagnatore e, manco a dirlo, tanta voglia di avventura.

Lo spirito esploratore di Carlo si riflette anche nell'atteggiamento che il ragazzo ha verso il mondo interiore, suo e degli altri. In che senso? Be', per esempio vorrebbe laurearsi in psicologia. Gli chiediamo come sia nato questo desiderio. «Quest'anno sono stato coinvolto in un'attività di volontariato in un'associazione e mi sono occupato di un gruppo di ragazzi con sindrome di Down. Insieme a me c'erano dei tirocinanti freschi di laurea in psicologia e il loro punto di vista mi ha interessato». Hai mai avuto esperienze dirette con il lavoro degli psicologi? «Sì, in passato. Soffrivo di attacchi di ansia e con il supporto psicologico mi sono reso conto di quanto siano potenti i pensieri, di quanto siano in grado di condizionare gli stati d'animo e di conseguenza i comportamenti. Sono rimasto spaventato ma anche affascinato dalla potenza della mente». Ti è stato utile? «Sì. Gli strumenti che mi sono stati insegnati e il sostegno di una persona in particolare mi hanno aiutato a maturare e a conoscermi meglio. Ora sono più in controllo dei miei pensieri». Oggi la sua mente è impegnata a godere dei ritmi del rap italiano e a memorizzare pagine e pagine di letteratura e storia, le sue materie preferite.

«Sono rimasto spaventato ma anche affascinato dalla potenza della mente»

Il contatto con Famiglie SMA la famiglia di Carlo ce l'ha da una vita, «fin da quando aveva due anni» ricorda sua mamma, Benedetta. «In quei primi anni abbiamo partecipato anche ai banchetti. Negli ultimi, invece, è stato importante conoscere la famiglia di Luca ed Emanuela Binetti. Emanuela ci è stata molto vicina e ci ha aiutato in recenti momenti difficili».

B.P.

Valentina sa come divertirsi

DI **Barbara Pianca**

A settembre comincia la quarta superiore in un istituto tecnico informatico di Milano. Valentina Tius ha 17 anni e si interessa a tutto ciò che ha a che fare con il mondo tecnologico, robotica e domotica compresi. Per una settimana ha potuto provare a domicilio il braccio meccanico in studio al centro clinico NeMO di Milano e ne è rimasta affascinata, anche se ha spiegato che si trattava di un ausilio ancora troppo ingombrante per le misure di casa sua. A dispetto di questo interesse, però, se ve la immaginate come una "nerd" siete fuori strada. Innanzitutto è una ragazza sportiva, dal 2012 atleta di powerchair hockey nei Turtles di Milano. Gioca in difesa e la difesa è proprio il punto di forza della sua squadra: «Anche se a questo ultimo campionato di A2 siamo arrivati ultimi non importa, perché mi sono divertita tantissimo» ci racconta. E poi una delle attività principali che condivide con Silvia, la sua amica di scuola, nonché uno dei loro principali argomenti di conversazione, è lo shopping. Di vestiti. Ama il nero e lo stile casual, leggings, gonne, magliette, canotte. Ma le piace anche truccarsi e vestirsi in modo sofisticato. Ha voglia di una storia sentimentale, per ora la sta aspettando e parla molto di ragazzi con le amiche, le piacerebbe conoscerne uno sincero.

Studia informatica e ama la tecnologia, ma se ve la immaginate come una "nerd" siete fuori strada. Le piacciono la musica, lo shopping, stare con le amiche e, soprattutto, divertirsi.

Il mondo di Valentina è quello tipico di un'adolescente: tanto spazio alle amicizie, tanta voglia di romanticismo, e poi vestirsi, truccarsi, ascoltare musica. A proposito di musica, ascolta un po' di tutto ma si è entusiasmata di recente al concerto della rock band britannica Coldplay. Di quello di Fedez ha anche una foto con lui nel backstage. Lì ci era andata insieme alla sua amica Matilde, che abbiamo già intervistato in SMAgazine (Anno III, n. 4, p. 15) e «insieme ci siamo divertite tantissimo» ricorda Valentina. "Divertirsi tantissimo" pare un punto fermo nella vita di Valentina che, dallo sport alle esperienze con le amiche e

Superare le barriere nel lavoro e nella vita

Il lavoro è la mia vita: potrebbe essere il motto della triestina Alessia Campagnone che a 26 anni con il diploma di infermiera pediatrica riesce a fare ciò che le piace, dedicandoci anima e cuore. La differenza tra vita privata e lavoro è minima, e secondo lei questa scelta è importante. Non le piace l'idea di timbrare un cartellino. Entrata in contatto con il mondo della SMA nel 2014 partecipando come volontaria allo stage del Sapre "Mio figlio ha una 4 ruote", non lo ha più abbandonato: «Stavo studiando infermieristica pediatrica a Padova quando ho ricevuto una e-mail sulla ricerca di volontari per lo stage di Lignano Sabbiadoro. Non ne sapevo nulla ma mi sono candidata, spinta da una forte curiosità». È tornata a Lignano per tre anni di seguito e ha anche fatto parte dello staff medico, chiamato "Club Med", di Dynamo Camp. Allo stage del Sapre ha conosciuto Matilde, Gaia e Valentina ed è nata un'amicizia personale, che coltiva con tutte e specialmente con Matilde.

Nel 2015 si è laureata e da quasi due anni lavora in libera professione tramite una cooperativa, occupandosi in particolare di un bambino con la SMA che accompagna a scuola. Di questa esperienza è entusiasta: «I compagni sono collaborativi e il mio obiettivo è di coinvolgere il bimbo di cui mi prendo cura in più attività sociali possibili, compresi la gita di classe, il cinema e la sala giochi. Per lui sono un po' infermiera, un po' babysitter, un po' educatrice e trovo impossibile limitarmi a un solo ruolo». Nel frattempo, Alessia frequenta il master dell'università di Milano in collaborazione con l'ospedale Niguarda e il centro NeMO milanese dal titolo "Presa in carico del paziente con gravi disabilità" e ambisce a entrare nello staff del NeMO. Quanto a Famiglie SMA, ogni anno è volontaria ai banchetti per la raccolta fondi associativa. Cosa ti spinge a coinvolgerti in modo così totale nel mondo della SMA? «Mi fa stare bene superare le barriere, soprattutto quelle mentali, e provo soddisfazione quando contribuisco a rendere possibile quello che a prima vista sembrava impossibile».

B.P.

Alessia, a sninistra nella foto, in compagnia della sua amica Matilde. Nella pagina accanto, un affascinante primopiano di Valentina.

con i gruppi, trova il modo di godere del momento. Oppure, prima ancora, sa scegliere ciò che le piace e che sarà quindi garanzia di divertimento. Per esempio, a Valentina piace Matilde, perciò si frequentano. Il primo elemento che le accomuna e tramite il quale si sono incontrate è la loro patologia, un'atrofia muscolare spinale che nel caso di Valentina è di tipo 2. Si sono conosciute ai convegni di Famiglie SMA, a Dynamo Camp e allo stage del Sapre "Mio figlio ha una 4 ruote" insieme a Gaia e ad Alessia Compagnone, intervistata qui sopra. Quest'estate sono state insieme, tutte, alla vacanza di Venturina organizzata da UILDM Milano. Non era la prima volta, per Valentina la terza, e si sono divertite tantissimo a dormire di mattina, andare in spiaggia nel pomeriggio e dedicare la sera a discoteca e locali. Sono un gruppo di amiche affiatato. Pur abitando in luoghi diversi riescono a mantenere il contatto durante l'anno. Di solito succede che Alessia da Trieste va a trovare Matilde che sta vicino al lago Maggiore e insieme vanno a fare un giro a Milano dove trovano Valentina, senza dimenticarsi di Gaia che da Monza le raggiunge. Questo quando la squadra è completa, a volte poi le frequentazioni sono più ristrette ma quello che conta è l'amicizia che le unisce e la possibilità di condividere insieme esperienze entusiasmanti.

Diecimila euro di corsa o pedalando grazie a Testo

Venticinquemila chilometri di corsa o pedalando regalano una donazione di 10 mila euro a Famiglie SMA. Artefice dell'iniziativa è l'azienda Testo, produttrice internazionale di strumenti portatili e fissi per la misurazione con 30 filiali in tutto il mondo, 2450 dipendenti e con 25 anni di attività nella nostra penisola che l'azienda di Settimo Milanese ha scelto di festeggiare coniugando l'attività sportiva all'intervento nel sociale. I 25 mila chilometri per Famiglie SMA sono la scelta italiana che si pone al fianco di quella internazionale, per la quale la casa madre tedesca festeggia i suoi 60 anni sostenendo i rifugiati a Friburgo e nel circondario di Brisgovia-Alta Foresta Nera con 40 mila euro donati a fronte di 500 mila chilometri corsi o pedalati. L'iniziativa si chiama "Testo 60 Years Charity Challenge" e recita: "Testo compie 60 anni ed è in forma come non mai". La gara è stata aperta lo scorso marzo e si chiuderà il 30 settembre 2017. I 40 dipendenti della sede milanese, ma anche amici, parenti e chiunque volesse partecipare alla raccolta per Famiglie SMA potranno segnalare il proprio nominativo su Charitychallenge.testo.com, utilizzando poi la piattaforma Wefitter.

Gli hashtag che segnano il ritmo dei passi e delle pedalate sono tre:
#BeActive #BeRewarded #Testorun.

STELLA risponde

Buongiorno, sono la mamma di un bambino con SMA2. A settembre mio figlio inizierà a frequentare il primo anno dell'asilo nido comunale. Vorrei sapere se potràbeneficiare di qualche tipo di assistenza e, in tal caso, quale tipo di figura professionale sia più adatta alle sue esigenze.

Suo figlio, come tanti bambini con SMA, ha bisogno di un'assistenza continuativa e specifica. La frequenza scolastica per lui potrà essere difficile ma al contempo fondamentale. A questo scopo sarà necessario garantirgli l'assistenza all'asilo nido con la presenza di personale specializzato.
Facciamo riferimento all'art. 6 comma 1 punto 3 della legge 1044/1971 che recita "[gli asili-nido debbono] essere dotati di personale qualificato, sufficiente e idoneo a garantire l'assistenza sanitaria e psicopedagogica del bambino" e all'art. 12 comma 1 della legge 104/92 secondo cui "al bambino da 0 a 3 anni, con disabilità, è garantito l'inserimento negli asili-nido". L'art. 13 comma 2 della stessa legge prevede che i Comuni possano adeguare "l'organico ed il funzionamento degli asili-nido alle esigenze dei bambini con disabilità, al fine di avviare precocemente il recupero, la socializzazione e l'integrazione, nonché l'assegnazione di personale docente specializzato e di operatori ed assistenti specializzati". La figura professionale che solitamente si predilige è quella di un'educatrice. Al momento dell'iscrizione le suggeriamo di indicare al dirigente scolastico gli ausili di cui suo figlio necessita per la gestione quotidiana. È importante che l'educatrice venga formata per l'utilizzo della macchina della tosse, dell'ambu e della manovra della tosse. A tal proposito, possiamo prendere contatti col centro clinico di riferimento e organizzare una giornata di formazione con medici e terapisti.

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

Donaci il tuo tempo

il 30 settembre e l'1 ottobre 2017

Aiutaci a portare in piazza la più bella notizia:
è arrivato il primo farmaco per il trattamento della SMA!
La raccolta di quest'anno è dedicata alla somministrazione del farmaco. Sostenendo i centri specializzati e le famiglie daremo vita ai sogni dei nostri bambini.

Organizza un banchetto o partecipa come volontario.

#liberiamoilsogno

Famiglie SMA
Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale

famigliesma.org