

31 agosto 2017

## Convegno associativo 2017: è tempo di festeggiare

**Sabato 2 settembre a Ravenna** il convegno di Famiglie SMA farà il punto sulla distribuzione del primo farmaco per l'atrofia muscolare spinale. Il giorno dopo bambini e famiglie festeggeranno a Mirabilandia

Un convegno diverso da tutti gli altri. Quest'anno Famiglie SMA, soprattutto, festeggia. Sabato 2 settembre al Grand Hotel Mattei di Ravenna si svolgerà il convegno annuale associativo che proseguirà il giorno successivo, domenica 3, al parco di divertimento di Mirabilandia, il cui accesso viene offerto gratuitamente agli iscritti. Nella prima metà del 2017 **il primo farmaco** in grado di migliorare il quadro clinico dell'atrofia muscolare spinale - una delle più severe patologie genetiche neuromuscolari che colpisce soprattutto i più piccoli, portandoli nei casi più gravi alla morte nei primi mesi di vita – **è stato distribuito in Italia in via compassionevole a tutti gli oltre 130 bambini con la forma più grave di SMA**, quella di tipo 1. I tempi rapidi della sua distribuzione non hanno uguali in Europa e per questo ora l'eccellenza italiana è allo studio nel mondo. Il programma EAP per la somministrazione del farmaco Spinraza rimane aperto alle nuove diagnosi e a chi ancora non si è registrato fino all'**imminente autorizzazione da parte di AIFA, l'agenzia italiana per il farmaco, alla commercializzazione dello stesso per gran parte delle persone con SMA**. Uno scenario per raggiungere il quale Famiglie SMA è impegnata da molti anni sostenendo famiglie e ricerca scientifica. Settembre è il mese dei primi, grandi, festeggiamenti, che avranno luogo in tre occasioni ravvicinate.

**Sabato 2 settembre** la giornata di convegno affronterà le sfide della gestione quotidiana della SMA, dedicherà alcune ore all'assemblea associativa e, soprattutto, prevederà una tavola rotonda dove i massimi esperti commenteranno insieme alle famiglie **i risultati aggiornati dei trial in corso**, come la sperimentazione in Italia di Roche su una molecola che dai primi risultati mostra un'efficacia straordinaria simile a quella di Spinraza e che ha però il vantaggio di un'assunzione meno invasiva; e come la terapia genica, su cui sono riposte le più grandi speranze per la cura definitiva, che verrà presto sperimentata anche in Italia. Lo spazio più atteso sarà dedicato a Spinraza, poiché **i medici mostreranno i primi risultati – miglioramenti significativi – attestati nei bambini che lo stanno assumendo**.

La seconda occasione di festeggiamento sarà il giorno successivo a **Mirabilandia** dove i bambini, accompagnati dalle famiglie e da operatori esperti, potranno giocare insieme in giostre accessibili. Il loro divertimento sarà la celebrazione migliore del salto epocale da una patologia inesorabile a una altrettanto grave ma il cui quadro clinico, per la prima volta, può essere migliorato.

La terza occasione avrà luogo **dal 22 settembre al 9 ottobre** con l'annuale campagna di raccolta fondi, incentrata sui traguardi della ricerca. L'imminente messa in commercio di Spinraza, farmaco per la cui assunzione è necessario il ricovero in terapia intensiva, richiederà il coinvolgimento di numerosi centri clinici che Famiglie SMA con la raccolta fondi intende finanziare. Ai media verrà affidato il compito di diffondere la notizia, per raggiungere le famiglie che non sono in contatto con l'associazione e i medici che non conoscono la patologia. Obiettivo ambizioso è replicare il clamoroso successo del 2016, quando grazie al sostegno di **Vittorio Brumotti e Checco Zalone** tanti italiani hanno conosciuto questa malattia rara e soprattutto i suoi bambini.

Per informazioni: Segreteria Famiglie SMA, cell. 345 2599975, [convegnosma@famigliesma.org](mailto:convegnosma@famigliesma.org), fax 178 2712609

Ufficio Stampa, cell. 328 3466950, [ufficio.stampa@famigliesma.org](mailto:ufficio.stampa@famigliesma.org)

Programma EAP per la distribuzione compassionevole di Spinraza: [comitato.eap.italia@famigliesma.org](mailto:comitato.eap.italia@famigliesma.org)