

postatarget  
creative

LOMBARDIA/00014/01.2014  
Posteitaliane

# SMA GAZINE

anno I - numero 2 - Dicembre 2014

NOTIZIARIO DI INFORMAZIONE

## GLI AUGURI PIÙ BELLI



ABBIAMO BISOGNO  
DI AIUTO A VOLONTÀ.



**DIVENTA VOLONTARIO**  
di Famiglie SMA.

Aiutaci a far volare un aquilone per un bambino.  
Contattaci per essere con noi  
in uno dei punti volo nelle piazze Italiane.  
**E-mail: [segreteria@famigliesma.org](mailto:segreteria@famigliesma.org) - Tel. 02 56568312**



**Famiglie SMA**

*Genitori per la Ricerca  
sull'Atrofia Muscolare Spinale*



## SMAgazine

Notiziario  
di informazione  
anno I - numero 2  
Dicembre 2014

Autorizzazione n. 322 del 10/10/2014  
Tribunale di Milano

EDITORE

Famiglie SMA Onlus

DIRETTORE RESPONSABILE

Marco Piazza

REDAZIONE

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

HANNO COLLABORATO

Daniela Lauro  
Monica Nizzardo  
Giorgia Soncin  
Massimo Gnan  
Elisabetta Boniotto  
Jacopo Casiraghi  
Paolo Pisano  
Barbara Pianca  
Luca Binetti  
Ben Knight  
Marinella Arnone  
Simona Spinoglio  
Emanuela Crapanzano

GRAFICA

Stefania Serra

STAMPA

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

## IL SOGNO È POSSIBILE

Emozione, speranza, ottimismo. Ma anche ansia, timore, nervosismo. La mattina del 25 ottobre, a Roma, quando mi apprestavo ad incontrare i genitori con figli affetti da Sma, ero pervaso da sentimenti contrastanti. Il mio compito era quello di presentare gli studi clinici in partenza, di illustrare le regole e le modalità degli eventuali arruolamenti, di far capire gli obiettivi dei trial, di spiegare a che punto è arrivata la ricerca, in Italia e nel mondo.

Di fronte a me erano seduti madri e padri che aspettavano da tanto tempo un giorno come quello che stavamo vivendo. Il giorno in cui, dopo anni di piccoli passi avanti nella ricerca di base, si poteva finalmente parlare di terapie. Ancora a livello sperimentale, ma pur sempre terapie. Che avevano funzionato sul modello animale e che adesso sarebbero state testate sui malati.



**Eugenio Mercuri**  
*direttore Neuropsichiatria  
infantile del Policlinico Ge-  
melli - Università Cattolica  
del Sacro Cuore, Roma*

Molti di questi genitori li conosco da tempo. Di loro ho ammirato il coraggio e la grande fiducia nella ricerca, l'unica strada per dare un futuro ai loro figli. Con loro ho passato, negli ultimi anni, momenti davvero difficili. Quando, con la comparsa sulla scena di Stamina, il mondo delle famiglie si è spaccato. E noi medici e scienziati, che mettevamo in guardia dai rischi di una terapia che non sembrava avere nessuna base scientifica, venivamo attaccati da alcune famiglie che seguivamo da anni, colpevoli di non dare le staminali miracolose ai loro bambini. Oggi quell'incubo, per fortuna, sembra essere passato. Lasciando il posto alle straordinarie notizie scientifiche.

Ero emozionato, insomma, quel mattino. Avevo programmato di dedicare un paio d'ore alla presentazione dei trial. Invece sono stato lì per oltre cinque ore. A rispondere a tantissime domande. A ripetere anche più di una volta gli stessi concetti. A spiegare, a chiarire, a rassicurare col timore di non trasmettere troppa speranza per quelle che, seppur promettenti, restano sperimentazioni e non cure. Cercando soprattutto di mantenere un distacco emotivo ma trasmettendo, inevitabilmente, anche la mia speranza e la mia soddisfazione.

Anni fa nei convegni con le associazioni si parlava di un lungo percorso verso le terapie con un obiettivo lontano e un percorso pieno di ostacoli. Oggi l'obiettivo è molto più vicino e molti ostacoli sono stati superati con il lavoro della nostra comunità di medici, scienziati e famiglie. La speranza è tanta ma se anche questi studi non dovessero darci le risposte che desideriamo, sicuramente ci permetteranno di arrivare ancora più vicino al traguardo che sogniamo.

La campagna in cifre

**E**cco alcune cifre della quarta campagna nazionale organizzata da Famiglie SMA dal 28 settembre all'11 ottobre scorsi.

**14** giornate di campagna  
**88** banchetti allestiti in molte piazze italiane

**5.193** aquiloni distribuiti dai nostri volontari  
**120** volontari attivi su tutto il territorio nazionale

**240** mila euro (circa) raccolti con l'sms solidale, che serviranno integralmente a finanziare il progetto SMArt

**81.434,43** euro raccolti grazie all'evento nelle piazze "Un aquilone per un bambino", destinati, al netto delle spese della campagna, a finanziare i progetti dell'associazione.

## CAMPAGNA, BUONA LA QUARTA GLI ITALIANI CI VOGLIONO BENE

**A**nche la quarta campagna sociale di Famiglie SMA, durata dal 28 settembre all'11 ottobre scorsi, è stata un successo e un'esperienza intensa, tanto più che proprio durante la nostra "volata" è giunta la notizia della partenza in Italia di due tra le più promettenti sperimentazioni sulla SMA.

Già con i fondi raccolti nel 2012 abbiamo messo in rete alcuni centri clinici oggi in grado di supportare i trial. E grazie al calore che ci è stato confermato negli ultimi due anni potremo proseguire con il progetto SMArt, che rafforzerà la conoscenza della SMA sul territorio. Inoltre, grazie all'iniziativa nelle piazze "Un aquilone per un bambino", ci sarà possibile contribuire direttamente alla ricerca scientifica entrata adesso in una fase storica, con l'ingresso in fase clinica umana di alcune sperimentazioni farmacologiche e anche di terapia genetica e l'arruolamento di bambini italiani.

Grazie a tutti coloro che continuano a starci vicini, all'associazione italiana arbitri e alle squadre di calcio di serie A e B che hanno aderito, ai media, alle numerose radio che ci hanno intervistato, alla stampa, alle emittenti televisive che hanno mandato in onda il nostro spot e ai conduttori che ci hanno sostenuto. Grazie a tutti i cittadini – numerosissimi – che hanno

fatto volare in alto la ricerca e l'associazione animando i social network, ai personaggi del mondo dello spettacolo e non solo, che ci hanno supportato. Un ringraziamento particolare, infine, va a Vittorio Brumotti, che oltre a essere, ogni anno di più, uno splendido testimonial, sta diventando un membro della grande famiglia di Famiglie SMA.

*Daniela Lauro*



# DAL BANCONE AL BANCHETTO. LA GIORNATA SPECIALE DI 5 RICERCATRICI

**S**peso il rischio dei ricercatori è quello di chiudersi in un laboratorio buio e polveroso lontano dal mondo reale, ma grazie a Famiglie SMA questa volta non è andata così. Siamo cinque ragazze che lavorano nel laboratorio di ricerca della dottoressa Corti presso il Policlinico di Milano. Da anni ci occupiamo di malattie del motoneurone e in particolare di SMA cercando di sviluppare una possibile terapia per queste patologie e di comprenderne di più le basi. Quest'anno abbiamo deciso di uscire dal nostro laboratorio, lasciando per un weekend le nostre cellule e i nostri topini, entrando a contatto con le persone che tutti i giorni lottano nel mondo reale contro questa malattia. Abbiamo presidiato con molto entusiasmo il banchetto di San Babila il 5 ottobre in occasione della giornata degli aquiloni. La giornata è stata intensa, ricca di emozioni differenti, accanto a rifiuti e indifferenza, dettati anche dalla spietata concorrenza, abbiamo incontrato tanti sorrisi, interesse e sensibilità. Per noi è stato davvero arricchente e importante ascol-

tare il racconto e ammirare il coraggio e l'entusiasmo dei membri dell'associazione Famiglie SMA, che ogni giorno devono fare i conti con questa terribile malattia, ma non si arrendono. La giornata ci ha dato nuovo entusiasmo anche per il nostro lavoro che ci è sembrato, dopo quest'esperienza, un po' più utile e concreto. Quando abbiamo iniziato i nostri studi la SMA era molto meno conosciuta, negli ultimi anni invece la situazione è decisamente cambiata e il successo delle giornate degli aquiloni e degli sms per far volare la ricerca lo hanno confermato. Per questo pensiamo che le giornate come quella a cui abbiamo partecipato siano fondamentali non solo per la raccolta di fondi, ma soprattutto per far sì che le famiglie "si raccontino" e si facciano conoscere. Speriamo che questa iniziativa sia per noi l'inizio di una collaborazione continuativa con l'associazione, anche perché ci è stato promesso un incontro con le piccole mascotte e non siamo disposte a lasciarcelo scappare!

*Monica Nizzardo*



## UNA NUOVA FAMIGLIA. SUBITO SUL CAMPO

**N**on è facile ricevere una diagnosi così. Non è facile sentirsi dire che tua figlia è affetta da una malattia come la SMA. Quando è così ci sono delle fasi da passare. Sapete, è come quando si elabora un lutto. Nel nostro caso dopo le prime due fasi di negazione e rabbia, abbiamo deciso di combattere e per noi è stata una rinascita. Abbiamo scelto di iscriverci a Famiglie SMA, lo abbiamo fatto per non sentirci soli, per creare un legame con altre famiglie che come la nostra vive ogni giorno la SMA. In primis però lo abbiamo fatto per Adele, perché lei più di noi ha bisogno di capire che nonostante potrà essere una bimba, una ragazza e una donna felice e di esempi qui ne troviamo ogni giorno grazie a tutte le persone che stiamo conoscendo.

Siamo stati accolti come se fossimo entrati in una grande famiglia e abbiamo deciso di darci da fare subito raccogliendo fondi per la ricerca. Da genitori abbiamo avuto il desiderio e il bisogno di farlo e in questo abbiamo avuto un riscontro positivo nella città in cui viviamo.

Questo ci dà uno stimolo in più a continuare, sarà perché siamo dei "novellini" ma siamo pieni di entusiasmo e guardiamo al nostro futuro con Adele e a quello dell'associazione con positività.



Dopo essere diventati soci di Famiglie SMA siamo venuti a conoscenza della campagna per il progetto SMARt e per la raccolta fondi per la ricerca. Abbiamo chiesto indicazioni alla segreteria e Raffaella ci ha dato spiegazioni esaurienti sulla campagna e su come potevamo muoverci per organizzare il nostro primo banchetto. Sapere che nella provincia di Venezia c'era solo una volontaria ci ha dato una spinta in più. Dopo aver ottenute le autorizzazioni dal nostro comune abbiamo chiesto in

prestito panche e tavoli e con immenso piacere tutti sono stati disponibili e nel giro di pochi giorni abbiamo ricevuto il materiale informativo da distribuire, aquiloni e palloncini. Abbiamo fatto un po' di pubblicità sui social network e il ritorno è stato una sorpresa per noi. È stata una bellissima esperienza che saremo pronti a rifare ogni qualvolta sarà necessario e ad aiutare chi in un futuro vorrà farne parte.

*Giorgia Soncin e Massimo Gnan*



## Wamba SMArt, al nostro fianco arrivano i manager della solidarietà

**"A**ndiamo dove c'è chi ha bisogno" è uno degli otto punti della Wamba's Way. Ed è seguendo questo principio ispiratore che abbiamo scelto di collaborare insieme a Famiglie SMA per il progetto Wamba SMArt, mettendo in campo tutte le nostre competenze di "manager della solidarietà", che da sempre contraddistinguono l'operato di Wamba e Athena Onlus. Il "motore" di Wamba SMArt sono proprio i bimbi SMA, la loro energia, l'infaticabile voglia di fare, la contagiosa allegria: impossibile resistere di fronte alla loro spontaneità e determinazione. Il nostro obiettivo: attivare due centri di assistenza medico-sanitaria e psico-sociale a Padova e Ancona, impegnandoci a diffondere anche in altre regioni questi punti di riferimento vitali per offrire una migliore qualità della vita ai bambini SMA e alle loro famiglie. La sfida è sicuramente impegnativa ma siamo certi che la nostra "capacità di fare" unita alla convinzione che "chi soffre oggi può stare meglio domani" ci porteranno a raggiungere questi traguardi. È un cammino ricco di emozioni e sacrifici, pieno di incontri positivi e di esperienze significative, sempre alla scoperta di persone pronte a unirsi in questa meravigliosa avventura. Uno fra tutti: Umberto Pelizzari, il nostro testimonial che per primo è entrato in contatto con la realtà dell'atrofia muscolare spinale immergendosi con Leonardo, bimbo SMA. È l'esempio concreto di come la volontà può fare grandi cose. Continuiamo a far crescere Wamba SMArt, rimaniamo in contatto su [wamba-onlus.org](http://wamba-onlus.org) e sui nostri profili di Facebook e Twitter. Ciao!

*Elisabetta Boniotto*



## SMART, LA RETE SI ALLARGA



**C**on il successo della campagna arrivano nuovi fondi per SMArt, il servizio multidisciplinare di accoglienza finalizzato a migliorare l'assistenza, sul territorio, ai pazienti affetti da Atrofia Muscolare Spinale. Il progetto nel prossimo anno entra nel vivo, dato che si presta a garantire servizi sempre più vicini e importanti per le famiglie. SMArt ha lo scopo di uniformare e diffondere a livello nazionale gli standard di "cura", intesa come presa in carico del paziente, in modo da creare una rete territoriale in grado di poter gestire in maniera ottimale l'arrivo dei futuri dei trial clinici, affiancata da una rete sociale che aiuti i genitori e i pazienti a districarsi nel multiforme mondo legato alla patologia. Così, se da un lato abbiamo iniziato collaborazioni con centri clinici ed ospedali in alcune regioni, finanziando borse di studio e contribuendo all'acquisto di materiali e macchinari medici, dall'altro abbiamo organizzato un secondo workshop (novembre 2014) dedicato ai nostri medici esperti di SMA e finalizzato al censimento dei servizi offerti dagli ospedali alle nostre famiglie. Sempre nel workshop si è parlato di respirazione e ventilazione con l'obiettivo di stimolare i nostri medici a scrivere nero su bianco le proprie esperienze e competenze a riguardo. In questo

ci sta aiutando finanziariamente anche Wamba onlus, una bella associazione da sempre connessa a progetti dedicati agli ospedali e alla formazione dei medici.

Per rendere l'associazione Famiglie SMA sempre più visibile stiamo anche posizionando dei totem informativi nei reparti di neurologia, pediatria e neuropsichiatria degli ospedali.

Nel frattempo, sempre a novembre, sono iniziati gli incontri dedicati ai genitori organizzati da famiglie SMA in Piemonte, Lombardia, Lazio, Campania, Marche e Puglia. Tali incontri mensili favoriscono la creazione di un luogo di contatto e confronto per i genitori e sono moderati dai nostri counselor e psicologi esperti, ovviamente, di SMA. Inoltre, date le importanti novità concernenti i trial in partenza, SMArt fornirà supporto agli ospedali referenti delle sperimentazioni fornendo una task-force di supporto anche psicologico alle famiglie coinvolte. Infine, ma non per importanza, SMArt desidera allargare sempre di più la rete di medici con cui collabora. Nel 2015 raggiungeremo altri ospedali con finanziamenti ad hoc e abbiamo in serbo per voi altre sorprese... sempre finalizzate a far crescere le competenze nella lotta contro la SMA.

*Jacopo Casiraghi*

# IL MOMENTO DEI TRIAL È ARRIVATO ECCO TUTTE LE INFORMAZIONI



di Paolo Pisano

Si è svolta a Roma il 25 ottobre scorso la conferenza per la presentazione dei trial clinici sulla SMA in partenza in Italia nel prossimo futuro. Ne ha parlato ampiamente il professor Eugenio Mercuri, confrontandosi con il folto pubblico presente e con quello collegato in streaming via internet.

Dopo una breve introduzione sulla generalità della sperimentazione clinica e sul lavoro preparatorio ai trial svolto fino ad oggi, si è entrati nella parte principale della conferenza con la presentazione dei due studi clinici, con le caratteristiche di seguito sintetizzate.

**Il trial ISIS coinvolgerà 111 bambini di 13 diversi paesi. Quello Roche 36 pazienti, adulti e minori, in 5 paesi. In entrambe le sperimentazioni ci saranno pazienti italiani.**

**L'unico centro coinvolto del nostro paese è il Policlinico Gemelli di Roma. La data di partenza è prevista entro la fine del 2014**

## PARTECIPARE, UNA SCELTA CONSAPEVOLE

Scegliere di partecipare ad un trial clinico è un'importante decisione personale, da prendere dopo aver consapevolmente valutato i rischi e i benefici complessivi derivanti dalla partecipazione. Bisogna tenere sempre presente che partecipare a uno studio clinico non significa avere accesso a una cura; non si ha neppure la certezza di assumere il farmaco in quanto viene somministrato anche un placebo (sostanza priva di qualsiasi principio attivo ed efficacia terapeutica). Non è inoltre da sottovalutare l'impegno di pazienti e familiari nel corso della partecipazione (viaggi, perdita di giorni di lavoro e di scuola, ecc.), nonché il rischio di effetti collaterali negativi. È anche molto importante non porsi delle aspettative, in quanto non vi è alcuna certezza di risultato.

Tuttavia partecipare ad una ricerca

clinica ha anche dei non trascurabili vantaggi, che si possono riassumere in tre punti:

- accesso a nuove terapie potenzialmente utili prima che queste diventino accessibili a tutti;
  - migliore controllo dello stato di salute del paziente da parte di un'equipe di persone esperte, con positive ripercussioni sulla salute stessa;
  - contributo personale all'aumento delle conoscenze sulla patologia.
- I familiari dei pazienti che soddisfano i criteri di inclusione o i pazienti stessi (in caso di maggiore età), possono esprimere il loro interesse a partecipare alla ricerca contattando direttamente i centri clinici (di Roma e di Genova per ISIS, solo di Roma per Roche) o mandando una mail all'indirizzo: [marika.pane@rm.unicatt.it](mailto:marika.pane@rm.unicatt.it) (P.P.)

## TRIAL ISIS

Si tratta di uno studio clinico di fase 3, randomizzato (rapporto 2:1 tra farmaco e placebo), in doppio cieco, per valutare l'efficacia, la sicurezza clinica e la tollerabilità di ISIS-SMNRx. Il farmaco si è dimostrato ben tollerato e sicuro nei precedenti trial di fase I e II, anche con risultati incoraggianti sotto il punto di vista dell'efficacia. Il farmaco sarà somministrato per via intratecale mediante puntura lombare nella dose di 12 mg. Sono previste 6 somministrazioni in 13 mesi. Si è visto che questa metodologia di somministrazione non ha finora dato alcun problema.

Lo studio coinvolgerà 111 piccoli pazienti affetti da atrofia muscolare spinale a insorgenza infantile (SMA 1) in 13 paesi, compresa appunto l'Italia (non c'è un numero prestabilito di bambini per paese). I criteri di inclusione sono i seguenti:

- Diagnosi clinica e genetica di SMA di tipo I con due copie del gene SMN2.
- Maschi e femmine fino a 7 mesi di età alla data dello screening.
- Peso corporeo  $\geq 3^{\circ}$  percentile per età.
- Età gestazionale da 37 a 42 settimane.
- Risiedere entro una distanza di circa 9 ore di viaggio via terra (ma in Italia non c'è questo problema).

I criteri di esclusione saranno invece i seguenti:

- Ipossiemia (saturazione in veglia O<sub>2</sub> <96% oppure saturazione durante il sonno <96% senza supporto ventilatorio) durante la valutazione dello screening.
- Segni o sintomi di SMA presenti alla nascita o entro la prima settimana di vita.
- Presenza di un'infezione attiva non trattata allo screening (sarà possibile fare lo screening al termine dell'infezione).
- Anamnesi di patologia del midollo spinale che interferirebbe con le procedure di puntura lombare (ad esempio intervento alla colonna con fusione di tutti gli anelli).
- Assunzione di salbutamolo, riluzolo, carnitina, valproato, fenilbutirato ecc, nei 30 giorni prima dello screening (è necessario sospendere questi farmaci 30 giorni prima dell'appuntamento per lo screening).

I centri italiani coinvolti nel trial sono il Policlinico Gemelli di Roma e l'Ospedale Gaslini di Genova; le famiglie interessate potranno rivolgersi indifferentemente ai due centri.



L'inizio del trial in Italia è previsto entro la fine del 2014 o al massimo inizio 2015.

### TRIAL ROCHE

Si tratta di uno studio multicentrico di fase 1b, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo (rapporto 2:1 tra farmaco e placebo), a dosi multiple, per valutare sicurezza, tollerabilità, farmacocinetica e farmacodinamica del composto sperimentale denominato RO6885247. Il farmaco è in forma solubile e sarà somministrato oralmente tutti i giorni, due volte al giorno, per una durata di 12 settimane.

Lo studio coinvolgerà 36 pazienti adulti e pediatrici affetti da SMA 1, 2 e 3 in cinque paesi, tra cui l'Italia (anche qui non c'è un numero prestabilito di pazienti per Paese).

Il trial è strutturato in due parti (la seconda parte verrà realizzata dopo la prima):

**Parte 1:** studio a dosi multiple incrementali in adulti e adolescenti, 12 pazienti (8 randomizzati a ricevere il farmaco attivo e 4 randomizzati a ricevere placebo) di età compresa tra i 12 e i 55 anni inclusi.

**Parte 2:** studio a dosi multiple in 24 bambini (16 randomizzati a ricevere il farmaco attivo

e 8 randomizzati a ricevere placebo) di età compresa tra 2 e 11 anni.

Per la parte 1 la randomizzazione sarà stratificata per fascia d'età (adolescenti dai 12 ai 17 anni di età e adulti dai 18 ai 55 anni di età) per garantire un'adeguata distribuzione di adulti e adolescenti al gruppo trattato con il farmaco attivo e al gruppo trattato con placebo. Per la parte 2 la randomizzazione sarà stratificata per fascia d'età (dai 2 ai 5 anni e dai 6 agli 11 anni) e sarà scaglionata, in modo tale che i pazienti più grandi (dai 6 agli 11 anni) siano randomizzati all'inizio e i pazienti più piccoli (dai 2 ai 5 anni) siano randomizzati in una seconda fase, dopo l'analisi dei dati di farmacocinetica e di sicurezza.

I criteri di inclusione sono i seguenti:

- Pazienti di ambo i sessi, di età compresa tra i 2 e i 55 anni inclusi al momento dello screening.
- Diagnosi confermata di SMA autosomica recessiva 5q, o sintomi clinici attribuibili a SMA di tipo 1, 2 o 3.
- Per pazienti non in grado di deambulare dai 6 anni di età un punteggio di Brooke  $\leq 4$ .
- Per i pazienti in grado di deambulare: distanza conseguita nel test 6MWT allo screening  $< 90\%$  del valore previsto per età, sesso, altezza e peso del paziente.

I criteri di esclusione sono invece i seguenti:

- Partecipazione concomitante o precedente a qualsiasi studio su un farmaco o un dispositivo sperimentale nei 90 giorni precedenti lo screening.
- Partecipazione concomitante o precedente a qualsiasi studio con uso di oligonucleotidi antisense indirizzati a SMN2 nei 12 mesi precedenti lo screening.
- Partecipazione concomitante o precedente, in un'epoca qualsiasi, a uno studio con terapia genica.
- Chirurgia per scoliosi nei 6 mesi precedenti lo screening o chirurgia per scoliosi programmata nei 6 mesi successivi allo screening.
- Utilizzo dei seguenti medicinali nei 90 giorni precedenti la randomizzazione: riluzolo, acido valproico, idrossiurea, fenilbutirrato di sodio, derivati del butirrato, creatina, carnitina, ormone della crescita, steroidi anabolizzanti, probenecid (è necessario sospendere questi farmaci 90 giorni prima dell'appuntamento per lo screening).
- Un trattamento avviato di recente (nei 6 mesi precedenti la randomizzazione) con salbutamolo orale o altro agonista  $\beta_2$ -adrenergico assunto oralmente.

L'unico centro italiano coinvolto nel trial è il Policlinico Gemelli di Roma. Il trial potrebbe iniziare già entro la fine del 2014, sicuramente dopo il 28 novembre.



► Tutte le novità dalla ricerca scientifica, da consultare ed approfondire attraverso il nostro sito specializzato [www.ricercasma.it](http://www.ricercasma.it)

# UN REGALO PER OGNI INIEZIONE PAROLA DI MAMMA



di Barbara Pianca

«Mamma, ma se farò tante punture avrò anche tanti regali?» ha detto così Massimo, 6 anni, ora in prima elementare, a sua mamma Sonia. Lo stava mettendo a letto, pochi giorni dopo avergli parlato dei trial in arrivo in Italia per la cura della SMA. Gli aveva spiegato che lei e papà desideravano candidarlo, e gli aveva chiesto se era d'accordo.

«Era la prima volta che parlavamo insieme della sua malattia, una SMA2» spiega Sonia. «Non aveva ancora posto una domanda esplicita sulla patologia, così non gli avevo detto nulla. Ma ora che arrivano queste sperimentazioni l'argomento andava affrontato. Io e mio marito David desideriamo che per nostro figlio ci sia questa nuova possibilità».

**Come ha reagito Massimo?**

«Si è messo a piangere quando ha capito che si sarebbe trattato di fare parecchie iniezioni per i prelievi del sangue».

**Avete altre preoccupazioni oltre alla sua paura delle iniezioni?**

**Intervista con Sonia, madre di uno dei bambini candidabili per i due trial clinici in partenza.**

**«Mio marito ed io abbiamo molte paure, ma vogliamo partecipare. E nostro figlio è pronto anche ad affrontare le punture. A patto che arrivino tanti doni...»**



«Moltissime. Una delle due sperimentazioni, quella del farmaco della ISIS, prevede infusioni spinali ed essendo interventi delicati me ne preoccupo. Per ora però la sperimentazione è aperta solo ai bambini con SMA1, anche se in futuro ci sono buone possibilità che coinvolgerà i bimbi con SMA2. L'altro trial, quello del farmaco della Roche, comporta l'assunzione di bustine, quindi niente infusioni spinali, ma è ancora in fase 1, perciò serve per cercare scoprire eventuali effetti collaterali. Sono preoccupata sia della possibilità che venga scelto, sia dell'esito contrario».

**Come vi preparate per affrontare un'esclusione?**

«Mio marito ci spera tantissimo. Il 25 ottobre abbiamo partecipato alla conferenza del professor Mercuri e domenica abbiamo inviato la candidatura per entrambe le sperimentazioni. Io continuo a dirmi che non ce la faremo, per non rimanerci troppo male nel caso di un'esclusione».

**Sapete che Famiglie SMA offre un supporto psicologico attraverso il numero verde Stella?**

«Sì. Finora non sono riuscita a partecipare agli incontri. Però so che esiste questa possibilità. Ultimamente ho seguito un percorso con una psicologa, anche con mio marito. È cominciato tutto quando per la prima volta Massimo mi ha fatto una domanda sulla sua situazione. Mi ha colto del tutto impreparata e ho capito che dovevo chiedere aiuto a persone competenti».

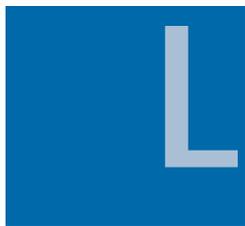
**Com'è successo?**

«Eravamo in macchina, stavo guidando e lui mi dice: "Mamma, ma io da grande camminerò?". Mi è preso un colpo. Ho cercato innanzitutto di non sbandare. Poi gli ho detto che non lo so. Che lo spero tanto ma non lo so. E lui un attimo dopo aveva già cambiato argomento. La psicologa dice che mi sta testando, per capire se può parlare con me. Così l'altro giorno gliel'ho detto: "Massimo, a me puoi sempre chiedere tutto, e anche se qualche non saprò la risposta troverò un modo per dartela, raccogliendo le informazioni". Mi ha risposto, semplicemente: "Lo so, mamma"».

**E ora ha anche detto che si sente pronto per la sperimentazione.**

«Sì, chiedendomi se riceverà dei regali mi ha implicitamente autorizzato a procedere. Anche se l'accordo è che incontrerà personalmente il professor Mercuri e la dottoressa Pane, insieme al terapeuta De Santis e saranno loro a spiegargli ogni cosa e a rassicurarlo. L'ultima parola, sia chiaro, sarà la sua».

# IL MOMENTO MAGICO CONTINUA ALTRI TRIAL IN PARTENZA



di Paolo Pisano

La compagnia farmaceutica svizzera Novartis è impegnata da tempo in un programma di sviluppo preclinico del suo candidato farmaco per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale, denominato LMI070. Esso agisce come modulatore dello splicing del gene SMN2 aumentando l'inclusione dell'esone 7 e determinando così una corretta sintesi della proteina SMN, fondamentale per la sopravvivenza dei motoneuroni del midollo spinale. Studi preclinici in vitro

ed in vivo hanno dimostrato che LMI070 è in grado di aumentare la produzione di proteina SMN funzionale e prolungare la sopravvivenza nei modelli animali.

I dati generati dagli studi preclinici supportano l'inizio della sperimentazione nell'uomo. Per questa ragione è stato recentemente sottomesso alle autorità regolatorie italiane (Istituto Superiore di Sanità ed AIFA) il primo protocollo di studio nell'uomo, al fine di ottenerne l'approvazione alla conduzione in Italia. La procedura di valutazione del protocollo da parte delle autorità italiane è tuttora in corso. Analogo iter autorizzativo è condotto anche in Germania, Belgio, Olanda e Danimarca.

Scopo dello studio è quello di valutare la sicurezza, la tollerabilità, la farmacodinamica e l'efficacia della molecola in pazienti affetti da atrofia muscolare spinale di tipo I. Il farmaco sarà somministrato per via orale a 22 piccoli pazienti per 13 settimane. Saranno coinvolti pazienti con età compresa tra uno e sette mesi con diagnosi clinica e genetica di SMA1, con due copie di geni SMN2. La sperimentazione partirà verosimilmente nei primi mesi del prossimo anno e verrà condotta in ospedali d'eccellenza per il trattamento di questa patologia.

La società biotecnologica statunitense Avexis ha intanto completato con successo la somministrazione del trattamento a basso dosaggio nel primo trial di terapia genica umana al mondo sui bambini con atrofia muscolare spinale di tipo 1. Questo studio utilizza ChariSMA, il tipo di terapia genica sviluppata da Brian Kaspar del Nationwide Children's Hospital e concesso in licenza ad Avexis per lo sviluppo e la commercializzazione. Il reclutamento era iniziato nell'aprile 2014.

Il 13 maggio 2014 ha segnato un momento fondamentale nella storia della terapia genica, quando a un neonato sono state iniettate con successo circa 400.000 miliardi di particelle virali contenenti il transgene SMN senza complicazioni fino ad oggi. Quel momento storico è stato seguito dalla somministrazione della terapia ad altri due neonati.

Avexis ha annunciato piani in corso per iniziare un trial con somministrazione intratecale nella prima metà del 2015 e un ulteriore trial per il trattamento dei pazienti con SMA 2, sempre nel 2015. La società sta anche lavorando con ricercatori di centri europei per comprendere i percorsi finanziari e normativi necessari per l'avvio di un'analoga sperimentazione in Europa nel 2015.



## REGISTRI, PERCHÉ SERVE COLLABORARE

Il Registro italiano dei pazienti con malattie neuromuscolari è un insieme di dati anagrafici, genetici e clinici di pazienti affetti da alcune patologie neuromuscolari, tra cui la SMA. Il Registro contiene in maniera ordinata e aggiornata i dati dei pazienti ed è utile sia per fini statistici sia per una migliore conoscenza della malattia. Può risultare utile anche per accelerare lo sviluppo di nuovi trattamenti. Infatti, affinché un nuovo trattamento possa essere approvato e reso quindi disponibile per tutti i pazienti, è necessario dimostrarne l'efficacia e la sicurezza negli studi clinici sperimentali. Quando si pianifica un trial clinico è importante identificare e contattare tutti i pazienti potenzialmente idonei. È molto utile quindi raccogliere e catalogare anche le informazioni cliniche di base dei pazienti in

modo da renderle facilmente e rapidamente utilizzabili dai ricercatori. L'iscrizione al Registro può dunque consentire al paziente di:

- essere contattato per essere inserito in trial clinici nel caso di idoneità rispetto agli specifici criteri di inclusione dello studio;
- essere informato sulle novità scientifiche riguardo alla sua malattia;
- completare o verificare i propri dati genetici e clinici grazie alla supervisione del responsabile del Registro in collaborazione con i medici di riferimento;
- stimolare il medico di riferimento ad effettuare cure o controlli più adeguati rispetto alle linee guida disponibili sulla sua malattia.

L'iscrizione può essere effettuata completamente online collegandosi al sito web [www.registronmd.it](http://www.registronmd.it). (P.P.)

# VIAGGIO DI BEN NEL DESERTO CON LA SEDIA

*Lo scorso luglio sono stato a Parigi a un incontro per SMAEurope ed ho fatto la conoscenza di Casimir Knight presidente di SMATrust (l'associazione SMA inglese) e presidente di SMAEurope, l'organizzazione che convoglia in se tutte le associazioni SMA europee. Casimir è davvero una persona speciale e il suo modo di fare caldo e accogliente è molto poco "british"!! Parlando dei nostri figli (come da buona prassi tra genitori SMA...!) lui mi ha detto: "mio figlio ha 16 anni ed ha una sedia a rotelle...non indovinerai mai dove si trova in questo momento...". Io, pensando di essere furbo, ho sorriso e gli ho detto che secondo me era a Eurodisney (dato che ci trovavamo a Parigi..!) e gli facevo i complimenti per l'autonomia raggiunta... Lui si è messo a ridere e mi ha detto che suo figlio in quel preciso momento si trovava in Namibia con un gruppo di volontari per 3 settimane per aiutare le popolazioni locali a risolvere alcuni problemi di ordine pratico nel villaggio...ovviamente mi ha confermato che lui e sua moglie dormono poco da quando lui è partito e hanno raggiunto l'accordo di non farsi troppe domande sulla gestione organizzativa del viaggio di Ben (il figlio). Io sono rimasto talmente sorpreso che gli ho chiesto di farmi fare un piccolo racconto del viaggio dal figlio sedicenne e questo è (tradotto da Angela Appolonia) il suo lavoro! (Luca Binetti)*

di Ben Knight

**Sedici anni, inglese, affetto da SMA 3. Ben Knight ha partecipato ad un viaggio organizzato da un'organizzazione benefica in Namibia. "Un'esperienza straordinaria, a parte le difficoltà di spingere la mia sedia nel deserto. E la serata in cui un elefante è comparso nel nostro accampamento".**



Io e il mio gruppo, accanto al campo da pallavolo finito

## MARINELLA E IL FIGLIO IN ARRIVO. QUANDO L'AMORE È PIÙ FORTE

**G**ravidanza. Una parola che contiene dentro sé un fiume di emozioni, sconvolgimenti, paure, felicità. Figuriamoci quando c'è anche la SMA!

Questa è la mia esperienza. Sono affetta dalla SMA tipo III e, nonostante la vita sia sempre stata competitiva nei miei confronti, non ho mai avuto paura di affrontarla al massimo, partendo qualche passo indietro rispetto ad altri.

Poco più di tre anni fa ho conosciuto un ragazzo eccezionale che con le sue ali forti e coraggiose mi ha fatto scoprire tanti orizzonti. Siamo sposati e conduciamo una vita normalissima tra lavoro, impegni casalinghi, discussioni e tanta gioia. E insieme a tutto questo adesso viviamo una delle emozioni più belle che una coppia possa provare. L'arrivo di un figlio.

Il test che diventa positivo in un batter d'occhio ha aumentato vertiginosamente i nostri battiti, gli occhi si sono riempiti di lacrime e il tremore della voce ci ha colto nell'incredulità.

Una sensazione stravolgente.

I giorni sono trascorsi con la consape-

volezza che ora dopo ora il mio corpo stava cambiando, stava creando una vita nuova... una vita che contiene la mia seconda rinascita! In questi mesi di gravidanza ho riposto tutte le mie speranze e le mie lotte, dentro me sta crescendo un piccolo uomo che congiungerà tutti i miei sogni e riuscirà a superare i limiti che mi hanno fermato, perché io so benissimo qual è il fondo da cui rialzarsi e insegnerò a mio figlio come si vincono le battaglie; lo guiderò verso un tragitto che porta inevitabilmente in alto e la mia mano lo proteggerà e darà le risposte ai suoi perché... perché lui non abbia paura degli ostacoli, ma li sappia affrontare con la consapevolezza che la sua mamma ce l'ha fatta!

Adesso quando mi sdraio e chiudo gli occhi, appoggio istintivamente le mani intorno al pancione e percepisco i suoi movimenti, un respiro pieno di amore e il battito del suo piccolo cuore che mi ricorda continuamente che lui c'è.

Una mamma ama il proprio figlio fin dal concepimento perché porta dentro



due cuori e io mi sento di amarlo con ancora più forza anche perché lui sarà il bambino sano che la SMA non mi ha permesso di essere quand'ero piccola e con tanta voglia di vivere! Paura? Decisamente no!

*Marinella Arnone*

Mi chiamo Ben Knight, ho 16 anni e vivo a Londra. Ho la SMA 3. Sono andato in Namibia l'estate scorsa per un viaggio di beneficenza organizzata da EHRA, una grande organizzazione benefica che aiuta la popolazione degli elefanti a vivere in armonia con la popolazione locale. L'ostacolo principale è stato l'accessibilità. Il grosso problema era la sabbia. C'era sabbia ovunque. Questo è davvero un grande problema per chi usa una sedia a rotelle, ma è apparso subito evidente che la gente di EHRA, così come i miei amici, mi avrebbero aiutato durante il viaggio, che nonostante questo inconveniente è stato fantastico. Dopo un percorso di 24 ore per arrivare al nostro accampamento nel deserto, tutti noi eravamo esausti. Ma siamo stati piacevolmente colpiti dalla gentilezza del popolo; inoltre siamo stati accolti dal nostro chef meraviglioso Doreen, che per tutto il viaggio ha cucinato dell'ottimo cibo. Abbiamo trascorso la prima settimana occupandoci dei restauri nella scuola locale, che si chiama Abramo Gariseb. È stato molto faticoso, ma alla fine il nostro gruppo ha avuto la soddisfazione di vedere il campo da pallavolo che abbiamo costruito. Altri gruppi hanno ristrutturato l'asilo e hanno costruito una copertura che protegge la gente dal sole e che è importante a causa del caldo estremo. In particolare la scuola ha chiesto un campo da pallavolo con fondamenta adeguate, e così l'abbiamo realizzato. Ci sono voluti 10 di noi a lavorare per una settimana ma alla fine è stato estremamente gratificante vederlo realizzato. Siamo anche riusciti a passare del tempo con i bambini; erano tutte persone veramente interessanti e gentili. È stato bello vedere quanto hanno apprezzato la nostra presenza. Dopo la prima settimana, abbiamo trascorso la successiva facendo un giro a piedi nel deserto. Non vi ho potuto prendere par-

te tutti i giorni, ma ho trovato il modo di dare lo stesso un mio contributo per la maggior parte del tempo, e così ho appreso nuove competenze di orientamento e navigazione nel deserto. Alla fine abbiamo ci siamo goduti tre giorni di riposo in un comodo Lodge, senza duro lavoro, ed è stato molto bello; è stato come avere una piccola vacanza. Durante questi tre giorni, c'è stata una notte in cui un elefante è entrato nel campo e abbiamo dovuto nasconderci in una casa sull'albero; l'elefante ha anche deciso di ripresentarsi durante la serata di gala, quando ci siamo vestiti eleganti. È stata un'esperienza notevole, un po' surreale, ma è stata proprio una delle cose che ha reso questo viaggio così bello. Nel complesso, il lavoro di volontariato, l'esplorazione del deserto e le incredibili esperienze individuali, hanno reso questa una delle migliori esperienze della mia vita.



Dopo che abbiamo finito il campo da pallavolo, abbiamo fatto alcuni murali

## DYNAMO CAMP. UNA VACANZA SPECIALE



Quando Chiara Mastella ci ha proposto di accompagnarla a fare un sopralluogo al Dynamo Camp per avere il punto di vista di una famiglia SMA, ho guardato il percorso per arrivare nei pressi di Pistoia e ho pensato: “Mamma mia, è lontanissimo, per stare lì poco più di 24 ore, farsene 4 per andare e 4 per tornare in macchina coi bimbi, di cui uno che soffre l’auto... ne varrà la pena?”. Beh, dopo soli 10 minuti dal nostro arrivo al campus mi sono data una risposta: sì, ne vale assolutamente la pena!

La prima sensazione è stata quella di entrare in un mondo magico, dove tutto è semplice e possibile, dove le esperienze che si possono vivere sono tante e speciali, dove i bambini e le loro esigenze sono al centro di tutto e dove si respira un’aria di profonda umanità.

Ci ha accolto Vito, il responsabile dello staff fisso, che ha cercato immediatamente di farci sentire a nostro agio, raccontandoci cosa si può fare, come ci si muove, come sono organizzati per l’assistenza, e ci ha portati subito a mangiare nonostante fossero già le tre del pomeriggio. In

mensa ci siamo accorti che tutti gli spostamenti sono semplici e che ogni ingresso in qualunque edificio è decisamente e comodamente accessibile. Dopo il pranzo-merenda siamo andati a visitare le casette dove avremmo passato la notte: si tratta di alcuni edifici in cui si trovano delle stanze con circa 10 posti letto ciascuna; sono concepite per ospitare i ragazzi dai 6 ai 17 anni senza genitori, ma ospitano anche le famiglie nelle settimane a loro dedicate dall’organizzazione. Anche dormire diventa quindi un momento di condivisione. Se me lo avessero detto prima di partire, ammetto che avrei storto il naso, ma la verità è che al Dynamo Camp le questioni formali o le eventuali scomodità passano completamente in secondo piano di fronte all’occasione meravigliosa che hanno i nostri figli di sperimentare qualcosa di straordinario, qualcosa che ricorderanno per tutta la vita e di cui ci saranno sempre grati. Ma cosa possono fare i nostri figli di così eccezionale?

Avevo già sentito parlare del Dynamo Camp alla radio e mi ero immaginata qualcosa che non era nemmeno la metà di quel che realmente offre: prima di tutto mi hanno stupito le dimensioni, perché stiamo parlando di una sorta di villaggio inserito in un parco che appartiene all’oasi affiliata WWF in cui i bambini possono stare a contatto con la natura; inoltre i ragazzi possono sviluppare le proprie capacità sperimentando varie attività creative e sportive, che sono molto più numerose di quanto mi aspettassi. Ci sono due pareti di arrampicata, una esterna e l’altra interna, un capannone adibito a tiro con l’arco, una grande piscina riscaldata in cui si possono svolgere diverse attività acquatiche, un percorso avventura fra gli alberi, una stalla con dei cavalli che accompagnano i bambini in piacevoli passeggiate all’interno del parco, un allevamento di cani addestrati per fare l’agility guidati dai bambini, un teatro dotato di ricchissima costumeria in cui si svolgono spettacoli per i bambini o fatti dai bambini, varie aree in cui fare campeggio, una sala per la creatività, una per il montaggio di filmati e una per trasmettere il segnale della radio Dynamo. Tutte le attività sono adattate alle esigenze del bambino, per cui l’arrampicata diventa un’altalena sospesa in cima alla parete con una serissima imbragatura da free climbing, l’arco è facilitato e comunque in tutte le attività i ragazzi sono guidati, sostenuti e accompagnati dagli adulti, per cui anche le cose che potrebbero risultare irrealizzabili per i nostri bimbi diventano un’impresa possibile.

*(Emanuela Crapanzano)*

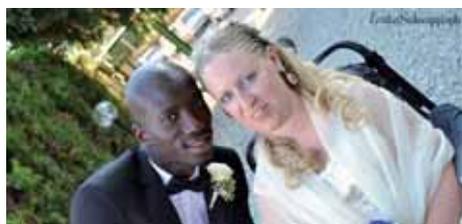
800 58 97 38



**STELLA**  
una voce che ascolta  
e ti sostiene.

Chiama gratuitamente  
l'800.58.97.38 dal lunedì  
al venerdì dalle 9.00  
alle 13.00 e il mercoledì  
anche dalle 14.30 alle  
18.30 oppure scrivi a  
stella@famiglie.sma.org

Lo scorso 13 settembre la nostra preziosa peer counselor Francesca Penno, la voce che risponde ai soci di Famiglie SMA al Numero verde Stella, si è sposata con Youssou Fall. Lui è senegalese e fa il sarto, riparazioni e creazioni in proprio, che gli piacciono di più quando può utilizzare tessuti africani. Si sono conosciuti su Facebook mentre Francesca seguiva un progetto di aiuto di bambini di strada. Congratulazioni!



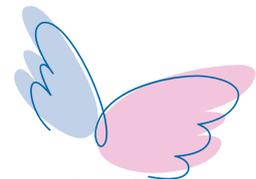
## VACANZA A NEW YORK, LA MIA GRANDE SORELLA

**N**ew York. È stata per me come una sorella maggiore che mi ha accolta nei dieci indimenticabili giorni in cui ho potuto conoscerla e scoprirla, fino ad innamorarmene. La voglia di incontrarla era così tanta che le 8 ore di volo sono passate in un istante, nonostante la mia paura degli aerei, nonostante quel sedile non proprio comodissimo. Sono atterrata in aeroporto con la consapevolezza di essere oltre l'oceano con le mie 4 ruote e un grande compagno di vita e di viaggio, circondata da assistenti che subito mi hanno fatto comprendere che loro sono lì per aiutarti, ma nella misura in cui tu chiedi, senza eccedere nell'assistenzialismo, senza sentirsi in diritto di prendere il ventilatore che hai sulle gambe per toglierti quel peso, almeno fino a quando non sei tu a chiedere loro di farlo. Uno spericolato autista ci ha condotti, insieme ad altri turisti, verso la città; dal pulmino non avevo la possibilità di vedere molto, ma appena scesa, nella notte, eccola: luminosa, colorata, maestosa, imponente e al tempo stesso così amichevole, ecco New York. Come una sorella maggiore mi ha abbracciata con i tantissimi sorrisi, saluti e benedizioni che sono giunti dai suoi abitanti fin da subito, fin dal check-in in quello spettacolare e immenso hotel posto proprio di fronte al Madison Square Garden. Il primo giorno la simpaticona mi ha dato il benvenuto con un tempo da lupi, vento e pioggia, proprio quando mi stavo ambientando, proprio quando cercavamo disperatamente di trovare una cartina dei bus, merce rara a quanto pare! Ancora sprovvisti della nostra mappa del tesoro decidiamo di salire sull'Empire State Building proprio alle nostre spalle, non servivano mezzi e avevamo troppa voglia di iniziare ad assaggiare la vacanza più a fondo. Stare lassù con quel tempo e la mia SMA è stata un'esperienza indimenticabile: intorno a me un panorama da togliere il fiato e un vento così forte da impedirmi anche di muovere il joystick della carrozzina! E prova tu a chiedere aiuto in quelle condizioni e a far capire nel suono assordante del vento che sei piantata lì in mezzo non perché sei in estasi, ma perché non riesci a muoverti, specie se l'assurdità della situazione ti scatena una risata convulsiva e isterica che compromette ancora di più la possibilità di comunicare! In qualche modo ce l'ho fatta, ho ripreso il controllo e ho deciso di rientrare, godendomi il panorama protetto dai vetri. Usciti da lì il tempo stava ini-



ziando a migliorare e dopo un pasto sfizioso in un pub tipico, sempre a piedi ci addentriamo fino a raggiungere la spettacolare Times Square per il primo bagno di folla e di umanità, e i colori dei maxi schermi e delle immagini hanno danzato nei nostri occhi mescolandosi alle sfumature della pelle, degli abiti, mescolandosi a quell'immensa diversità di cui eravamo parte. Al ritorno abbiamo trovato finalmente la preziosa mappa e dal giorno dopo New York ci ha donato sole e calore per quasi tutta la vacanza. Una volta familiarizzato con i bus, girare è stato davvero facile: ogni bus ha una pedana e posti riservati, ogni autista sa come aiutarti. Ed ecco che ci siamo trovati di fronte alla leggendaria Statua della Libertà, per spostarci poi nell'intensa esperienza della visita a Ground Zero, fino

a Wall Street attraversando il magico spazio sospeso della Trinity Church e da lì in bus fino alle mille meraviglie di Chinatown per meditare ai piedi di un immenso Buddha e curiosare tra insolite radici a detta loro commestibili, fino a gustare finalmente i tanto desiderati "spaghetti meatballs" della Little Italy. Nei giorni seguenti la mia sorella maggiore mi ha vista scorazzare tra le mamme che fanno jogging spingendo i passeggini a Central Park, lungo il ponte di Brooklyn e tra le vetrine della quinta strada, mi ha ascoltata cantare a squarciagola in un teatro di Broadway e piangere di un'emozione dirompente durante una messa gospel ad Harlem. Mi ha accompagnata a fare shopping da Macy's e nei negozietti di Soho, mi ha tolto il fiato di fronte alle opere del Moma, inebriata dei suoni dei musicisti di strada di Greenwich, mi ha inquietata e piacevolmente stupita tra gli edifici di Staten Island, mi ha fatto assaggiare cibi di tutto il mondo. New York mi ha guidata tra le sue strade accogliendo le mie ruote su marciapiedi sempre provvisti di scivoli, in spazi accessibili con ascensori ampi e personale cortese e sorridente che mette subito a tua disposizione le informazioni che ti servono per essere il più autonomo possibile. Ogni quartiere è un mondo a sé, come se fosse tante città in una e in ognuna le sue particolarità con alcuni denominatori comuni, uno di questi è di certo il sorriso, lo sguardo fresco e sincero di uomini e donne di ogni età. New York mi ha incantata e ancora adesso il suo ricordo mi emoziona, guardo le foto e, così come ho fatto prima di andarmene, ancora una volta, infinitamente la ringrazio. *(Simona Spinoglio)*



Famiglie SMA  
Genitori per la Ricerca sull'Atrofia Muscolare Spinale

DIVENTA  
AMICO DI  
FAMIGLIE SMA!

NOI SIAMO  
SMART.  
E TU?

PER AIUTARE I BAMBINI  
CON LA SMA  
ABBIAMO BISOGNO  
DI TANTI AMICI SMART



**LA SMA È UNA MALATTIA RARA.  
ANCHE L'AMICIZIA  
È UN DONO MOLTO RARO.**

Diventa amico di Famiglie SMA sostenendo l'Associazione nella modalità più adatta a te. Con il tuo contributo continueremo a finanziare il progetto SMART con cui stiamo creando una rete di **centri regionali in cui verrà garantita assistenza medica e supporto informativo e psicologico per i bambini affetti dalla SMA e le loro famiglie.**

Per diventare amico, compila il modulo e invialo a [segreteria@famigliesma.org](mailto:segreteria@famigliesma.org) oppure al fax: 1782712609. Oppure collegati al sito [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org) nella sezione Amici.

Io sottoscritto/a \_\_\_\_\_ nato/a \_\_\_\_\_ il \_\_\_\_\_  
via \_\_\_\_\_ n. \_\_\_\_\_ città \_\_\_\_\_ CAP \_\_\_\_\_  
telefono \_\_\_\_\_ cellulare \_\_\_\_\_ e-mail \_\_\_\_\_

desidero diventare amico di **Famiglie SMA**, con la seguente modalità:

**AMICO** quota annuale Euro 10

**AMICO SOSTENITORE** quota annuale Euro 100

**AMICO BENEMERITO** quota annuale Euro 500

**INFORMATIVA SULLA PRIVACY**

Le informazioni da Lei rilasciate potranno essere utilizzate, nel rispetto del D.Lgs. 196/2003, da Associazione Famiglie SMA Onlus - Via Agostino Magliani, 82-84 00148 Roma, CF. 97231920584 - esclusivamente per il perseguimento delle proprie finalità istituzionali. In qualsiasi momento potrà consultare, modificare, opporsi al trattamento dei suoi dati rivolgendosi a: Associazione Famiglie SMA Onlus - Via Agostino Magliani, 82-84 00148 Roma. Per un' informativa completa visiti il sito: [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org) - **Letta l'informativa di cui sopra, il/la sottoscritto/a presta il proprio consenso al trattamento dei dati personali conferiti.**

Luogo e data \_\_\_\_\_ Firma \_\_\_\_\_

Provvedi al pagamento della quota annuale scegliendo una delle seguenti modalità e indicando chiaramente la causale Amico e la tipologia:

- Bollettino di conto corrente postale n° 65702011 intestato a Famiglie SMA Onlus - Via Agostino Magliani 82/84 - 00148 ROMA.
- Bonifico Bancario IBAN IT90K0200805208000003417887 intestato a Famiglie SMA Onlus.
- On line con Carta di Credito andando all'indirizzo [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org)

**Le donazioni godranno dei benefici fiscali previsti per le ONLUS.**

**Per informazioni sugli Amici e sulle loro attività contattate: Segreteria Famiglie SMA - Tel. 345 2599975 - [segreteria@famigliesma.org](mailto:segreteria@famigliesma.org)**