



CURE SMA

CÂN NHẮC KHOA HỌC ĐỐI VỚI KẾT HỢP THUỐC

BÁO CÁO NÀY ĐƯỢC LẬP VỚI SỰ HỢP TÁC CỦA CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION.

CÁC THÀNH VIÊN CỦA CURE SMA INDUSTRY COLLABORATION BAO GỒM AVEXIS INC, MỘT CÔNG TY NOVARTIS, ASTELLAS PHARMA INC, BIOGEN, CYTOKINETICS INC, GENENTECH/ROCHE PHARMACEUTICALS VÀ SCHOLAR ROCK.



Make today a
breakthrough.

TỔNG QUAN VÀ MỤC ĐÍCH

BỆNH TEO CƠ TỦY

Bệnh teo cơ tủy (spinal muscular atrophy, SMA) là một căn bệnh lấy đi sức mạnh thể chất của bệnh nhân bằng cách tác động đến các tế bào thần kinh vận động trong tủy sống, làm suy giảm khả năng đi lại, ăn uống hoặc hít thở. SMA ảnh hưởng đến khoảng 1/11,000 trẻ sơ sinh và cứ 50 người Mỹ thì có 1 người mang gen bệnh.

Bất chấp tác động khủng khiếp của căn bệnh này, giờ đây chúng ta đã có lý do để hy vọng. Nhờ sự tận tâm của cộng đồng cũng như trí tuệ của các nhà nghiên cứu, giờ đây đã có nhiều phương pháp điều trị được Cục Quản lý Thực phẩm và Dược phẩm (Food and Drug Administration, FDA) Hoa Kỳ phê duyệt mà mục tiêu là di truyền học cơ sở của SMA.

Nhưng công việc của chúng ta chưa hoàn tất. Chúng ta cần phát triển và triển khai các liệu pháp và cách tiếp cận điều trị khác mà thúc đẩy hơn nữa các bước đột phá, đồng thời tiếp tục thay đổi tiến triển của SMA cho mọi người bị ảnh hưởng, từ trẻ sơ sinh đến người lớn, cho đến khi chúng ta tìm ra cách chữa khỏi căn bệnh này.

Với những phương pháp điều trị mới cho SMA, mọi người sẽ hỏi: “Liệu kết hợp những liệu pháp này có thể đem lại kết quả khả quan hơn không?” Câu hỏi này đặc biệt xác đáng vì các liệu pháp đơn lẻ có thể tác động đến từng bệnh nhân theo nhiều cách khác nhau do nhiều yếu tố – trong đó có độ tuổi hiện tại của cha mẹ, độ tuổi bắt đầu điều trị, loại và giai đoạn bệnh, cũng như độ nặng của các triệu chứng.

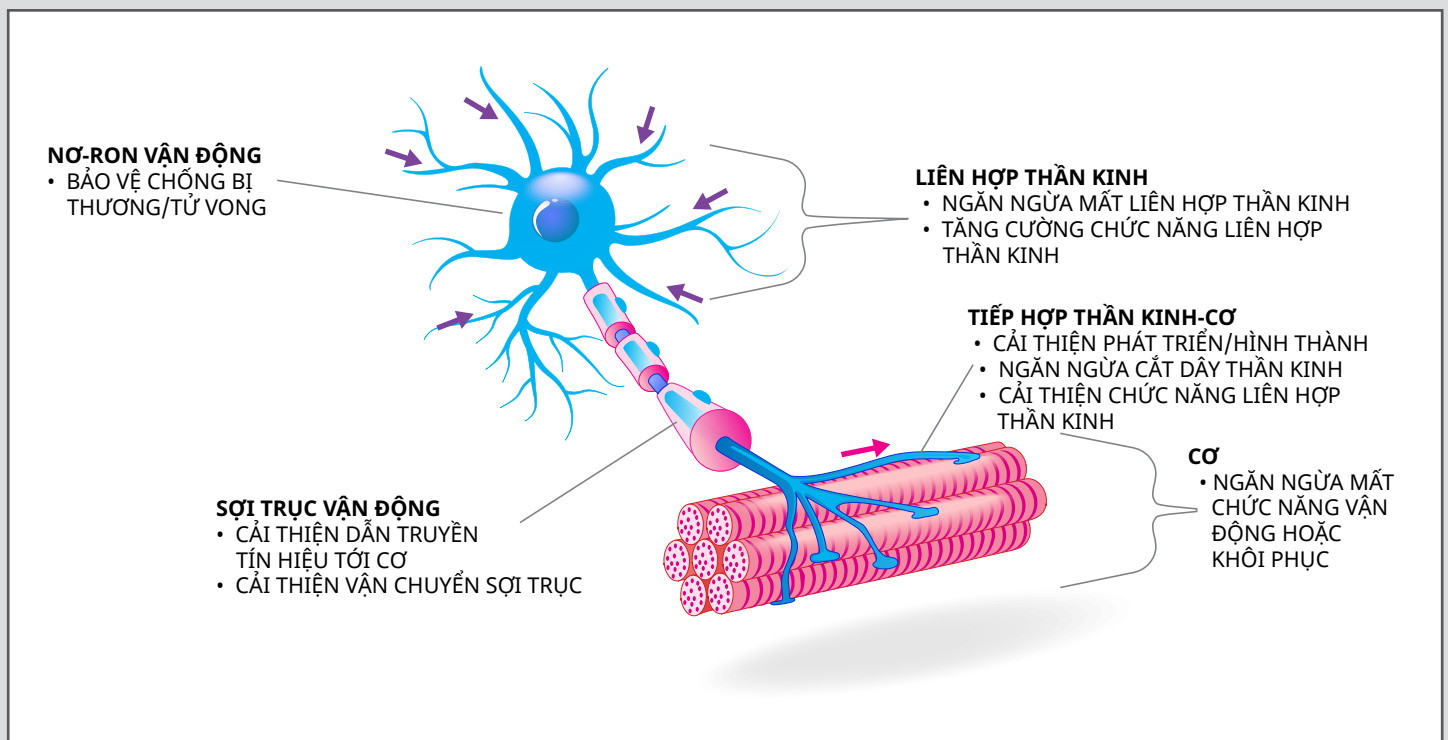
Cure SMA đã lập Báo cáo cộng đồng này để các gia đình và người chăm sóc hiểu rõ hơn chủ đề phức tạp về việc kết hợp các phương pháp điều trị, bao gồm cả những lợi ích và giới hạn có thể có. Với nỗ lực này, chúng tôi hy vọng sẽ tạo ra nền móng để bệnh nhân và gia đình có thể hợp tác với các bác sĩ của họ nhằm mục đích đánh giá và kiên trì theo phương án điều trị tối ưu. Như thường lệ, Cure SMA khuyên bệnh nhân nên tham khảo ý kiến các nhà cung cấp dịch vụ chăm sóc sức khỏe của họ về bất kỳ cân nhắc hay quyết định điều trị nào.

ĐIỀU TRỊ SMA

CÓ TIẾN BỘ NHƯNG VẪN CÒN NHU CẦU CHƯA ĐƯỢC ĐÁP ỨNG

Có nhiều cách tiếp cận đang được khai thác để điều trị SMA. Trong đó bao gồm những nỗ lực để tăng lượng protein nơ-ron vận động sinh tồn (survival motor neuron, SMN) trong cơ thể bằng cách thay thế hoặc sửa chữa gen SMN1 bị lỗi hoặc điều chỉnh “gen dự phòng” SMN2 hoạt động kém. Đây là kiểu trị liệu “phụ thuộc vào SMN”. Cách tiếp cận thứ hai thường được gọi là “không phụ thuộc vào SMN” nhằm mục tiêu đến các đường dẫn, hệ thống và quá trình khác bên trong cơ thể. (Xem Hình 1, Bảng 1)

HÌNH 1: CÁC ĐIỂM KHẢ THI CỦA BIỆN PHÁP CAN THIỆP TRỊ LIỆU ĐÃ XÁC ĐỊNH



Nơ-ron vận động dưới: tế bào thần kinh có thân tế bào trong tủy sống và các sợi trục nhô ra bên ngoài tủy sống để phân bố các dây thần kinh và điều khiển cơ. Mất nơ-ron vận động dưới được coi là dấu hiệu đặc trưng của SMA. **Sợi trục vận động:** nơ-ron dài, mảnh, nhô ra thực hiện các xung điện để truyền thông tin đến các nơ-ron khác hoặc cơ. **Liên hợp thần kinh:** một cấu trúc cho phép nơ-ron chuyển tiếp tín hiệu điện hoặc hóa học tới một nơ-ron khác hoặc tới tế bào thực thi mục tiêu. **Tiếp hợp thần kinh-cơ:** liên hợp thần kinh hóa học được hình thành từ tiếp xúc giữa một nơ-ron vận động và một sợi cơ. Tại tiếp hợp thần kinh-cơ, nơ-ron vận động có thể dẫn truyền tín hiệu tới sợi cơ, khiến cơ co thắt. **Cơ:** chứa các sợi protein gồm sợi actin và sợi myosin trượt qua nhau tạo ra co thắt làm thay đổi cả chiều dài và hình dáng của các tế bào cơ tạo ra lực và chuyển động.

BẢNG 1: CÁC PHƯƠNG PHÁP TRỊ LIỆU

CÁC PHƯƠNG PHÁP TRỊ LIỆU PHỤ THUỘC VÀO SMN	CÁC PHƯƠNG PHÁP TRỊ LIỆU KHÔNG PHỤ THUỘC VÀO SMN
Liệu pháp gen Thay thế gen SMN1 bị thiếu qua véc-tơ vi-rút	Bảo vệ thần kinh Bảo vệ chống tổn thương hoặc thoái hóa thần kinh
Kích hoạt trình tự khởi đầu phiên mã SMN2 Kích gen SMN2 được “kích hoạt” nhiều hơn, tạo ra thêm protein có đầy đủ chức năng	Tăng cường cơ Ngăn ngừa mất chức năng vận động và khôi phục
Điều chỉnh ghép nối SMN2 Chuyển hướng ghép nối SMN2 để tạo ra thêm phiên mã có chiều dài đầy đủ chứa exon 7	Chức năng thần kinh Tăng cường dẫn truyền thần kinh

Những bước đột phá gần đây dẫn đến việc FDA phê duyệt nhiều liệu pháp đã đem lại cho cộng đồng SMA những phương án điều trị mới. Tuy nhiên, với nhiều biến số có liên quan đến SMA – trong đó có những khác biệt về độ tuổi khởi phát, độ nặng của các triệu chứng và ảnh hưởng đến các hoạt động sinh hoạt hàng ngày – những liệu pháp này có thể không phù hợp hoặc hiệu quả cho tất cả bệnh nhân và kiểu thực hiện điều trị cũng như các vấn đề an toàn có liên quan có thể đặt ra những gánh nặng đáng kể đối với bệnh nhân và gia đình họ.

Khi ngày càng có nhiều người trải nghiệm thực tế các phương pháp điều trị mới này, chúng ta sẽ tìm hiểu thêm về cơ chế hoạt động của các phương pháp điều trị này, môi trường và tình huống bệnh nào mà các phương pháp điều trị có hiệu quả nhất, cũng như những thiếu sót quan trọng vẫn tồn tại trong các phương pháp điều trị sẵn có.

Ví dụ: có vẻ như biện pháp can thiệp bằng liệu pháp có thể hiệu quả hơn khi được thực hiện ở các giai đoạn đầu của bệnh (bao gồm trước khi thấy rõ các triệu chứng). Điều này khiến bệnh nhân có bệnh tiến triển hơn còn nhiều nhu cầu không được đáp ứng. Họ có thể cần các liệu pháp nhằm mục tiêu đến các triệu chứng ngoài các liệu pháp nhằm đến tác nhân di truyền cơ sở của SMA.

Như đã được ghi chép lại trong báo cáo nổi bật của Cure SMA có tên Báo cáo về ý kiến của bệnh nhân¹ và các hoạt động khảo sát, bệnh nhân SMA có một loạt các nhu cầu y tế nghiêm trọng chưa được đáp ứng cần được giải quyết thông qua các cách tiếp cận điều trị. Trong đó bao gồm các vấn đề về hô hấp, vấn đề về ăn, mất khả năng đi lại, không thể giao tiếp và đau buồn, cũng như nhiều vấn đề khác.

Ý tưởng kết hợp các phương pháp điều trị bắt nguồn từ khả năng thấy được lợi ích gia tăng hoặc tổng hợp bằng cách giải quyết đồng thời nhiều khía cạnh của bệnh để cải thiện kết quả cho bệnh nhân. Gần đây có rất nhiều ví dụ mà trong đó, các cách tiếp cận kết hợp đã cho ra những kết quả tích cực trong nhiều bệnh nghiêm trọng, bao gồm cả vi-rút gây suy giảm miễn dịch ở người (HIV), nhiều loại bệnh ung thư và một số bệnh trạng do tác nhân di truyền nhất định.^{2, 3, 4}

Mặc dù chưa có bằng chứng thuyết phục nhưng trong cộng đồng SMA vẫn có rất nhiều người quan tâm đến việc tìm hiểu xem liệu có thể thấy được những kết quả như vậy ở bệnh nhân SMA hay không. Báo cáo này trình bày tổng quan về các cơ hội, chú ý thận trọng và giới hạn nên được cân nhắc khi đánh giá những cách tiếp cận này, bắt đầu từ việc hình thành cách hiểu rõ ràng về ý nghĩa của thuật ngữ “liệu pháp kết hợp”.

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>

THUẬT NGỮ “LIỆU PHÁP KẾT HỢP”

ĐƯỢC ĐỊNH NGHĨA CHO SMA

Có thể sử dụng cụm từ “liệu pháp kết hợp” cho nhiều ý nghĩa trong các bệnh và trong nhiều tình huống khác nhau. Đôi khi, thuật ngữ này được dùng để mô tả việc kết hợp nhiều cách tiếp cận điều trị. Ví dụ: trường hợp này diễn ra trong điều trị bệnh ung thư khi kết hợp hóa trị với xạ trị và/hoặc phẫu thuật. Cụm từ “liệu pháp kết hợp” cũng có thể mô tả quá trình sử dụng một số loại thuốc theo trình tự hoặc luân phiên, như trong trường hợp một số bệnh ung thư khi liệu pháp miễn dịch được sử dụng đầu tiên để kích hoạt hệ miễn dịch của bệnh nhân và ngay sau đó tiến hành hóa trị hoặc cho dùng chất trị liệu mục tiêu để có “kết hợp hiệu quả”.

Trong báo cáo này, chúng tôi định nghĩa “liệu pháp kết hợp” là “Hai hoặc nhiều chất trị liệu (thường là thuốc hoặc chế phẩm sinh học) – phát huy công dụng thông qua cơ chế hoạt động giống hoặc khác nhau – được sử dụng đồng thời”. Cần lưu ý rằng một số thuốc có thể có tác dụng trong khoảng thời gian dài sau khi dùng, ví dụ như liệu pháp thay thế gen. Định nghĩa “sử dụng đồng thời” này bao hàm các thuốc có thể chỉ sử dụng một lần nhưng vẫn có tác dụng sinh học đối với bệnh nhân.

CÁC CÁCH TIẾP CẬN ĐIỀU TRỊ KẾT HỢP

TỔNG QUAN

Trong cộng đồng SMA, ngày càng có nhiều người quan tâm liệu pháp kết hợp có thể cải thiện kết quả hay không trong bối cảnh thành công khi kết hợp các liệu pháp trong điều trị những bệnh khác. Ngày càng có nhiều bằng chứng về thành công của các cách tiếp cận kết hợp trong điều trị bệnh nặng, bao gồm cả trường hợp sử dụng thuốc kháng HIV AZT (azidothymidine) để điều trị HIV/Hội chứng suy giảm miễn dịch mắc phải (AIDS) ⁵ và các phác đồ hóa trị dùng nhiều thuốc như R-CHOP (rituximab [Rituxan], cyclophosphamide, doxorubicin hydrochloride, vincristine [Oncovin], prednisolone) để điều trị u lympho. ⁶

Ngoài ra, trong lĩnh vực nghiên cứu ung thư, các tiêu chuẩn chăm sóc cho nhiều loại u nay đã bao gồm kết hợp giữa các phương thức dựa trên thuốc, ví dụ như phác đồ điều trị kết hợp gồm liệu pháp mục tiêu và liệu pháp miễn dịch. Tiến triển này đã khiến nhiều người nhiệt tình cho rằng cách tiếp cận kết hợp có thể hiệu quả cho các bệnh trạng hiếm gặp khác, trong đó có SMA. Ví dụ: có người quan tâm đến việc xác định liệu kết hợp một thuốc tăng SMN với một thuốc tăng cường chức năng cơ hoặc bảo vệ thần kinh có thể đem lại lợi ích trị liệu lớn hơn so với khi chỉ sử dụng một trong những loại thuốc đó hay không.

Quyết định kết hợp các liệu pháp trong môi trường điều trị bất kỳ bệnh nào cũng phải được cân nhắc kỹ và được tiến hành một cách thận trọng, đồng thời phải dựa trên cơ sở khoa học chắc chắn với sự ủng hộ của bằng chứng cho thấy việc kết hợp sẽ cải thiện kết quả vượt mức rủi ro có thể gia tăng. 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/combo-cancer-therapy>

CÂN NHẮC RỦI RO VÀ LỢI ÍCH CỦA LIỆU PHÁP KẾT HỢP

Có nhiều vấn đề phải được giải quyết, bao gồm cả việc cân bằng lợi ích tiềm năng có thể thu được từ liệu pháp kết hợp, với khả năng gia tăng rủi ro an toàn. Cũng cần phải hiểu được những chi phí khác có thể phát sinh khi sử dụng nhiều liệu pháp.

Điều đặc biệt quan trọng là phải tránh giả định rằng việc kết hợp các phương pháp điều trị sẽ luôn thu được nhiều lợi ích hơn hoặc sẽ cải thiện kết quả. Trên thực tế, trong một số trường hợp, việc hợp kết hợp hai hoặc nhiều liệu pháp có thể dẫn đến giảm hiệu nghiệm và thêm tác dụng phụ bất lợi so với kết quả khi chỉ sử dụng riêng lẻ một trong những cách điều trị đó. Trong các trường hợp vùng rìa, nếu có, lợi ích và độc tính trầm trọng hơn phát sinh từ việc kết hợp các liệu pháp đã được ghi lại trong các nghiên cứu cho nhiều bệnh khác nhau, trong đó có nhiều loại bệnh ung thư và viêm khớp dạng thấp.^{8,9}

Khi đánh giá tác động tiềm tàng của cách tiếp cận liệu pháp kết hợp, các nghiên cứu lâm sàng thường so sánh kết quả từ các phương pháp điều trị kết hợp với khi chỉ sử dụng một phương pháp điều trị đơn lẻ. Các kết hợp thường được coi là thành công nếu cùng nhau tạo ra phản hồi tốt hơn so với kết quả dự kiến sẽ đạt được khi sử dụng từng phương pháp điều trị riêng lẻ. Tuy nhiên, vì các kết hợp phương pháp điều trị có thể có tác dụng cộng dồn hoặc thậm chí là tổng hợp do tương tác hóa học và sinh học của các hợp chất nên phần quan trọng nhất khi đánh giá triển vọng của cách tiếp cận đó là mức độ cải thiện kết quả của kết hợp đó.¹⁰

Đồng thời cũng phải lưu ý rằng tác dụng của liệu pháp sẽ thay đổi, tùy thuộc vào cơ chế hoạt động của thuốc. Ví dụ: đối với SMA, việc sử dụng hơn một loại thuốc nhằm đến mục tiêu tăng protein SMN có thể không có lợi ích cộng dồn nếu chỉ một loại thuốc đơn lẻ đã có thể đạt được ngưỡng cần thiết để có tác động SMN tối đa. Mặt khác, việc kết hợp thuốc tăng SMN với một loại thuốc khác (ví dụ: liệu pháp nhằm đến mục tiêu cải thiện chức năng cơ) có thể có lợi vì hai liệu pháp có thể có tác động tích cực cộng dồn.

Những cân nhắc khác đối với việc kết hợp các liệu pháp bao gồm thời điểm điều trị và tiến triển bệnh của bệnh nhân. Ví dụ: có nhiều vấn đề xác đáng cần cân nhắc về ảnh hưởng của các giai đoạn bệnh (ví dụ: giai đoạn đầu so với giai đoạn cuối) đến thành công của cách tiếp cận liệu pháp kết hợp. Vấn đề này xuất hiện thường xuyên khi cân nhắc tính hiệu quả tiềm năng của một liệu pháp (ví dụ: mọi người thường giả định là điều trị sớm hơn trong tiến trình bệnh có thể cải thiện cơ hội đạt được kết quả tốt), trong khi có những gợi ý khác liên quan đến khả năng gia tăng rủi ro và tương tác bất lợi giữa các thuốc có liên quan trong bối cảnh cụ thể của liệu pháp kết hợp.

Phần còn lại của báo cáo này sẽ trình bày chi tiết bổ sung và bối cảnh cho những cân nhắc này trong việc điều trị 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>

NHỮNG ĐIỀU CẦN CÂN NHẮC ĐỐI VỚI LIỆU PHÁP KẾT HỢP

ĐỘ AN TOÀN VÀ HIỆU LỰC

TẦM QUAN TRỌNG CỦA VIỆC ĐÁNH GIÁ RỦI RO AN TOÀN ĐỐI VỚI CÁC LIỆU PHÁP KẾT HỢP

Việc sử dụng bất kỳ loại liệu pháp nào đều gắn liền với rủi ro an toàn, đó là lý do vì sao FDA duyệt xét dữ liệu lâm sàng rất cẩn thận đối với tất cả các loại thuốc và chế phẩm sinh học mới để đảm bảo có thể sử dụng an toàn bởi đối tượng bệnh nhân dự kiến. Sau khi thuốc được bán ra thị trường, các nhà cung cấp dịch vụ chăm sóc sức khỏe thường sẽ sử dụng các thuốc này theo chỉ định trên nhãn và sẽ do dự khi kết hợp các chất đơn lẻ nếu không có bằng chứng chứng minh độ an toàn khi kết hợp.

Việc đánh giá độ an toàn khi kết hợp hai hoặc nhiều liệu pháp đã được phê duyệt cần được thực hiện trong môi trường thử nghiệm lâm sàng hoặc thông qua các quy trình và sổ đăng ký thu thập dữ liệu thế giới thực được thiết kế phù hợp, thúc đẩy tri thức về hồ sơ an toàn của riêng mỗi liệu pháp. Ví dụ: có thể có các tương tác hóa học và sinh học giữa nhiều phương pháp điều trị khi được sử dụng đồng thời. Vấn đề này đã được ghi nhận trong các trường hợp mà trong đó, tác dụng của một loại thuốc khi kết hợp nhiều loại thuốc đã thải trừ các thuốc khác được kết hợp, dẫn đến kết quả xấu đi.¹²

Cũng có khả năng tác dụng phụ đã biết của một loại thuốc đơn lẻ có thể bị thay đổi khi sử dụng loại thuốc đó theo hình thức kết hợp. Trường hợp này có thể làm trầm trọng hơn hồ sơ tác dụng phụ hoặc gây ra một tập hợp các tác dụng phụ khác.

Có nhiều bằng chứng từ các môi trường điều trị bệnh và các cách tiếp cận trị liệu khác nhau về tương tác giữa các loại thuốc,¹³ vì thế, bất kỳ cách tiếp cận nào muốn kết hợp các loại thuốc để điều trị SMA đều phải đánh giá hồ sơ an toàn và khả năng tương tác cụ thể của cách kết hợp đó. Đường dùng cũng cần được cân nhắc khi đánh giá liệu có khả năng sử dụng đồng thời hai liệu pháp một cách an toàn hay không.

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

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

CÂN NHẮC QUAN TRỌNG KHÁC

BẢO HIỂM, BỒI HOÀN VÀ KHẢ NĂNG TIẾP CẬN

Quá trình phát triển các liệu pháp kết hợp hiệu quả để điều trị SMA còn bao gồm các khía cạnh khác ngoài các chủ đề khoa học, lâm sàng và quản lý đã trình bày trên đây. Ngoài ra, cũng phải giải quyết các chủ đề quan trọng liên quan đến khả năng tiếp cận và bồi hoàn đối với các liệu pháp.

Khi đưa ra các quyết định bảo hiểm và bồi hoàn, các công ty bảo hiểm dựa vào bằng chứng được tạo ra thông qua quá trình nghiên cứu và phát triển, cũng như dữ liệu bắt nguồn từ việc sử dụng sản phẩm cho mục đích thương mại (đôi khi được gọi là dữ liệu thế giới thực). Ngoài dữ liệu từ các thử nghiệm lâm sàng, việc thu thập dữ liệu thế giới thực là một thành phần quan trọng để xác định lợi ích và rủi ro khi kết hợp thuốc. Nếu các liệu pháp đơn lẻ được kết hợp với nhau để sử dụng thì quá trình ra quyết định đó và đảm bảo bệnh nhân tiếp cận được sẽ trở nên phức tạp hơn. Bên thanh toán sẽ muốn xem bằng chứng rõ ràng về lợi ích gia tăng, cũng như độ an toàn khi sử dụng đồng thời hai hoặc nhiều phương pháp điều trị.

Ngoài độ phức tạp, các bên thanh toán khác nhau có thể diễn giải dữ liệu từ cùng một nghiên cứu theo những cách khác nhau, từ đó đưa ra những quyết định bảo hiểm khác nhau. Các gia đình đang cân nhắc thực hiện theo liệu pháp kết hợp cần nhận thức được ảnh hưởng của việc đó đến gia đình về khía cạnh tài chính.

GÁNH NẶNG ĐỐI VỚI BỆNH NHÂN VÀ NGƯỜI CHĂM SÓC

Ngoài việc hiểu được tác động tiềm tàng khi sử dụng đồng thời nhiều liệu pháp đến kết quả của bệnh nhân, cũng cần đánh giá và cân bằng tác động đến cuộc sống hàng ngày của bệnh nhân và người chăm sóc. Phải cân nhắc tất cả các vấn đề định mức liều lượng, lịch điều trị và đường dùng liên quan đến cách tiếp cận liệu pháp kết hợp. Tăng thêm liệu pháp có thể tăng thêm gánh nặng đối với các gia đình, bao gồm cả trường hợp phải nghỉ học hoặc nghỉ làm. Cũng có khả năng các gia đình phải chịu thêm gánh nặng liên quan đến việc tăng cường giám sát độ an toàn – cao hơn mức yêu cầu đối với một liệu pháp đơn lẻ – mà có thể gắn liền với các phương pháp điều trị kết hợp. Cần tính đến những cân nhắc này khi thực hiện theo cách tiếp cận kết hợp.

ƯU TIÊN XIN PHÊ DUYỆT CHO TỪNG LOẠI THUỐC

Cuối cùng, cần phải nhận thức được rằng sẽ có thêm những vấn đề phức tạp, bao gồm cả chi phí có thể phát sinh và những trở ngại trong công tác kho vận, để các công ty phát triển các liệu pháp có thể đang được cân nhắc kết hợp. Như đã trình bày trên đây, các yêu cầu bổ sung đáng kể nhằm xây dựng dữ liệu tiền lâm sàng, tiến hành thử nghiệm lâm sàng cần thiết, xin duyệt xét của cơ quan quản lý và đẩy nhanh các hoạt động thương mại hóa và bồi hoàn, tất cả đều liên quan đến quá trình ra quyết định của công ty. Những chủ đề này trở nên phức tạp hơn khi các thuốc được đánh giá để kết hợp là sản phẩm của hai hay nhiều công ty khác nhau, đòi hỏi phải có sự hợp tác cuối cùng giữa các công ty.

Đối với SMA, vì tiêu chuẩn chăm sóc hiện tại bao gồm yêu cầu sử dụng các loại thuốc tăng cường SMN được phê duyệt thì sẽ là hợp lý khi các nhà tài trợ đang phát triển các loại thuốc tăng cường SMN mới sẽ ưu tiên bảo đảm việc xin phê duyệt thuốc đơn lẻ cho hợp chất của họ. Các công ty phát triển thuốc với các kiểu cơ chế khác sẽ cần cân nhắc liệu nên xin phê duyệt thuốc đơn lẻ trước hay làm cách nào để thiết kế thử nghiệm của họ một cách thích hợp để bao gồm cả các bệnh nhân hiện đang sử dụng một loại thuốc tăng cường SMN. Những cách tiếp cận để nâng cao tiêu chuẩn chăm sóc bằng cách kết hợp các liệu pháp đã được phê duyệt với các loại thuốc mới dựa vào một cơ chế hoạt động khác này thường xuyên được thấy trong môi trường nghiên cứu ung thư, trong đó nhiều nghiên cứu lâm sàng đang đánh giá tác động khi kết hợp hai và ba loại thuốc với hóa trị tiêu chuẩn.

KẾT LUẬN

Cure SMA có mục tiêu chiến lược là tìm các mục tiêu mới ngoài SMN để phát triển các liệu pháp sẽ đem lại lợi ích cho bệnh nhân có triệu chứng, dù sử dụng kết hợp hay độc lập. Khi theo đuổi mục tiêu này, chúng tôi sẽ cân nhắc tất cả các yếu tố đã trình bày trong Báo cáo cộng đồng này. Mục tiêu của chúng tôi khi nêu lên những cân nhắc đó là để giúp các bệnh nhân, gia đình và người chăm sóc hiểu rõ hơn những tùy chọn tiềm năng và đánh giá một số vấn đề quan trọng.

Các tiến bộ về khoa học và lâm sàng dẫn đến các liệu pháp mới để điều trị SMA đang đem lại những kết quả tốt hơn và hy vọng đáng kể cho cộng đồng của chúng ta, mặc dù vẫn còn nhiều nhu cầu chưa được đáp ứng cho bệnh nhân SMA. Thật dễ hiểu khi có những câu hỏi về cơ hội tận dụng những thuốc đơn lẻ mới này bằng cách kết hợp để thúc đẩy tiến bộ hơn nữa, cải thiện kết quả cho tất cả các giai đoạn bệnh và bệnh nhân ở mọi độ tuổi. Như đã trình bày trên đây, các nỗ lực để phát triển cách tiếp cận liệu pháp kết hợp cho điều trị SMA nhằm tận dụng các cơ hội này cần được dựa trên cơ sở khoa học chắc chắn và cần được thực hiện trong bối cảnh các nghiên cứu lâm sàng để đánh giá độ an toàn và hiệu lực.

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

CURE SMA



Cure SMA là một tổ chức phi lợi nhuận và là mạng lưới lớn nhất trên thế giới gồm các gia đình, bác sĩ thăm khám và các nhà khoa học nghiên cứu cùng hợp tác nhằm thúc đẩy nghiên cứu về SMA, hỗ trợ các cá nhân/người chăm sóc bị ảnh hưởng và phổ biến kiến thức về SMA cho người dân cũng như giới chuyên môn.

Cure SMA là nguồn hỗ trợ khách quan. Chúng tôi sẵn sàng giúp đỡ tất cả những người mắc SMA và người thân của họ, đồng thời không ủng hộ bất kỳ lựa chọn hay quyết định cụ thể nào. Mỗi cá nhân và người chăm sóc đều có lựa chọn riêng về những gì phù hợp nhất với hoàn cảnh, phù hợp với đức tin cá nhân của họ. Cha mẹ và thành viên gia đình quan trọng khác sẽ được giải bày cảm xúc của họ về những chủ đề này và đặt câu hỏi cho đội ngũ chăm sóc SMA của họ. Các quyết định đó sẽ không được đưa ra một cách hời hợt và tất cả các phương án sẽ được cân nhắc và đánh giá cẩn thận. Mọi lựa chọn liên quan đến SMA đều rất riêng tư và sẽ phản ánh các giá trị của mỗi người, cũng như những gì phù hợp nhất cho mỗi cá nhân và người chăm sóc của họ.



Cure SMA sẵn sàng hỗ trợ quý vị. Để tiếp tục tìm hiểu, vui lòng xem các tập sách hiện có trong Chuỗi chăm sóc:

- Quy tắc hít thở cơ bản
- Lựa chọn chăm sóc
- Di truyền học về SMA
- Hệ thống cơ xương
- Quy tắc dinh dưỡng cơ bản
- Tìm hiểu về SMA



twitter.com/cureSMA



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



facebook.com/cureSMA



youtube.com/user/FamiliesofSMA1



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



Cập nhật gần nhất vào tháng 3 năm 2020

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