



CURE SMA

WISSENSCHAFTLICHE ÜBERLEGUNGEN ZU ARZNEIMITTELKOMBINATIONEN

DIESE ERKLÄRUNG WURDE IN ZUSAMMENARBEIT MIT DER CURE-SMA-INDUSTRIEKOOPERATION ERSTELLT. DIE MITGLIEDER DER CURE-SMA-INDUSTRIEKOOPERATION SIND AVEXIS INC, EIN NOVARTIS-UNTERNEHMEN, ASTELLAS PHARMA INC, BIOGEN, CYTOKINETICS INC, GENENTECH/ROCHE PHARMACEUTICALS UND SCHOLAR ROCK.



Make today a
breakthrough.

ÜBERBLICK UND ZWECK

SPINALE MUSKELATROPHIE

Spinale Muskelatrophie (SMA) ist eine Krankheit, die den Menschen die körperliche Kraft raubt, indem sie die motorischen Nervenzellen im Rückenmark beeinträchtigt und ihnen die Fähigkeit zum Gehen, Essen oder Atmen nimmt. SMA tritt bei etwa 1 von 11.000 Geburten auf, und etwa 1 von 50 Amerikanern ist Genträger.

Trotz der verheerenden Auswirkungen dieser Krankheit gibt es jetzt Anlass zur Hoffnung. Dank des Engagements unserer Gemeinschaft und des Einfallsreichtums unserer Forscher gibt es jetzt mehrere von der US-amerikanischen Lebens- und Arzneimittelbehörde (US Food and Drug Administration, FDA) zugelassene Behandlungen, die auf die der SMA zugrunde liegende Genetik abzielen.

Aber unsere Arbeit ist noch nicht getan. Wir müssen zusätzliche Therapien und Behandlungsansätze entwickeln und bereitstellen, die zu weiteren Durchbrüchen führen und den Verlauf der SMA für alle Betroffenen – vom Säugling bis zum Erwachsenen – weiter verändern, bis wir eine Heilung finden.

Angesichts der neuen Behandlungsmöglichkeiten für SMA stellt sich die Frage: „Kann die Kombination dieser Therapien zu besseren Ergebnissen führen?“ Diese Frage ist von besonderer Bedeutung, da die Auswirkungen einzelner Therapien auf die einzelnen Patienten von vielen Faktoren abhängen – wie dem aktuellen Alter des Patienten, dem Alter bei Behandlungsbeginn, der Art und dem Stadium der Erkrankung und der Schwere der Symptome.

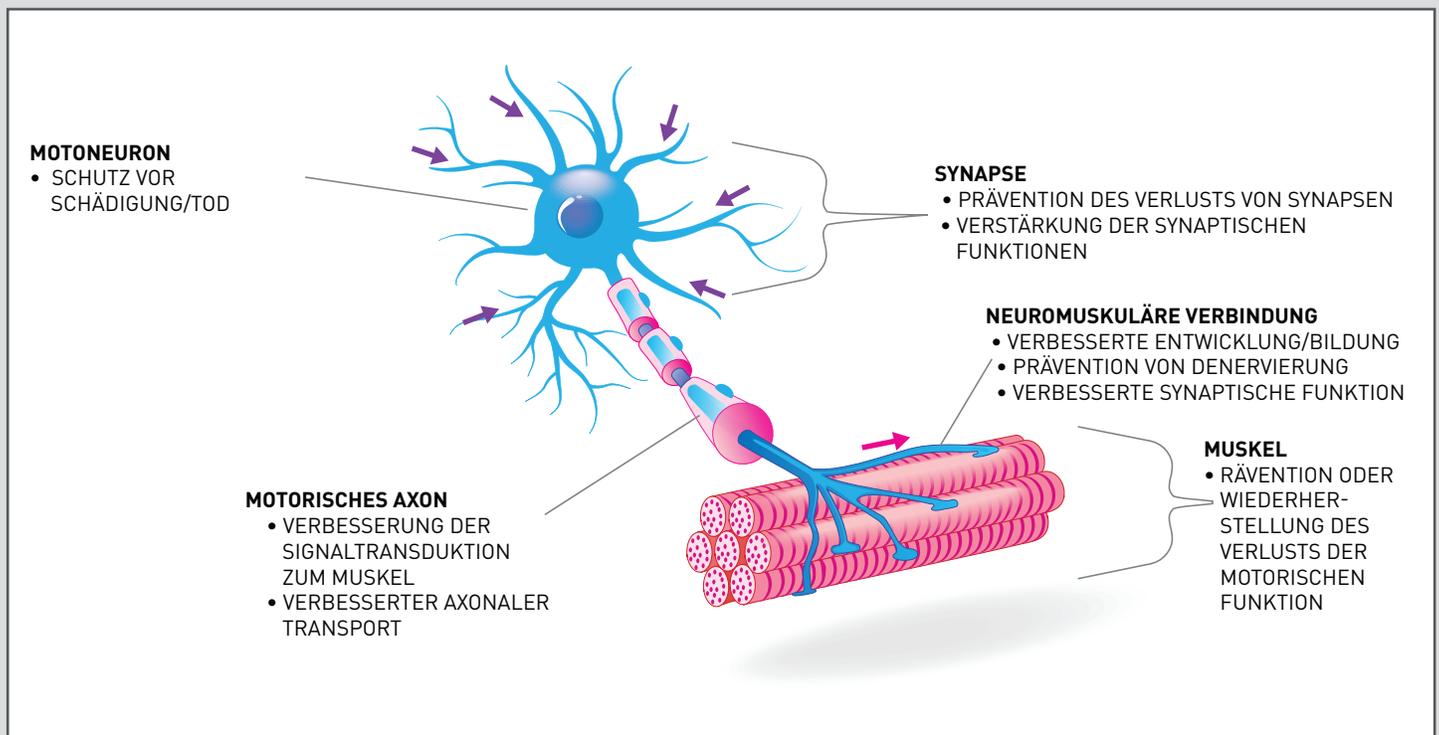
Cure SMA hat diese Gemeinschaftserklärung für Familien und Betreuer entwickelt, um das komplexe Thema der Kombination von Behandlungen, einschließlich möglicher Vorteile und Einschränkungen, besser zu verstehen. Wir hoffen, damit eine Grundlage zu schaffen, auf der Patienten und Familien mit ihren Ärzten zusammenarbeiten können, um die optimale Behandlung zu ermitteln und zu verfolgen. Wie immer empfiehlt Cure SMA den Patienten, sich bei allen Behandlungsüberlegungen und -entscheidungen mit ihren Gesundheitsdienstleistern zu beraten.

SMA-BEHANDLUNG

FORTSCHRITTE, ABER NACH WIE VOR UNGEDECKTER BEDARF

Für die Behandlung von SMA werden mehrere Ansätze erforscht. Dazu gehören Bemühungen, die Menge des Survival-Motor-Neuron(SMN)-Proteins im Körper zu erhöhen, indem das fehlerhafte SMN1-Gen ersetzt oder korrigiert wird oder indem das schwach funktionierende SMN2-„Ersatzgen“ moduliert wird. Diese Art der Therapie wird als „SMN-abhängig“ bezeichnet. Ein zweiter Ansatz, der gemeinhin als „SMN-unabhängig“ bezeichnet wird, zielt auf andere Bahnen, Systeme und Prozesse im Körper ab. (Siehe Abbildung 1, Tabelle 1.)

ABBILDUNG 1: DEFINITION DER MÖGLICHEN THERAPEUTISCHEN INTERVENTIONSPUNKTE



Unteres Motoneuron: eine Nervenzelle, deren Zellkörper sich im Rückenmark befindet und deren Axon aus dem Rückenmark herausragt, um die Muskeln zu innervieren und zu steuern. Der Verlust der unteren Motoneuronen gilt als ein Kennzeichen der SMA. **Motorisches Axon:** ein langes, schlankes Projektionsneuron, das elektrische Impulse leitet, um Informationen an andere Neuronen oder Muskeln zu übertragen. **Synapse:** eine Struktur, die es einem Neuron ermöglicht, ein elektrisches oder chemisches Signal an ein anderes Neuron oder an die Ziel-Effektorzelle weiterzuleiten. **Neuromuskuläre Verbindung:** eine chemische Synapse, die durch den Kontakt zwischen einem Motoneuron und einer Muskelfaser entsteht. An der neuromuskulären Verbindung ist ein Motoneuron in der Lage, ein Signal an die Muskelfaser zu übertragen, das eine Muskelkontraktion auslöst. **Muskel:** enthält Proteinfilamente aus Aktin und Myosin, die aneinander vorbeigleiten und eine Kontraktion hervorrufen, die sowohl die Länge als auch die Form der Muskelzellen verändert und Kraft und Bewegung erzeugt.

TABELLE 1: THERAPEUTISCHE STRATEGIEN

SMN-ABHÄNGIGE THERAPEUTISCHE STRATEGIEN	SMN-UNABHÄNGIGE THERAPEUTISCHE STRATEGIEN
Gentherapie Ersetzt das fehlende SMN1-Gen mithilfe eines viralen Vektors	Neuroprotektion Schützt vor neuronaler Schädigung oder Zerstörung
Aktivierung des SMN2-Promotors Bewirkt, dass das SMN2-Gen vermehrt „an“ ist und mehr voll funktionsfähiges Protein erzeugt	Muskelverstärkung Verhinderung und Wiederherstellung des Verlusts der motorischen Funktion
SMN2-Spleißmodulation Leitet das Spleißen von SMN2 um, sodass mehr Transkripte in voller Länge entstehen, die Exon 7 enthalten	Neuronale Funktion Verbessert die neuronale Übertragung

Die jüngsten Durchbrüche, die zur Zulassung mehrerer Therapien durch die FDA geführt haben, bieten der SMA-Gemeinschaft neue Behandlungsmöglichkeiten. In Anbetracht der vielen Variablen, die bei SMA eine Rolle spielen – einschließlich des unterschiedlichen Alters des Ausbruchs und der Schwere der Symptome sowie der Auswirkungen auf die Aktivitäten des täglichen Lebens – sind diese Therapien jedoch möglicherweise nicht für alle Patienten geeignet oder wirksam, und die Art der Verabreichung und die damit verbundenen Sicherheitsfragen können für die Patienten sowie ihre Familien eine erhebliche Belastung darstellen.

Mit zunehmender Praxiserfahrung mit diesen neuen Behandlungen erfahren wir mehr darüber, wie sie funktionieren und bei welchen Krankheiten und in welchen Situationen die Behandlungen am wirksamsten sind, aber auch darüber, wo es noch große Lücken bei den verfügbaren Behandlungen gibt.

So scheint es zum Beispiel, dass therapeutische Maßnahmen wirksamer sind, wenn sie in den frühesten Stadien der Krankheit erfolgen (auch bevor sich Symptome zeigen). Damit besteht ein erheblicher ungedeckter Bedarf bei Patienten mit fortgeschrittener Erkrankung, die zusätzlich zu den Therapien, die auf die zugrunde liegende genetische Ursache der SMA abzielen, auch Therapien benötigen, die auf die Symptome abzielen.

Wie durch den wegweisenden „Cure SMA Voice of the Patient Report“¹ und Umfragen dokumentiert wurde, haben SMA-Patienten eine Reihe von schwerwiegenden unerfüllten medizinischen Bedürfnissen, die durch Behandlungsansätze erfüllt werden müssen. Dazu gehören u. a. Atemprobleme, Probleme bei der Nahrungsaufnahme, Mobilitätsverlust, Unfähigkeit zu kommunizieren und negativer Stress.

Das Konzept der Kombination von Behandlungen beruht auf dem Potenzial, einen zusätzlichen oder synergistischen Nutzen zu erzielen, indem mehrere Aspekte der Krankheit gleichzeitig behandelt werden, um die Ergebnisse für die Patienten zu verbessern. Die jüngste Geschichte ist voll von Beispielen, in denen solche kombinierten oder „Cocktail“-Ansätze zu positiven Ergebnissen bei vielen schweren Krankheiten geführt haben, darunter HIV, viele Krebsarten und bestimmte genetisch bedingte Krankheiten.^{2, 3, 4}

Obwohl es noch keine schlüssigen Beweise gibt, besteht in der SMA-Gemeinschaft ein starkes Interesse daran, zu untersuchen, ob solche Ergebnisse bei Patienten mit SMA beobachtet werden können. Diese Erklärung gibt einen Überblick über die Möglichkeiten, Vorsichtsmaßnahmen und Grenzen, die bei der Bewertung dieser Ansätze berücksichtigt werden sollten, beginnend mit einem klaren Verständnis dessen, was mit dem Begriff „Kombinationstherapie“ gemeint ist.

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

³ <https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pubmed/30937182>

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

⁴ <https://www.nature.com/articles/s41434-019-0071-x>

DER BEGRIFF „KOMBINATIONSTHERAPIE“

FÜR SMA DEFINIERT

Der Ausdruck „Kombinationstherapie“ kann bei verschiedenen Krankheiten und in verschiedenen Situationen unterschiedliche Bedeutungen haben. Manchmal wird er verwendet, um die Kombination mehrerer Behandlungsansätze zu beschreiben. Dies ist zum Beispiel bei der Krebsbehandlung der Fall, wenn die Chemotherapie mit einer Bestrahlung und/oder einer Operation kombiniert wird. Der Ausdruck „Kombinationstherapie“ kann auch den Prozess beschreiben, bei dem mehrere Arten von Arzneimitteln nacheinander oder abwechselnd eingesetzt werden, was bei einigen Krebsarten der Fall ist. Dabei wird zunächst eine Immuntherapie eingesetzt, um das Immunsystem des Patienten in Schwung zu bringen, und kurz darauf eine Chemotherapie oder eine zielgerichtete Therapie verabreicht wird, um eine Art „Doppelschlag“ zu erzielen.

Für die Zwecke dieser Erklärung definieren wir „Kombinationstherapie“ wie folgt: „Zwei oder mehr therapeutische Wirkstoffe (im Allgemeinen Arzneimittel oder Biologika), die über denselben oder unterschiedliche Wirkmechanismen wirken und gleichzeitig eingesetzt werden.“ Es ist wichtig, zu bedenken, dass einige Arzneimittel noch lange Zeit nach der Verabreichung wirken können, wie z. B. die Gensatztherapie. Diese Definition der „gleichzeitigen Anwendung“ soll Arzneimittel umfassen, die nur einmal verabreicht werden, aber weiterhin biologische Wirkungen beim Patienten haben.

KOMBINIERTE BEHANDLUNGSANSÄTZE

ÜBERSICHT

In der SMA-Gemeinschaft besteht ein zunehmendes Interesse daran, zu verstehen, ob eine Kombinationstherapie die Ergebnisse verbessern könnte, da die Kombinationstherapie bei anderen Krankheiten erfolgreich ist. Es gibt immer mehr Belege für den Erfolg von „Cocktail“-Ansätzen bei der Behandlung schwerer Krankheiten, einschließlich des Einsatzes des antiretroviralen Azidothymidins (AZT) bei HIV/AIDS⁵ und multiresistenter Chemotherapien wie R-CHOP (Rituximab [Rituxan], Cyclophosphamid, Doxorubicinhydrochlorid, Vincristin [Oncovin], Prednisolon) bei Lymphomen.⁶

Darüber hinaus umfassen die Versorgungsstandards in der Onkologie für mehrere Tumorarten inzwischen Kombinationen verschiedener medikamentöser Modalitäten, wie z. B. kombinierte Schemata aus zielgerichteter Therapie und Immuntherapie. Diese Fortschritte haben den Enthusiasmus geweckt, dass ein kombinierter Ansatz auch bei anderen seltenen Erkrankungen, einschließlich SMA, funktionieren könnte. Es ist beispielsweise von Interesse, ob die Kombination eines Arzneimittels, das SMN hochreguliert, mit einem Arzneimittel, das die Muskelfunktion oder die Neuroprotektion verbessert, einen größeren therapeutischen Nutzen bietet als eines der Arzneimittel allein.

Die Entscheidung für eine Kombination von Therapien muss in jedem Krankheitsfall sorgfältig überlegt werden und auf einer soliden wissenschaftlichen Grundlage beruhen, die durch Beweise gestützt wird, die darauf hindeuten, dass die Kombination zu besseren Ergebnissen führt, die ein potenzielles erhöhtes Risiko überwiegen.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>

RISIKO-NUTZEN-ÜBERLEGUNGEN BEI DER KOMBINATIONSTHERAPIE

Es gibt zahlreiche Fragen, die zu klären sind, einschließlich der Abwägung zwischen dem potenziellen Nutzen einer Kombinationstherapie und den potenziell erhöhten Sicherheitsrisiken. Es muss auch geklärt werden, welche zusätzlichen Kosten bei der Anwendung mehrerer Therapien entstehen können.

Es ist besonders wichtig, die Annahme zu vermeiden, dass die Kombination von Behandlungen immer zu einem höheren Nutzen oder besseren Ergebnissen führt. In einigen Fällen kann die Kombination von zwei oder mehr Therapien sogar zu einer geringeren Wirksamkeit und mehr negativen Nebenwirkungen führen, als dies bei der Anwendung einer der Behandlungen allein der Fall wäre. In Studien zu einer Vielzahl von Krankheiten, darunter mehrere Krebsarten und rheumatoide Arthritis, wurde von Fällen berichtet, in denen die Kombinationstherapien, wenn überhaupt, nur einen geringen Nutzen und eine höhere Toxizität mit sich brachten.^{8,9}

Bei der Bewertung der potenziellen Auswirkungen einer Kombinationstherapie werden in klinischen Studien häufig die Ergebnisse von kombinierten Behandlungen mit denen einer einzelnen Behandlung verglichen. Kombinationen werden im Allgemeinen als erfolgreich angesehen, wenn sie zusammen eine bessere Reaktion hervorrufen, als dies von jeder einzelnen Behandlung allein zu erwarten wäre. Da Behandlungskombinationen jedoch additive oder sogar synergistische Wirkungen haben können, die durch die chemischen und biologischen Wechselwirkungen der Präparate verursacht werden, ist es oft das Ausmaß, in dem die Kombination die Ergebnisse verbessert, das bei der Bewertung des vielversprechenden Ansatzes am wichtigsten wird.¹⁰

Es ist auch wichtig, zu wissen, dass die Auswirkungen der Therapie je nach Wirkmechanismus des Arzneimittels variieren. Bei SMA zum Beispiel kann die Anwendung mehrerer Arzneimittel, die auf die Hochregulierung des SMN-Proteins abzielen, keinen zusätzlichen Nutzen bringen, wenn ein einzelnes Arzneimittel die erforderliche Schwelle für eine maximale SMN-Wirkung allein erreichen kann. Andererseits könnte die Kombination eines SMN-Hochregulators mit einer anderen Art von Arzneimittel (z. B. einer Therapie zur Verbesserung der Muskelfunktion) von Vorteil sein, da sich die beiden Therapien gegenseitig positiv beeinflussen könnten.

Weitere Überlegungen zur Kombination von Therapien betreffen den Zeitpunkt der Behandlung und das Fortschreiten der Krankheit eines Patienten. Es gibt zum Beispiel relevante Fragen dazu, wie sich Krankheitsstadien (z. B. frühes oder späteres Stadium) auf den Erfolg einer Kombinationstherapie auswirken könnten. Diese Frage stellt sich regelmäßig, wenn es um die wahrscheinliche Wirksamkeit einer Therapie geht (z. B. wird allgemein davon ausgegangen, dass eine Behandlung zu einem früheren Zeitpunkt des Krankheitsverlaufs die Chancen auf einen erfolgreichen Ausgang verbessern kann). Es gibt jedoch zusätzliche Aspekte in Bezug auf potenziell erhöhte Risiken und negative Wechselwirkungen zwischen Arzneimitteln, die im spezifischen Kontext der Kombinationstherapie von Bedeutung sind.

Im Folgenden werden diese Überlegungen im Zusammenhang mit der SMA näher erläutert und in einen größeren Zusammenhang gestellt.

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>

ÜBERLEGUNGEN ZUR KOMBINATIONSTHERAPIE

SICHERHEIT UND WIRKSAMKEIT

BEDEUTUNG DER BEWERTUNG VON SICHERHEITSRISIKEN BEI KOMBINATIONSTHERAPIEN

Jede Art von Therapie birgt Sicherheitsrisiken. Deshalb prüft die FDA sorgfältig die klinischen Daten für alle neuen Arzneimittel und Biologika, um sicherzustellen, dass sie von der vorgesehenen Patientengruppe sicher angewendet werden können. Sobald die Arzneimittel auf dem Markt sind, werden sie von den Gesundheitsdienstleistern in der Regel entsprechend den auf dem Beipackzettel angegebenen Indikationen eingesetzt, und sie werden zögern, einzelne Wirkstoffe zu kombinieren, ohne dass die Sicherheit dieser Kombination nachgewiesen ist.

Die Bewertung der Sicherheit der Kombination von zwei oder mehr zugelassenen Therapien sollte im Rahmen klinischer Studien oder durch gut konzipierte, praxisnahe Datenerhebungsprotokolle und Register erfolgen, die über das Sicherheitsprofil jeder Therapie für sich hinausgehen. So kann es beispielsweise zu chemischen oder biologischen Wechselwirkungen zwischen mehreren Behandlungen kommen, wenn diese gleichzeitig verabreicht werden. Dies wurde in Fällen berichtet, in denen die Wirkung eines Arzneimittels in einem „Arzneimittelcocktail“ die Clearance anderer Arzneimittel innerhalb des „Cocktails“ beeinträchtigte und zu schlechteren Ergebnissen führte.¹²

Es ist auch möglich, dass die bekannten Nebenwirkungen eines einzelnen Arzneimittels sich ändern, wenn dieses Arzneimittel als Teil einer Kombination angewendet wird. Dies könnte zu einer Verschlechterung des Nebenwirkungsprofils oder zu einer anderen Reihe von Nebenwirkungen führen.

Es gibt zahlreiche Belege für Wechselwirkungen zwischen Arzneimitteln bei verschiedenen Krankheitsbildern und Therapieansätzen,¹³ sodass bei jedem Ansatz, der darauf abzielt, Arzneimittel zur Behandlung von SMA zu kombinieren, das spezifische Sicherheitsprofil und das Wechselwirkungspotenzial dieser Kombination bewertet werden müssen. Auch der Verabreichungsweg sollte berücksichtigt werden, wenn es darum geht, zu beurteilen, ob es möglich ist, zwei Therapien sicher gleichzeitig zu verabreichen.

¹² <https://www.aafp.org/afp/2007/0801/p391.html>

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

ANDERE WICHTIGE ÜBERLEGUNGEN

KOSTENÜBERNAHME, KOSTENERSTATTUNG UND ZUGANG

Der Prozess der Entwicklung wirksamer Kombinationstherapien für SMA beinhaltet zusätzliche Aspekte, die über die zuvor diskutierten wissenschaftlichen, klinischen und regulatorischen Themen hinausgehen. Darüber hinaus gibt es wichtige Fragen im Zusammenhang mit dem Zugang und der Kostenerstattung für Therapien, die angegangen werden müssen.

Bei der Entscheidung über die Kostenübernahme und -erstattung stützen sich die Versicherer auf Erkenntnisse, die im Rahmen der Forschung und Entwicklung gewonnen wurden, sowie auf Daten, die sich aus der kommerziellen Nutzung eines Produkts ergeben (manchmal auch als Daten aus der Praxis bezeichnet). Die Sammlung von Daten aus der Praxis ist neben den Daten aus klinischen Studien ein wichtiger Bestandteil bei der Ermittlung von Nutzen und Risiken von Arzneimittelkombinationen. Wenn einzelne Therapien miteinander kombiniert werden, wird der Prozess der Entscheidungsfindung und des Zugangs für die Patienten noch komplexer. Die Kostenträger wollen eindeutige Belege für den zusätzlichen Nutzen und die Sicherheit, die sich aus der gleichzeitigen Anwendung von zwei oder mehr Behandlungen ergeben.

Erschwerend kommt hinzu, dass verschiedene Kostenträger Daten aus denselben Studien unterschiedlich interpretieren können, was zu unterschiedlichen Entscheidungen über die Kostenübernahme führt. Familien, die eine Kombinationstherapie in Erwägung ziehen, sollten sich darüber im Klaren sein, welche finanziellen Auswirkungen dies für sie haben könnte.

BELASTUNG FÜR PATIENTEN UND BETREUER

Neben dem Verständnis der Auswirkungen, die die gleichzeitige Anwendung mehrerer Therapien auf die Ergebnisse der Patienten haben kann, müssen auch die Auswirkungen auf das tägliche Leben der Patienten und der Betreuer bewertet und ausgeglichen werden. Bei einer Kombinationstherapie müssen die Dosierung, die Behandlungszeitpläne und die Art der Verabreichung berücksichtigt werden. Zusätzliche Therapien könnten zu zusätzlichen Belastungen für die Familien führen, einschließlich Schul- oder Arbeitsausfall. Es besteht auch das Potenzial für eine zusätzliche Belastung für die Familien durch eine verstärkte Sicherheitsüberwachung, die über das hinausgeht, was für eine einzelne Therapie erforderlich ist, und die mit Kombinationsbehandlungen einhergehen kann. Diese Überlegungen sollten abgewogen werden, wenn ein Kombinationsansatz verfolgt wird.

VORRANGIGE ERLANGUNG DER EINZELZULASSUNG EINES ARZNEIMITTELS

Schließlich ist es wichtig, zu erkennen, dass es für Unternehmen, die Therapien entwickeln, die für eine Kombination infrage kommen, zusätzliche Komplexität gibt, einschließlich möglicher Kosten und logistischer Hindernisse. Wie oben beschrieben, sind die erheblichen zusätzlichen Anforderungen für die Entwicklung präklinischer Daten, die Durchführung der erforderlichen klinischen Tests, die behördliche Prüfung sowie die Vermarktung und Kostenerstattung für die Entscheidungsfindung eines Unternehmens von Bedeutung. Diese Themen werden noch komplexer, wenn es sich bei den Arzneimitteln, die für eine Kombination geprüft werden, um die Produkte von zwei oder mehr verschiedenen Unternehmen handelt, sodass eine unternehmensübergreifende Zusammenarbeit erforderlich ist.

Bei SMA, bei der der derzeitige Versorgungsstandard die Anwendung von zugelassenen SMN-verstärkenden Arzneimitteln umfasst, ist es logisch, dass Sponsoren, die neue SMN-verstärkende Arzneimittel entwickeln, der Zulassung ihres Präparats als Einzelwirkstoff Priorität einräumen werden. Unternehmen, die Arzneimittel mit anderen Wirkmechanismen entwickeln, müssen sich überlegen, ob sie zuerst die Zulassung für einen einzigen Wirkstoff anstreben oder wie sie ihre Studie so gestalten, dass sie Patienten einschließen, die bereits ein SMN-verstärkendes Arzneimittel verwenden. Diese Ansätze, die darauf abzielen, die Versorgungsstandards durch die Kombination zugelassener Therapien mit neuartigen Wirkstoffen, die auf einem anderen Wirkmechanismus beruhen, einzusetzen, sind in der Onkologie häufig anzutreffen, wo in zahlreichen klinischen Studien die Auswirkungen von Zwei- und Dreierkombinationen mit der Standardchemotherapie untersucht werden.

FAZIT

Das strategische Ziel von Cure SMA besteht darin, neue Zielstrukturen jenseits von SMN zu finden, um Therapien zu entwickeln, die symptomatischen Patienten entweder in Kombination oder allein helfen. Bei der Verfolgung dieses Ziels werden wir alle in dieser Gemeinschaftserklärung erörterten Elemente berücksichtigen. Mit der Darstellung dieser Überlegungen möchten wir Patienten, Familien und Betreuern helfen, mögliche Optionen besser zu verstehen und einige wichtige Fragen zu bewerten.

Wissenschaftliche und klinische Fortschritte, die zu neuen Therapien für SMA führen, bringen bessere Ergebnisse und geben unserer Gemeinschaft viel Hoffnung, auch wenn der Bedarf für SMA-Patienten weiterhin groß ist. Verständlicherweise stellt sich die Frage nach den Möglichkeiten, diese neuen Einzelwirkstoffe zu nutzen, indem man sie kombiniert, um noch mehr Fortschritte zu erzielen und die Ergebnisse für alle Krankheitsstadien und Patienten jeden Alters zu verbessern. Wie oben beschrieben, sollten die Bemühungen um die Entwicklung von Kombinationstherapien bei SMA, um diese Möglichkeiten zu nutzen, auf einer soliden wissenschaftlichen Grundlage beruhen und im Rahmen klinischer Studien zur Bewertung der Sicherheit und Wirksamkeit verfolgt werden.

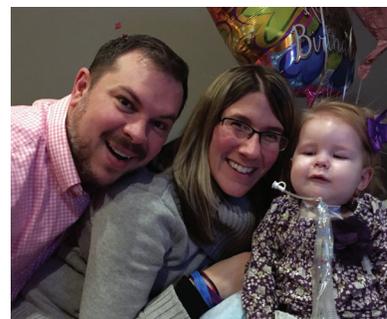
¹⁴ <http://www.curesma.org/documents/advocacy-documents/sma-voice-of-the-patient.pdf>

CURE SMA



Cure SMA ist eine gemeinnützige Organisation und das größte weltweite Netzwerk von Familien, Ärzten und Wissenschaftlern, die zusammenarbeiten, um die SMA-Forschung voranzutreiben, Betroffene/Betreuer zu unterstützen sowie die Öffentlichkeit und die Fachwelt über SMA aufzuklären.

Cure SMA ist eine Ressource für unvoreingenommene Unterstützung. Wir sind hier, um allen Menschen mit SMA und deren Angehörigen zu helfen, und befürworten keine spezifischen Entscheidungen oder Beschlüsse. Betroffene und Betreuer treffen unterschiedliche Entscheidungen darüber, was das Beste für ihre Situation ist, in Übereinstimmung mit ihren persönlichen Überzeugungen. Eltern und andere wichtige Familienmitglieder sollten die Möglichkeit haben, ihre Gefühle zu diesen Themen zu diskutieren und Fragen an ihr SMA-Betreuungsteam zu stellen. Derartige Entscheidungen sollten nicht leichtfertig getroffen werden, und alle Optionen sollten sorgfältig geprüft und abgewogen werden. Alle Entscheidungen im Zusammenhang mit SMA sind sehr persönlich und sollten persönliche Werte widerspiegeln, sowie das, was für jeden Einzelnen und seine Betreuer am besten ist.



Cure SMA ist hier, um Sie zu unterstützen. Wenn Sie sich weiter informieren möchten, lesen Sie bitte die verfügbaren Care-Series-Broschüren:

- Grundlagen der Atmung
- Betreuungsmöglichkeiten
- Genetik der SMA
- Bewegungsapparat
- Grundlagen der Ernährung
- SMA verstehen



twitter.com/cureSMA



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



facebook.com/cureSMA



youtube.com/user/FamiliesofSMA1



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

