

Tehnike mobilizacije trtične kosti mogu pružiti olakšanje osobama sa SMA



Određeni pokreti mogu pomoći u smanjenju boli i poboljšati toleranciju na dugotrajno sjedenje

Mnoge osobe sa spinalnom mišićnom atrofijom (SMA) provode većinu vremena sjedeći u invalidskim kolicima. Dulje vrijeme sjedenja može dovesti do bolova u trtici zbog povećanog pritiska na to područje. Kada to područje postane ukočeno i bolno, mala mobilizacija može dovesti do smanjenja boli i poboljšane tolerancije na dugotrajno sjedenje.

Za neke osobe sa SMA promjena tjelesne težine je teška, iako je neophodna za smanjenje rizika od dekubitusa. Kako bi se poboljšala pokretljivost područja i smanjila bol, postoji nekoliko različitih tehnika koje su izveli s Michaelom, osobom koja ima SMA.

Prva tehnika koju su koristili bila je tehnika zaglavljene ladice. Ovo se izvodi sjedeći s jednom rukom ispod osobe, na kokcigu, dok ta osoba izvodi lumbalnu fleksiju i ekstenziju te zateže dno zdjelice kako bi se pomoglo pri mobilizaciji. Budući da Michael nema pun aktivan opseg pokreta lumbalne kralježnice, potrebna je druga osoba koja će ga voditi kroz te pokrete dok druga mobilizira trtičnu kost izvana. Ova tehnika pružila je Michaelu umjerenu količinu olakšanja dok je sjedio i smanjila trnce i utrnulost koji su se širili niz njegovu nogu. To se izvodilo svaki drugi tjedan kako bi se održali učinci.

Druga izvedena tehnika bila je bočno ležeća vanjska mobilizacija trtične kosti s aktivacijom dna zdjelice, izvedena kako bi se povećala pokretljivost trtične kosti. To je izvedeno na velikoj terapijskoj prostirci dok je Michael ležao na lijevoj strani s osloncem između nogu i ispod glave. Dok se dodavala trakcija gore prema Michaelovoj glavi, on bi se opustio, a dok bih se primijenila trakcija inferiorno prema njegovim stopalima, on bi izvršio aktivaciju dna zdjelice.

U ovom se položaju također počelo ciljati na muskulature trtične kosti ili mišiće duž trtične kosti i počelo ih se otpuštati s lijeve strane, jer Michaelova trtična kost ima tendenciju migrirati prema toj strani. Uz ovu tehniku, osjetilo se znatno olakšanje od utrnulosti u nogama i pritiska na trtičnu kost.

Najnovija tehnika koju se izvela bila je unutarnja mobilizacija trtične kosti. Ovo je izvedeno dok je Michael ležao na boku s osloncem između koljena i ispod glave. Uz dopuštenje, jedan prst je umetnut u rektalni kanal i locirana je trtica. Dok je Michael izvodio aktivacijske kontrakcije dna zdjelice i izbočenje, uspjela se locirati i osjetiti kako se trtična kost pomiče.

Mobilizacija mekog tkiva nazvana "sweeping" izvedena je duž lijeve muskulature trtične kosti, uz trticu, kako bi se oslobodila ta tkiva i pokušalo dovesti trtičnu kost više u središnju liniju. Iako Michael nije imao bolove nakon aktivnosti, nema garancije u dugotrajnije olakšanje boli s ovom tehnikom koju su nedavno izveli. Ovisno o tome koliko Michael dobiva od ovih aktivnosti, odredit će koje će se izvoditi i koliko često su potrebne. Nastavit će se pratiti i pratiti vremenski okvir olakšanja doživljenog sa svakom aktivnošću. To će pomoći u usmjeravanju budućih tretmana i planova liječenja.

Perspektiva pacijenta

Prije otprilike godinu dana, dok je radila na vježbama raspona pokreta i fleksibilnosti, Emily je primijetila da radim grimasu kad bi mi ispružila noge pokretom prema dolje. Pitala me boli li me, a ja sam joj rekao da sam osjećao popriličan pritisak prema gornjim dijelovima gluteusa (mišić stražnjice) kada je izvodila ovu vježbu.

Okrenula me na lijevi bok i položila mi ruku na donji dio leđa. Dok je pomicala ruku prema mojim gluteusima, otkrila je da pritisak koji osjećam dolazi iz moje trtične kosti. Dok je vršila pritisak na moju trtičnu kost, shvatili smo da je to možda bio uzrok što nisam mogao udobno sjediti dulje vrijeme. U svom dijelu članka iznad, Emily detaljno opisuje različite tehnike koje smo koristili tijekom prošle godine.

Prije nekoliko tjedana, Emily mi je rekla da bi vjerojatno mogao dobiti bolje rezultate ako bi mogao obaviti internistički pregled, jer bi joj to omogućilo ne samo bolji pristup mojoj trtičnoj kosti, već bi mogla i drugom rukom vršiti pritisak na moju trtičnu kost. Pitala me bi li mi bilo ugodno da ona na meni izvede ovaj zahvat, a ja sam se odmah složio s njezinom procjenom. Da, ovo će biti donekle neugodno, ali zaključio sam da bi nekoliko minuta neugodnosti bilo vrijedno dugoročnog utjecaja koji bih mogao dobiti.

Odnos pacijenta i fizioterapeuta mora biti odnos povjerenja. Emily i ja radimo zajedno više od

SDDH @-BILTEN

pet godina i ona ima jedinstven način da se osjećam ugodno uz terapije koje provodimo.

Osobe sa SMA trebali bi shvatiti da određene tehnike mogu biti neugodne sa stajališta taštine, stoga je povjerenje u svog fizioterapeuta ključno. Emily zna više o meni od većine članova moje uže obitelji i prijatelja, i bez oklijevanja sam pristao da joj dopustim da izvede ovu tehniku jer sam znao da je u mom najboljem interesu. [1]

[1] SMA News Today (2023). Coccyx mobilization techniques can provide relief for SMA patients.

Dostupno na: <https://hcp.smanewstoday.com/2023/06/13/coccyx-mobilization-techniques-can-provide-relief-for-sma-patients/>



U staničnom ispitivanju primijećeno je da magnetska stimulacija obnavlja motoričke neurone ALS-a



Znanstvenici kažu da bi rezultati mogli dovesti do potencijalne nove terapije za ALS

Magnetska stimulacija obnovila je zdravlje motoričkih neurona uzgojenih u laboratoriju — živčanih stanica koje kontroliraju mišiće i koje umiru u amiotrofičnoj lateralnoj sklerozi (ALS) — koji potječu od ljudi s obiteljskim ALS-om, prema studiji koja potvrđuje koncept.

Pristup je poboljšao nekoliko bioloških procesa kod motornih neurona, uključujući kretanje staničnih komponenti duž živčanih vlakana ili aksona i rast novih aksona.

“U brojnim serijama eksperimenata uspjeli smo pokazati da motorički neuroni pacijenata s ALS-om reaguju na magnetska polja” navodi u sveučilišnom priopćenju za tisak Arun Pal, stanični biolog u istraživačkom centru Helmholtz-Zentrum Dresden-Rossendorf (HZDR) u Njemačkoj, koji je bio suautor studije.

Thomas Herrmannsdörfer, dr. sc., drugi autor studije iz HZDR-a, primijetio je da su "potrebne detaljne naknadne studije kako bi se potvrdile [ove] nalaze", ali je dodao: „Ove rezultate smatramo ohrabrujućim pristupom na putu prema potencijalnoj novoj terapiji za ALS kao i druge neurogenerativne bolesti.”

Studija "Obnavljanje pokretljivosti i regeneracije organela aksona u uzgojenim FUS-ALS motoneuronima putem stimulacije magnetskim poljem sugerira alternativni terapijski pristup", objavljena je u časopisu Cells.

Magnetska stimulacija primijenjena na laboratorijski uzgojene motoričke neurone

Motorni neuroni su živčane stanice u mozgu i leđnoj moždini koje šalju signale mišićima za obavljanje raznih tjelesnih funkcija, uključujući kretanje, govor, gutanje i disanje. Njihovi aksoni - dio poput kabla koji se odmiče od glavnog dijela stanice - najduži su u tijelu i mogu se protezati od leđne moždine do nožnih prstiju.

Većinu slučajeva ALS-a karakterizira sporadičan i progresivan gubitak motornih neurona. U oko 10% slučajeva, međutim, naslijeđene genetske mutacije odgovorne su za smrt motoričkih neurona.

Magnetska stimulacija je neinvazivna procedura koja koristi magnetska polja za stimulaciju živčanih stanica. Odobrena je za upotrebu kod psihijatrijskih poremećaja, poput depresije.

Malo kliničko ispitivanje nedavno je pokazalo da magnetska stimulacija usporava opadanje mišićne funkcije kod pacijenata s ALS-om.

Kako bi istražili njezin učinak na staničnoj razini istraživači u Njemačkoj primijenili su magnetsku stimulaciju izravno na motoričke neurone uzgojene u laboratoriju dobivene od tri osobe s ALS-om koji nose nasljedne mutacije koje uzrokuju bolest u FUS genu. Motorni neuroni uzgojeni su iz pluripotentnih matičnih stanica izvedenih od pacijenata, nazvanih iPSC. Takvi iPSC-ovi nastaju iz potpuno zrelih stanica koje su reprogramirane natrag u stanje slično matičnim stanicama, gdje mogu proizvesti gotovo sve vrste ljudskih stanica.

Tim je prethodno pokazao da je kretanje staničnih komponenti, ili organela, duž aksona oslabljeno u spinalnim motoneuronima koji potječu od FUS-ALS pacijenata. Te organele uključuju mitohondrije, stanične proizvođače energije i lizosome, stanične centre za recikliranje. Istraživačisu otkrili da je magnetska stimulacija obnovila kretanje ovih organela u motoričkim neuronima dobivenim od pacijenata uzgojenim u laboratoriju, a da nije utjecala na stanice tri zdrave osobe. Obnova je ovisila o frekvenciji magnetskog polja, s kombinacijom od 2 i 10 Hz (ciklusa u sekundi) koja je davala najbolje rezultate.

"Aksonski transport mitohondrija (elektrane stanice) i drugih organela koji su oštećeni u ALS stanicama ponovno se aktivira stimulacijom magnetskim poljima" rekao je Pal.

Znanstvenici sada planiraju klinička pilot-ispitivanja

U FUS-ALS mišjim modelima pokazalo se da su rast, grananje i distribucija aksona — koji nastavljaju stvarati veze s drugim živčanim stanicama kao i mišićnim stanicama — oštećeni.

Netretirani motorički neuroni dobiveni od pacijenata pokazali su sporiji rast od onih dobivenih od zdravih kontrolnih ispitanika.

S tretmanom od 10 Hz, aksoni motornih neurona izvedenih od pacijenata rasli su jednako brzo kao i kontrolne stanice, dok kombinacija od 2 Hz i 2/10 Hz nije pokazala značajne promjene. Nisu primijećeni nikakvi dokazi o štetnim učincima povezanim s magnetskom stimulacijom na pacijentove i kontrolne motoričke neurone.

Ova otkrića su pokazala da se, s tretmanom magnetske stimulacije, "regeneracija aksona - što je sposobnost ponovnog rasta i ponovnog povezivanja - može obnoviti", rekao je Pal.

Oblik živčanih stanica je jedinstven, s aksonima koji se protežu iz tijela stanice. Ovaj oblik diktira citoskelet, složena mreža međusobno povezanih proteina zvanih mikrotubule koji pomažu stanicama da zadrže svoj oblik i unutarnju organizaciju.

Razine markera stabilizacije mikrotubula bile su značajno niže u FUS-ALS motoričkim neuronima u odnosu na kontrolne. S magnetskom stimulacijom, razine markera u stanicama pacijenata porasle su natrag na kontrolne razine, ukazujući na "poboljšanje stabilnosti mikrotubula koje je vjerojatno korisno za nedostatan prometovanje i regeneraciju organela aksona", napisali su istraživači.

"Ovaj rad pruža dokaz koncepta koji pokazuje da su tretmani magnetskim poljem moćni u obnavljanju nekoliko obilježja [razvoja] ALS-a rekapituliranih u našem kultiviranom modelu bolesti ljudskih spinalnih [motoričkih neurona] izvedenih iz iPSC-a", zaključio je tim.

"Potrebne su dugoročne studije [živih organizama] kako bi se dodatno potkrijepio terapijski potencijal tretmana magnetskim poljem" dodali su.

Znanstvenici sada planiraju kliničke pilot-studije za procjenu terapijskog potencijala magnetske simulacije, primijenjene uz pomoć specijalizirane opreme. [2]

[2] ALS News Today (2023). Magnetic stimulation seen to restore ALS motor neurons in cell study.

Dostupno na: <https://alsnewstoday.com/news/magnetic-stimulation-restores-als-motor-neurons-cell-study/>

Američka agencija za hranu i lijekove odobrila prvu gensku terapiju za djecu s DMD

Američka agencija za hranu i lijekove je 22. lipnja 2023. odobrila Elevidys, prvu gensku terapiju za liječenje djece u dobi od 4 do 5 godina s Duchenne mišićnom distrofijom (DMD) s potvrđenom mutacijom u genu za DMD koji nemaju medicinski razlog koji sprječava liječenje ovom terapijom.

Ravnatelj FDA Centra za procjenu i istraživanje bioloških lijekova istaknuo je kako se odobrenje odnosi na nezadovoljenu potrebu i predstavlja važan napredak u liječenju DMD te da FDA ostaje predana olakšavanju razvoja inovativnih terapije za smanjenje utjecaja bolesti i poboljšanje ishoda i kvalitete življenja oboljelih.

Elevidys je rekombinantna genska terapija osmišljena za isporuku u tijelo gena koji dovodi do proizvodnje Elevidys mikrodistrofina, skraćenog proteina (mase od 138 kDa, u usporedbi s 427 kDa proteinom distrofina normalnih mišićnih stanica) koji sadrži odabrane domene distrofina prisutnog u normalnim mišićnim stanicama. Proizvod se primjenjuje kao jednokratna intravenska doza.

Elevidys je odobren kroz tzv "ubrzano odobrenje", prema kojem FDA može odobriti lijekove za ozbiljne ili po život opasne bolesti kada postoji nezadovoljena medicinska potreba i kada se pokaže da lijek ima učinak koju je razumno vjerojatno da predviđa kliničku dobrobit za pacijente (funkcionalna poboljšanja, bolji subjektivni osjećaj i očekivano produljenje života). Ubrzano odobrenje općenito pacijentima omogućuje raniji pristup obećavajućim novim lijekovima dok tvrtka provodi klinička ispitivanja kako bi potvrdila predviđenu kliničku korist.

FDA je dala odobrenje na temelju procjene podataka koje je dostavio sponzor. U jednoj studiji koja je uključivala dva dijela, pojedinci u prvom dijelu - koji je bio randomiziran, dvostruko slijep i placebo kontroliran - liječeni su ili Elevidysom ili placebom i praćeni 48 tjedana. U 2. dijelu studije, osobe koje su primale placebo tijekom 1. dijela liječene su Elevidysom, a osobe liječene Elevidysom tijekom 1. dijela primale su placebo. Sve osobe praćene su dodatnih 48 tjedana.

Ubrzano odobrenje lijeka Elevidys temeljilo se na podacima iz randomiziranog kliničkog ispitivanja koje je pokazalo da je lijek Elevidys povećao ekspresiju proteina mikrodistrofina Elevidys uočnog u osoba liječenih lijekom Elevidys u dobi od 4 do 5 godina s DMD-om. FDA je zaključila da podaci koje je dostavio podnositelj zahtjeva pokazuju da povećanje ove zamjenske krajnje točke (ekspresija Elevidys mikro-distrofina) i ima razumnu vjerojatnost

kliničke koristi kod osoba u dobi od 4 do 5 godina s DMD-om koje nemaju značajnu razinu postojećeg titra na antitijela protiv vektora AAV rh74 ili koje nemaju druge kontraindikacije propisane na temelju kriterija uključivanja kliničkih ispitivanja.

Pri donošenju ove odluke, FDA je razmotrila potencijalne rizike povezane s lijekom i životno ugrožavajući tijek bolesti.

Klinička korist od Elevidysa, uključujući poboljšanu motoričku funkciju, nije utvrđena. Kao uvjet za odobrenje, FDA zahtijeva od tvrtke da završi kliničku studiju kako bi potvrdila kliničku korist lijeka. Potrebna studija osmišljena je kako bi se procijenilo poboljšava li Elevidys fizičku funkciju i pokretljivost u osoba s DMD-om s očuvanom sposobnošću samostalnog hoda, a s potvrđenom mutacijom u genu za DMD. Studija je u tijeku i upisan je u potpunosti. FDA će pregledati podatke iz ovog ispitivanja što je prije moguće kako bi razmotrila jesu li možda potrebne daljnje radnje, kao što je revidirana indikacija ili povlačenje lijeka Elevidys.

Najčešće prijavljene nuspojave od strane pojedinaca koji su primali Elevidys bile su povraćanje, mučnina, akutna ozljeda jetre, pireksija (vrućica) i trombocitopenija (abnormalno nizak broj trombocita u krvi). Funkciju jetre osobe potrebno je pratiti prije liječenja lijekom Elevidys te jednom tjedno tijekom prva tri mjeseca nakon liječenja. Osobe koje primaju Elevidys također mogu biti izloženi riziku od teškog imunološki posredovanog miozitisa (upala mišića). Osim toga, uočeni su miokarditis (upala srčanog mišića) i povišenje troponina-I (srčani protein pronađen u krvi nakon ozljede srčanog mišića) nakon primjene Elevidysa u kliničkim ispitivanjima. Razine troponina-I treba pratiti prije primjene Elevidysa i tjedno tijekom prvog mjeseca nakon primjene lijeka.

FDA je ubrzano odobrila Elevidys tvrtki Sarepta Therapeutics, Inc. [3]

[3] U.S. FOOD & DRUGS ADMINISTRATION (2023). FDA Approves First Gene Therapy for Treatment of Certain Patients with Duchenne Muscular Dystrophy.

Dostupno na: <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treatment-certain-patients-duchenne-muscular-dystrophy>

VCA-894A je dobio FDA oznaku orphan lijeka za liječenje CMT2S



Terapija je osmišljena tako da cilja na nepoznato mjesto spajanja koje uzrokuje bolest

Američka Agencija za hranu i lijekove (FDA) dodijelila je oznaku orphan lijek VCA-894A tvrtke Vanda Pharmaceuticals za liječenje Charcot-Marie-Tooth bolesti tipa 2S (CMT2S).

Oznaka orphan lijek nastoji potaknuti razvoj terapija za rijetke bolesti - one koje pogađaju manje od 200.000 ljudi u SAD-u - kroz pogodnosti kao što su sedam godina tržišne ekskluzivnosti ako se odobri te potpora razvoju i izuzeće od FDA pristojbi.

"Ova je oznaka važna prekretnica za koju vjerujemo da može omogućiti razvoj individualiziranih tretmana prilagođenih genetskim varijantama za osobe s CMT2S", rekao je Mihael H. Polymeropoulos, dr. med., glavni izvršni direktor i predsjednik uprave tvrtke Vanda, u tvrtkinom tisku.

Charcot-Marie-Toothova bolest (CMT) obuhvaća skupinu nasljednih neuroloških poremećaja perifernog živčanog sustava, mreže živaca koji kontroliraju kretanje i osjet (dodir, toplina, hladnoća) u rukama i nogama. Uglavnom se dijeli na demijelinizirajući CMT (poznat kao CMT tip 1) i aksonalni CMT ili CMT tip 2 (CMT2).

Liječenje CMT2S s VCA-894A

CMT2S je uzrokovan mutacijama u obje kopije gena IGHMBP2, koji sadrži upute za istoimeni protein koji ima ključnu ulogu u proizvodnji proteina i diobi stanica. Bolest se tipično očituje u ranom djetinjstvu, uzrokujući progresivnu slabost mišića i trošenje i gornjih i donjih udova.

SDDH @-BILTEN

VCA-894A je takozvani antisense oligonukleotid ili ASO, vrsta male laboratorijske molekule koja može interferirati s procesom kojim se gen eksplicira kako bi se stvorio protein.” Konkretno, ASO nadopunjuju ciljnu RNK, molekulu generiranu iz DNK koja služi kao obrazac za proizvodnju proteina. Prema Vandi, ASO omogućuju personalizirano liječenje rijetkih bolesti moduliranjem aktivnosti gena.

VCA-894A je dizajniran za ciljanje varijante nepoznatog mjesta spajanja koja uzrokuje CMT2S. Takve mutacije vjerojatno dovode do CMT2S gubitkom motornih neurona (živčanih stanica) i propadanjem perifernog živčanog sustava, navodi tvrtka.

Varijanta mjesta spajanja genetska je promjena koja može poremetiti proces koji se naziva spajanje RNA, pri čemu se nezrele molekule RNA obrađuju uklanjanjem malih dijelova sekvence, zvanih introni, i povezivanjem preostalih egzona. Takve varijante mijenjaju sekvencu kodiranja proteina. Nepoznata mjesta spajanja obično se ne koriste u normalnim molekulama RNK i odabiru se samo zbog mutacije. [4]

[4] Charcot-Marie-Tooth News (2023). VCA-894A granted FDA’s orphan drug status for treating CMT2S. Dostupno na: <https://charcot-marie-toothnews.com/news/cmt2s-therapy-vca-894a-granted-orphan-drug-status-fda/>

Kako Duchenne mišićna distrofija pomaže mojoj obitelji da živi bolje



Omogućavanje mojim sinovima s DMD-om imaju djetinjstvo ispunjeno ljubavlju, radošću i smijehom

Dijete je plakalo, bilo je gladno za užinu, stajalo je odmah iza mene dok sam rezala komade lubenice. Ali ja sam se smiješila. Velika su djeca bila u bazenu i znala sam da će biti oduševljeni lubenicom na palubi. Otvorila sam klizna staklena vrata i viknula: "Lubenica!" Uh i aah koji sam očekivao došao je od plivača koji su se brčkali u bazenu.

Međutim, na trenutak sam bila tužna jer dvoje moje djece, Lexi, 22 godine, i Chance, 16 godina, nisu bili kod kuće kako bi uživali u slatkoći ljetnog dana. Pomisao je bila prolazna, jer sam zaključila da ionako postaju prestari da bi uživali u ovome.

Tada sam shvatila da su moje troje djece u bazenu, Max, 17 godina, Rowen, 14 godina, i Charlie, 12 godina, približno iste dobi i stadija u životu - ali na njihove društvene živote utjecala je njihova Duchenneova mišićna distrofija (DMD). Budući da su više kod kuće, nastojim to učiniti posebnim.

To me natjeralo na razmišljanje - vjerojatno previše duboko za moje dobro, ali tako moj mozak funkcionira. Dajem li sve od sebe da njihovo djetinjstvo učinim čarobnim u slučaju da im je djetinjstvo sve? Odgovor je da. I pitala sam se, je li to pogrešno? Ne. Svatko bi trebao živjeti svaki dan kao da je još dijete.

'Živi kao da umireš'

Nisam uvijek bila roditelj na ovaj način. Prije nego što je DMD postao dio našeg života, djeca su išla u vrtić, a ja na posao, a na kraju dana slijedili smo vrlo tipičnu rutinu. Ali DMD čini da živimo bolje. Podsjeća me na pjesmu Tima McGrawa "Live Like You Were Dying".

SDDH @-BILTEN

Kad je dječacima 2010. dijagnosticiran DMD, rečeno nam je da će trebati pomoć u svim aktivnostima svakodnevnog života kao tinejdžeri i da možda neće doživjeti svoj 20. rođendan, prestala sam razmišljati o srednjoj školi, koledžu, spojevima i vožnji.

Umjesto toga, usredotočila sam se na sadašnjost. Slavili smo rođendane i praznike bez obećanja sljedećeg. Počeli smo posluživati omiljenu hranu djece. Pobrinuli smo se da glazbe i smijeha bude u izobilju te smo se puno slikali.

Svake godine planiramo “najboljih devet dana ljeta”. Djeca odlučuju što ćemo raditi u to vrijeme. Posjećujemo kamione s hranom i gledamo filmove sa susjedima na prilazu koristeći garažna vrata kao ekran; ostajemo vani do kasno, nosimo svjetleće štapiće i hvatamo munje.

Kad smo shvatili da Rowen počinje gubiti sposobnost kretanja, odvezli smo se iz naše države Nebraske koja nema more do obale kako bi djeca mogla reći da su hodala po oceanu.

Omogućiti našim sinovima s DMD čarobno djetinjstvo unatoč bolesti je zрно optimizma i dar cijeloj našoj obitelji. Svi bismo trebali zadovoljiti svoje unutarnje dijete. To nas čini sretnima. I zato sam bila tužna što su Lexi i Chance propustile dan lubenice i bazena.

Iskustva koja pokušavam stvoriti ne čine DMD manje čudovištem, ali ljubav, smijeh i zabava koju doživljavamo terapija je koja život s DMD čini boljim. Provjerite to - čini život boljim!

Živjeli smo kao da će Max, Rowen i Charlie možda tek doživjeti djetinjstvo, ali u međuvremenu su dječaci počeli raditi sve one stvari na koje sam ja prestala biti fokusirana prije mnogo godina. Max će iduće godine završiti srednju školu i smišlja što želi za koledž. Rowen će uskoro krenuti u srednju školu, a Charlie će uskoro postati tinejdžer. A sada imaju nevjerojatan temelj ljubavi i avanture koji će utjecati na buduće faze njihovih života. [5]

[5] Muscular Dystrophy News Today (2023). How Duchenne MD helps my family live better.

Dostupno na: <https://muscular dystrophy news.com/columns/how-duchenne-md-helps-my-family-live-better/>