



CURE SMA

TẬP SÁCH TRONG CHUỖI CHĂM SÓC

NGUỒN THÔNG TIN VÀ HỖ TRỢ CHO NHỮNG NGƯỜI MẮC BỆNH TEO CƠ TỦY VÀ GIA ĐÌNH HỌ.

TÌM HIỂU VỀ SMA



Make today a
breakthrough.

BỆNH TEO CƠ TỦY

Bệnh teo cơ tủy (spinal muscular atrophy, SMA) là bệnh di truyền. Bệnh này lấy đi sức mạnh thể chất của bệnh nhân bằng cách tác động đến các dây thần kinh vận động trong tủy sống, khiến cơ yếu và teo (hao mòn) đi. Các tế bào thần kinh vận động này điều khiển các cơ được dùng để hít thở, bò, đi lại, điều khiển đầu và cổ và nuốt.

DỮ KIẾN THỰC TẾ:

- SMA là một bệnh rối loạn hiếm gặp ảnh hưởng đến khoảng 1/11,000 trẻ sơ sinh.
- Cứ 50 người thì có khoảng 1 người mang một gen không hoạt động gây bệnh SMA và không có triệu chứng.
- SMA là một bệnh rối loạn gen lặn theo nhiễm sắc thể thường.
- Một người bị ảnh hưởng có 2 gen không hoạt động gây bệnh SMA, trong đó một gen từ cha và một gen từ mẹ.

Nguyên nhân gây ra SMA là do đột biến trong gen nơ-ron vận động sinh tồn 1 (SMN1). Ở người khỏe mạnh, gen này tạo ra một protein có vai trò thiết yếu đối với hoạt động của các dây thần kinh điều khiển cơ. Nếu không có protein này, các tế bào thần kinh này không thể hoạt động bình thường và cuối cùng chết đi, dẫn đến yếu sức và đôi khi là yếu cơ chí mạng. Ở SMA, một gen dự phòng có tên là gen nơ-ron vận động sinh tồn 2 (SMN2) cũng tạo ra protein SMN nhưng với hiệu suất kém hơn SMN1. Số bản sao SMN2 có ảnh hưởng đến chức năng vận động, theo đó, số bản sao gen SMN2 ít hơn thì sẽ yếu hơn. Nhưng vẫn có trường hợp ngoại lệ.

SMA là một bệnh rối loạn hiếm gặp ảnh hưởng đến khoảng 1/11,000 trẻ sơ sinh. Cứ 50 người thì có khoảng 1 người mang một gen không hoạt động gây bệnh SMA và không có triệu chứng. SMA là một bệnh rối loạn gen lặn theo nhiễm sắc thể thường. Điều này có nghĩa là một người bị ảnh hưởng có 2 gen không hoạt động gây bệnh SMA, trong đó một gen từ cha và một gen từ mẹ.

SMA ảnh hưởng đến các cơ trong khắp cơ thể. Trong các loại SMA thường gặp nhất, chân sẽ yếu hơn tay. Đồng thời, các cơ để ăn, nuốt và hít thở đều yếu, điều này có thể gây khó khăn cho việc ăn uống và tăng cân. Do các cơ hít thở yếu nên cũng có thể khó ho và hít thở sâu, đặc biệt là trong khi ngủ. Khi bị cảm lạnh hoặc nhiễm trùng đường hô hấp, người mắc SMA sẽ có nguy cơ bị viêm phổi cao hơn và có thể bị khó thở do yếu cơ và mệt hơn. Tuy nhiên, khả năng tư duy của não bộ và khả năng cảm nhận động chạm và cơn đau của cơ thể không bị ảnh hưởng.

Người mắc SMA thường được chia thành bốn loại dựa trên độ tuổi bắt đầu xuất hiện triệu chứng và mức phát triển mốc vận động cao nhất. Người mắc SMA thường bị mất chức năng vận động tăng dần, bắt đầu từ khi xuất hiện các triệu chứng.



SMA loại 1

Khởi phát: Trước 6 tháng tuổi
Mốc quan trọng: Không ngồi được



SMA loại 2

Khởi phát: 6 - 18 tháng
Mốc quan trọng: Ngồi được, không đi được



SMA loại 3

Khởi phát: Trẻ sau 12 tháng tuổi
Mốc quan trọng: Đi được



SMA loại 4

Khởi phát: Sau 30 tuổi
Mốc quan trọng: Bình thường

SMA ảnh hưởng khác nhau đến mỗi người. Các triệu chứng bắt đầu khi còn nhỏ có thể có nhiều độ nặng và tốc độ tiến triển khác nhau. Một vài khả năng có thể được cải thiện và một vài khả năng khác có thể bị mất đi. Một số người mắc SMA có thể phát bệnh khi đã trưởng thành với các triệu chứng nhẹ, trong trường hợp này, bệnh có thể tiến triển rất chậm. Kể từ khi các phương pháp điều trị SMA được triển khai trong những năm gần đây, cách phân loại này đang thay đổi và tiến triển bệnh cũng đang thay đổi. Điều này có nghĩa là trải nghiệm SMA phụ thuộc vào thời gian chẩn đoán, các yếu tố di truyền, có điều trị hay không và nếu có thì bắt đầu khi nào, cũng như độ nặng của các triệu chứng SMA khi tiến hành điều trị. Chẩn đoán và điều trị sớm sẽ cho kết quả tốt hơn. Việc quản lý dịch vụ chăm sóc và kiểm soát triệu chứng cho SMA được dựa trên mức độ hoạt động gồm người không ngồi được, người ngồi được và người đi được.

PHÂN LOẠI SMA TRƯỚC KHI CÓ PHƯƠNG PHÁP ĐIỀU TRỊ SMA (2016)

LOẠI	TUỔI KHỞI PHÁT TRIỆU CHỨNG	TỶ LỆ MỠI MẮC	TỶ LỆ HIỆN MẮC	CHỨC NĂNG VẬN ĐỘNG TỐI ĐA ĐẠT ĐƯỢC	SỐ BẢN SAO SMN2	TUỔI THỌ DỰ KIẾN
0	TRONG TỬ CUNG	<1%	<1%	KHÔNG CÓ; CỬ ĐỘNG THAI NHI GIẢM DẦN; CO CỨNG KHI SINH	1	Ngày-tuần
1	<6 THÁNG	60%	15%	KHÔNG TỰ NGỒI ĐƯỢC	1,2,3	<2 tuổi
2	6-18 THÁNG	25%	70%	TỰ NGỒI ĐƯỢC	2,3,4	20-40 tuổi
3	1,5-10 TUỔI	15%	15%	ĐI BỘ, SAU ĐÓ KÉM DẦN	3,4,5	Bình thường
4	>35 TUỔI	<1%	<1%	SUY GIẢM CHẬM	4,5	Bình thường

Bảng 1 nêu những điểm nổi bật về phân loại lâm sàng của liệu pháp điều chỉnh trước gen cho SMA, đối chiếu loại SMA với độ tuổi khởi phát triệu chứng và chức năng vận động tối đa đạt được.

Số in đậm cho biết số bản sao SMN2 thường gặp hơn cho mỗi loại.

Bảng đã điều chỉnh từ SMA Europe và TREAT-NMD (2016). Tài liệu hướng dẫn nhanh để chuẩn bị sẵn sàng thử nghiệm lâm sàng đối với bệnh teo cơ tủy (SMA) tại cuộc họp của SMA Europe, TREAT-NMD và Cơ quan Quản lý Thuốc Châu Âu. London: Cơ quan Quản lý Thuốc Châu Âu. *

*https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/briefing-document-clinical-trial-readiness-spinal-muscular-atrophy-sma-sma-europe-treat-nmd-european_en.pdf

NGƯỜI KHÔNG NGỒI ĐƯỢC/LOẠI 1

Trong khi tìm hiểu về các nhóm chức năng, hãy nhớ rằng các nhóm này có thể thay đổi theo thời gian tương ứng với các phương pháp điều trị SMA. Người không thể tự ngồi được được phân loại theo chức năng là người không ngồi được. Người không ngồi được chịu ảnh hưởng nặng nhất do SMA. Người không ngồi được khởi phát triệu chứng sớm khi được 6 tháng tuổi hoặc sớm hơn và gần như chắc chắn có ít bản sao gen SMN2 hơn.

Người mắc SMA không thể ngồi có thể có những triệu chứng sau:

- Mệt mỏi.
- Khả năng điều khiển đầu kém hoặc không có.
- Cử động tay và chân kém.
- Khóc không ra tiếng.
- Khó nói.
- Xoắn lười (rung cơ cục bộ).
- Đổ mồ hôi trong khi ngủ.
- Khó ăn và nuốt. Có thể sặc nghẹn hoặc hít phải đồ ăn hoặc đồ uống. Sau khi ăn hoặc uống, có thể thở có tiếng ồ ồ hoặc nấc trong họng và ngực. Trường hợp này sẽ sử dụng ống nuôi ăn để cung cấp dinh dưỡng một cách an toàn.
- Táo bón.
- Ngực nhỏ.
- Thở bằng bụng nhanh.
- Ho yếu.
- Cơ hít thở yếu. Có sẵn thiết bị để hỗ trợ thở và ho, đồng thời để giám sát hơi thở.
- Vẹo xương sống (vẹo cột sống).
- Trật khớp háng.
- Xương yếu, có thể dễ bị gãy. Khả năng hấp thu vitamin D và canxi không được tối ưu.

NGƯỜI NGỒI ĐƯỢC/LOẠI 2

Người có thể ngồi thẳng lưng và không cần đỡ được phân loại theo chức năng là người ngồi được. Một số người có thể cần hỗ trợ để chuyển sang tư thế ngồi.

Người mắc SMA có thể ngồi mà không cần hỗ trợ nhưng không đi được cũng có thể có các triệu chứng:

- Mệt mỏi.
- Cử động tay và chân kém.
- Xoắn lười (rung cơ cục bộ).
- Đổ mồ hôi trong khi ngủ.
- Khó ăn đủ đồ ăn qua đường miệng để duy trì cân nặng và tăng trưởng. Trường hợp này có thể cần ống nuôi ăn (tạm thời hoặc lâu dài).
- Táo bón.
- Ngực nhỏ hơn.
- Khó ho, đặc biệt là trong khi bị cảm lạnh do mệt mỏi và yếu hơn.
- Cơ hít thở yếu. Có sẵn thiết bị để hỗ trợ thở và ho, đồng thời để giám sát hơi thở.
- Vẹo xương sống (vẹo cột sống).
- Trật khớp háng.
- Xương yếu, có thể dễ bị gãy. Khả năng hấp thu vitamin D và canxi không được tối ưu.
- Sử dụng xe lăn, dù là xe điện hay xe dùng tay.



NGƯỜI ĐI ĐƯỢC/LOẠI 3

Người mắc SMA có khả năng đứng và đi lại, dù độc lập hay cần được hỗ trợ, đều được gọi là người đi được.



Những người đi được có thể có các triệu chứng:

- Mệt mỏi.
- Khó đi lại, chạy nhảy và leo cầu thang. Một số người sẽ mất khả năng đi lại độc lập, trong khi những người khác có thể duy trì khả năng đi lại dù có sử dụng thuốc điều trị SMA hay không.
- Vẹo xương sống (vẹo cột sống).
- Yếu cơ hít thở trong khi ốm bệnh hoặc liên quan đến mất cảm giác. Có thể hít thở yếu hơn khi trưởng thành.
- Rung và co giật (chứng rung) ngón tay và bàn tay và các cơ khác.
- Các triệu chứng đau nhức và sử dụng quá nhiều khớp và cơ.
- Xương yếu, có thể dễ bị gãy. Tối ưu hóa vitamin D và canxi có thể giúp xương chắc khỏe hơn.

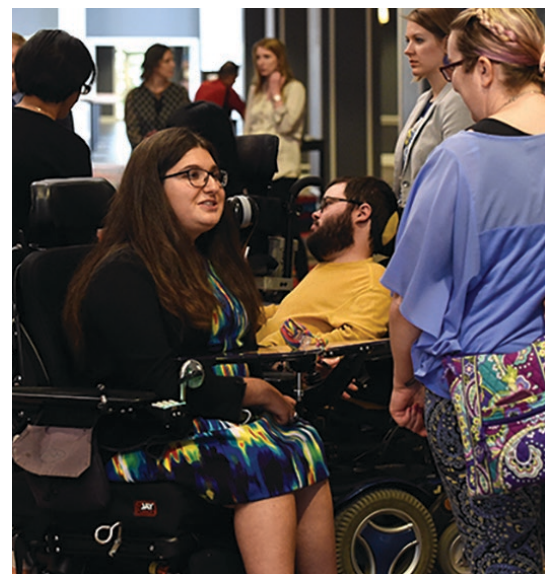


KHỞI PHÁT KHI ĐÃ TRƯỞNG THÀNH/LOẠI 4

Đây là những người mắc SMA nhưng xuất hiện triệu chứng sau 18 tuổi. Các triệu chứng thường gặp nhất bắt đầu sau 35 tuổi. Ảnh hưởng đến hít thở, hệ cơ-xương và dinh dưỡng cá nhân thường ở mức nhẹ. Yếu vận động thường tiến triển chậm hơn.

Người mắc SMA khởi phát khi đã trưởng thành có thể có các triệu chứng:

- Mệt mỏi.
- Rung hoặc co giật (chứng rung) ngón tay và bàn tay và các cơ khác.
- Cơ khó chịu và đau nhức.
- Xương yếu, có thể dễ bị gãy. Tối ưu hóa vitamin D và canxi cũng có thể giúp xương chắc khỏe hơn.



CHẨN ĐOÁN

Người mắc SMA có thể được chẩn đoán theo những cách sau đây:

- Xét nghiệm di truyền trước khi sinh.
- Sàng lọc sơ sinh.
- Triệu chứng/biểu hiện lâm sàng được xác nhận thông qua xét nghiệm di truyền.

Chẩn đoán sớm sẽ tạo điều kiện để điều trị sớm. Với khả năng tiến hành xét nghiệm di truyền trước khi sinh ngày càng tăng, sẽ ngày càng có nhiều người được chẩn đoán trước khi sinh.

Kể từ năm 2018, chính quyền liên bang Hoa Kỳ đã thêm SMA vào Danh sách Sàng lọc Thống nhất Được khuyến nghị (Recommended Uniform Screening Panel, RUSP), một danh sách gồm 35 bệnh trạng chính được khuyến nghị tiến hành sàng lọc cho tất cả trẻ sơ sinh ở Hoa Kỳ. Mỗi tiểu bang sẽ quyết định những bệnh trạng được thêm vào danh sách sàng lọc sơ sinh. Sàng lọc sơ sinh có kết quả dương tính cho SMA sẽ dẫn đến xét nghiệm di truyền theo dõi. Sàng lọc sơ sinh tạo điều kiện để điều trị sớm cho SMA, trước khi xuất hiện triệu chứng. Cần lưu ý là có tới 5% người mắc SMA sẽ không được xác định thông qua sàng lọc sơ sinh đối với SMA. Nếu nghi ngờ mắc SMA và xét nghiệm SMN1 cho thấy một bản sao SMN1 thì bác sĩ có thể chỉ định giải trình tự gen SMA để xét nghiệm thêm đối với SMA.

Trong trường hợp không sàng lọc sơ sinh hoặc sàng lọc không có kết quả dương tính thì SMA được chẩn đoán dựa trên các dấu hiệu và triệu chứng yếu cơ. Có thể nghi ngờ SMA khi bệnh nhân được ghi nhận là yếu hoặc chậm hay mất mốc phát triển quan trọng. Ở trẻ em, các mốc phát triển quan trọng này bao gồm: ngẩng đầu, lẫy, tự ngồi, đứng hoặc đi muộn hơn dự kiến. Ở thanh thiếu niên và người lớn, có thể nghi ngờ SMA khi mất chức năng vận động. Sau khi xem xét kỹ bệnh sử và tiến hành khám sức khỏe, nhà cung cấp dịch vụ chăm sóc sức khỏe cần chỉ định xét nghiệm di truyền SMA thông qua mẫu máu và có thể giới thiệu bệnh nhân đến thăm khám với bác sĩ chuyên khoa thần kinh-cơ.

Trong một số trường hợp sẽ khó chẩn đoán SMA, đặc biệt nếu bệnh ở thể nhẹ hơn. Các triệu chứng tương tự có thể giống với các bệnh rối loạn thần kinh khác.



Quy trình sau khi được chẩn đoán

SMA ở mỗi người sẽ khác nhau. Cần phải nhớ điều này khi cân nhắc các khía cạnh khác nhau của việc chăm sóc. Sẽ không có hai người nào bị bệnh giống hệt nhau. Phác đồ điều trị và kế hoạch chăm sóc phải được tùy chỉnh riêng để đáp ứng nhu cầu của từng người. Có thể thực hiện được việc này với một đội ngũ chăm sóc liên lĩnh vực tại một trung tâm chăm sóc chuyên khoa.

Cũng cần lưu ý rằng SMA không ảnh hưởng đến khả năng tư duy, cảm nhận và học tập. Do đó, người mắc SMA sẽ có khả năng nhận thức bình thường. Khuyến khích bệnh nhân tham gia càng nhiều hoạt động phù hợp với lứa tuổi và tình trạng phát triển càng tốt, với những điều chỉnh mỗi khi cần thiết.

Các tùy chọn trị liệu

Có hai cách điều trị SMA mà các nhà nghiên cứu đang xem xét. Một cách để điều trị SMA là giải quyết nguyên nhân cơ sở gây bệnh bằng cách nhắm mục tiêu đến gen và gia tăng lượng protein nơ-ron vận động sinh tồn (SMN) trong cơ thể. Cách tiếp cận này được gọi là cách tiếp cận “dựa trên SMN” hay “tăng cường SMN”.

Các phương pháp điều trị SMA thông qua tăng cường SMN hiện tại đã được Cục Quản lý Thực phẩm và Dược phẩm (Food and Drug Administration, FDA) Hoa Kỳ phê duyệt bao gồm:

- Evrysdi (risdiplam) là một loại thuốc trọng lượng phân tử nhỏ được cho dùng hàng ngày qua đường uống hoặc qua ống thông dạ dày, có tác dụng thúc đẩy gen SMN2 tạo ra nhiều protein SMN hoàn chỉnh hơn.
- Spinraza (nusinersen) là thuốc tiêm, nhằm đến mục tiêu là gen SMN2, có tác dụng thúc đẩy gen này tạo ra nhiều protein hoàn chỉnh hơn.
- Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi) là liệu pháp gen, cung cấp DNA bổ sung và độc lập thay thế chức năng của gen SMN1 bị thiếu hoặc đột biến.

Một đề tài chung cho tất cả các liệu pháp tăng cường SMN là điều trị sớm hơn sẽ tương ứng với kết quả tốt hơn.

Các loại liệu pháp khác được thực hiện trong các thử nghiệm lâm sàng hoặc thậm chí ở các giai đoạn nghiên cứu sớm hơn và các loại liệu pháp này có thể được cung cấp trong tương lai. Do mất protein nơ-ron vận động sinh tồn cũng ảnh hưởng đến một số hệ thống, đường dẫn và quá trình khác trong cơ thể nên một cách khác để điều trị SMA là trực tiếp xử lý vấn đề của các hệ thống, đường dẫn và quá trình khác đó. Những cách tiếp cận này thường được gọi là cách tiếp cận “phi SMN”. Một số ví dụ về cách tiếp cận này là các loại thuốc tăng cường sức khỏe cơ hoặc chức năng của nơ-ron vận động.

TRÒ CHUYỆN

Điều quan trọng là phải hợp tác sát sao với đội ngũ chăm sóc sức khỏe của quý vị. Trò chuyện về việc chăm sóc và điều trị cho SMA và những kết quả khả thi đôi khi có thể là việc khó khăn. Việc này là một phần trong quá trình tìm hiểu càng nhiều càng tốt về SMA để quý vị có thể đưa ra những quyết định phù hợp nhất. Vui lòng đặt câu hỏi hoặc thảo luận về những mối lo ngại của quý vị với đội ngũ chăm sóc sức khỏe của quý vị.

NHỮNG LĨNH VỰC CHÍNH TRONG NGHIÊN CỨU VỀ SMA



Nghiên cứu khoa học cơ bản

Nghiên cứu khoa học cơ bản xem xét các khối cơ bản nền tảng của sự sống, bao gồm phân tử, protein, tế bào và gen. Thường được gọi là nghiên cứu “trong phòng thí nghiệm” hoặc nghiên cứu “định chuẩn”, loại nghiên cứu này do các nghiên cứu viên tiến hành trong phòng thí nghiệm để kiểm tra các ý tưởng nhằm mục đích hiểu rõ hơn về SMA.

Nghiên cứu cơ bản là bước đầu tiên để phát triển phương pháp điều trị và chữa khỏi SMA. Các dự án nghiên cứu cơ bản nghiên cứu sinh học và nguyên nhân của SMA để xác định các phương pháp hiệu quả nhất để tìm kiếm thuốc. Nghiên cứu khoa học cơ bản sẽ giải đáp các câu hỏi quan trọng trong sinh học của SMA, bao gồm cả quá trình diễn ra trong cơ thể khi mắc SMA. Nghiên cứu này đưa ra nhiều gợi ý cho các nghiên cứu viên để dẫn đến nghiên cứu cấp cao hơn.



Nghiên cứu tìm kiếm thuốc – Nghiên cứu tịnh tiến

Nghiên cứu tìm kiếm thuốc hay còn gọi là nghiên cứu tịnh tiến là bước thứ hai trong quy trình phát triển thuốc. Bước tìm kiếm thuốc tiếp nhận ý tưởng chủ đề đã được phát hiện trong bước thứ nhất là nghiên cứu cơ bản và chuyển ý tưởng này thành các thuốc có thể dùng được. Sau đó, các thuốc này có thể được thử nghiệm trong bước ba, thử nghiệm lâm sàng. Bước này bao gồm tiến hành một loạt các kiểm tra độ an toàn và hiệu lực theo yêu cầu của FDA, để bắt đầu thử nghiệm trên người. Những kết quả này được đưa vào đơn đăng ký thuốc mới nghiên cứu (Investigational New Drug, IND), cho phép bắt đầu tiến hành thử nghiệm lâm sàng trên người. Quá trình thu thập dữ liệu này có thể kéo dài và khó khăn. Lỗi thường xảy ra và rất khó dự đoán thuốc nào sẽ thành công.



Nghiên cứu lâm sàng

Nghiên cứu lâm sàng là nghiên cứu ở những người quyết định tham gia. Nghiên cứu viên trực tiếp tương tác với người tham gia trong thời gian diễn ra dự án nghiên cứu. Thử nghiệm lâm sàng có thể là thử nghiệm quan sát hoặc can thiệp. Thử nghiệm lâm sàng quan sát nghiên cứu bệnh hoặc vấn đề ở người mà không điều trị, để hiểu rõ hơn quá trình tiến triển của bệnh. Các nghiên cứu can thiệp kiểm tra các loại thuốc và phương pháp điều trị mới. Các nghiên cứu này cũng có thể kiểm tra những cách mới để sử dụng thuốc và phương pháp điều trị đã được phê duyệt cho các bệnh khác (ví dụ: sử dụng thuốc theo các cách kết hợp khác nhau hoặc cho các bệnh khác). Quá trình này có thể kéo dài, phức tạp và khó khăn. Trung bình chỉ có 10 phần trăm các thuốc được phát triển lâm sàng được FDA phê duyệt. Những khó khăn đặc biệt này đòi hỏi phải có chiến lược thận trọng.

TẤT CẢ NHỮNG LOẠI NGHIÊN CỨU KHÁC NHAU NÀY ĐỀU CÓ CHUNG MỘT MỤC TIÊU, ĐÓ LÀ GIÚP ĐỠ NHỮNG NGƯỜI BỊ ẢNH HƯỞNG BỞI SMA.

[illegible]

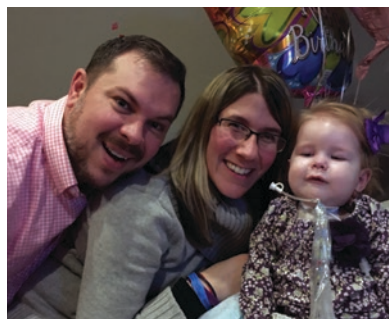
[illegible]

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 vội vã 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.



Hãy nhớ rằng đội ngũ chăm sóc sức khỏe của quý vị và Cure SMA luôn sẵn sàng hỗ trợ quý vị. Để tiếp tục tìm hiểu, vui lòng xem các tập sách khác 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



twitter.com/cureSMA



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



facebook.com/cureSMA



youtube.com/user/FamiliesofSMA1



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



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

Cập nhật gần nhất vào tháng 9 năm 2020