منظمة CURE SMA

الاعتبارات العلمية لتوليفات الأدوية

تم إصدار هذا البيان بالشراكة مع CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION.
أعضاء CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION هم شركة AVEXIS INC، وهي شركة تابعة لشركة NOVARTIS، وشركة ASTELLAS PHARMA INC، وشركة BIOGEN، وشركة CYTOKINETICS INC، وشركة GENENTECH/ROCHE PHARMA، وشركة SCHOLAR ROCK.

cure SMA
Make today a breakthrough.

نظرة عامة والغرض

ضمور العضلات الشوكي

ضمور العضلات الشوكي (SMA) مرض يستولي على القوة البدنية للأشخاص من خلال التأثير على الخلايا العصبية الحركية في النخاع الشوكي، مما يؤدي إلى سلب القدرة على المشي أو تناول الطعام أو التنفس. يصيب ضمور العضلات الشوكي (SMA) حوالي 1 من كل 11000 مولود، وحوالي 1 من كل 50 أمريكي حامل للجين المسبب لهذا المرض.

على الرغم من التأثير المدمر لهذا المرض، هناك الآن سبب للأمل. بفضل تفاني مجتمعنا وإبداع باحثينا، هناك الآن العديد من العلاجات المعتمدة من إدارة الغذاء والدواء الأمريكية (FDA) تستهدف الجينات الأساسية لضمور العضلات الشوكي.

لكن عملنا لم ينته. إننا بحاجة إلى تطوير وتقديم علاجات وأساليب إضافية للعلاج تدفع نحو المزيد من الاكتشافات، والاستمرار في تغيير مسار ضمور العضلات الشوكي لكل شخص مصاب - من الرضع إلى البالغين - حتى نجد علاجًا.

مع العلاجات الجديدة المتوفرة لمرض ضمور العضلات الشوكي، يتساءل الناس "هل يمكن أن يؤدي الجمع بين هذه العلاجات إلى نتائج أفضل؟" هذا السؤال وثيق الصلة بشكل خاص بسبب الطرق المختلفة التي قد تؤثر بها العلاجات الفردية على المرضى الأفراد نتيجة للعديد من العوامل-بما في ذلك العمر الحالي للمريض، والعمر في بداية العلاج، ونوع المرض ومرحلته، وشدة الأعراض.

أعدت Cure SMA هذا البيان المجتمعي للأسر ومقدمي الرعاية من أجل فهم أفضل للموضوع المعقد الذي يتناول الجمع بين العلاجات، بما في ذلك الفوائد والقيود المحتملة. ومن خلال هذا الجهد، نأمل أن نقدم أساسًا يمكن للمرضى والأسر من خلاله العمل مع أطبائهم لتقييم ومتابعة العلاج الأمثل. وكما هو الحال دائمًا، تنصح Cure SMA المرضى بالتشاور مع مقدمي الرعاية الصحية فيما يتعلق بأي اعتبارات أو قرارات علاجية.

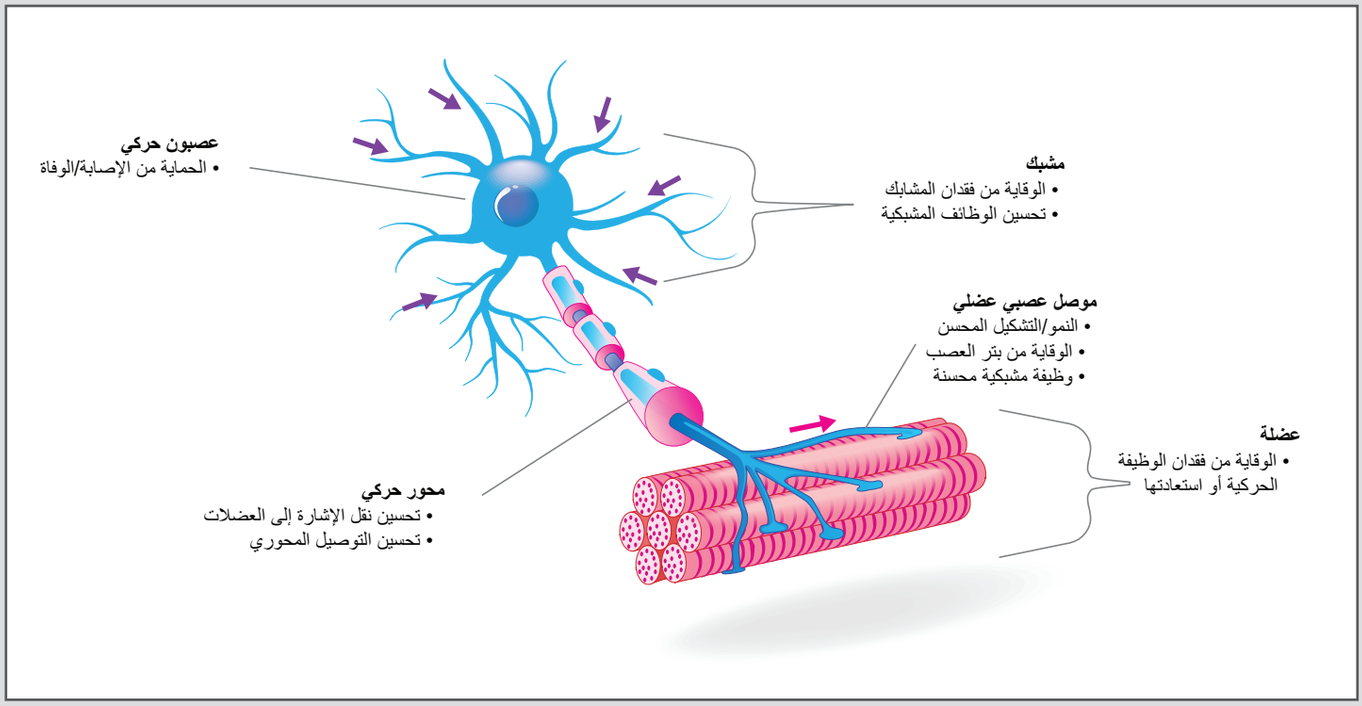
علاج ضمور العضلات الشوكي

يستمر التقدم، ولكن الحاجة غير الملبّاة مستمرة

هناك العديد من النُهج التي يتم استكشافها لعلاج ضمور العضلات الشوكي. ويشمل ذلك الجهود المبذولة لزيادة كمية بروتين بقاء العصبون الحركي (SMN) في الجسم عن طريق استبدال جين SMN1 المعيب أو تصحيحه أو تعديل "الجين الاحتياطي" SMN2 الذي يتسم بانخفاض وظائفه. يُسمى هذا النوع من العلاج "المعتمد على بقاء العصبون الحركي". ويهدف نهج الثاني، يُطلق عليه عادةً اسم "المستقل عن بقاء العصبون الحركي"، إلى استهداف المسارات والأنظمة والعمليات الأخرى داخل الجسم. (انظر الشكل 1، الجدول 1)

وفرت الاكتشافات الأخيرة التي أدت إلى موافقة إدارة الغذاء والدواء على العلاجات المتعددة لمجتمع ضمور العضلات الشوكي خيارات جديدة للعلاج. ومع ذلك، نظرًا للمتغيرات العديدة التي ينطوي عليها ضمور العضلات الشوكي-بما في ذلك العمر المتباين لبداية الأعراض وشدتها وتأثيرها على أنشطة الحياة اليومية- قد لا تكون هذه العلاجات مناسبة أو فعالة لجميع المرضى، ويمكن أن يشكل نوع الاستخدام ومشاكل السلامة ذات الصلة أعباءً كبيرة على المرضى وأسرهم.

الشكل 1: تحديد النقاط المحتملة للتدخل العلاجي



العصبون الحركي السفلي: خلية عصبية حيث جسم الخلية في الحبل الشوكي ويبرز محورها خارج الحبل الشوكي لتطويق العضلات والتحكم فيها. ويعتبر فقدان الخلايا العصبية الحركية السفلية سمة مميزة لضمور العضلات الشوكي. محور الحركة: خلية عصبية إسقاطية طويلة ونحيلة توصل النبضات الكهربائية من أجل نقل المعلومات إلى الخلايا العصبية أو العضلات المختلفة. المشبك: بنية تسمح للخلية العصبية بتمرير إشارة كهربائية أو كيميائية إلى خلية عصبية أخرى أو إلى الخلية المستفعلة المستهدفة. الموصل العصبي العضلي: مشبك كيميائي يتكون عن طريق التلامس بين عصبون حركي وليفة عضلية. وفي الموصل العصبي العضلي يتمكن العصبون الحركي من إرسال إشارة إلى الليفة العضلية، مما يسبب انقباض العضلات. العضلة: تحتوي على خيوط بروتينية من الأكتين والميوسين تنزلق فوق بعضها البعض، مما ينتج عنه تقلصات تغير كلاً من طول وشكل الخلايا العضلية التي تنتج القوة والحركة.

الجدول 1: الاستراتيجيات العلاجية

الاستراتيجيات العلاجية المعتمدة على بقاء العصبون الحركي	الاستراتيجيات العلاجية المستقلة عن بقاء العصبون الحركي
العلاج الجيني يستبدل جين SMN1 المفقود عبر ناقل فيروسي	**حماية الأعصاب** يحمي من الإصابة العصبية أو التدهور
تنشيط معزاز SMN2 يجعل جين SMN2 "يعمل" بشكل أكبر، مما يؤدي إلى إنتاج بروتين يعمل بكامل طاقته	**تحسين العضلات** يمنع فقدان الوظيفة الحركية ويستعيدها
تحوير تضفير SMN2 يعيد توجيه تضفير SMN2 لعمل المزيد من نسخ الطول الكامل المحتوية على إكسون 7	**الوظيفة العصبية** يعزز إرسال الخلايا العصبية

وفرت الاكتشافات الأخيرة التي أدت إلى موافقة إدارة الغذاء والدواء على العلاجات المتعددة لمجتمع ضمور العضلات الشوكي خيارات جديدة للعلاج. ومع ذلك، نظرًا للمتغيرات العديدة التي ينطوي عليها ضمور العضلات الشوكي-بما في ذلك العمر المتباين لبداية الأعراض وشدتها وتأثيرها على أنشطة الحياة اليومية-قد لا تكون هذه العلاجات مناسبة أو فعالة لجميع المرضى، ويمكن أن يشكل نوع الاستخدام ومشاكل السلامة ذات الصلة أعباءً كبيرة على المرضى وأسرهم.

مع زيادة الخبرة الواقعية في هذه العلاجات الجديدة، نتعلم المزيد عن كيفية عملها والأوضاع والحالات المرضية التي تكون فيها العلاجات أكثر فعالية، وكذلك الأماكن التي لا تزال فيها فجوات مهمة في العلاجات المتاحة.

على سبيل المثال، يبدو أن التدخل العلاجي قد يكون أكثر فعالية عندما يحدث في المراحل الأولى من المرض (بما في ذلك قبل أن تظهر الأعراض). ويترك هذا مجالًا كبيرًا للاحتياجات غير الملباة بين المرضى الذين يعانون من مرض أكثر تقدمًا، الذين قد يحتاجون إلى علاجات تستهدف الأعراض بالإضافة إلى تلك التي تستهدف المحرك الجيني الأساسي لضمور العضلات الشوكي.

وفقًا لما وثقه "تقرير Cure SMA لصوت المريض"[1] المعلمي وأنشطة الاستبيانات، فإن لمرضى ضمور العضلات الشوكي مجموعة من الاحتياجات الطبية الخطيرة التي لم تتم تلبيتها والتي يجب معالجتها من خلال مناهج العلاج. وتشمل مشكلات في الجهاز التنفسي، ومشكلات في التغذية، وفقدان القدرة على الحركة، وعدم القدرة على التواصل، والضيق، وغيرها.

ينبع مفهوم الجمع بين العلاجات من إمكانية رؤية فائدة مضافة أو تآزرية من خلال معالجة العديد من جوانب المرض في نفس الوقت لتحسين النتائج للمرضى. التاريخ الحديث مليء بالأمثلة التي أدت فيها هذه النُهُج المجمعة أو "الكوكتيلات" إلى نتائج إيجابية عبر العديد من الأمراض الخطيرة، بما في ذلك فيروس نقص المناعة البشرية، وأنواع عديدة من السرطان، وبعض الحالات المرضية الوراثية.[2، 3، 4]

على الرغم من عدم وجود دليل قاطع حتى الآن، إلا أن هناك اهتمامًا قويًا في مجتمع مرضى ضمور العضلات الشوكي لاستكشاف ما إذا كان يمكن رؤية هذه النتائج لدى مرضى ضمور العضلات الشوكي أم لا. يقدم هذا البيان نظرة عامة على الفرص والتنبيهات والقيود التي يجب مراعاتها عند تقييم هذه النُهج، بدءًا من تكوين فهم واضح لما يعنيه مصطلح "العلاج المختلط".

[1] http://www.curesma.org/documents/advocacy-documents/sma-voice-of-the-patient.pdf

[2] https://www.eurekalert.org/pub_releases/2018-11/mali-cgt111318.php

[3] https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30937182

[4] https://www.nature.com/articles/s41434-019-0071-x

مصطلح "العلاج المختلط"

محدد لضمور العضلات الشوكي

يمكن استخدام تعبير "العلاج المختلط" ليعني أشياءً مختلفة عبر الأمراض وفي مواقف مختلفة. ويُستخدم أحيانًا لوصف الجمع بين طرق علاج المتعددة. على سبيل المثال، يحدث هذا في علاج السرطان عندما يتم الجمع بين العلاج الكيميائي والإشعاع و/أو الجراحة. يمكن أن يصف تعبير "العلاج المختلط" أيضًا عملية استخدام عدة أنواع من الأدوية بالتتابع أو بالتناوب، والتي تحدث في بعض أنواع السرطان عند استخدام علاج مناعي لأول مرة لتحضير الجهاز المناعي للمريض ثم يتم إعطاء علاج كيميائي أو عامل علاج مستهدف بعد ذلك بفترة قصيرة كنوع من "ضربة مزدوجة".

ولغرض هذا البيان، فإننا نُعرّف "العلاج المختلط" بأنه "عاملان علاجيان أو أكثر (أدوية أو بيولوجية عمومًا)- يعملان بنفس آليات العمل أو بآليات مختلفة-يُستخدمان في نفس الوقت". من المهم أن تضع في اعتبارك أنه قد تكون لبعض الأدوية تأثيرات لفترة طويلة من الوقت بعد الإعطاء، مثل علاج الاستعاضة الجينية. يهدف هذا التعريف لـ "الاستخدام المتزامن" إلى تضمين الأدوية التي قد يتم إعطاؤها مرة واحدة فقط، ولكن يظل لها تأثيرات بيولوجية على المريض.

نُهج الجمع بين العلاجات

نظرة عامة

في مجتمع ضمور العضلات الشوكي، هناك اهتمام متزايد بفهم ما إذا كان يمكن للعلاج المختلط أن يحسن النتائج، نظرًا إلى نجاح الجمع بين العلاجات في أمراض أخرى. هناك أدلة متزايدة على النجاح في نُهُج "الكوكتيل" لعلاج الأمراض الخطيرة، بما في ذلك استخدام AZT (أزيدوتيميدين) المضاد للفيروسات القهقرية لعلاج فيروس نقص المناعة البشرية/الإيدز [5] وأنظمة العلاج الكيميائي متعددة العقاقير مثل R-CHOP (ريتوكسيماب [ريتوكسان]، سيكلوفوسفاميد، دوكسوروبيسين هيدروكلوريد، فينكريستين [أونكوفين] بريدنيزولون) لعلاج الورم اللمفي. [6]

بالإضافة إلى ذلك، في طب الأورام، تشمل معايير الرعاية لأنواع أورام متعددة الآن توليفات عبر الأنماط قائمة على العقاقير، مثل الأنظمة المختلطة للعلاج الموجه والعلاج المناعي. وقد أدى هذا التقدم إلى إثارة الحماسة لإمكانية أن يعمل نهج مختلط مع حالات نادرة أخرى، من بينها ضمور العضلات الشوكي. على سبيل المثال، هناك اهتمام بتحديد ما إذا كان الجمع بين دواء يُنظّم بقاء العصبون الحركي مع دواء يُعزّز وظيفة العضلات أو حماية الأعصاب قد يُقدّم فائدة علاجية أكبر من أحد الأدوية وحده.

يجب النظر بعناية في قرار الجمع بين العلاجات في أي بيئة مرض، والسعي إليه بعناية، وأن يكون مستندًا إلى أساس علمي قوي مدعوم بالأدلة التي تشير إلى أن هذا الجمع سيؤدي إلى نتائج محسنة تفوق الخطر المتزايد المحتمل. [7]

[5] https://www.niaid.nih.gov/diseases-conditions/antiretroviral-drug-development

[6] https://www.medicalnewstoday.com/articles/324261.php

[7] https://www.merckmanuals.com/home/cancer/prevention-and-treatment-of-cancer/combination-cancer-therapy

اعتبارات المخاطر والفوائد للعلاج المختلط

هناك العديد من المشكلات التي يجب معالجتها، بما في ذلك موازنة الفائدة المحتملة التي قد تُستمد من علاج مختلط مع احتمال زيادة مخاطر السلامة. هناك حاجة أيضًا لفهم التكاليف الإضافية التي قد يتم تكبدها عند استخدام علاجات متعددة.

من المهم بشكل خاص تجنب افتراض أن الجمع بين العلاجات سيحقق دائمًا فائدة أكبر أو نتائج أفضل. في الواقع، في بعض الحالات، قد يؤدي الجمع بين علاجين أو أكثر إلى فعالية أقل وآثار جانبية سلبية أكثر مما يمكن تحقيقه عند استخدام أحد العلاجين فقط. تم الإبلاغ عن حالات فائدة هامشية، إن وجدت، وسمية أسوأ ناجمة عن الجمع بين العلاجات في دراسات لمجموعة متنوعة من الأمراض، بما في ذلك أنواع متعددة من السرطان والتهاب المفاصل الروماتويدي. [8,9]

عند تقييم التأثير المحتمل لنهج العلاج المختلط، غالبًا ما ستقارن الدراسات السريرية النتائج من العلاجات المختلطة باستخدام علاج واحد فقط. تعتبر التوليفات ناجحة بشكل عام إذا كانت تُنتج استجابة أفضل معًا مما يتوقع أن ينتُج عن كل علاج فردي بمفرده. ومع ذلك، نظرًا لأن توليفات العلاج يمكن أن يكون لها تأثيرات إضافية أو حتى تآزرية ناتجة عن التفاعلات الكيميائية والبيولوجية للتوليفات، غالبًا ما تكون درجة تحسن التوليفة بناءً على النتائج هي الأكثر أهمية في تقييم وعد النهج.[10]

من المهم أيضًا ملاحظة أن آثار العلاج ستختلف اعتمادًا على آلية عمل الدواء. في ضمور العضلات الشوكي، على سبيل المثال، قد لا يكون لاستخدام أكثر من دواء واحد يهدف إلى تنظيم بروتين بقاء العصبون الحركي فائدة إضافية إذا كان بإمكان دواء واحد تحقيق الحد الأدنى المطلوب لتأثير بروتين بقاء العصبون الحركي الأقصى بمفرده. من ناحية أخرى، قد يكون الجمع بين منظم لبروتين بقاء العصبون الحركي ونوع مختلف من الأدوية (على سبيل المثال، علاج يهدف إلى تحسين وظيفة العضلات) مفيدًا لأن العلاجين قد يكون لهما تأثير إيجابي إضافي.

تتضمن الاعتبارات الإضافية للجمع بين العلاجات توقيت العلاج وتقدم مرض المريض. على سبيل المثال، هناك أسئلة ذات صلة يجب التفكير فيها حول كيفية تأثير مراحل المرض (على سبيل المثال، المراحل المبكرة مقابل المراحل المتأخرة) على نجاح نهج العلاج المختلط. يظهر هذا السؤال بانتظام عند التفكير في فعالية العلاج المحتملة (على سبيل المثال، من المفترض عمومًا أن العلاج في وقت مبكر من مسار المرض يمكن أن يحسن فرص الحصول على نتيجة ناجحة)، بينما هناك فروق إضافية دقيقة تتعلق بالمخاطر المتزايدة المحتملة والتفاعلات السلبية بين الأدوية ذات الصلة في السياق المحدد للعلاج المختلط.

يقدم الجزء المتبقي من هذا البيان تفاصيل إضافية وسياقًا لهذه الاعتبارات في سياق ضمور العضلات الشوكي.

[8] https://ascopubs.org/doi/abs/10.1200/jco.2012.30.15_suppl.2572

[9] https://onlinelibrary.wiley.com/doi/pdf/10.1002/art.1780371012

[10] https://www.nature.com/articles/nm.4426

اعتبارات للعلاج المختلط

السلامة والفعالية

أهمية تقييم مخاطر السلامة للعلاجات المختلطة

ينطوي استخدام أي نوع من أنواع العلاج على مخاطر تتعلق بالسلامة، ولهذا السبب تراجع إدارة الغذاء والدواء (FDA) البيانات السريرية بعناية لجميع الأدوية الجديدة والأدوية الحيوية لضمان إمكانية استخدامها بأمان من قبل المجموعة المستهدفة من المرضى. بمجرد دخول الأدوية إلى السوق، سيستخدمها مقدمو الرعاية الصحية بشكل عام وفقًا لدواعي الاستعمال المدونة على ملصقاتها وسيترددون في الجمع بين العوامل الفردية دون دليل لدعم سلامة القيام بذلك.

يجب إجراء تقييم سلامة الجمع بين علاجين أو أكثر من العلاجات المعتمدة في بيئة تجربة سريرية أو من خلال بروتوكولات وسجلات جمع بيانات من واقع الحياة جيدة التصميم، تتجاوز فهم خصائص السلامة لكل علاج بمفرده. على سبيل المثال، قد تكون هناك تفاعلات كيميائية أو بيولوجية بين العلاجات المتعددة عند تناولها بشكل متزامن. وقد تم الإبلاغ عن ذلك في الحالات التي تنطوي على تأثير دواء واحد في "كوكتيل" متعدد الأدوية على تصفية الأدوية الأخرى داخل "الكوكتيل"، مما يؤدي إلى نتائج أسوأ.[12] من الممكن أيضًا أن تتغير الآثار الجانبية المعروفة لدواء واحد عند استخدام هذا الدواء كجزء من توليفة. يمكن أن يؤدي هذا إلى تفاقم شكل الآثار الجانبية أو إلى مجموعة مختلفة من الآثار الجانبية.

هناك الكثير من الأدلة من خلال أوضاع المرض والأساليب العلاجية للتفاعلات بين الأدوية،[13] لذا يجب أن يقيّم أي نهج يسعى إلى الجمع بين أدوية لعلاج ضمور العضلات الشوكي ملف السلامة المحدد واحتمال التفاعل لتلك التوليفة. يجب أيضًا أخذ طريقة الإعطاء في الاعتبار عند تقييم ما إذا كان من الممكن إعطاء علاجين بأمان في نفس الوقت.

[12] https://www.aafp.org/afp/2007/0801/p391.html

[13] https://www.pharmacytimes.com/publications/issue/2011/august2011/customization-of-drug-interaction-software

اعتبارات أخرى مهمة

التغطية والتعويض والوصول

تتضمن عملية تطوير علاجات مختلطة فعالة لمرض ضمور العضلات الشوكي جوانب إضافية تتجاوز الموضوعات العلمية والسريرية والتنظيمية التي تم مناقشتها سابقًا. بالإضافة إلى ذلك، هناك مسائل مهمة يجب معالجتها تتعلق بالحصول على العلاجات وسداد ثمنها.

عند اتخاذ قرارات التغطية والتعويض، تعتمد شركات التأمين على الأدلة التي تنشأ من خلال عملية البحث والتطوير، وكذلك البيانات الناتجة عن الاستخدام التجاري للمنتج (تسمى أحيانًا بيانات من واقع الحياة). يعد جمع البيانات من واقع الحياة مكونًا مهمًا، بالإضافة إلى البيانات المستمدة من التجارب السريرية، في تحديد فوائد ومخاطر توليفات الأدوية. إذا تم الجمع بين علاجات فردية للاستخدام، تصبح عملية اتخاذ مثل هذه القرارات وضمان وصول المرضى أكثر تعقيدًا. سيرغب الدافعون في رؤية دليل واضح على الفائدة المضافة، وكذلك السلامة المستمدة من استخدام علاجين أو أكثر في نفس الوقت.

وإضافة إلى التعقيد، قد يفسر دافعون مختلفين البيانات من نفس الدراسات بشكل مختلف، مما يؤدي إلى اتخاذ قرارات تغطية مختلفة. يجب أن تكون الأسر التي تفكر في متابعة العلاج المختلط على دراية بكيفية تأثير ذلك عليهم ماليًا.

عبء المريض ومقدم الرعاية

بالإضافة إلى فهم تأثير الاستخدام المتزامن للعلاجات المتعددة على نتائج المرضى، هناك حاجة أيضًا إلى تقييم وموازنة التأثير على الحياة اليومية للمرضى ومقدمي الرعاية. يجب أخذ الجرعات، وجداول العلاج، وطريقة الإعطاء المتعلقة بنهج العلاج المختلط بعين الاعتبار. قد تؤدي إضافة علاجات إلى أعباء إضافية على الأسر، بما في ذلك التغيب عن المدرسة أو وقت العمل. هناك أيضًا احتمالية وجود عبء إضافي على الأسر مرتبط بمراقبة السلامة المحسنة-فوق وأبعد مما هو مطلوب لعلاج واحد-التي قد تصاحب العلاجات المختلطة. يجب تقييم هذه الاعتبارات عند اتباع نهج مختلط.

أولوية الحصول على الموافقة على دواء واحد

أخيرًا، من المهم إدراك أن هناك تعقيدات إضافية، تشمل التكاليف المحتملة والعوائق اللوجستية، للشركات التي تطور العلاجات قد توضع في الاعتبار عند الدمج بين الأدوية. كما هو موضح أعلاه، فإن المتطلبات الإضافية المهمة لتطوير البيانات قبل السريرية، وإجراء الاختبارات السريرية اللازمة، ومتابعة المراجعة التنظيمية، وتطوير أنشطة التسويق والسداد كلها ذات صلة بعملية صنع القرار في الشركة. وتصبح هذه الموضوعات أكثر تعقيدًا عندما تكون الأدوية التي يتم تقييمها للدمج هي منتجات شركتين أو أكثر مختلفتين، مما يتطلب التعاون النهائي بين الشركات.

في حالة ضمور العضلات الشوكي، حيث يتضمن معيار الرعاية الحالي استخدام أدوية معتمدة لتعزيز بقاء العصبون الحركي، من المنطقي أن يضع الرعاة الذين يطورون أدوية جديدة لتعزيز بقاء العصبون الحركي الأولوية لتأمين الحصول على اعتماد عامل واحد لمركبهم. سوف تحتاج الشركات التي تطور أدوية بأنواع أخرى من الآليات إلى النظر فيما إذا كان سيتم السعي للحصول على موافقة على عامل أحادي أولاً أم كيفية تصميم تجربتها بشكل مناسب لتشمل المرضى الذين يستخدمون حاليًا دواءً معززًا لبقاء العصبون الحركي. غالبًا ما تظهر هذه النُهُج للاستفادة من معايير الرعاية من خلال الجمع بين العلاجات المعتمدة والعوامل الجديدة التي تعتمد على آلية عمل مختلفة في بيئة طب الأورام، حيث تقيّم دراسات سريرية متعددة تأثير توليفتين أو ثلاث من العقاقير مع العلاج الكيميائي القياسي.

الخاتمة

تهدف Cure SMA بشكل استراتيجي إلى العثور على أهداف جديدة بخلاف بقاء العصبون الحركي لتطوير علاجات من شأنها أن تعود بالنفع على المرضى الذين تظهر عليهم أعراض المرض، سواءً في توليفة أو بمفردها. وفي إطار سعينا لتحقيق هذا الهدف، سننظر في جميع العناصر التي تمت مناقشتها في هذا البيان المجتمعي. من خلال توضيح هذه الاعتبارات، نهدف إلى مساعدة المرضى والأسر ومقدمي الرعاية على فهم الخيارات المحتملة بشكل أفضل وتقييم بعض الأمور المهمة.

تقدم التطورات العلمية والسريرية التي تؤدي إلى علاجات جديدة لضمور العضلات الشوكي نتائج محسنة وأمل كبير لمجتمعنا، حتى وإن كانت لا تزال هناك حاجة كبيرة لم تتم تلبيتها لمرضى ضمور العضلات الشوكي. من المفهوم أن هناك أسئلة حول فرص الاستفادة من هذه العوامل الفردية الجديدة من خلال جمعها لتحقيق المزيد من التقدم، مما يحسن النتائج لجميع مراحل المرض والمرضى في جميع الأعمار. كما هو موضح أعلاه، يجب أن تستند الجهود المبذولة لتطوير نُهج العلاج المختلط لضمور العضلات الشوكي على منطق علمي قوي ويجب متابعتها في سياق الدراسات السريرية لتقييم السلامة والفعالية.

[14] http://www.curesma.org/documents/advocacy-documents/sma-voice-of-the-patient.pdf

CURE SMA

Cure SMA هي منظمة غير ربحية وأكبر شبكة في العالم من العائلات، والأطباء السريريين، وعلماء الأبحاث الذين يعملون معًا لتطوير أبحاث ضمور العضلات الشوكي، ودعم الأفراد/مقدمي الرعاية المتأثرين، وتثقيف الجمهور والمجتمعات المهنية بشأن ضمور العضلات الشوكي.

تعد منظمة Cure SMA مصدرًا للدعم غير المتحيز. نحن هنا لمساعدة جميع الأفراد الذين يعانون من ضمور العضلات الشوكي وأحبائهم، ولا نؤيد أي خيارات أو قرارات محددة. يتخذ الأفراد ومقدمو الرعاية خيارات مختلفة فيما يتعلق بما هو أفضل لوضعهم، بما يتفق مع معتقداتهم الشخصية. يجب أن يكون الآباء وأفراد الأسرة المهمين الآخرين قادرين على مناقشة مشاعرهم حول هذه الموضوعات، وطرح أسئلة على فريق رعاية ضمور العضلات الشوكي المتابع لهم. يجب ألا يتم اتخاذ مثل هذه القرارات باستخفاف، ويجب النظر في جميع الخيارات وتقييمها بعناية. جميع الخيارات المتعلقة بضمور العضلات الشوكي (SMA) شخصية للغاية ويجب أن تعكس القيم الشخصية، وكذلك ما هو الأفضل لكل فرد ومقدمي الرعاية له.

Cure SMA هدفها تقديم الدعم لك. لمتابعة التعلم، يُرجى الاطلاع على كتيبات Care Series المتاحة:

- أساسيات التنفس
- خيارات العناية
- جينات الضمور العضلي نخاعي المنشأ (SMA)
- الجهاز العضلي الهيكلي
- أساسيات التغذية
- فهم ضمور العضلات الشوكي

twitter.com/cureSMA

@curesmaorg

Facebook.com/CureSMA

youtube.com/user/FamiliesofSMA1

www.linkedin.com/company/families-of-sma

آخر تحديث في مارس 2020

cureSMA.org • info@cureSMA.org • 847.367.7623 فاكس • 800.886.1762