



# क्योर एसएमए

केयर सिरीज बुकलेट

रीढ़ की मांसपेशियों में क्षीणता से ग्रसित व्यक्तियों और उनके परिवारों के लिए एक सूचना एवं सहायता स्रोत।

## एसएमए को समझना

**cure**  
**SMA**

Make today a  
breakthrough.

# रीढ़ की मांसपेशियों में क्षीणता

रीढ़ की मांसपेशियों में क्षीणता (एसएमए) एक वंशागत रोग है। यह रीढ़ की हड्डी के अंदर प्रेरक तंत्रिकाओं को प्रभावित करके, मांसपेशियों की कमजोरी और अपक्षय (थकाऊ) कारण बनते हुए लोगों की शारीरिक ताकत को छीन लेता है। ये प्रेरक तंत्रिका कोशिकाएं सांस लेने, रेंगने, चलने, सर और गर्दन नियंत्रण और निगलने के लिए उपयोग की जाने वाली मांसपेशियों को नियंत्रित करती हैं।

## तथ्य:

- एसएमए एक दुर्लभ विकार है, जो हर 11,000 जन्मों में लगभग 1 बच्चे को प्रभावित करता है।
- लगभग 50 में से 1 व्यक्ति में एसएमएस के लिए एक निष्क्रिय जीन होता है और इसके कोई लक्षण नहीं होते।
- एसएमए एक अलिंगसूत्री अप्रभावक रोग है।
- एक प्रभावित व्यक्ति में हर अभिभावक से एक-एक प्राप्त एसएमए के 2 निष्क्रिय जीन होते हैं।

एसएमए सर्वाइवल मोटर न्यूरोन जीन 1 (एसएमएन1) में उत्परिवर्तन के कारण होता है। एक स्वस्थ व्यक्ति में, यह जीन एक प्रोटीन का उत्पादन करता है, जो मांसपेशियों को नियंत्रित करने वाली तंत्रिकाओं के कार्य करने में निर्णायक होता है। इसके बिना, ये तंत्रिका कोशिकाएं सही ढंग से कार्य नहीं कर पाती हैं और धीरे-धीरे मर जाती हैं, जिससे दुर्बलता होती है और कभी-कभी तो मांसपेशियों में घातक कमजोरी होती है। एसएमए में, बेकअप जीन, सर्वाइवल मोटर न्यूरोन जीन 2 (एसएमएन2) भी एसएमएन का उत्पादन करता है, लेकिन यह एसएमएन1 से कम सक्षम होता है। (एसएमएन2) की प्रतियों की संख्या का मोटर प्रकार्य पर प्रभाव होता है, चूंकि एसएमएन2 जीन प्रतियों से अधिक कमजोरी होती है, लेकिन इसके अपवाद भी होते हैं।

एसएमए एक दुर्लभ विकार है, जो हर 11,000 जन्मों में लगभग 1 बच्चे को प्रभावित करता है। लगभग 50 में से 1 व्यक्ति में एसएमएस के लिए एक निष्क्रिय जीन होता है और इसके कोई लक्षण नहीं होते। एसएमए एक अलिंगसूत्री अप्रभावक रोग है। इसका मतलब है कि एक प्रभावित व्यक्ति में हर अभिभावक से एक-एक प्राप्त एसएमए के 2 निष्क्रिय जीन होते हैं।

एसएमए पूरे शरीर के अंदर मांसपेशियों को प्रभावित करता है। एसएमए के सर्वसामान्य प्रकारों में, पैर हाथों से ज्यादा कमजोर होते हैं। साथ ही, भोजन करने, निगलने और सांस लेने के लिए मांसपेशियां कमजोर होती हैं, जिससे खाना खाने और वजन बढ़ाने में दिक्कत हो सकती है। कमजोर श्वसन मांसपेशियों के कारण, खांसना और लम्बी सांस लेना भी मुश्किल हो सकती है, खासकर नींद में। सर्दियों या श्वसन संबंधी संक्रमणों का अनुभव करते समय, एसएमए से ग्रसित लोगों के लिए न्युमोनिया का अधिक जोखिम होता है और मांसपेशियों में कमजोरी तथा अधिक थकान के कारण उन्हें सांस लेने में भी मुश्किल हो सकती है। फिर भी, मस्तिष्क का सोचने का सामर्थ्य और शरीर का स्पर्श और दर्द का अनुभव प्रभावित नहीं होता।

उनके लक्षण शुरू होने की उम्र और मोटर माइलस्टोन विकसित होने के उच्चतम स्तर के आधार पर एसएमए से ग्रसित व्यक्तियों को अक्सर चार श्रेणियों में वर्गीकृत किया जाता है। खासकर, एसएमए से ग्रसित व्यक्तियों की गतिशीलता लक्षण आरम्भ होने से शुरू हो कर धीरे-धीरे घटती जाती है।



#### टाइप 1 एसएमए

ऑनसेट: 6 माह से पहले  
मुख्य पड़ाव: नहीं बैठना



#### टाइप 2 एसएमए

ऑनसेट: 6 - 18 माह  
मुख्य पड़ाव: बैठना, चलना नहीं



#### टाइप 3 एसएमए

ऑनसेट: 12 माह के बाद बचपन  
मुख्य पड़ाव: टहलना



#### टाइप 4 एसएमए

ऑनसेट: 30 वर्ष की उम्र के बाद  
मुख्य पड़ाव: सामान्य

एसएमए के प्रभाव हरेक व्यक्ति में अलग-अलग होते हैं। बचपन में शुरू होने वाले लक्षणों के गंभीरता स्तर और बढ़ने की दरें अलग-अलग हो सकती हैं। कुछ सामर्थ्यों में सुधार और कुछ में क्षति हो सकती है। एसएमए से ग्रसित कुछ व्यक्तियों में वयस्कों जैसे लक्षण हो सकते हैं, जो बहुत धीरे से बढ़ सकते हैं। हाल के वर्षों में एसएमए के उपचारों के आरंभ होने से, प्रकारों का यह वर्गीकरण बदलता जा रहा है और रोग की अवधि भी बदल रही है। इसका मतलब है कि किसी व्यक्ति के लिए एसएमए का अनुभव उसके निदान का समय, यदि और कब उपचार आरंभ हुआ है और उपचार देने के समय एसएमए के लक्षण लक्षणों पर आधारित होता है। समय से पहले निदान और उपचार के बेहतर परिणाम होते हैं। एसएमए देखभाल और लक्षण प्रबंधन नॉन-सिटर, सिटर और वॉकर के रूप में प्रकार्य के स्तर पर आधारित होता है।

## एसएमए उपचारों (2016) से पहले एसएमए प्रकार वर्गीकरण

प्रकार	आरंभिक लक्षण के समय उम्र	व्यापकता	प्रबलता	प्राप्त अधिकतम मोटर प्रकार्य	एसएमएन2 प्रति संख्या	आयु-संभावितता
0	UTERO में	<1%	<1%	कोई नहीं; भ्रूण की गतिविधि कम हुई; जन्म के समय अवकुंचन	1	दिन-सप्ताह
1	<6 माह	60%	15%	बिना किसी सहायता से नहीं बैठता	1,2,3	<2 वर्ष
2	6-18 माह	25%	70%	बिना किसी सहायता से बैठ जाता है	2,3,4	20-40 वर्ष
3	1.5-10 वर्ष	15%	15%	चलता है, फिर लौटता है	3,4,5	सामान्य
4	>35 वर्ष	<1%	<1%	मंद कमी	4,5	सामान्य

तालिका 1 एसएमए जीन-पूर्व संशोधन चिकित्सा के क्लिनिकल वर्गीकरण, आरंभिक लक्षण के समय उम्र के साथ एसएमए प्रकार और प्राप्त अधिकतम मोटर प्रकार्य पर प्रकाश डालती है। बोल्ड संख्याएं हर प्रकार के लिए एसएमएन2 प्रतियों की सर्वसामान्य संख्या को इंगित करती हैं।

तालिका एसएमए यूरोप और ट्रीट-एनएमडी (2016) से संशोधित है। रीढ़ की मांसपेशियों में क्षीणता (एसएमए) एसएमए यूरोप, ट्रीट-एनएमडी और European Medicines Agency बैठक में नैदानिक परीक्षण के लिए विवरण दस्तावेज़। लन्दन: European Medicines Agency. \*

\*[https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/briefing-document-clinical-trial-readiness-spinal-muscular-atrophy-sma-sma-europe-treat-nmd-european\\_en.pdf](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/briefing-document-clinical-trial-readiness-spinal-muscular-atrophy-sma-sma-europe-treat-nmd-european_en.pdf)

# नॉन-सिटर/प्रकार 1

---

प्रकार्य के वर्गों के बारे में जानते समय, यह ध्यान रखें कि एसएमए उपचारों के साथ समय के साथ लोगों के वर्गों में परिवर्तन हो सकता है। जो व्यक्ति बिना सहायता से बैठ नहीं सकते, उन्हें नॉन-सिटर के रूप में वर्गीकृत किया जाता है। नॉन-सिटर एसएमए से बहुत बुरी तरह से प्रभावित होते हैं। नॉन-सिटर व्यक्तियों को आरंभिक लक्षण 6 माह या उससे कम की उम्र में होते हैं और उनमें एसएमएन2 जीन की कम प्रतियां होने की अधिक संभावना होती है।

**एसएमए से ग्रसित वे व्यक्ति, जो बैठ नहीं पाते हैं, निम्न का अनुभव कर सकते हैं:**

- थकावट।
- सर का कम नियंत्रण या बिल्कुल नियंत्रण नहीं।
- हाथ और पैरों का कम चलन।
- मूक रुदन।
- बोलने में कठिनाई।
- मुड़ा हुआ जीभ (स्फुरण)।
- नींद में पसीना।
- खाने और निगलने में कठिनाई। खाते या पीते समय दम घुटना। खाने या पीने के बाद सांस लेने गीली होने की आवाज़ या गले और छाती में खनखनाहट। ऐसे में, सुरक्षित ढंग से पोषण देने के लिए फीडिंग नली का उपयोग किया जाता है।
- कब्ज़।
- सिकुड़ी छाती।
- तेज़ नाभी श्वसन।
- हलकी खांसी।
- श्वसन नस में कमज़ोरी। सांस लेने और खांसने में सहायता करने और श्वसन के मॉनिटर करने के लिए उपकरण उपलब्ध है।
- रीढ़ में टेढ़ापन (पार्श्वकुब्जता)।
- कमर का विस्थापन।
- कमज़ोर हड्डियाँ, जो आसानी से टूट सकती हैं। विटामिन डी और कैल्शियम का सेवन बढ़ाना चाहिए।

## सिटर/प्रकार 2

ऐसे लोगों का वर्गीकरण प्रकार्यात्मक रूप से सिटर के रूप में किया जाता है, जो सीधे और बिना किसी की सहाय के बैठ सकते हैं। कुछ लोगों को बैठने के लिए मदद की आवश्यकता हो सकती है।

एसएमए से ग्रसित ऐसे व्यक्ति, जो बिना मदद के बैठ सकते हैं, लेकिन चल नहीं सकते, भी अनुभव कर सकते हैं:

- थकावट।
- हाथ और पैरों का कम चलन।
- मुड़ा हुआ जीभ (स्फुरण)।
- नींद में पसीना।
- वजन और वृद्धि बनाए रखने के लिए मुंह से पर्याप्त भोजन लेने में कठिनाई। ऐसे में, फीडिंग नली (अस्थाई या स्थाई) आवश्यक हो सकती है।
- कब्ज़।
- सिकुड़ी छाती।
- अधिक थकावट और कमजोरी के चलते खासकर जुकाम के दौरान खांसने में कठिनाई।
- श्वसन नस में कमजोरी। सांस लेने और खांसने में सहायता करने और श्वसन के मॉनिटर करने के लिए उपकरण उपलब्ध है।
- रीढ़ में टेढ़ापन (पार्श्वकुब्जता)।
- कमर का विस्थापन।
- कमजोर हड्डियाँ, जो आसानी से टूट सकती हैं। विटामिन डी और कैल्शियम का सेवन बढ़ाना चाहिए।
- मोटोराइज्ड या मैनुअल व्हीलचेयर का उपयोग।



# वाँकर/प्रकार 3

एसएमए से ग्रसित व्यक्तियों, जो खुद से या मदद के सहारे खड़े हो पाते हैं और चल पाते हैं, को वाँकर कहा जाता है।



चल पाने वाले ऐसे व्यक्ति अनुभव कर सकते हैं:

- थकावट।
- चलने, दौड़ने और सीढ़ियाँ चढ़ने में कठिनाई। कुछ लोग बिना किसी सहाय से चल पाने का सामर्थ्य खो देते हैं, जबकि दूसरे एसएमए दवा उपचारों के साथ या बिना चल पाते हैं।
- रीढ़ में टेढ़ापन (पार्श्वकुब्जता)।
- बीमार होने पर या एनेस्थीसिया से सम्बद्ध स्थिति में श्वसन मांसपेशियों में कमजोरी। वयस्कता में सांस लेना कमजोर हो सकता है।
- हाथों की उँगलियों और अन्य मांसपेशियों का कांपना (कँपकँपी)।
- जोड़ों और मांसपेशियों में दर्द और अति उपयोग के लक्षण।
- कमजोर हड्डियाँ, जो आसानी से टूट सकती हैं। विटामिन डी और कैल्शियम को बढ़ाने से हड्डियों को मज़बूत करने में मदद मिल सकती है।

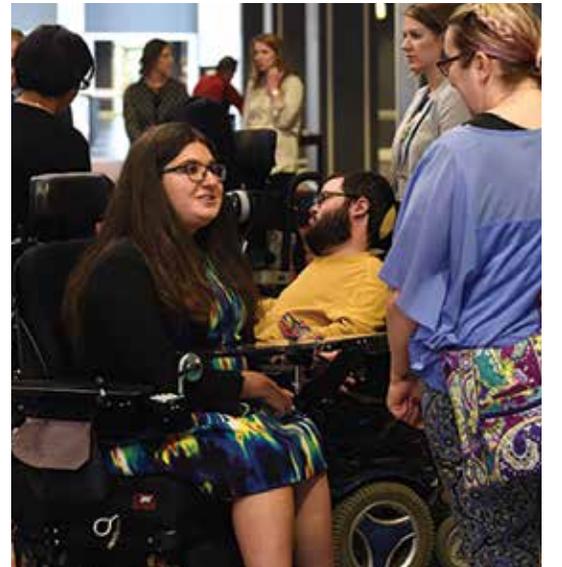
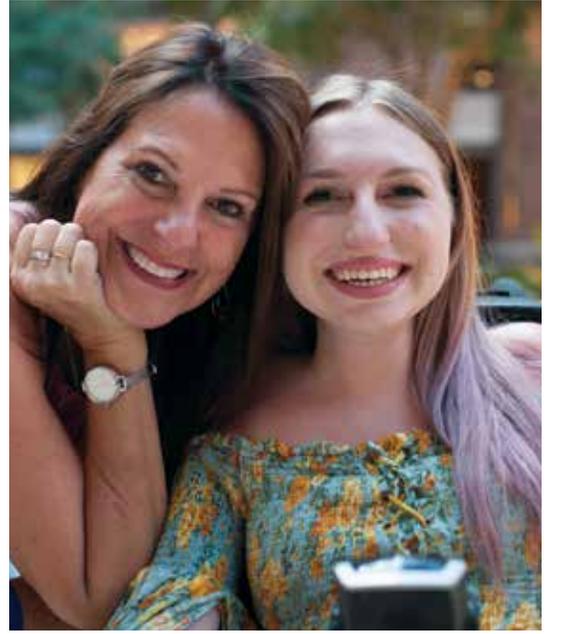


# वयस्क ऑनसेट/प्रकार 4

ये एसएमए से ग्रसित ऐसे व्यक्ति होते हैं, जिनमें 18 साल की उम्र के बाद लक्षण विकसित होते हैं। सर्वसामान्य लक्षण 35 साल की उम्र में आरम्भ होते हैं। श्वसन, पेशीकंकालीय प्रणालियों पर प्रभाव और व्यक्तिगत पोषण हल्का हो सकता है। चलन कमजोरी विशेषकर और धीमी गति से बढ़ती है।

आरंभिक एसएमए वाले वयस्क अनुभव कर सकते हैं:

- थकावट।
- उँगलियों और हाथों या अन्य मांसपेशियों का कांपना (कंपकंपी)।
- मांसपेशियों में असुविधा और दर्द।
- हड्डियों का कमजोर होना, जिससे आसानी से टूट सकती हैं। विटामिन डी और कैल्शियम को बढ़ाने से भी हड्डियों को मज़बूत करने में मदद मिल सकती है।



# निदान

---

## एसएमए से ग्रसित व्यक्तियों का निदान निम्न तरीकों से किया जा सकता है:

- जन्मपूर्व जेनेटिक परीक्षण।
- नवजात शिशु स्क्रीनिंग।
- जेनेटिक परीक्षण द्वारा पुष्टि की गई जेनेटिक प्रस्तुति/लक्षण।

जल्दी निदान होने से उपचार का अवसर समय पर मिलता है। जन्म-पूर्व जेनेटिक परीक्षणों की बढ़ी संभावनाओं के साथ, और अधिक लोगों का निदान जन्म से पहले हो सकता है।

2018 तक, अमेरिकी संघीय सरकार ने 35 महत्वपूर्ण स्थितियों की सूची, संस्तुतित सार्वभौमिक स्क्रीनिंग पैनल (आरयूएसपी) में एसएमए को शामिल किया है, जोकि अमेरिका में सभी नवजात शिशुओं की जांच करने के लिए संस्तुतित है। प्रत्येक राज्य नवजात शिशुओं की जांच में जोड़ने की स्थितियों का निर्धारण करता है। नवजात शिशु के एसएमए पॉजिटिव होने से जेनेटिक परीक्षण करवाना होता है। नवजात शिशु के स्क्रीनिंग से एसएमए का लक्षण प्रकट होने से पूर्व समय पर उपचार संभव होता है। यह नोट करना महत्वपूर्ण है कि एसएमए से ग्रसित सभी लोगों में से 5% तक के लोगों की पहचान एसएमए नवजात शिशु स्क्रीनिंग से नहीं होगी। यदि एसएमए की आशंका है और एसएमएन1 परीक्षण एसएमएन1 की एक प्रति को दर्शाता है, तो एसएमए के आगे के परीक्षण के लिए आपके डॉक्टर एसएमए जीन अनुक्रमण करवाने का सुझाव दे सकते हैं।

नवजात शिशु स्क्रीनिंग के अभाव में या पॉजिटिव नवजात शिशु स्क्रीन परिणाम के अभाव में, एसएमए का निदान मांसपेशी कमजोरी के संकेत और लक्षणों के आधार पर किया जाता है। एसएमए की आशंका तब की जा सकती है, जब व्यक्ति कमजोर पाए जाते हैं या उनकी विकासात्मक पड़ावों में देरी हुई है या नहीं हुआ है। बच्चों में, इन विकासात्मक पड़ावों में शामिल हैं: अपना सर ऊपर उठाना, लुढ़कना, बिना किसी सहाय बैठ जाना, खड़े हो जाना या बाद में चलने की आपेक्षा की जाएगी। किशोर और वयस्कों में, एसएमए की आशंका तब की जाती है, जब व्यक्ति अपने चलन कार्य में क्षति महसूस करते हैं। पूरे चिकित्सा इतिहास की समीक्षा करने और शारीरिक परीक्षा करने के बाद, स्वास्थ्य देखभाल प्रदाता को रक्त नमूने के माध्यम से एसएमए जेनेटिक परीक्षण का आदेश देना चाहिए और इस व्यक्ति को किसी तंत्रिकापेशीय विशेषज्ञ के पास भेजा जा सकता है।

कुछ मामलों में, एसएमए का निदान करना मुश्किल होता है, विशेषकर हल्के रूप में हो। इसी प्रकार के लक्षण अन्य तंत्रिका संबंधी विकार के भी हो सकते हैं।



## निदान के बाद क्या अपेक्षा की जानी है

एसएमए हर व्यक्ति में अलग होता है। देखभाल के विभिन्न पहलुओं पर विचार करते समय, यह याद रखना महत्वपूर्ण होता है। दो व्यक्ति बिलकुल एकसे नहीं होंगे। व्यक्तिगत आवश्यकताओं के अनुरूप उपचार और देखभाल योजनाएं तैयार की जानी चाहिए। ऐसा किसी विशेषज्ञता प्राप्त देखभाल केंद्र में एक अंतर्विषयक देखभाल टीम के साथ किया जा सकता है।

यह भी याद रखना महत्वपूर्ण होता है कि एसएमए किसी के सोचने, अनुभव करने और सीखने के सामर्थ्य को प्रभावित नहीं करता। अतः, एसएमए से ग्रसित व्यक्तियों के संज्ञानात्मक सामर्थ्य सामान्य होते हैं। जितनी संभव हो, अधिक उम्र की और विकासात्मक रूप से समुचित गतिविधियों में भागीदारी को जहां भी आवश्यक हो अनुकूलन के साथ प्रोत्साहित किया जाता है।

## उपचारात्मक विकल्प

एसएमए का उपचार के दो तरीकों पर अन्वेषक अध्ययन कर रहे हैं। एसएमए का उपचार करने का एक तरीका है जीन को लक्ष्य बनाकर रोग के कारण का पता लगाना और शरीर के अंदर सर्वाइवल मोटर न्यूरोन (एसएमएन) प्रोटीन की मात्रा को बढ़ाना। इन पद्धतियों को “एसएमएन-आधारित” या “एसएमएन-वर्धक” पद्धतियाँ कहा जाता है।

### अमेरिकी खाद्य एवं औषधि प्रशासन (एफडीए) द्वारा अनुमोदित एसएमए के वर्तमान एसएमएन-वर्धक उपचारों में शामिल हैं:

- एत्रिसडी (रिस्डीप्लाम) एक छोटा कण होता है, जो हर रोज़ मुँह से या एक जी-ट्यूब के माध्यम से लिया जाता है, जो एसएमएन2 जीन को और अधिक सम्पूर्ण एसएमएन प्रोटीन बनाने का कारण बनता है।
- स्पिनराज़ा (न्युसिनेसेन) एक इंजेक्शन है, जो एसएमएन2 जीन को लक्ष्य बनाता है, जिससे वह और अधिक सम्पूर्ण प्रोटीन बना सके।
- ज़ोलोनस्मा (ओनासेप्रोजीन अबेपार्वोवेक-गिसओई) इस जीन चिकित्सा होती है, जो छूटे या उत्परिवर्तित एसएमएन1 जीन के प्रकार्य को प्रतिस्थापित करने के लिए पूरक और स्वतंत्र डीएनए प्रदान करती है।

सभी एसएमएन-वर्धक चिकित्साओं का एक सामान्य विषय है कि आरंभिक उपचार उसके परिणामों से सहसम्बद्ध है।

अन्य प्रकार की चिकित्साएं नैदानिक अध्ययनों में हैं या शोध के आरंभिक चरणों में हैं और ये भविष्य में उपलब्ध हो सकती हैं। क्योंकि सर्वाइवल मोटर न्यूरोन प्रोटीन की क्षति से शरीर की कई अन्य प्रणालियाँ, मार्ग तथा प्रक्रियाएं भी प्रभावित होती हैं, एसएमए का उपचार करने का एक और तरीका है इन अन्य प्रणालियों, मार्गों तथा प्रक्रियाओं को सीधे ध्यान देना। इन पद्धतियों को अक्सर “गैर-एसएमएन” पद्धतियाँ कहा जाता है। इस प्रकार की पद्धतियों के कुछ उदाहरण दवाएं होती हैं, जो मांसपेशी ताकत या मोटर न्यूरोन प्रकार्य को बढ़ाती हैं।

## संवाद करना

आपकी स्वास्थ्य देखभाल टीम के साथ मिलकर काम करना महत्वपूर्ण है। एसएमए देखभाल तथा उपचार और संभावित परिणामों के बारे में संवाद करना कभी-कभी कठिन होता है। यह आपके एसएमए के बारे में जानने का भाग है, ताकि आप उत्तम संभावित निर्णय ले सकें। कृपया प्रश्न पूछें और अपनी चिंताओं की चर्चा अपनी स्वास्थ्य देखभाल टीम के साथ करें।

# एसएमए शोध के महत्वपूर्ण क्षेत्र



## मूलभूत विज्ञान शोध

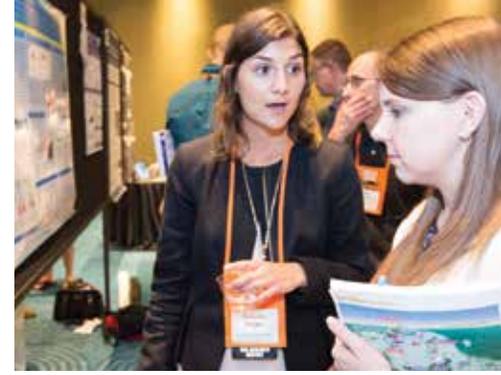
मूलभूत विज्ञान शोध कण, प्रोटीन, कोशिकाओं और जीनों समेत जीवन के मौलिक रचक खंडों की ओर देखता है। अक्सर “लैब” या “बेंच” शोध के रूप जाना जाता है, इसका संचालन शोधकर्ताओं के द्वारा प्रयोगशाला में एसएमए की बेहतर समझ प्राप्त करने के सिद्धांतों का परीक्षण करने के लिए किया जाता है।

मूलभूत शोध एसएमए का उपचार और रोगमुक्ति विकसित करने का पहला कदम होता है। मूलभूत शोध परियोजनाएं दवा के आविष्कार के लिए सबसे प्रभावी कार्यनीतियों की पहचान करने की दिशा में एसएमए का जीवविज्ञान और उसके कारण का अन्वेषण करती हैं। एसएमए जीवविज्ञान में जब किसी को एसएमए हो जाता है, तो क्या होता है समेत अत्यंत महत्वपूर्ण प्रश्नों का उत्तर मूलभूत विज्ञान शोध द्वारा दिया जाता है। इससे अन्वेषकों को कई सुराग मिलते हैं, जिससे और अधिक उन्नत शोध होता है।



## दवा खोज शोध - ट्रांसलेशनल शोध

दवा खोज, जिसे ट्रांसलेशनल शोध भी कहा जाता है, दवा विकास प्रक्रिया का दूसरा चरण होता है। दवा खोज पहले चरण के मूलभूत शोध में खोजी गई प्रारंभिक पद्धतियों को लेती है और उन्हें उपयोग्युक्त दवाओं में परिवर्तित करती है, जिनका परीक्षण तीसरे चरण, नैदानिक परीक्षणों, में किया जा सकता है। इसमें मानव परीक्षण आरंभ करने के लिए एफडीए के अनुसार सुरक्षा तथा प्रभावकता परीक्षणों की श्रृंखला शामिल है। ये परिणाम अनुसंधानात्मक नई दवा (आईएनडी) अनुप्रयोग में शामिल हैं, जिससे मानव नैदानिक परीक्षणों का आरंभ किया जा सकता है। इन आंकड़ों का संग्रह करना लंबा और कठिन प्रक्रिया हो सकती है। अक्सर विफलताएं हाथ लगती हैं और इस बात का पूर्वानुमान लगाना कठिन होता है कि कौनसी दवाएं उपयोगी होती होंगी।



## नैदानिक अध्ययन

नैदानिक अध्ययन मानवों, जो भागीदारी करते हैं, के साथ किये जाने वाला शोध है। अन्वेषक (शोधकर्ता) इस शोध परियोजना के दौरान प्रतिभागियों से सीधे बातचीत करता है। नैदानिक परीक्षण अवलोकनात्मक या हस्तक्षेपात्मक हो सकते हैं। यह जात्रे के लिए कि उस रोग में क्या होता है, अवलोकनात्मक नैदानिक परीक्षणों में बिना किसी उपचार का लोगों में किसी रोग या समस्या का अध्ययन किया जाता है। हस्ताक्षेपात्मक अध्ययनों में नई दवाओं और उपचारों का परीक्षण किया जाता है। इसमें अन्य रोगों के लिए अनुमोदित दवाओं या उपचारों का उपयोग करने के नए तरीकों का भी परीक्षण किया जा सकता है (यथा, अलग-अलग संयोजनों के साथ या अलग-अलग रोगों के लिए दवाओं का उपयोग करना)। यह प्रक्रिया लंबी, जटिल और कठिन हो सकती है। औसतन, नैदानिक विकास में सिर्फ 10 प्रतिशत दवाएं ही एफडीए-अनुमोदित दवाएं बनती हैं। इन विशिष्ट चुनौतियों के लिए एक विचारपूर्ण कार्यनीति की आवश्यकता होती है।

**अलग-अलग प्रकार के इन शोधों का एक ही लक्ष्य होता है: एसएमए से ग्रसित लोगों की सहायता करना।**







# क्योर एसएमए



क्योर एसएमए एक लाभ-निरपेक्ष संगठन है और इसमें परिवारों, क्लिनिशियनों और शोध वैज्ञानिकों का विश्वव्यापी नेटवर्क है, जो एसएमए शोध को आगे बढ़ाने, प्रभावित व्यक्तियों/देखभालकर्ताओं की सहायता करने और एसएमए के बारे में जनता और व्यावसायिक समुदायों को शिक्षित करने में साथ मिलकर काम कर रहे हैं।

क्योर एसएमए निष्पक्ष सहायता का एक संसाधन है। हम एसएमए से ग्रसित लोगों और उनके प्रियजनों की सहायता के लिए हैं और किसी विशिष्ट पसंद या निर्णय का समर्थन नहीं करते। लोग और देखभालकर्ता इस बारे में अलग-अलग तरीके से तय करते हैं कि परिस्थिति के अनुसार, उनके व्यक्तिगत विश्वासों के अनुरूप उनके लिए अच्छा क्या होगा। अभिभावकों और परिवार के अन्य महत्वपूर्ण सदस्यों को इन विषयों पर अपनी भावनाओं पर चर्चा कर पाना चाहिए और अपनी एसएमए टीम से प्रश्न पूछने चाहिए। इस प्रकार के निर्णय हल्के में नहीं लेने चाहिए और सभी विकल्पों पर सोच-समझकर विचार करना चाहिए। एसएमए से संबंधित सभी विकल्प बहुत ही व्यक्तिगत होते हैं और इनमें व्यक्तिगत मूल्य झलकने चाहिए, साथ ही यह कि हर एक व्यक्ति और उनके परिजनों के लिए सबसे अच्छा क्या होगा।



याद रखें कि आपकी सहायता करने के लिए आपकी स्वास्थ्य टीम और क्योर एसएमए आपके साथ है। जानना जारी रखने के लिए, कृपया उपलब्ध अन्य केयर सीरीज बुकलेट देखें:

- श्वसन के मूल तत्व
- देखभाल विकल्प
- एसएमए के जेनेटिक्स
- अस्थिमांसपेशीय तंत्र
- पोषण के मूल तत्व



[twitter.com/cureSMA](https://twitter.com/cureSMA)



[@curesmaorg](https://www.instagram.com/curesmaorg)



[facebook.com/cureSMA](https://www.facebook.com/cureSMA)



[youtube.com/user/FamiliesofSMA1](https://www.youtube.com/user/FamiliesofSMA1)



[www.linkedin.com/company/families-of-sma](https://www.linkedin.com/company/families-of-sma)



800.886.1762 • फ़ैक्स 847.367.7623 • [info@cureSMA.org](mailto:info@cureSMA.org) • [cureSMA.org](http://cureSMA.org)

पिछला अद्यतन सितम्बर 2020