

Roma, 17 aprile 2013

#### Consiglio Direttivo

Daniela Lauro  
Presidente

Fabio Callegari  
Vice Presidente

Pietro Ferrazza  
Tesoriere

Alberto Fontana  
Consigliere

Luca Binetti  
Consigliere

#### Comitato Scientifico

Enrico Bertini  
Ospedale Bambino Gesù, Roma

Eugenio Mercuri  
Università Cattolica del S.C., Roma

Giuseppe Novelli  
Università di Roma Tor Vergata

Giancarlo Ottonello  
Istituto G. Gaslini, Genova

Francesco Danilo Tiziano  
Università Cattolica del S.C., Roma

#### SMA EUROPE

Paul Moore  
Board Member

**Caro amico, gentile Dottore Commercialista,  
gentile Professionista,**

in previsione della prossima denuncia dei redditi 2013, vorremo farle conoscere Famiglie SMA Onlus, la nostra Associazione, composta e gestita esclusivamente da **genitori di bambini e da adulti affetti da SMA** (Atrofia Muscolare Spinale).

Fin ad ora gli sforzi maggiori dell'Associazione sono stati: far conoscere la patologia, individuare chi si prendesse cura dei nostri bambini e permettesse loro di vivere il più a lungo possibile e, infine, promuovere la ricerca sulla SMA. Proprio adesso le autorizzazioni e l'imminente avvio della **sperimentazione di una decina di farmaci** in America e in Europa, ci fanno ben sperare che la cura sia più vicina e proprio per questo, abbiamo bisogno di raccogliere nuovi fondi da investire.

Tutte le nostre attività, a sostegno delle famiglie e della ricerca, sono riportate sul sito internet [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org), dove si possono anche trovare i bilanci e lo statuto dell'Associazione.

La invitiamo a sostenerci e a divulgare ai suoi clienti i dati per il 5 per mille:  
**Famiglie SMA Onlus - codice fiscale 97231920584.**

#### Presentazione dell'Associazione

Famiglie SMA Onlus, costituita nel 2001 a Roma da un gruppo di genitori, è diventata un punto di riferimento in Italia per chi si occupa, a vario titolo, di Atrofia muscolare spinale. Nel complesso l'associazione ha già raccolto **oltre 1 milione di euro per finanziare la ricerca** sulla SMA.

L'Associazione ha tre principali obiettivi:

- **informare le famiglie** sugli sviluppi della ricerca scientifica e sulle terapie disponibili.
- **promuovere e finanziare** anche in Italia **la ricerca scientifica sulla SMA** e sulle possibili terapie.
- **promuovere l'organizzazione di sperimentazioni cliniche di farmaci e terapie, attraverso la partecipazione degli enti di ricerca italiani** alle sperimentazioni cliniche sulla SMA realizzate all'estero.

L'**Atrofia Muscolare Spinale**, una delle più gravi e diffuse malattie neuromuscolari che colpiscono i bambini, è dovuta all'assenza di un gene che produce una proteina necessaria all'attività delle cellule nervose che inviano gli impulsi motori ai muscoli. I muscoli volontari (ad

#### Famiglie SMA O.n.l.u.s.

Sede operativa: c/o Consorzio Cooperho – via Lamarmora 7 – 20020 Lainate (MI) • Tel. 345 2599975 • Fax 178 2712609

Sede istituzionale: Viale Ortles 22/4, 20139 Milano • Sede legale: Via Agostino Magliani, 82-84 – 00148 Roma

Codice Fiscale 97231920584 • c/c postale n. 65702011

c/c bancario n. 3417887 presso Unicredit Banca ABI 02008 CAB 03209

IBAN IT90K0200805208000003417887

E-mail: [segreteria@famigliesma.org](mailto:segreteria@famigliesma.org) • Internet: [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org)



esempio quelli addetti alla respirazione, alla deglutizione e al movimento) subiscono così una progressiva paralisi.

La SMA è la principale causa genetica di morte per bambini sotto i due anni. Non esiste al momento nessuna cura.

1 persona su 40 è portatore sano.

1 bambino su 6.000 nati vivi è affetto da SMA.

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

In quasi tutti i casi la SMA provoca la morte o l'invalidità completa.

La forma di SMA più diffusa e più grave, il tipo I, spesso porta alla morte nei primi mesi di vita. I bambini affetti da questa forma richiedono un'assistenza continuativa altamente specializzata: i genitori vengono addestrati nei reparti di terapia intensiva a gestire i bambini e, all'occorrenza, a rianimarli. Molto spesso il supporto delle ASL è fortemente inadeguato e l'assistenza, dopo la dimissione dall'ospedale, ricade interamente o quasi sui genitori stessi.

L'Associazione si avvale dell'ausilio di un **Comitato Scientifico** composto dai migliori esperti italiani e internazionali nelle rispettive discipline, e collabora con alcuni dei più prestigiosi centri clinici e di ricerca del nostro Paese (tra cui a Roma l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, l'Università Cattolica e il Policlinico Gemelli; a Milano l'Istituto San Raffaele, il Centro Clinico NEMO dell'Ospedale Niguarda e il SAPRE (Settore Abilitazione Precoce dei Genitori) dell'Unità Operativa di Neuropsichiatria dell'Infanzia e dell'Adolescenza della Fondazione IRCCS Ca' Granda - Ospedale Maggiore Policlinico; a Genova l'Ospedale Pediatrico Gaslini).

L'Associazione Famiglie SMA fa inoltre parte di importanti **reti nazionali e internazionali**: **Families of SMA**, leader mondiale nel supporto alla ricerca sulla SMA e **International Alliance for SMA** (IASMA), per favorire la collaborazione internazionale in materia di ricerca e riabilitazione sulla SMA. Ha promosso la costituzione di una **Federazione Europea delle associazioni di pazienti SMA**; è abilitata come sponsor di sperimentazioni cliniche presso l'**Osservatorio Nazionale sulla Sperimentazione Clinica dell'Agenzia italiana del Farmaco**; è presente con un membro del Consiglio direttivo di Famiglie SMA nella **Consulta Nazionale Malattie Rare**, organo di consulenza del Ministero istituito presso l'Istituto Superiore di Sanità ed è presente con un membro nella **Consulta delle malattie neuromuscolari** del Ministero del Lavoro della Salute e delle Politiche Sociali.

Grazie per quanto potrà fare.

Daniela Lauro

Presidente di Famiglie SMA Onlus

### **Famiglie SMA O.n.l.u.s.**

Sede operativa: c/o Consorzio Cooperho – via Lamarmora 7 – 20020 Lainate (MI) • Tel. 345 2599975 • Fax 178 2712609

Sede istituzionale: Viale Ortles 22/4, 20139 Milano • Sede legale: Via Agostino Magliani, 82-84 – 00148 Roma

Codice Fiscale 97231920584 • c/c postale n. 65702011

c/c bancario n. 3417887 presso Unicredit Banca ABI 02008 CAB 03209

IBAN IT90K0200805208000003417887

E-mail: [segreteria@famigliesma.org](mailto:segreteria@famigliesma.org) • Internet: [www.famigliesma.org](http://www.famigliesma.org)