



CURE SMA

NAUKOWE PRZESŁANKI DOTYCZĄCE STOSOWANIA LEKÓW SKOJARZONYCH

NINIEJSZY KOMUNIKAT POWSTAŁ PRZY WSPÓŁPRACY Z PARTNERSTWEM BRANŻOWYM CURE SMA
CZŁONKAMI PARTNERSTWA BRANŻOWEGO CURE SMA SĄ AVEXIS INC, NOVARTIS, ASTELLAS PHARMA INC,
BIOGEN, CYTOKINETICS INC, GENENTECH/ROCHE PHARMACEUTICALS ORAZ SCHOLAR ROCK.

cure
SMA

Make today a
breakthrough.

OGÓLNE INFORMACJE I CEL

RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI

Rdzeniowy zanik mięśni (SMA) to choroba, która okrada ludzi z siły fizycznej, wpływając na neurony ruchowe w rdzeniu kręgowym, odbierając im zdolność chodzenia, jedzenia lub oddychania. SMA dotyka około 1 na 11 000 urodzonych dzieci, zaś mniej więcej 1 na 50 Amerykanów jest nosicielem wywołującej chorobę mutacji genetycznej.

Pomimo wyniszczającego przebiegu tej choroby, mamy teraz nowe powody do nadziei. Dzięki wysiłkom naszej społeczności i pomysłowości naszych badaczy dostępnych jest obecnie wiele metod leczenia zatwierdzonych przez amerykańską Agencję Żywności i Leków (Food and Drug Administration, FDA), nakierowanych na podłoże genetyczne SMA.

Ale nasza praca się jeszcze nie zakończyła. Musimy opracowywać i dostarczać nowsze terapie i sposoby leczenia, które torują drogę kolejnym przełomowym rozwiązaniom, i nadal łagodzić przebieg SMA u wszystkich dotkniętych chorobą – od niemowląt po dorosłych – dopóki nie znajdziemy sposobu na pełne wyleczenie choroby.

Biorąc pod uwagę nowe metody leczenia SMA, ludzie pytają: „Czy skojarzenie tych metod może dać lepsze wyniki leczenia?”. To pytanie jest szczególnie istotne ze względu na różne sposoby, w jakie poszczególne terapie mogą wpływać na konkretnych pacjentów w wyniku wielu czynników – w tym aktualnego wieku pacjenta, wieku rozpoczęcia leczenia, rodzaju i stadium choroby, a także nasilenia objawów.

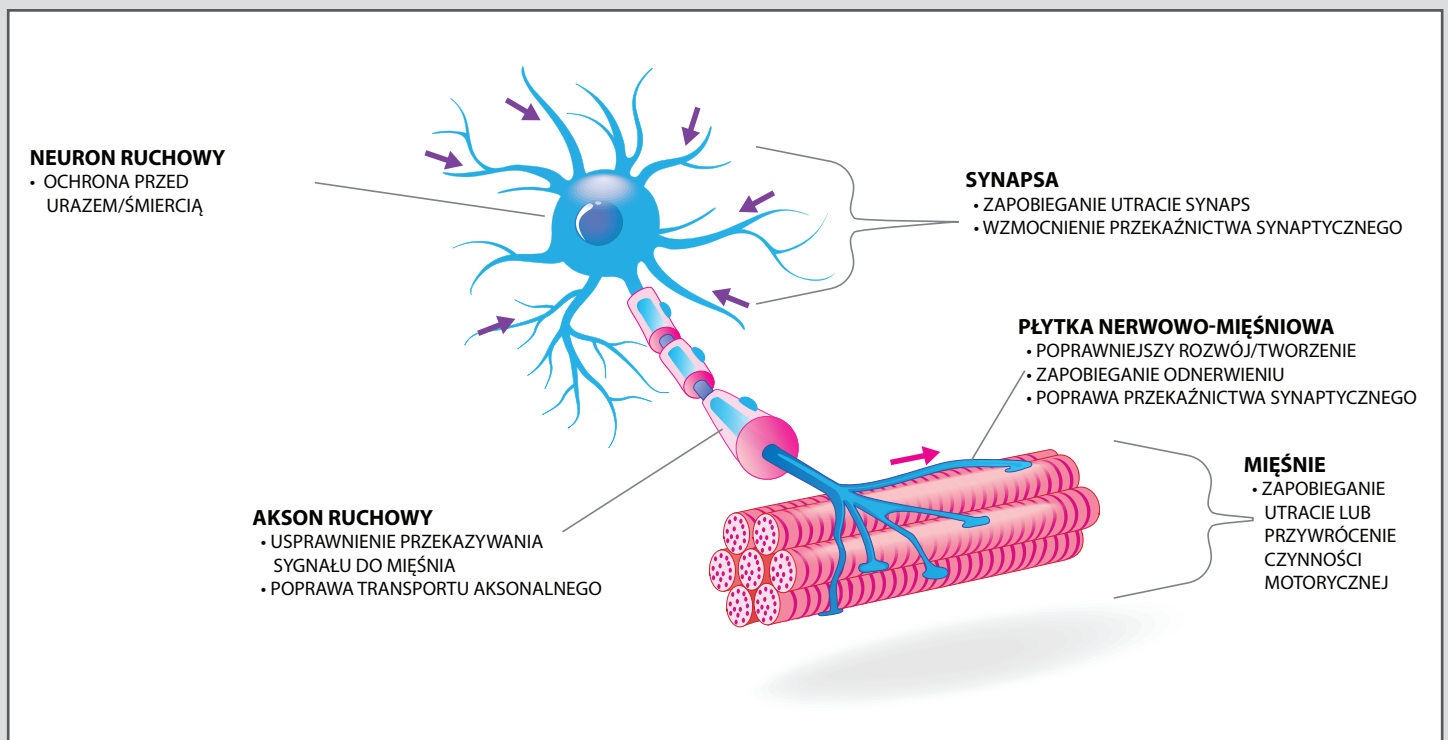
Cure SMA opublikowało niniejszy komunikat dla rodzin i opiekunów, aby ułatwić im zrozumienie skomplikowanej kwestii kojarzenia metod leczenia, w tym potencjalnych korzyści i ograniczeń. Mamy nadzieję, że to działanie położy podwaliny pod współpracę pacjentów i ich rodzin z lekarzami, pozwalającą na ocenę i wdrożenie optymalnego leczenia. Jak zawsze, Cure SMA zaleca pacjentom konsultacje z lekarzami w zakresie wszelkich wątpliwości lub decyzji związanych z leczeniem.

LECZENIE SMA

MIMO POSTĘPÓW WCIAŻ ISTNIEJE NIEZASPOKOJONA POTRZEBA

Badanych jest wiele metod leczenia SMA. Obejmują one wysiłki zmierzające do zwiększenia ilości białka SMN (ang. survival motor neuron protein) w organizmie poprzez zastąpienie lub korekcję działania wadliwego genu SMN1 lub modulację aktywności słabo działającego „genu zapasowego” SMN2. Ten rodzaj terapii nosi nazwę „terapii zależnej od SMN”. Drugie podejście, powszechnie określane jako „niezależne od SMN”, ukierunkowane jest na inne szlaki, układy i procesy zachodzące w organizmie. (Patrz Rysunek 1, Tabela 1)

RYСУNEK 1: ZDEFINIOWANE MOŻLIWE PUNKTY INTERWENCJI TERAPEUTYCZNEJ



Dolny neuron ruchowy: komórka nerwowa, której ciało znajduje się w rdzeniu kręgowym a której akson opuszcza rdzeń kręgowy, unerwiając i kontrolując mięśnie. Utrata dolnych neuronów ruchowych jest uważana za najbardziej charakterystyczną cechę SMA. **Akson neuronu ruchowego:** długa, smukła wypustka neuronu, która przewodzi impulsy elektryczne, przekazując informację do innych neuronów lub mięśni. **Synapsa:** struktura, która umożliwia neuronowi przekazanie sygnału elektrycznego lub chemicznego do innego neuronu lub docelowej komórki efektorowej. **Płytko nerwowo-mięśniowa:** synapsa chemiczna utworzona w miejscu kontaktu neuronu ruchowego z włóknem mięśniowym. To przez płytkę nerwowo-mięśniową neuron ruchowy jest w stanie przekazać sygnał do włókna mięśniowego, powodując skurcz mięśnia. **Mięsień:** zawiera białkowe filamenty aktynowe i miozynowe, które, ślizgając się po sobie, powodują skurcz zmieniający długość i kształt komórek mięśniowych, co przekłada się na siłę i ruch.

TABELA 1: STRATEGIE TERAPEUTYCZNE

STRATEGIE TERAPEUTYCZNE ZALEŻNE OD SMN	STRATEGIE TERAPEUTYCZNE NIEZALEŻNE OD SMN
Terapia genowa Zastępuje brakujący gen SMN1 dzięki wektorowi wirusowemu	Neuroprotekcja Chroni przed uszkodzeniem lub degradacją neuronów
Aktywacja promotora SMN2 Sprawia, że gen SMN2 jest częściej „włączany” i wytwarza więcej w pełni funkcjonalnego białka	Wzmocnienie mięśni Zapobiega utracie i przywraca funkcje motoryczne
Modulacja splicingu SMN2 Przekierowuje splicing SMN2, aby uzyskać więcej pełnej długości transkryptów zawierających ekson 7	Czynność neuronów Wzmacnia transmisję neuronalną

Ostatnie przełomowe wyniki, które doprowadziły do zatwierdzenia przez FDA wielu terapii, dostarczyły społeczności osób z SMA nowe możliwości leczenia. Jednakże, biorąc pod uwagę wiele zmiennych związanych z SMA – w tym różny wiek wystąpienia objawów i ich nasilenie oraz wpływ na codzienne życie – te terapie mogą nie być odpowiednie lub skuteczne dla wszystkich pacjentów, a sposób podawania leku i związane z tym problemy dotyczące bezpieczeństwa mogą znacznie obciążać pacjentów i ich rodziny.

W miarę jak nasze rzeczywiste doświadczenie związane z tymi nowymi metodami leczenia narasta, dowiadujemy się więcej o sposobie ich działania oraz o tym, w jakich warunkach i sytuacjach dane leczenie jest najbardziej skuteczne, a także czego nam nadal istotnie brakuje mimo dostępnych metod leczenia.

Na przykład wydaje się, że interwencja terapeutyczna może być bardziej skuteczna, gdy jest przeprowadzana w najwcześniejszych stadiach choroby (w tym przed wystąpieniem objawów). Prowadzi to do pozostawiania niezaspokojonej potrzeby u pacjentów z bardziej zaawansowaną postacią choroby, którzy mogą potrzebować terapii ukierunkowanych na objawy poza tymi, które są ukierunkowane na genetyczne podłoże SMA.

Jak wykazano w przełomowym raporcie Cure SMA zatytułowanym Voice of the Patient (Głos pacjenta)¹ i jak wynika z przeprowadzonych badań ankietowych, pacjenci z SMA mają szereg poważnych, niezaspokojonych potrzeb medycznych, które muszą zostać zrealizowane przez odpowiednie leczenie. Obejmują one między innymi problemy z oddychaniem, trudności w przyjmowaniu pokarmu, utratę mobilności, niezdolność do komunikacji i stres.

Koncepcja kojarzenia metod leczenia wynika z możliwości uzyskania dodatkowych lub synergicznych korzyści poprzez jednoczesne zajęcie się wieloma aspektami choroby w celu poprawy wyników leczenia pacjentów. Nie brakuje świeżych przykładów, że takie skojarzone podejścia lub „koktajle” leków pozwoliły uzyskać pozytywne wyniki leczenia wielu ciężkich chorób, w tym zakażeń HIV, wielu rodzajów nowotworów i pewnych chorób o podłożu genetycznym.^{2, 3, 4}

Chociaż nie ma jeszcze przekonujących dowodów, społeczność SMA wykazuje duże zainteresowanie sprawdzeniem, czy takie wyniki można również osiągnąć w wypadku pacjentów z SMA. W niniejszym komunikacie przedstawiono przegląd możliwości, ostrzeżeń i ograniczeń, które należy wziąć pod uwagę podczas oceny takiego podejścia, zaczynając od zrozumiałej definicji terminu „terapia skojarzona”.

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>

TERMIN „TERAPIA SKOJARZONA”

ZDEFINIOWANE DLA SMA

Wyrażenie „terapia skojarzona” może być stosowane do określenia różnych rzeczy w różnych chorobach i w różnych sytuacjach. Czasami jest ono wykorzystywane do opisu połączenia wielu metod leczenia. W takim znaczeniu występuje na przykład w leczeniu raka, gdy chemioterapia jest skojarzona z radioterapią i/lub leczeniem chirurgicznym. Wyrażenie „terapia skojarzona” może również opisywać proces stosowania kilku rodzajów leków sekwencyjnie lub naprzemiennie, co ma miejsce w leczeniu niektórych nowotworów, gdzie stosuje się najpierw immunoterapię, aby uaktywnić układ odpornościowy pacjenta, a krótko po tym podaje się chemioterapię lub stosuje leczenie celowane, aby „wymierzyć dwa szybkie ciosy”.

Na potrzeby tego komunikatu definiujemy „terapię skojarzoną” jako „dwa lub więcej czynniki terapeutyczne (ogólnie, leki lub leki biologiczne) - których mechanizm działania jest ten sam lub inny - stosowane jednocześnie”. Ważne jest, aby pamiętać, że niektóre leki mogą wywierać efekt przez długi czas po podaniu, jak na przykład terapia genowa. Ta definicja „jednoczesnego stosowania” obejmuje leki, które mogą być podawane tylko raz, ale nadal wykazują działanie biologiczne u pacjenta.

METODY LECZENIA SKOJARZONEGO

PRZEGLĄD

Społeczność SMA coraz bardziej interesuje, czy terapia skojarzona może poprawić wyniki leczenia, biorąc pod uwagę sukcesy stosowania terapii skojarzonych w leczeniu innych chorób. Istnieją coraz silniejsze dowody na powodzenie w stosowaniu metod „koktajlu” w leczeniu ciężkiej choroby, w tym stosowanie antyretrowirusowego AZT (azydotymidyny) w leczeniu HIV/AIDS ⁵ i wielolekowej chemioterapii, takiej jak R-CHOP (rytuksymab [Rituxan], cyklofosfamid, chlorowodorek doksorubicyny, winkrystyna [Oncovin], prednizonon] w leczeniu chłoniaka. ⁶

Ponadto, w onkologii, standardy opieki w wypadku wielu rodzajów nowotworów obejmują obecnie połączenia różnych metod leczenia opartych na lekach, takich jak schematy skojarzone terapii celowanej i immunoterapii. Postęp ten wywołał entuzjazm, że terapia skojarzona może działać w przypadku innych rzadkich chorób, w tym SMA. Na przykład, istnieje zainteresowanie ustaleniem, czy połączenie leku, który powoduje wzrost poziomu SMN z lekiem, który poprawia czynność mięśni lub działa neuroprotektoryjnie, może przynieść większe korzyści terapeutyczne niż każdy z tych leków oddzielnie.

Decyzja o skojarzeniu terapii w leczeniu dowolnej choroby musi być starannie przemyślana, rozważnie przeprowadzona i poparta silnymi przesłankami naukowymi wynikającymi z dowodów sugerujących, że skojarzenie będzie prowadzić do wyników na tyle lepszych, że przewyższą potencjalne zwiększone ryzyko. 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>

ROZWAŻANIE KORZYŚCI I RYZYKA W WYPADKU TERAPII SKOJARZONEJ

Istnieje wiele kwestii, które należy rozwiązać, w tym równoważenie potencjalnych korzyści, które mogą być efektem terapii skojarzonej z potencjalnymi zagrożeniami dla bezpieczeństwa. Konieczne jest również zrozumienie, jakie dodatkowe koszty należy ponieść w przypadku stosowania wielu terapii.

Szczególnie ważne jest, aby unikać założenia, że skojarzenie metod leczenia zawsze przyniesie większe korzyści lub lepsze wyniki. W niektórych przypadkach połączenie dwóch lub większej liczby terapii może prowadzić do niższej skuteczności i większej liczby działań niepożądanych niż w przypadku stosowania tylko jednej z terapii. W badaniach nad różnymi chorobami, w tym wieloma rodzajami nowotworów i reumatoidalnym zapaleniem stawów, zgłaszano przypadki marginalnych, o ile jakichkolwiek, korzyści i wyższą toksyczność wynikającą z zastosowania terapii skojarzonej.^{8,9}

Oceniając potencjalny wpływ leczenia skojarzonego, badania kliniczne często będą porównywać wyniki leczenia skojarzonego z wynikami pojedynczej terapii. Skojarzenia są ogólnie uważane za skuteczne, jeśli łącznie dają lepszą odpowiedź niż spodziewana przy oddzielnym zastosowaniu każdej z metod leczenia. Ponieważ jednak skojarzenia terapeutyczne mogą mieć addytywne lub nawet synergiczne działanie wynikające z chemicznych i biologicznych interakcji składników, często stopień poprawy wyników leczenia osiągnięty po zastosowaniu terapii skojarzonej staje się najważniejszym elementem oceny przydatności danego podejścia.¹⁰

Należy również pamiętać, że efekty terapii będą się różnić w zależności od mechanizmu działania leku. Na przykład w przypadku SMA, stosowanie więcej niż jednego leku, którego celem jest zwiększenie ekspresji białka SMN, może nie przynieść dodatkowych korzyści, jeśli pojedynczy lek pozwala osiągnąć wymagany próg dla maksymalnego efektu SMN. Z drugiej strony korzystne może być połączenie leku podwyższającego ekspresję SMN z innym rodzajem leku (np. terapią mającą na celu poprawę czynności mięśni), ponieważ te dwie terapie mogą wywierać pozytywny addytywny efekt.

Dodatkowe kwestie dotyczące terapii skojarzonej obejmują czas prowadzenia leczenia i stopień progresji choroby pacjenta. Na przykład należy rozważyć, w jaki sposób stadium choroby (np. wczesne lub późniejsze) może wpłynąć na powodzenie terapii skojarzonej. Pytanie to pojawia się regularnie, biorąc pod uwagę prawdopodobną skuteczność terapii (np. przyjmuje się ogólnie, że leczenie rozpoczęte we wczesnym stadium choroby może podnieść szanse na pomyślny wynik), ale trzeba uwzględnić dodatkowe niuanse związane z potencjalnym zwiększonym ryzykiem i negatywnymi interakcjami między lekami, które są istotne w kontekście terapii skojarzonej.

Pozostała część tego komunikatu zawiera dodatkowe szczegóły i tło tych rozważań w kontekście SMA.

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>

ROZWAŻANIA DOTYCZĄCE TERAPII SKOJARZONEJ

BEZPIECZEŃSTWO I SKUTECZNOŚĆ

ZNACZENIE OCENY ZAGROŻEŃ DLA BEZPIECZEŃSTWA TERAPII SKOJARZONYCH

Stosowanie jakiegokolwiek rodzaju terapii niesie ze sobą ryzyko dla bezpieczeństwa, dlatego FDA starannie weryfikuje dane kliniczne dotyczące wszystkich nowych leków i leków biologicznych, aby zapewnić, że mogą one być bezpiecznie stosowane przez docelową populację pacjentów. Po wprowadzeniu leków na rynek lekarze będą je zazwyczaj stosować zgodnie ze wskazaniami i będą wahać się, czy kojarzyć poszczególne leki bez dowodów potwierdzających bezpieczeństwo takiego ich stosowania.

Ocena bezpieczeństwa skojarzenia dwóch lub większej liczby zatwierdzonych terapii powinna zostać przeprowadzona w warunkach badania klinicznego lub w ramach dobrze zaprojektowanych protokołów i rejestrów gromadzenia danych w warunkach rzeczywistych, wykraczając poza zrozumienie profilu bezpieczeństwa każdej z terapii oddzielnie. Na przykład, pomiędzy wieloma metodami leczenia stosowanymi jednocześnie mogą wystąpić interakcje chemiczne lub biologiczne. Zgłaszono

to w przypadkach, gdy jeden lek w wielolekowym „koktajlu” wpływał na klirens innych leków „koktajlu”, co prowadziło do gorszych wyników leczenia.¹² Możliwe jest również, że znane działania niepożądane pojedynczego leku mogą ulec zmianie, gdy lek ten jest stosowany w skojarzeniu. Może to prowadzić do pogorszenia profilu działań niepożądanych lub pojawienia się innego zestawu działań niepożądanych.

Istnieje wiele dowodów na interakcje między lekami pozyskanych w ramach badań dotyczących różnych chorób i metod terapeutycznych¹³, więc każde podejście, które ma na celu skojarzenie leków w SMA, musi ocenić konkretny profil bezpieczeństwa i potencjał interakcji tego skojarzenia. Oceniając bezpieczeństwo jednoczesnego stosowania dwóch terapii, należy również wziąć pod uwagę drogę podania.

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

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

INNE ISTOTNE KWESTIE

ZASIĘG, REFUNDACJA I DOSTĘPNOŚĆ

Proces opracowywania skutecznych terapii skojarzonych dla SMA obejmuje dodatkowe aspekty wykraczające poza omówione wcześniej zagadnienia naukowe, kliniczne i regulacyjne. Istnieją przecież ważne problemy związane z dostępnością i refundacją terapii, które należy rozwiązać.

Przy podejmowaniu decyzji dotyczących zakresu ubezpieczenia i zwrotu kosztów, ubezpieczyciele polegają na dowodach wygenerowanych w ramach procesu badań i rozwoju, a także na danych wynikających z komercyjnego wykorzystania produktu (czasami zwanych danymi uzyskanymi w ramach codziennej praktyki). Gromadzenie danych w ramach codziennej praktyki jest ważnym elementem, obok danych z badań klinicznych, analizy korzyści i zagrożeń związanych ze stosowaniem terapii skojarzonych. W przypadku kojarzenia monoterapii, proces podejmowania takich decyzji i zapewniania do nich dostępu pacjentom staje się bardziej złożony. Płatnicy będą chcieli zobaczyć wyraźne dowody dodatkowych korzyści, a także bezpieczeństwa stosowania jednocześnie dwóch lub więcej metod leczenia.

W związku ze złożonością problemu, różni płatnicy mogą różnie interpretować dane z tych samych badań, co prowadzi do zróżnicowania decyzji dotyczących ubezpieczenia. Rodziny rozważające terapię skojarzoną powinny wiedzieć, w jaki sposób mogłaby ona na nie wpłynąć pod względem finansowym.

OBCIĄŻENIE PACJENTA I OPIEKUNA

Oprócz zrozumienia wpływu jednoczesnego stosowania wielu terapii na wyniki leczenia pacjentów, konieczna jest również ocena i równoważenie jej wpływu na codzienne życie pacjentów i opiekunów. Należy wziąć pod uwagę dawkowanie, harmonogramy leczenia i drogę podania związane z leczeniem skojarzonym. Dodatkowe elementy terapii mogą spowodować dodatkowe obciążenie dla rodzin, w tym absencję w szkole lub pracy. Istnieje również możliwość dalszego obciążenia rodzin wynikającego z nasilonego monitorowania bezpieczeństwa – wykraczającego poza wymagania dla pojedynczej terapii – co może wiązać się z leczeniem skojarzonym. Kwestie te należy wziąć pod uwagę w przypadku stosowania podejścia skojarzonego.

PRIORYTET UZYSKIWANIA REJESTRACJI LEKU STOSOWANEGO W MONOTERAPII

Wreszcie ważne jest, aby zdawać sobie sprawę z tego, że istnieją dodatkowe złożone kwestie, w tym potencjalne koszty i bariery logistyczne, dla firm opracowujących terapie, które mogą stanowić problem w wypadku stosowania skojarzenia leków. Jak opisano powyżej, istotne dodatkowe wymagania dotyczące opracowywania danych przedklinicznych, przeprowadzania niezbędnych badań klinicznych, przeprowadzania weryfikacji regulacyjnej oraz komercjalizacji i refundacji są istotne dla podejmowania decyzji przez firmę. Tematy te stają się bardziej złożone, gdy leki oceniane w ramach skojarzenia są produktami dwóch lub większej liczby różnych firm, co wymaga ewentualnej współpracy między firmami.

W przypadku SMA, gdzie obecny standard opieki obejmuje stosowanie zatwierdzonych leków wzmacniających ekspresję SMN, logiczne jest, że sponsorzy opracowujący nowe leki wzmacniające ekspresję SMN będą traktować priorytetowo zatwierdzenie stosowania ich związku w monoterapii. Firmy opracowujące leki o innych mechanizmach działania będą musiały rozważyć, czy najpierw uzyskać zatwierdzenie monoterapii, czy też odpowiednio planować badania, aby włączyć pacjentów obecnie stosujących lek wzmacniający ekspresję SMN. Te podejścia do zmiany standardów opieki poprzez łączenie zatwierdzonych terapii z nowymi lekami, które mają inny mechanizm działania, są często stosowane w terapiach onkologicznych, gdzie w wielu badaniach klinicznych ocenia się wpływ skojarzenia dwóch i trzech leków ze standardową chemioterapią.

WNIOSEK

Cure SMA ma strategiczny cel, polegający na znalezieniu nowych obiektów, innych niż SMN, służących opracowaniu terapii, które przyniosą korzyści pacjentom z objawami, zarówno w skojarzeniu, jak i w monoterapii. Realizując ten cel, weźmiemy pod uwagę wszystkie elementy omówione w niniejszym Komunikacie dla społeczności. Dyskutując te kwestie, staramy się pomóc pacjentom, rodzinom i opiekunom lepiej zrozumieć potencjalne możliwości i poddać ocenie niektóre ważne aspekty.

Postępy naukowe i kliniczne pozwalające na opracowanie nowych metod terapii SMA umożliwiają osiąganie lepszych wyników leczenia i dają znaczną nadzieję naszej społeczności, nawet jeśli nadal istnieje istotna niezaspokojona potrzeba dla pacjentów z SMA. Zrozumiałe jest, że pozostają pytania dotyczące możliwości wykorzystania tych nowych poszczególnych leków poprzez ich skojarzenie w celu osiągnięcia jeszcze większej poprawy wyników leczenia choroby we wszystkich stadiach i pacjentów w każdym wieku. Jak wskazano powyżej, wysiłki na rzecz opracowania metod leczenia skojarzonego SMA w celu uzyskania tych możliwości powinny opierać się na silnych naukowych przesłankach i powinny być podejmowane w kontekście badań klinicznych w celu oceny bezpieczeństwa i skuteczności.

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

CURE SMA



Cure SMA to organizacja non-profit i największa na świecie sieć rodzin, klinicystów i naukowców pracujących wspólnie nad rozwojem badań nad SMA, wspieraniem osób dotkniętych chorobą i ich opiekunów oraz edukacją ogółu społeczeństwa i społeczności medycznej w zakresie SMA.

Cure SMA oferuje bezstronne wsparcie. Jesteśmy tu, aby pomóc wszystkim osobom cierpiącym na SMA i ich bliskim, i nie wspieramy żadnych konkretnych wyborów ani decyzji. Poszczególne osoby i ich opiekunowie podejmują różne decyzje dotyczące tego, co jest najlepsze w ich sytuacji, zgodnie ze swoimi osobistymi przekonaniami. Rodzice i inni ważni członkowie rodziny powinni mieć możliwość rozmowy na temat swoich odczuć związanych z tymi tematami i zadawania pytań zespołowi, który opiekuje się danym pacjentem z SMA. Tego rodzaju decyzji nie należy podejmować pochopnie, a wszystkie możliwości należy starannie przemyśleć i rozważyć. Wszystkie wybory związane z SMA są bardzo osobiste i powinny odzwierciedlać osobiste wartości, a także to, co jest najlepsze dla danej osoby i jej opiekunów.



Cure SMA jest tu, aby pomagać. Aby poszerzyć swoją wiedzę, prosimy zapoznać się z dostępnymi broszurami z serii dotyczącej opieki:

- Podstawy oddychania
- Opcje opieki
- Genetyka SMA
- Układ mięśniowo-szkieletowy
- Podstawy żywienia
- Zrozumieć SMA



twitter.com/cureSMA



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



facebook.com/cureSMA



youtube.com/user/FamiliesofSMA1



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



Ostatnia aktualizacja: marzec 2020 r.

800.886.1762 • Faks: 847.367.7623 • info@cureSMA.org • cureSMA.org