

Spett.le
Ministero della Salute
C.A. Ministro Balduzzi
Lungotevere Ripa, 1
00153 Roma

Appello al Ministro Balduzzi: i bambini SMA1 meritano chiarezza e non commiserazione, il Ministro ci aiuti a rendere disponibili i dati.

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

Gentilissimo Ministro,

L'Associazione Famiglie SMA riunisce la maggioranza dei familiari e dei pazienti affetti da SMA, atrofia muscolare spinale, oggi, forse, più nota come la "malattia di Celeste". Molti dei nostri genitori hanno conosciuto o affrontano quotidianamente la forma più grave della patologia: l'atrofia muscolare spinale di tipo 1.

Questa forma della malattia, fortemente invalidante, come è ormai noto, indebolisce progressivamente i muscoli respiratori e quelli della deglutizione rendendo impossibile ai nostri piccoli, oltre che i movimenti, **soprattutto respirare e mangiare autonomamente**; nei casi più gravi la malattia può per questo essere mortale.

Dal contenuto di alcune trasmissioni e da articoli sulla carta stampata, emerge la gravissima affermazione che la SMA1 **sia sempre incompatibile con la vita**, facendo immaginare che all'indomani di una diagnosi di SMA1, l'unica strada possibile sia quella di inserirsi nella trafila giudiziaria legata al Metodo Stamina, ovvero che attualmente si stia sperimentando una cura per la SMA, avversata immotivatamente dal mondo scientifico. Questo non corrisponde al vero e può mettere davvero a rischio la sopravvivenza del bambino stesso.

Noi non vogliamo entrare nel merito del protocollo Vannoni, esistono organi competenti in merito, ma con le attuali conoscenze ed in mancanza di certezze e dati oggettivi possiamo solo consigliare una posizione di assoluta cautela e prudenza.

La cosa principale che un nuovo genitore deve fare, è entrare immediatamente **in contatto con un medico esperto di SMA dal quale conoscere le possibilità che possono essere date al bambino e avere una corretta formazione sulla gestione della sua quotidianità**. Vorremmo anche sottolineare che ogni bambino SMA1 ha una sua forma peculiare, che spesso ha delle caratteristiche ed un'evoluzione propria e che è scorretto paragonare due piccoli dalla forma apparentemente simile al momento della diagnosi.

Già dal 2011, quando iniziò questa vicenda, consigliamo le nostre famiglie di non abbandonare gli ormai canonici percorsi ventilatori e fisioterapici, che hanno dimostrato ampiamente **di aumentare la durata e la qualità della vita in casi di SMA1 e di far riferimento a quei centri medici la cui esperienza è ormai inoppugnabile**. La nostra associazione sta attualmente concentrando tutta la sua forza economica nello

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 • Internet: www.famigliesma.org

spingere l'avvicinarsi di una cura basata su una ricerca etica e indiscutibile e nel miglioramento della vita quotidiana dei pazienti SMA.

Ci sono, infatti, alcuni *trials* (che ricordiamo essere **esperimenti** su molecole in corso di studio per accertarne la sicurezza sull'uomo e non farmaci disponibili) su **cure** 'promettenti' che partiranno nell'arco di brevissimo tempo, disegnando un quadro che era finora insperato.

Oggi, dato l'ampio eco sui media televisivi e della carta stampata, corredata da notizie spesso erronee e fuorvianti, ci rivolgiamo direttamente a Lei per permetterci di fare definitiva chiarezza su questa vicenda.

Le nostre famiglie stanno vivendo con estrema trepidazione queste giornate e pur non alzando i toni e non scendendo in piazza hanno lo stesso diritto di altre ad avere le loro risposte.

Siamo genitori e pazienti che vivono quotidianamente il rapporto con questa terribile malattia e proprio per questo siamo realmente vicini a tutte le famiglie che vivono lo stesso dramma; ci rendiamo però conto che in questo momento dobbiamo delle risposte alla nostra comunità, in attesa che i ricercatori rendano fruibile una terapia sicura.

Già dal 2011 (come da report e comunicato allegato) chiediamo, e ci viene negata, la documentazione medica sulla metodologia di Stamina; lo scorso anno abbiamo interpellato anche i medici degli Spedali Civili di Brescia che ci hanno risposto che la documentazione era vincolata dal segreto istruttorio.

Chiediamo quindi oggi al Ministro della Salute di poter intercedere per rendere accessibili e fruibili:

- il metodo completo della preparazione delle cellule;
- il protocollo clinico pubblico come da normativa vigente;
- il Follow up e le cartelle dei pazienti trattati, i cui dati possono anche essere opportunamente oscurati nel rispetto della legge sulla privacy;
- la metodologie e le scale di misurazione con cui questi miglioramenti sono stati accertati;

e di poter organizzare una commissione medica di esperti **super partes**, che valutino tutta la documentazione acquisita e che ci possano finalmente permettere di porre la parola fine su questa dolorosa vicenda.

Certi di una cortese e sollecita risposta porgiamo distinti.

Il Consiglio Direttivo di Famiglie SMA Onlus

Roma, 9 aprile 2013

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 • Internet: www.famigliesma.org