



Výroční zpráva 2018



SMÁci, z.s. – základní údaje

Právní forma: zapsaný spolek

Sídlo: Nová 862, Mníšek pod Brdy, 252 10

IČO: 058 79 205

Spisová značka: L 67966 - SMÁci, z. s. jsou zapsáni ve spolkovém rejstříku vedeném Městským soudem v Praze

ID datové schránky: hjb2n6s

Transparentní účet: 2401187434/2010 (FIO Banka)

Informační e-mail: info@smaci.cz

Webové stránky: www.smaci.cz

O nás

SMÁci byli založeni skupinou pacientů se SMA, jejich rodičů a přátel. Ustavující schůze SMÁků proběhla 17. ledna 2017, k zápisu do spolkového rejstříku došlo dne 9. března 2017.



Činnost je založena na dobrovolné práci pacientů se SMA, rodičů a jejich přátel. V čele SMÁků je 5ti členný výkonný výbor, za který jedná představa a 1. místopředseda. Výbor je

složený z pacientů se SMA a rodičů pacientů se SMA. Dle Stanov byl dále zřízen Kontrolní výbor.

Ke konci roku 2018 měl spolek 151 řádných členů. 36 zletilých pacientů se SMA, 34 nezletilých pacientů, 76 zákonných zástupců nebo jiných blízkých osob pacientů a 5 dalších zájemců o členství ve spolku.

Účel a poslání SMÁků

Účel a poslání SMÁků vychází ze Stanov, které byly schváleny na ustavující schůzi. SMÁci prosazují, podporují a hájí zájmy pacientů se SMA, osob blízkých pacientů se SMA a ostatních osob o tyto pacienty pečujících. Dále se spolupodílejí na zajištění kvalitního života, péče, podpory a účinné léčby pacientů se SMA.

Co je Spinální Muskulární Atrofie

Spinální Muskulární Atrofie (SMA) patří do skupiny neuromuskulárních onemocnění a jedná se o onemocnění motoneuronů, které odpovídají za vědomé pohyby svalů, jako např. běhání, pohyby hlavy a polykání. SMA postihuje kosterní svaly, tzv. proximální svaly (ramena, kyčle, zádové svalstvo), které jsou postiženy nejvíce. Slabost v dolních končetinách je všeobecně větší než u paží. Mohou být také postiženy polykací svaly, svaly krku a žvýkací svaly. Smyslové vnímání a intelektuální schopnosti nejsou postiženy. Naopak je často pozorováno, že pacienti se SMA jsou neobvykle duševně čilí a přátelští.

Klinicky jsou pacienti rozděleni do 4 skupin, podle motorického vývoje, kterého pacient dosáhl:

Typ I - akutní infantilní forma (Werdnigův-Hoffmannův syndrom) - diagnóza bývá obvykle stanovena před dosažením 6. měsíce života. K progresi dochází v prvních měsících života. Spontánní hybnost se omezuje na minimum. Pacienti se SMA I. typu obvykle nepřežijí 2 roky života.

Typ II - přechodná pozdně infantilní forma (chronický typ Werdnigovy-Hoffmannovy choroby) - diagnóza tohoto typu atrofie bývá stanovena před dosažením 2. roku života. Pacienti se zpravidla naučí sedět, někdy dokáží i samy stát nebo udělat pár prvních krůčků. Samostatné chůze nejsou nikdy schopni. Brzy dochází k poklesu dosažené úrovně motorického vývoje včetně schopnosti stát. Pokud mají pacienti se SMA II. typu zajištěnu kvalitní péči, dožívají se průměrně 30-50 let.

Typ III - juvenilní forma (Kugelbergův-Welanderové syndrom) se projevuje obvykle v předškolním či školním věku. Nejprve se obvykle projeví poruchami chůze vyvolanými narůstající slabostí svalstva nohou. Postupně se horší i hybnost rukou, klesá síla svalstva trupu. Mezi 20 až 40 lety věku pacienti ztrácejí pohyblivost.

Typ IV - vlastní adultní forma (Aranův-Duchenneův syndrom) - první příznaky tohoto typu SMA se obvykle projevují až po 35. roce. Postup nemoci bývá obvykle velmi pomalý.

Podle údajů z května 2018 je počet pacientů se SMA v ČR 122, z nichž polovina je nezletilá. Počet je postupně upřesňován. Aktuální přehled o počtu pacientů je uveden na www.smaci.cz.

Nejdůležitější aktivity v roce 2018

a) zvyšování povědomí o SMA a dostupné léčbě

I v roce 2018 jsme aktivně pracovali na zvyšování povědomí o SMA. Pravidelně se účastníme seminářů a konferencí s tematikou SMA, nervosvalových onemocnění a také vzácných onemocnění.

Rok 2018 se nesl ve znamení léčby lékem Spinraza - v průběhu roku se dostupnost léčby pro pacienty se SMA u nás rozšiřovala. Aktivně jsme pomáhali pacientům - zájemcům o léčbu na jejich cestě k získání léčby, potažmo její úhrady. Ke konci roku 2018 mělo Spinrazu ca 50 převážně dětských pacientů v Čechách.

b) informování o možnostech zajištění kvalitního života, péče, léčby a podpory pacientů se SMA, zařazování do databází pacientů a klinických studií

Během roku jsme pokračovali jsme v aktualizaci Seznamu členů a Seznamu pacientů, publikovali jsme také informační články na našich webových stránkách.

V rámci zajištění informovanosti a sdílení informací proběhlo na konci roku 2018 webinář zaměřený na problematiku získání léčivého přípravku nehrázeného z veřejného zdravotního pojištění (Spinraza).

c) spolupráce se subjekty obdobného zaměření v ČR i v zahraničí

Nadále jsme aktivním členem České Asociace Vzácných Onemocnění, Asociace Pacientských Organizací a spolupracujeme s organizacemi obdobného zaměření s důrazem na nervosvalová nebo vzácná onemocnění (viz níže).

Spolupracujeme s státními institucemi v oblasti zdravotnictví. Jsme členy několika pracovních skupin spadajících pod patientskou radu MZ ČR. Jsme také partnerskou organizací SÚKLu. Komunikujeme s fakultními nemocnicemi. Byly uspořádány přednášky v rámci konferencí ve FN Ostrava, FN Brno a FN Motol na téma: Pacientská organizace SMA s aktualitami o léčbě a jejích přínosech. Dále byly pořádány přednášky o SMA pro mediky pod záštitou ČAVO ve FN Motol.

Ve spolupráci s patientskou organizací EndDuschene se podílíme na přípravě workshopů v Hradci Králové, Českých Budějovicích a v Praze. Workshopy se uskuteční v roce 2019.

Zúčastnili jsme se intenzivních vzdělávacích programů pořádaných MZČR na téma zapojení pacientů do rozhodovacích procesů.

Pravidelně jsme se účastnili zasedání zdravotního výboru Poslanecké sněmovny ČR a jednání na kulatých stolech pořádaných zdravotním výborem.

Mezi zahraniční organizace, kterých jsme aktivními členy, patří SMA Europe. V roce 2018 to bylo v roli pozorovatele (observer), kterou jsme automaticky získali pro první rok našeho členství v organizaci. I jako pozorovatel se však aktivně zapojujeme do činnosti organizace a jsme členy několika pracovních skupin pro různé druhy léčby i pro další aktivity.

d) podpora výzkumu SMA a léčby nemoci

Průběžně monitorujeme vývoj dalších léků pro SMA, které se nacházejí v různých etapách klinických studií. Komunikujeme s farmaceutickými firmami, které stojí za vývojem léků. Konkrétně jde o firmy Biogen, Novartis, Roche a Avexis.

e) organizace setkávání členů Spolku a jejich vzájemné výměny zkušeností a informací

V roce 2018 jsme pokračovali v našich online aktivitách. Pravidelně zveřejňujeme příspěvky na Facebooku a webových stránkách. Vedeme také skupinu, v níž probíhají diskuze, které pomáhají zlepšovat komunikaci s pacienty a dalšími zájemci o SMA problematiku.

f) zprostředkování odborných (nejen lékařských) konzultací

Ve spolupráci s ČAVO jsme se zúčastnili seminářů organizovaných v rámci výuky na vysokých školách.

V polovině června 2018 proběhl víkendový pobyt Davidově Mlýně. Pobyt byl organizován spolkem Anulika, z. s. v rámci projektu "Podpora neformální péče". Na pobytu byla prezentována pacientská organizace SMÁci a informace týkající se dostupnosti léčby pacientů se SMA v ČR s důrazem na Spinrazu.

g) členská schůze

Členská schůze se v roce 2018 uskutečnila 18. srpna v prostorech Autoklubu ČR (Opletalova 29, Praha 1, 110 00).

Mezinárodní konference



V září 2018 jsme se zúčastnili **mezinárodní konference zaměřené na problematiku lidí s nervosvalovým onemocněním**, která se uskutečnila v Clarion Hotel v Praze. Konferenci pořádala Asociace muskulárních dystrofií v ČR ve spolupráci s Evropskou aliancí pro nervosvalová onemocnění (EAMDA).

Členství v SMA Europe a mezinárodní spolupráce



Rok 2018 byl prvním rokem našeho členství v SMA Europe <http://www.sma-europe.eu/about/>, zastřešující organizace evropských pacientských organizací SMA.

Kromě činnosti realizované “vzdáleně” jsme se také zúčastnili obou členských setkání. V dubnu 2018 to bylo v Ettington, nedaleko Birminghamu v Anglii a v říjnu 2018 se setkání konalo v Bordeaux ve Francii.

Prostřednictvím účasti zde jsme také nepřímo nebo aktivně členy dalších organizací. V budoucnu bychom se i v nich chtěli aktivně podílet na jejich aktivitách. Jedná se o tyto organizace:

- **EURORDIS** - <https://www.eurordis.org/about-eurordis> - nevládní evropská aliance pacientských organizací vzácných onemocnění
- **EMA - European Medicines Agency** - <http://www.ema.europa.eu> - Evropská léková agentura
- **Cure SMA** - <http://www.curesma.org/about/> - nevládní organizace zastřešující SMA především USA, podílí se také na financování výzkumu

Vývoj léčiv a stav klinických studií

Biogen - Spinraza

Rok 2018 se nesl v znamení léčby lékem Spinraza - v průběhu roku se dostupnost léčby pro pacienty s SMA u nás rozšiřovala. Aktivně jsme pomáhali pacientům - zájemcům o léčbu na jejich cestě k získání léčby, potažmo její úhrady. Ke konci roku 2018 mělo Spinrazu ca 50 pacientů v Čechách.

Roche - risdiplam

Firma Roche pokračuje ve vývoji léčiva *risdiplam*. V roce 2018 probíhala řada klinických studií s tímto léčivem, žádná z nich u nás.

Novartis - branaplam

Vývoj přípravku *branaplam* od firmy Novartis pokračuje. V roce 2018 byly obnoveny klinické studie. Jedna z nich byla iniciována i u nás, avšak nábor pacientů v Čechách neproběhl, žádný z našich pacientů tedy tímto přípravkem léčen nebyl.

AveXis - AVXS-101 = Zolgensma

V roce 2018 požádala firma AveXis o registraci svého přípravku *AVXS-101* u FDA. Tím byl zahájen proces schvalování. Nyní je léčivo známo také pod jménem Zolgensma. V roce 2019 očekáváme bouřlivý vývoj v této oblasti.

Plán na rok 2019 v oblasti zahraniční spolupráce

I v roce 2019 máme v plánu pokračovat v našich aktivitách na národní a mezinárodní úrovni. Na mezinárodní úrovni je to především členstvím v SMA Europe (v tomto roce to už bude členství placené), ale i prostřednictvím dalších organizací. Na národní úrovni je to pak snaha o prosazení léčby pro všechny dětské a dospělé pacienty. Dále pak zvyšování povědomí o SMA a novinkách v přístupu k pacientům s tímto onemocněním.

Výsledovka k 31.12.2018

Je uvedena v samostatné příloze

Naším cílem je udržet nezávislost a objektivitu pacientské organizace. Jedním ze způsobů je, že jsme si stanovili cíl trvale udržovat celkový podíl sponzorských prostředků od farmaceutických firem na úrovni menší než je polovina všech příjmů spolku. V Čechách aktivně působí 3 farmaceutické firmy s aktivitami v oblasti SMA. V roce 2018 jsme čerpali prostředky od 2 z nich.

Seznam dárců v roce 2018

Fyzické osoby:

- Ilona Poláčková
- Daniela Vokálová
- Marie Čížková
- Martin Michek
- Barbora Ulmanová

Právnícké osoby:

- ASPERA, spol. s.r.o.
- ROCHE, s.r.o.
- RETIA, a.s.
- Jiří Novák (Spolek Právníckých Her)
- Novartis Investment
- Medicon Group Limite
- Bofa RE Biogen
- Inventi Development

Strukturovaný přehled výdajů

STRUKTURA VÝDAJŮ V ROCE 2018	
Položka	Výše výdajů
cestovní výdaje tuzemské	5 600,00 Kč
cestovní výdaje zahraniční	21 942,00 Kč
materiální výdaje	4 372,00 Kč
přeplatek (nevyužitá část grantu Novartis)	20 384,59 Kč
náklady na členskou schůzi	14 297,50 Kč
semináře	10 178,00 Kč
administrativní výdaje	1 252,00 Kč
	78 026,09 Kč