



## CURE SMA

# İLAC KOMBİNASYONLARI KONUSUNDA BİLİMSEL HUSUSLAR

BU BEYAN THE CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION İLE ORTAKLAŞA OLUŞTURULMUŞTUR.  
THE CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION'IN ÜYELERİ BİR NOVARTIS ŞİRKETİ OLAN AVEXIS INC, ASTELLAS  
PHARMA INC, BIOGEN, CYTOKINETICS INC, GENENTECH/ROCHE PHARMACEUTICALS VE SCHOLAR ROCK'TUR.



Make today a  
breakthrough.

# GENEL BAKIŞ VE AMAÇ

## SPİNAL MÜSKÜLER ATROFİ

Spinal müsküler atrofi (SMA), omurilikteki motor sinir hücrelerini etkileyerek insanları fiziksel güçten yoksun bırakıp, yürüme, yemek yeme veya nefes alma yeteneğini ortadan kaldıran bir hastalıktır. SMA, yaklaşık olarak 11.000 yenidoğandan 1'ini etkiler ve her 50 Amerikalıdan yaklaşık 1'i genetik taşıyıcıdır.

Bu hastalığın yıkıcı etkisine rağmen, artık umutlanmak için sebepler mevcut. Topluluğumuzun adanmışlığı ve araştırmacılarımızın buluşları sayesinde şimdi, ABD Gıda ve İlaç İdaresi (FDA) tarafından onaylanmış ve SMA'nın altta yatan genetik koşullarını hedef alan birden fazla tedavi mevcuttur.

Ancak işimiz henüz bitmedi. Tedavi yolunda daha fazla çığır açacak ek terapiler ve yaklaşımlar geliştirmemiz ve sunmamız ve tedavi bulana kadar, etkilenen herkes açısından (bebeklerden yetişkinlere) SMA'nın seyrini değiştirmeye devam etmemiz gerekiyor.

SMA için yeni tedaviler mevcut oldukça insanlar, "Bu tedavileri birleştirmek daha iyi sonuçlara yol açabilir mi?" sorusunu soruyor. Bu soru, münferit tedaviler hastanın mevcut yaşı, tedavinin başlangıcındaki yaşı, hastalığın türü ve evresi ve semptomların şiddeti gibi birçok faktörün bir sonucu olarak her bir hastayı farklı şekillerde etkileyebileceği için özellikle dikkate değerdir.

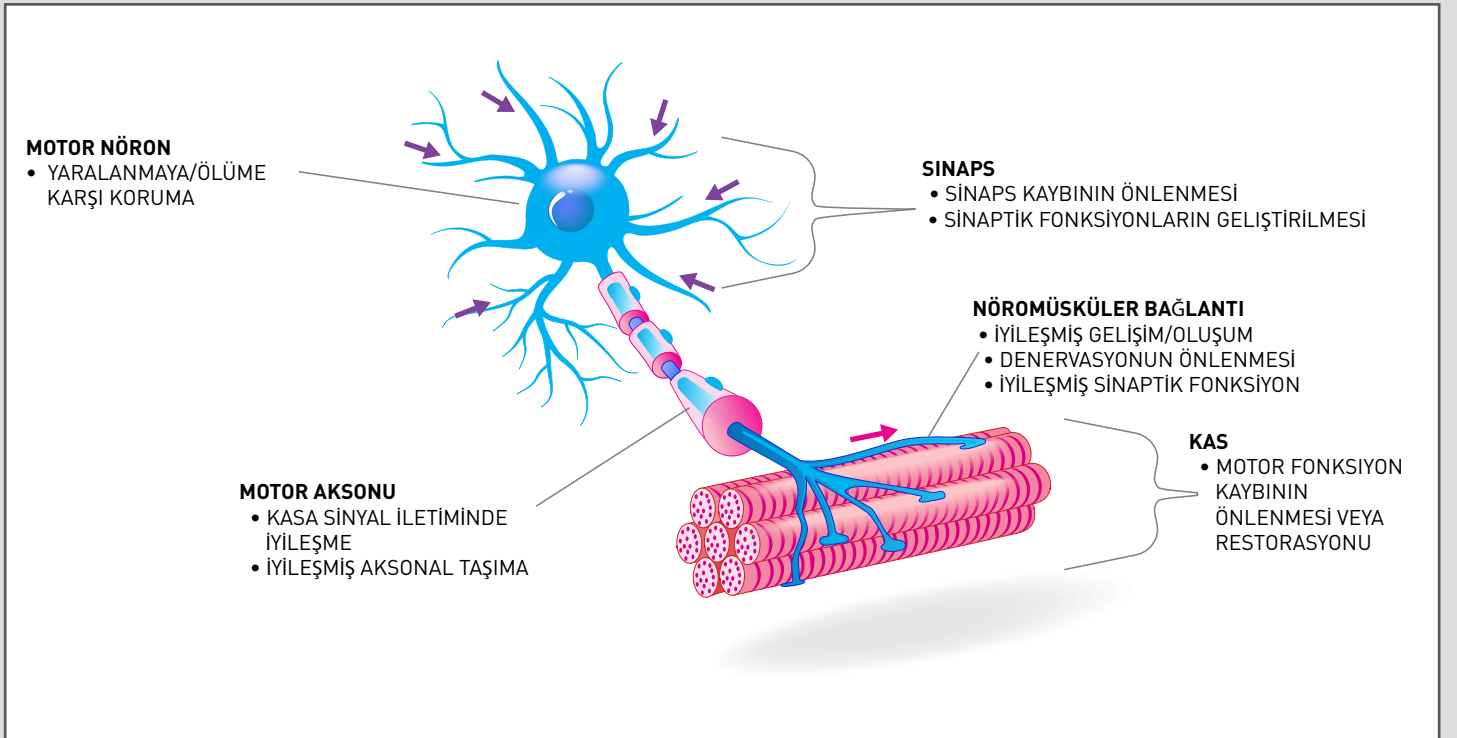
Cure SMA, potansiyel faydalar ve sınırlamalar dahil olmak üzere tedavileri birleştirme ile ilgili karmaşık konuyu daha iyi anlamaları adına aileler ve bakıcılar için bu Topluluk Beyanını geliştirmiştir. Bu çaba doğrultusunda, optimum tedaviyi değerlendirmek ve izlemek için hastaların ve ailelerin doktorlarıyla birlikte üzerinde çalışabilecekleri temel bir dayanak sağlamayı umuyoruz. Her zaman olduğu gibi Cure SMA, tedavi hususları veya kararları konusunda hastaların sağlık hizmeti sağlayıcılarına danışmalarını önerir.

# SMA TEDAVİSİ

## İLERLEME VAR, ANCAK KARŞILANMAMIŞ İHTİYAÇ OLMAYI SÜRDÜRÜYOR

SMA tedavisinde keşif aşamasında olan birden fazla yaklaşım vardır. Buna, kusurlu SMN1 genini değiştirerek veya düzelterek veya düşük işlevli SMN2 “yedek genini” modüle ederek vücuttaki sağ kalım motor nöron proteini (SMN) miktarını artırma çabaları da dahildir. Bu tedavi türüne “SMN bağımlı” adı verilir. Yaygın olarak “SMN bağımsız” olarak adlandırılan ikinci bir yaklaşım, vücuttaki diğer yolları, sistemleri ve süreçleri hedeflemeyi amaçlar. (Bkz. Şekil 1, Tablo 1)

### ŞEKİL 1: TANIMLANAN TERAPÖTİK GİRİŞİMİN OLASI NOKTALARI



**Alt Motor Nöron:** Hücre gövdesi omurilikte olan ve aksonu, kasları sinir sistemine bağlamak ve kontrol etmek için omurilik dışına çıkıntı yapan bir sinir hücresi. Alt motor nöronların kaybı SMA'nın ayırıcı bir özelliği olarak kabul edilir. **Motor Akson:** Farklı nöronlara veya kaslara bilgi iletmek için elektriksel impulslar ileten uzun, ince projeksiyon nöron. **Sinaps:** Bir nöronun başka bir nörona veya hedef efektör hücreye elektriksel veya kimyasal sinyal iletmesine izin veren bir yapı. **Nöromusküler Bağlantı:** Bir motor nöron ve bir kas lifi arasındaki temasta oluşan kimyasal bir sinaps. Bir motor nöronun kas lifine sinyal ileterek kasların kasılmasına neden olduğu nöromusküler bağlantıdır. **Kas:** Birbirini geçerek, güç ve hareket üreten kas hücrelerinin uzunluğunu ve şeklini değiştiren bir kasılmaya sebep olan aktin ve miyosin protein filamanlarını içerir.

## TABLO 1: TERAPÖTİK STRATEJİLER

SMN BAĞIMLI TERAPÖTİK STRATEJİLER	SMN BAĞIMSIZ TERAPÖTİK STRATEJİLER
<b>Gen tedavisi</b> Eksik SMN1 geninin yerini bir viral vektör alır	<b>Nöro-koruma</b> Nöronal hasara veya bozulmaya karşı korur
<b>SMN2 başlatıcı aktivasyonu</b> SMN2 geninin daha "açık" olmasına neden olarak daha tam fonksiyonel protein üretmesini sağlar	<b>Kas iyileştirme</b> Motor fonksiyonu kaybını önler ve geri yükler
<b>SMN2 birleştirme modülasyonu</b> SMN2'nin birleştirme işlemini daha uzun olacak şekilde yeniden yönlendirir Ekzon 7 içeren transkriptler	<b>Nöronal fonksiyon</b> Nöronal iletimi geliştirir

FDA'nın birden fazla tedaviyi onaylamasına yol açan son gelişmeler, SMA topluluğuna yeni tedavi seçenekleri sağlamıştır. Bununla birlikte, SMA ile ilgili birçok değişken (semptomların başlangıç yaşı ve şiddeti ve günlük yaşam aktiviteleri üzerindeki etkisi dahil olmak üzere) göz önüne alındığında bu tedaviler, tüm hastalar için uygun veya etkili olmayabilir ve uygulama türü ve ilgili güvenlik sorunları hastalar ve aileleri üzerinde önemli yük oluşturabilir.

Bu yeni tedavilerle ilgili gerçek dünya deneyimi arttıkça, bunların nasıl çalıştığı ve hangi hastalık ortamlarında ve durumlarında tedavilerin en etkili olduğu ve mevcut tedavilerde hâlen mevcut olan önemli boşlukların ne olduğu konusunda daha fazla bilgi ediniyoruz.

Örneğin, terapötik müdahale hastalığın en erken evrelerinde (belirtilerin ortaya çıkmasından önce dahil) meydana geldiğinde daha etkili olabilir. Bu da, SMA'nın altta yatan genetik etkenine yönelik olanlara ek olarak belirtilere yönelik tedavilere ihtiyaç duyabilecek daha ileri hastalığı olan hastalarda karşılanmamış önemli bir ihtiyaç boşluğu bırakır.

Önemli Cure SMA Voice of the Patient Report<sup>1</sup> ve anket aktiviteleri ile belgelendiği üzere SMA hastalarının tedavi yaklaşımlarıyla ele alınması gereken bir dizi ciddi karşılanmamış tıbbi ihtiyaçları vardır. Bunlar arasında solunum sorunları, beslenme sorunları, hareket kaybı, iletişim kuramama ve acı çekme sayılabilir.

Tedavileri birleştirme kavramının kaynağı, hastaların sonuçlarını iyileştirmek adına hastalığın birden fazla yönünü eş zamanlı olarak ele alarak, ilave veya sinerjik fayda görme potansiyeline dayanır. Yakın geçmiş, bu tür birleşik veya "kokteyl" yaklaşımlarının HIV, birçok kanser türü ve genetik kaynaklı bazı rahatsızlıklar dahil olmak üzere birçok ciddi hastalık genelinde pozitif sonuçlara yol açtığı örneklerle doludur.<sup>2, 3, 4</sup>

Henüz kesin bir kanıt olmasa da SMA topluluğunda bu sonuçların SMA hastalarında görülüp görülemeyeceğini araştırmak için büyük bir ilgi bulunmaktadır. Bu beyan, "kombinasyon tedavisi" teriminin ne anlama geldiğine dair net bir anlayış oluşturmaktan başlayarak, bu yaklaşımları değerlendirirken dikkate alınması gereken fırsatlara, dikkat edilecek noktalara ve sınırlamalara genel bir bakış sağlar.

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

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

<sup>2</sup> [https://www.eurekalert.org/pub\\_releases/2018-11/mali-cgt111318.php](https://www.eurekalert.org/pub_releases/2018-11/mali-cgt111318.php)

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

# “KOMBİNASYON TEDAVİSİ” TERİMİ

(SMA İÇİN TANIMLANAN)

“Kombinasyon tedavisi” ifadesi, hastalıklar arasında ve farklı durumlarda deęişen durumları ifade etmek için kullanılabilir. Bazen çoklu tedavi yaklaşımlarının birleştirilmesini tanımlamak için kullanılır. Örneęin kanser tedavisinde, kemoterapi radyasyon ve/veya ameliyatla birleştirilir. “Kombinasyon tedavisi” ifadesi aynı zamanda, çeşitli ilaç türlerinin sıralı olarak veya deęiştirilerek kullanılması sürecini de açıklayabilir; örneęin bazı kanserlerde hastanın bağışıklık sistemini hazırlamak için ilk immünoterapi kullanılır ve ardından kısa bir süre sonra bir kemoterapi veya hedefli tedavi ajanı “peş peşe” uygulanır.

Bu ifadenin amacı doğrultusunda “kombinasyon tedavisini”, “Eş zamanlı olarak kullanılan aynı veya farklı etki mekanizmalarıyla çalışan iki veya daha fazla terapötik ajan (genellikle ilaçlar veya biyolojik maddeler)” olarak tanımlıyoruz. Bazı ilaçların gen replasman tedavisi gibi uygulamadan sonra uzun bir süre etkilerinin olabileceğini unutmamak önemlidir. “Eş zamanlı kullanım”ın bu tanımı, sadece bir kez uygulanabilen ancak hastada biyolojik etkilere sahip olmaya devam eden ilaçları kapsama anlamına gelir.

# TEDAVİYE KOMBİNASYON YAKLAŞIMLARI

## GENEL BAKIŞ

SMA topluluğunda, diğer hastalıklardaki tedavileri birleştirmenin başarısı göz önüne alınarak kombinasyon tedavisinin sonuçları iyileştirip iyileştirmeyeceğini anlama konusunda artan bir ilgi söz konusudur. HIV/AIDS<sup>5</sup> için antiretroviral AZT (azidotimidin) ve lenfoma için R-CHOP (rituksimab [Rituxan], siklofosamid, doksorubisin hidroklorür, vinkristin [Oncovin], prednizolon) gibi çoklu ilaç kemoterapi rejimlerinin kullanımı da dahil olmak üzere ciddi hastalıkların tedavisinde “kokteyl” yaklaşımların başarı kanıtları artmaktadır.<sup>6</sup>

Bunun yanı sıra onkolojide, çoklu tümör türleri için bakım standartları artık hedefli terapi ve immünoterapinin kombine rejimleri gibi ilaç bazlı modaliteler genelinde kombinasyonları içermektedir. Bu ilerleme, kombinasyon yaklaşımının SMA dahil diğer nadir rahatsızlıklarda işe yarayacağına dair heyecan yaratmıştır. Örneğin, SMN'yi yukarı yönlü regüle eden bir ilacın kas fonksiyonunu veya nöroproteksiyonu iyileştiren bir ilaçla birleştirilmesinin, tek başına kullanıldığında ilaçlardan birine kıyasla daha fazla terapötik fayda sağlayıp sağlamayacağını belirlemeye yönelik ilgi söz konusudur.

**Tedavileri herhangi bir hastalık ortamında birleştirme kararı dikkatle değerlendirilmeli, özenle izlenmeli ve kombinasyonun potansiyel yüksek riskten daha ağır basan iyi sonuçlara yol açacağını gösteren kanıtlarla desteklenen güçlü bir bilimsel gerekçeye dayanmalıdır.<sup>7</sup>**

<sup>5</sup> <https://www.niaid.nih.gov/diseases-conditions/antiretroviral-drug-development>

<sup>6</sup> <https://www.medicalnewstoday.com/articles/324261.php>

<sup>7</sup> <https://www.merckmanuals.com/home/cancer/prevention-and-treatment-of-cancer/combination-cancer-therapy>

## KOMBİNASYON TEDAVİSİ HAKKINDAKİ RİSK-FAYDA HUSUSLARI

Bir kombinasyon tedavisinden elde edilebilecek potansiyel faydayı artan güvenlik riskleri potansiyeli ile dengelemek de dahil olmak üzere ele alınması gereken birçok husus söz konusudur. Ayrıca, birden fazla tedavi kullanırken hangi ek maliyetlerin ortaya çıkabileceğini anlama ihtiyacı da vardır.

Tedavileri birleştirmenin her zaman daha fazla fayda veya daha iyi sonuçlar sağlayacağı varsayımından kaçınmak bilhassa önemlidir. Nitekim bazı durumlarda iki veya daha fazla tedavinin birleştirilmesi, tedaviler tek başına kullanıldığında elde edilebileceklerden daha az etkinliğe ve daha olumsuz yan etkilere yol açabilir. Çoklu kanser türü ve romatoid artrit dahil olmak üzere çeşitli hastalıklar için yapılan çalışmalarda, tedavilerin birleştirilmesinden kaynaklanan marjinal fayda (mevcutsa) ve daha kötü toksisite vakaları bildirilmiştir.<sup>8,9</sup>

Bir kombinasyon tedavisi yaklaşımının potansiyel etkisini değerlendirirken, klinik çalışmalar genellikle, kombine tedavilerden elde edilen sonuçları tek bir tedavinin kullanımıyla karşılaştıracaktır. Kombinasyonlar, her bir tedavinin kendi başına üretmesi beklenenden daha iyi bir yanıt oluşturduklarında genellikle başarılı sayılırlar. Bununla birlikte tedavi kombinasyonlarında, bileşiklerin kimyasal ve biyolojik etkileşimlerinin neden olduğu ilave ve hatta sinerjik etkiler olabileceğinden; yaklaşımın vaatlerinin değerlendirilmesinde en önemli hale gelen konu, genellikle söz konusu kombinasyonun sonuçlar üzerinde iyileşme sağlama derecesidir.<sup>10</sup>

Tedavinin etkilerinin ilacın etki mekanizmasına bağlı olarak değişeceğinin de dikkate alınması önemlidir. Örneğin SMA'da, SMN proteininin yukarı regülasyonu amaçlayan birden fazla ilaç kullanmak, tek bir ilacın kendi başına maksimum SMN etkisi için gerekli eşiğe ulaştığı durumda, ek bir fayda sağlamayabilir. Öte yandan, SMN yukarı regülasyonunu farklı bir ilaç türüyle (ör. kas fonksiyonunu iyileştirmeyi amaçlayan bir tedavi) birleştirmek, iki tedavinin ilave pozitif etkisi olabileceğinden faydalı olabilir.

Tedavilerin birleştirilmesi konusunda dikkate alınması gereken ek hususlar arasında tedavinin zamanlaması ve hastanın hastalığının ilerlemesi yer alır. Örneğin, hastalığın evrelerinin (ör. erken ve sonraki evreler) kombinasyon tedavisi yaklaşımının başarısını nasıl etkileyebileceğine dair dikkate değer sorular vardır. Bu soru, tedavinin olası etkililiği göz önünde bulundurulduğunda, düzenli olarak ortaya çıkar (ör. genel olarak hastalığın erken safhasında uygulanan tedaviyle başarılı bir sonuç alma şansının artırabileceği varsayılır); öte yandan kombinasyon tedavisinin özel bağlamında, potansiyel artan risk ve ilgili negatif ilaç-ilaç etkileşimleri ile ilgili ilave nüanslar mevcuttur.

Bu beyanın geri kalanı, SMA bağlamında bu hususlar için ek ayrıntı ve bağlam sağlar.

<sup>8</sup> [https://ascopubs.org/doi/abs/10.1200/jco.2012.30.15\\_suppl.2572](https://ascopubs.org/doi/abs/10.1200/jco.2012.30.15_suppl.2572)

<sup>9</sup> <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/pdf/10.1002/art.1780371012>

<sup>10</sup> <https://www.nature.com/articles/nm.4426>

# KOMBİNASYON TEDAVİSİ İÇİN DİKKATE ALINACAK HUSUSLAR

## GÜVENLİLİK VE ETKİLİLİK

### KOMBİNASYON TEDAVİLERİ İÇİN GÜVENLİK RİSKLERİNİ DEĞERLENDİRMENİN ÖNEMİ

Herhangi bir tedavi türü kullanmak güvenlik riskleri taşır; bu nedenle FDA, amaçlanan hasta popülasyonu tarafından güvenli bir şekilde kullanılabilmesini sağlamak için tüm yeni ilaçlar ve biyolojik maddeler için klinik verileri dikkatle inceler. İlaçlar piyasaya sürüldüğünde, sağlık hizmeti sağlayıcıları bunları genellikle etiket endikasyonlarına göre kullanacak ve kanıt olmadan tek ajanları birleştirme konusunda, güvenliliğini destekleyecek kanıt olmadığında tereddüt edeceklerdir.

İki veya daha fazla onaylı tedavinin birleştirilmesinin güvenliliğinin değerlendirilmesi, klinik araştırma ortamında veya iyi tasarlanmış, gerçek dünya veri toplama protokolleri ve kayıtları aracılığıyla, tek başına her tedavinin güvenlik profilini anlamının ötesine geçerek yapılmalıdır. Örneğin, eş zamanlı olarak uygulandığında, birden fazla tedavi arasında kimyasal veya biyolojik etkileşimler olabilir. Bu durum, daha kötü sonuçlara yol açmakta olan çoklu ilaç “kokteylindeki” bir ilacın “kokteyl” içindeki diğer ilaçların klirensi üzerindeki etkisini içeren vakalarda bildirilmiştir.<sup>12</sup>

Ayrıca tek bir ilacın bilinen yan etkilerinin, bu ilaç bir kombinasyonun parçası olarak kullanıldığında değiştirilmesi de mümkündür. Bu, yan etki profilinin kötüleşmesine veya farklı bir yan etki grubuna yol açabilir.

Hastalık ortamlarından ve ilaç-ilaç etkileşimlerinin terapötik yaklaşımlarından edinilen çok fazla kanıt vardır<sup>13</sup>; bu nedenle SMA tedavisi için ilaçları birleştirmeyi amaçlayan herhangi bir yaklaşım, bu kombinasyonun spesifik güvenlilik profilini ve etkileşim potansiyelini değerlendirmelidir. İki tedavinin aynı anda güvenli bir şekilde uygulanmasının mümkün olup olmadığını değerlendirirken uygulama yolu da dikkate alınmalıdır.

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

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



# DİĞER ÖNEMLİ HUSUSLAR

## KAPSAM, GERİ ÖDEME VE ERİŞİM

SMA için etkili kombinasyon tedavileri geliştirme süreci, daha önce tartışılan bilimsel, klinik ve düzenleyici konuların ötesinde ilave hususlar içerir. Ayrıca, tedavilere ilişkin erişim ve geri ödeme ile ilgili ele alınması gereken önemli sorunlar vardır.

Sigortacılar, sigorta kapsamına alma ve geri ödeme kararları verirken araştırma ve geliştirme süreci ile elde edilen kanıtlara ve bir ürünün ticari kullanımından kaynaklanan verilere (bazen gerçek dünya verileri olarak adlandırılır) bel bağlarlar. Gerçek dünya verilerinin toplanması, ilaç kombinasyonlarının faydalarını ve risklerini belirlemede klinik çalışmalardan elde edilen verilere ek olarak önemli bir bileşendir. Tekli tedaviler kullanım için birleştirilirse, bu tür kararları alma ve hastalar için erişim sağlama süreci daha karmaşık hale gelir. Ödeme sağlayacak kurumlar, ilave faydanın net kanıtlarını ve aynı anda iki veya daha fazla tedavinin kullanımıyla ilgili güvenliliği görmek isteyecektir.

Karmaşıklığa ek olarak, ödeme yapan farklı kurumlar aynı çalışmalardan elde edilen verileri farklı yorumlayabilir ve farklı kapsama alma kararlarına varabilirler. Kombinasyon tedavisi yolunu izlemeyi düşünen aileler, bunu yapmanın onları finansal olarak nasıl etkileyebileceğinden haberdar olmalıdır.

## HASTA VE BAKICI YÜKÜ

Birden fazla tedavinin eş zamanlı kullanımının hasta sonuçları üzerindeki etkisini anlamanın yanı sıra, hastaların ve bakıcıların günlük yaşamları üzerindeki etkiyi değerlendirme ve dengeleme ihtiyacı da vardır. Kombinasyon tedavisi yaklaşımına ilişkin olarak doz uygulama, tedavi programları ve uygulama yolu değerlendirilmelidir. Tedavilerin eklenmesi, okul veya işten geri kalmak da dahil olmak üzere aileler üzerinde ek yüke neden olabilir. Ayrıca, tek bir tedavi için gerekli olanın dışında, kombinasyon tedavilerinin gerektirebileceği genişletilmiş güvenlik izlemesi ile ilişkili olarak aileler üzerine binebilecek ek yük potansiyeli de vardır. Bir kombinasyon yaklaşımı izlerken, bu hususlar değerlendirilmelidir.

## TEK İLAÇ ONAYI ALMA ÖNCELİĞİ SONUÇ

Son olarak, kombinasyon için değerlendirilmekte olabilecek tedaviler geliştiren şirketler için potansiyel maliyetler ve lojistik engeller dahil olmak üzere ilave karmaşıklıklar olacağını bilmek önemlidir. Yukarıda açıklandığı üzere klinik öncesi verilerin geliştirilmesi, gerekli klinik testlerin yürütülmesi, düzenleyici incelemelerin yapılması ve ticarileştirme ve geri ödeme faaliyetlerinin ilerletilmesi için önemli ek gereklilikler, bir şirketin karar verme süreciyle ilgilidir. Kombinasyon için değerlendirilen ilaçlar iki veya daha fazla farklı şirketin ürünleri olduğunda, bu konular daha karmaşık hale gelir ve sonuç olarak şirketler arası işbirliği gerekir.

Mevcut bakım standardının onaylı SMN-artırıcı ilaçların kullanımını içerdiği SMA'da, yeni SMN-artırıcı ilaçlar geliştiren sponsorların bileşikleri için tek ajan onayını güvenceye almaya öncelik vermesi mantıklıdır. Başka mekanizmalara sahip ilaç geliştiren şirketlerin, önce tek ajan için onay alıp almayacağını veya çalışmalarını, hâlihazırda SMN-artırıcı ilaç kullanan hastaları içerecek tarzda nasıl uygun şekilde tasarlayacağını düşünmesi gerekecektir. Onaylı tedavileri farklı bir etki mekanizmasına dayanan yeni ajanlarla birleştirerek bakım standartlarından yararlanmaya yönelik bu yaklaşımlar, çok sayıda klinik çalışma aracılığıyla standart kemoterapi ile karşılaştırmalı olarak iki ve üç ilaç kombinasyonunun etkisinin değerlendirildiği onkoloji ortamında sıklıkla görülmektedir.

Cure SMA, kombinasyon halinde veya tek başına semptomatik hastalar için fayda sağlayacak tedaviler geliştirmek amacıyla SMN'nin ötesinde yeni hedefler bulma stratejik amacına sahiptir. Bu hedefin peşinden giderken, bu Topluluk Beyanında tartışılan tüm unsurları dikkate alacağız. Bu hususları özetleyerek hastaların, ailelerin ve bakıcıların potansiyel seçenekleri daha iyi anlamalarına ve bazı önemli sorunları değerlendirmelerine yardımcı olmayı amaçlıyoruz.

SMA için yeni tedavilere yol açan bilimsel ve klinik gelişmeler, SMA hastaları için karşılanmamış önemli ihtiyaçlar olsa bile topluluğumuz için iyileştirilmiş sonuçlar ve anlamlı umutlar sağlamaktadır. Anlaşılacağı üzere, daha da fazla ilerleme için bu ilaçları birleştirerek, hastalığın tüm aşamaları ve her yaştaki hasta için sonuçları iyileştirerek bu yeni tek ajanlardan yararlanma fırsatları hakkında sorular mevcuttur. Yukarıda açıklandığı gibi SMA için bu fırsatları ele almak amacıyla kombinasyon tedavisi yaklaşımları geliştirme çabaları güçlü bir bilimsel gerekçeye dayanmalı ve güvenliliği ve etkililiği değerlendirmek için klinik çalışmalar bağlamında takip edilmelidir.

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

# CURE SMA



Cure SMA, kâr amacı gütmeyen bir kuruluştur ve SMA arařtırmalarını ilerletmek, etkilenen bireyleri/bakıcıları desteklemek ve kamu ve profesyonel toplulukları SMA hakkında eęitmek için birlikte çalışan dünya çapındaki en büyük aile, klinisyen ve arařtırma bilim insanları aęıdır.

Cure SMA, tarafsız destek kaynaęıdır. SMA ve sevdikleri ile yařayan tüm bireylere yardımcı olmak için buradayız ve belirli seęimlere veya kararlara taraf olmayız. Bireyler ve bakıcılar kendi durumları için en iyi olan řey konusunda kendi kiřisel inançlarıyla tutarlı olarak farklı seęimler yaparlar. Ebeveynler ve dięer önemli aile üyeleri, bu konulardaki duygularını anlatabilmeli ve SMA bakım ekibine sorular sorabilmelidir. Bu tür kararlar hafife alınmamalı ve tüm seęenekler dikkatlice deęerlendirilmeli ve tartılmalıdır. SMA ile ilgili tüm seęenekler son derece kiřiseldir ve kiřisel deęerlerin yanı sıra her birey ve bakıcıları için en iyi olanı yansıtmalıdır.



**Cure SMA size destek olmak için burada. Öğrenmeye devam etmek, için lütfen mevcut Care Series kitapçıklarına bakın:**

- Solunumun Temelleri
- Bakım Seęenekleri
- SMA'nın Genetięi
- Kas-iskelet Sistemi
- Beslenme Temel Bilgileri
- SMA'yı Anlama



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



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



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



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



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