

Tretman SMT-M01 za DMD dobiva FDA oznaku „orphan“ lijeka i oznaku lijeka za rijetke bolesti



Stanična nadomjesna terapija namijenjena svim pacijentima, bez obzira na mutaciju

Američka Uprava za hranu i lijekove (FDA) tretmanu SMT-M01, tretman za Duchenne mišićnu distrofiju (DMD), dodijelila je oznake orphan lijeka i lijeka za rijetke pedijatrijske bolesti.

Stanična nadomjesna terapija tvrtke Somite Therapeutics koristi umjetnu inteligenciju (AI) i velike, složene skupove podataka za poboljšanje proizvodnje više vrsta ljudskih stanica.

Tvrtka planira započeti klinička ispitivanja u roku od 18 mjeseci, s ciljem ponuditi staničnu nadomjesnu terapiju za pacijente s DMD-om bez obzira na genetsku mutaciju. "Posvećeni smo unaprjeđenju SMT-M01 kroz klinički razvoj što je brže moguće kako bismo napravili značajnu razliku za osobe s DMD-om i njihove obitelji", rekao je dr. sc. Micha Breakstone, osnivač i izvršni direktor tvrtke Somite, u priopćenju za tisak tvrtke.

Oznake FDA predstavljaju "značajnu prekretnicu za Somite Therapeutics i, što je još važnije, za osobe koje boluju od Duchenne mišićne distrofije", rekao je Breakstone. "Ove oznake naglašavaju kritičnu nezadovoljenu potrebu za DMD-om i potencijal našeg pristupa vođenog umjetnom inteligencijom za razvoj inovativnih staničnih terapija."

Dvije oznake osmišljene su kako bi potaknule razvoj terapija za rijetke bolesti. Program orphan lijeka namijenjen je mogućim tretmanima koji pogađaju manje od 200.000 ljudi u SAD-u, a pruža poticaje kao što su porezne olakšice i sedam godina tržišne ekskluzivnosti ako je terapija u konačnici odobrena. Oznaka rijetke pedijatrijske bolesti dodjeljuje se liječenju teških ili po život

opasnih rijetkih stanja koja prvenstveno pogađaju djecu. Oznaka čini tvrtku prihvatljivom za vaučer koji može koristiti za ubrzavanje postupka odobravanja za drugi tretman. Vaučer se također može prodati drugoj tvrtki.

Stanična terapija kao tretman za DMD

DMD karakteriziraju progresivna degeneracija i slabost mišića. Bolest je uzrokovana mutacijama gena koji kodira proizvodnju proteina zvanog distrofin koji služi kao amortizer u mišićima.

Stanična nadomjesna terapija namijenjena je zamjeni nedostajućih, oštećenih ili bolesnih stanica. Somit je dobio ime po privremenim embrionalnim strukturama zvanim somits, koje su izvorište mišićnog i skeletnog tkiva.

U kontekstu DMD-a, tvrtka namjerava osigurati izvor satelitskih stanica izvedenih iz somita, koje su prekursori stanica skeletnih mišića i odgovorne su za snažnu regenerativnu sposobnost skeletnih mišića. Međutim, teško ih je izolirati iz mišićnih biopsija, jer su relativno rijetki u usporedbi s drugim vrstama stanica. Osim toga, povećanjem njihovog broja u laboratoriju satelitske stanice gube svoj regenerativni potencijal.

Somitesov proces razvoja lijeka funkcionira tako da stvara računalni blizanca embrija tako da oponaša razvoj i ponašanje embrija kako bi pomogao u donošenju odluka. Prema tvrtki, AI omogućuje brzu identifikaciju inovativnih protokola za generiranje novih tipova stanica, otkrivanje regulatora diferencijacije stanica i optimizaciju protokola. SMT-M01 koristi tvrtke Alphastem AI platforma.

Kristy Brown, dr. sc., viša potpredsjednica translacijskog razvoja u Somiteu, rekla je da oznake FDA "potvrđuju inovativnu prirodu našeg programa SMT-M01 i njegov potencijal da odgovori na značajne nezadovoljene medicinske potrebe kod Duchenne mišićne distrofije."

[1] Muscular Dystrophy News Today (2024). DMD treatment SMT-M01 gets FDA orphan drug, rare disease tags.

Dostupno na: <https://muscular dystrophy news.com/news/dmd-treatment-smt-m01-fda-orphan-drug-rare-disease-tags/>

Liječenje Spinrazom poboljšava motoričke funkcije kod starijih osoba sa SMA



Utvrđene dobrobiti za odrasle, adolescente s različitim tipovima SMA: Meta-analiza

Liječenje lijekom Spinraza (nusinersen) općenito je stabiliziralo ili poboljšalo motoričku funkciju starijih osoba sa spinalnom mišićnom atrofijom (SMA), prema pregledu i meta-analizi prethodno objavljenih opservacijskih studija.

Nova analiza, koja je obuhvatila razdoblje liječenja do dvije godine, uključivala je odrasle i adolescente s različitim tipovima SMA i sposobnostima hodanja.

"Naša sveobuhvatna ... meta-analiza pokazuje da je [Spinraza] učinkovita u poboljšanju ili stabilizaciji motoričkih funkcija kod mnogih adolescenata i odraslih sa širokim spektrom SMA", napisali su istraživači.

Studija, "Učinkovitost Nusinersena kod adolescenata i odraslih sa spinalnom mišićnom atrofijom: sustavni pregled i meta-analiza", objavljena je u časopisu *Neurology and Therapy*. Financirao ga je Biogen, tvrtka koja prodaje Spinrazu.

Većina kliničkih ispitivanja bila je usmjerena na djecu sa SMA, a ne na starije osobe

Spinraza je prva odobrena terapija za SMA koja se bavi temeljnim uzrokom bolesti: nedostatkom SMN proteina zbog mutacija u SMN1, glavnom genu koji proizvodi SMN.

Liječenje, ubrizgano izravno u spinalni kanal, djeluje na povećanje proizvodnje SMN-a iz

takozvanog rezervnog gena koji proizvodi SMN, SMN2. U SAD-u, Europi i drugim regijama Spinraza je odobrena za liječenje pacijenata sa SMA svih dobnih skupina i različitih vrsta bolesti.

Klinička ispitivanja Spinraze pokazala su brojne dobrobiti terapije, uključujući poboljšanje motoričke funkcije i preživljavanja. Međutim, te su kliničke studije bile najviše usmjerene na dojenčad i djecu s težim oblicima SMA. U međuvremenu, Spinraza se također naširoko koristi kod odraslih i adolescenata u stvarnim uvjetima.

Prema istraživačima, postoji potreba za konsolidacijom ovih podataka iz stvarnog svijeta kako bi se dobila bolja slika pravih učinaka Spinraze kod starijih pacijenata.

U tu svrhu, tim iz Njemačke, Italije i SAD-a proveo je sustavni pregled i meta-analizu prethodno objavljenih kliničkih i opservacijskih studija. Ove studije su procijenile učinkovitost Spinraze kod adolescenata i odraslih sa SMA. Meta-analiza je vrsta statističke analize koja kombinira rezultate iz zasebnih studija i analizira ih zajedno.

Sustavni pregled literature u konačnici je uključio 14 opservacijskih studija, koje su kumulativno uključivale 539 pacijenata, u dobi od 13 do 72 godine. Većina pacijenata imala je SMA tip 2 ili tip 3, a 40% je bilo ambulantno ili je moglo hodati.

U svim studijama korišteno je nekoliko procjena motoričkih funkcija. To uključuje proširenu Hammersmithovu funkcionalnu motoričku ljestvicu (HFMSE), validirani alat za globalnu motoričku funkciju kod SMA, i revidirani modul gornjih udova (RULM), koji posebno procjenjuje funkciju gornjih udova.

Test šestominutnog hoda (6MWT), koji mjeri koliko daleko osoba može hodati u šest minuta, također je korišten u nekim studijama za pokretne pacijente.

Meta-analiza pokazuje stabilizaciju ili poboljšanje s liječenjem Spinrazom

Općenito, rezultati studija ukazivali su na poboljšanja ili stabilizacije u svim ovim mjerama s do dvije godine liječenja Spinrazom. Za referencu, znanstvenici su istaknuli da bi se s prirodnim tijekom napredovanja SMA očekivalo opadanje motoričkih funkcija tijekom vremena bez liječenja.

Nalazi iz meta-analize, koja je koristila podatke iz 11 studija koje su uključivale 433 SMA odraslih i adolescenata, pokazali su da je ukupni srednji porast (poboljšanje) HFMSE rezultata bio 1,4 boda nakon šest mjeseci liječenja, koji je postojano rastao na 2,3 boda nakon 1,5 godine na Spinrazi.

Do godine i pol smatralo se da je 32,1% pacijenata doživjelo klinički značajno poboljšanje HFMSE rezultata, definirano kao povećanje od najmanje tri boda. Najveći dobici primijećeni su kod osoba sa SMA tipa 3 i u onih koji su bili ambulantni.

Što se tiče funkcije gornjih udova, rezultati RULM-a također su stalno rasli tijekom vremena, pri čemu je 38,3% pacijenata postiglo klinički značajan odgovor — povećanje od najmanje dva boda — za 14 mjeseci ili nešto dulje od jedne godine. U ovoj mjeri, pacijenti sa SMA tipa 2 i pojedinci koji ne hodaju imali su veće dobitke.

Opet, za 6MWT, postotak pacijenata s klinički značajnim poboljšanjima postojano je rastao tijekom vremena, dosegnuvši više od 50% nakon 14 mjeseci. Ovdje su takva poboljšanja bila povećanje prijedene udaljenosti od najmanje 30 metara ili oko 98 stopa.

Sve u svemu, studija "pruža konsolidirane dokaze iz skupine iz stvarnog svijeta da je [Spinraza] učinkovita u poboljšanju ili stabilizaciji motoričkih funkcija kod mnogih adolescenata i odraslih sa SMA do 24 mjeseca nakon početka liječenja", napisali su istraživači.

Tim je primijetio da su nalazi uvelike u skladu s ranijim meta-analizama na tu temu. Međutim, kažu da ova studija proširuje te nalaze uključivanjem više publikacija s duljim podacima o praćenju i pornijim promatranjem podskupina pacijenata, posebno u pogledu vrste bolesti i statusa kretanja.

"Ove analize mogu poboljšati kliničko tumačenje i primjenjivost naše meta-analize za kliničare i donositelje odluka, pomažući im da razumiju promatrane ishode u [odnosu] na ozbiljnost bolesti", napisali su istraživači.

Nadalje, prema timu, ovi nalazi naglašavaju važnost odabira odgovarajuće ljestvice za procjenu motoričke funkcije kod osoba sa SMA. Primijetili su da je veća vjerojatnost da će RULM pokazati korist kod teže pogođenih pacijenata, dok bi HFMSE mogao biti prikladniji za one s manje teškom bolešću. [2]

[2] SMA News Today (2024). Spinraza treatment improves motor function in older SMA patients.

Dostupno na: <https://smanewstoday.com/news/spinraza-treatment-improves-motor-function-older-sma-patients/>

Kratkotrajno liječenje RNS60 produljuje životni vijek kod ALS-a



Podaci ispitivanja do 6 godina pokazuju dobrobiti za pacijente s terapijom Revallesio

Kratki tijek liječenja Revallesio RNS60 kao dodatkom standardnim terapijama amiotrofične lateralne skleroze (ALS) produžio je prosječni životni vijek ljudi s progresivnom bolešću za oko šest mjeseci u usporedbi s placebo.

To je prema šestogodišnjim podacima kliničkog ispitivanja Faze 2 (NCT03456882) koje su sponzorirali istraživači i koje se odvijalo na gotovo dvadesetak lokacija u Italiji. Sudionici su šest mjeseci primali RNS60 uz standardnu terapiju riluzolom (koji se prodaje kao Rilutek i drugi), a zatim je dugoročno praćeno produženje životnog vijeka.

Produženje životnog vijeka je bilo osobito veće u skupini pacijenata sa sporijim opadanjem funkcije pluća tijekom trajanja ispitivanja. Također, koristi od RNS60 bile su značajno različite od placeba samo kod pacijenata s niskim razinama ključnih ALS biomarkera — posebno neurofilamentnog lakog lanca (NfL) i monocitnog kemoatraktantnog proteina-1 (MCP-1).

"Ova obećavajuća otkrića sugeriraju da bi RNS60 mogao imati povoljan učinak na životni vijek i usporavanje opadanja respiratorne funkcije kod pacijenata s ALS-om", Letizia Mazzini, dr. med., profesorica neurologije i direktorica Tercijarnog ALS centra na Sveučilištu Piemonte Orientale u Italiji i jedan od kliničkih centara ispitivanja, navodi se u priopćenju za tisak tvrtke.

Studija s detaljima rezultata pod nazivom "Dugoročno preživljavanje sudionika u fazi II randomiziranog ispitivanja RNS60 kod amiotrofične lateralne skleroze" objavljena je u časopisu

Brain, Behavior, and Immunity.

Procjena utjecaja RNS60 na kliničke rezultate

RNS60 je eksperimentalna terapija koja koristi dinamiku fluida za rješavanje ključnih mehanizama uključenih u ALS. To uključuje upalu, abnormalnosti u funkciji mitohondrija - staničnih snaga - i smrt živčanih stanica.

U pretkliničkim studijama lijek je pokazao sposobnost zaštite integriteta neurona i drugih potpornih stanica u mozgu i leđnoj moždini, sprječavajući oštećenje i smrt stanica.

Ispitivanje Faze 2, provedeno u 22 centra u Italiji, osmišljeno je za procjenu utjecaja RNS60 na brojne biomarkere ALS-a i nekoliko kliničkih ishoda. Ukupno 147 pacijenata s ALS-om nasumično je raspoređeno za primjenu RNS60 ili placebo. Primjena je bila putem intravenske ili venske infuzije jednom tjedno, koja je sadržavala 375 mL terapije, te putem raspršivača koji je isporučivao 4 mL liječenja u danima bez infuzije.

Ovaj režim je praćen 24 tjedna, ili šest mjeseci, nakon čega su pacijenti praćeni bez dodatnog liječenja RNS60. Svi su sudionici također uzimali riluzol, jedini odobreni lijek za koji se zna da ima utjecaj na preživljavanje ALS-a.

Podaci nakon šest mjeseci pokazali su da je pad forsiranog vitalnog kapaciteta (FVC), mjere plućne funkcije koja procjenjuje koliko zraka osoba može prisilno izdahnuti nakon dubokog udaha, bio znatno sporiji u RNS60 u usporedbi s placebo grupom. Iako je smanjenje opadanja plućne funkcije povezano s poboljšanim ishodima, nisu otkrivene razlike u progresiji bolesti nakon šest mjeseci. Štoviše, kratko trajanje ispitivanja također je onemogućilo značajne analize produljenja životnog vijeka.

Novi podaci ispitivanja dolaze nakon prosječno 2,8 godina praćenja

Sada su istraživači izvijestili o podacima prikupljenim nakon prosječnog praćenja od 2,8 godina. Ova post hoc analiza, što znači da je specificirana i provedena nakon završetka ispitivanja, uključivala je podatke svih pacijenata koji su prvobitno bili uključeni u ispitivanje.

Rezultati su pokazali da je prosječno vrijeme životnog vijeka bilo šest mjeseci dulje za pacijente liječene s RNS60 šest mjeseci u usporedbi s onima koji su primali placebo. Pacijenti su živjeli prosječno tri godine nakon liječenja s RNS60, naspram 2,4 godine nakon placeba; ta razlika, međutim, nije uspjela postići statističku značajnost.

Pacijenti u ukupnoj populaciji - i placebo i RNS60 skupina - zatim su podijeljeni na temelju toga

koliko brzo je njihov FVC opao u prva četiri tjedna ispitivanja, kada se nije očekivalo da liječenje ima značajan učinak. Podaci su pokazali da su osobe sa sporom progresijom FVC živjele znatno dulje od onih koje su brzo napredovale (medijan 3,7 godina u odnosu na 1,6 godina).

Važno je da većina karakteristika pacijenata nije utjecala na prednosti preživljavanja RNS60. Jedina iznimka bile su razine NfL i MCP-1 na početku ispitivanja. U skupinama pacijenata u kojima su ovi biomarkeri bili niski na početku liječenja, oni liječeni RNS60 preživjeli su znatno duže u usporedbi s onima na placebo.

Ova otkrića upućuju na to da mjerenje razina NfL i MCP-1 može pomoći u određivanju koji će pacijenti s ALS-om vjerojatnije reagirati na RNS60.

"Ovi rezultati zahtijevaju daljnje istraživanje i veselim se budućem razvoju RNS60 za liječenje ALS-a", rekao je Mazzini.

Prema općim riječima istraživača, "treća faza kliničkog ispitivanja RNS60 je opravdana", napisao je tim. Točnije, znanstvenici žele "procijeniti je li duža primjena ovog ispitivanog proizvoda povezana sa sporijim padom respiratorne funkcije i produženim životnim vijekom ljudi koji žive s ALS-om", napisali su.

Agencija za hranu i lijekove SAD-a odobrila je RNS60 i status orphan lijeka i status brzog postupka za ALS. Očekuje se da će ove oznake podržati i ubrzati razvoj i pregled RNS60 za ovu indikaciju.

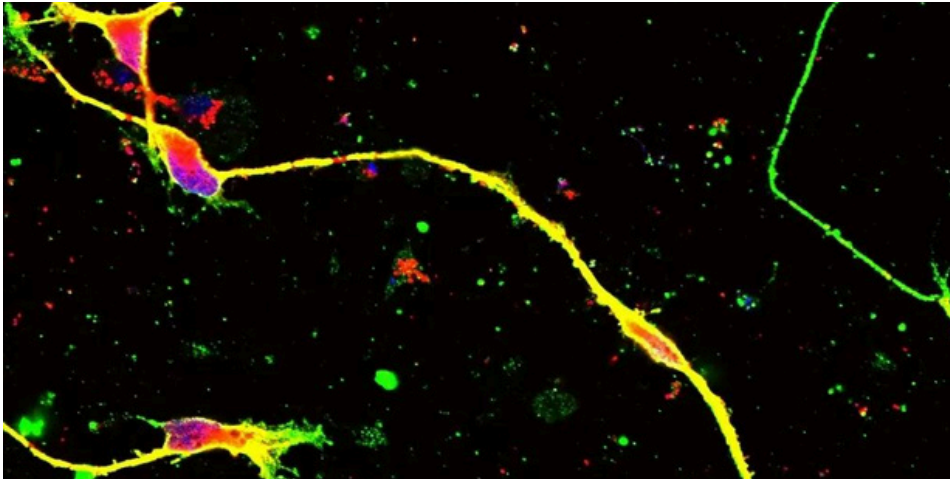
"Predani smo unaprjeđenju RNS60 u dodatnim kliničkim ispitivanjima kako bismo dodatno procijenili [njegov] potencijal da koristi ljudima s ALS-om i drugim neurološkim poremećajima," rekao je Bert van den Bergh, izvršni predsjednik upravnog odbora tvrtke Revaluesio.

"U ime Revaluesia, želio bih zahvaliti istraživačima na provođenju ove važne dodatne analize, kao i pacijentima i njihovim obiteljima na njihovom sudjelovanju. Također bih želio zahvaliti Udruzi za ALS na doprinosu izvornoj studiji kroz ALS Ice Bucket Challenge," dodao je van den Bergh. [3]

[3] ALS News Today (2024). Short course of treatment with RNS60 extends survival in ALS.

Dostupno na: <https://alsnewstoday.com/news/short-course-treatment-rns60-extends-survival-als-patients/>

Revolucionarna tehnika uređivanja genoma obećava liječenje Charcot-Marie-Toothove bolesti



Znanstveni napredak u prošlom stoljeću značajno je promijenio naš svijet. Na primjer, svijet genetike otvorio je vrata bezbrojnim mogućnostima: povećane ljudske sposobnosti, lijekovi za bolesti, pa čak i promjene u tijeku evolucije.

U studiji objavljenoj prošlog mjeseca u *Communications Medicine*, istraživači s Tokyo Medical and Dental University (TMDU) otkrili su revolucionarnu tehniku uređivanja genoma. Ova inovacija obećava u liječenju Charcot-Marie-Tooth (CMT), relativno česte nasljedne bolesti živaca koja zahvaća živce i trenutno nema kliničkih tretmana.

CMT je karakteriziran promijenjenim osjetom i slabošću mišića u udovima i pogađa 10 do 80 ljudi na 100 000. Najčešći podtip CMT poznat je kao CMT1A i uzrokovan je duplikacijom gena koji kodira periferni mijelinski protein 22 (PMP22), što dovodi do visokih razina ovog proteina kod oboljelih osoba. PMP22 je važan za formiranje mijelinske strukturne jedinice, masne izolacije koja omogućuje signalima da brzo putuju od udova do mozga i natrag.

Istraživači su pokušali smanjiti PMP22 u životinjskim modelima CMT1A koristeći različite tehnike, ali njegov prijenos na ljudske pacijente bio je neuspješan. To može biti zato što postojeći životinjski modeli nemaju duplikaciju PMP22 gena poput ljudskog. Ova studija je imala za cilj riješiti ovaj problem.

Budući da i više i niže razine PMP22 mogu dovesti do različitih vrsta bolesti živaca (poznatih kao neuropatije), istraživači su morali biti vrlo oprezni u tome koliko su smanjili PMP22.

Stvorili su i isprobali različite AAV vektore i na kraju odabrali onaj koji je uklonio 20% do 40% kopija gena PMP22 iz genoma. To je bilo dovoljno da se preokrenu mnoge promjene povezane s CMT-om u Schwannovim staničnim kulturama i da se poboljšaju sposobnosti mijelinizacije tih stanica, ističući tako potencijal ovog tretmana kao kliničke terapije za bolest.

"Ipak, postoje neke nedostaci koje treba riješiti prije nego što ovu terapiju možemo staviti u kliniku", kaže dr. Okazawa. "Optimalno mjesto ubrizgavanja za postizanje Schwannovih stanica ostaje nepoznato, a vrijeme ubrizgavanja, ili ubrizgavanja, vjerojatno će biti važno i također ga je potrebno istražiti."

Istraživači su oprezno optimistični jer FDA počinje odobravati slične genske terapije temeljene na AAV-u za liječenje hematoloških bolesti. Oni vjeruju da njihov terapijski pristup ima niske rizike za primjenu kod ljudi i da bi ga se moglo relativno jednostavno prevesti u kliničku terapiju. S obzirom na to da trenutno nema tretmana za CMT osim fizioterapije, radne terapije i upravljanja bolovima, razvoj ove tehnike uređivanja genoma za PMP22 važan je napredak i može smanjiti simptome i poboljšati kvalitetu života osoba s CMT-om. [4]

[4] News Medical life sciences (2024). Groundbreaking genome-editing technique holds promise for treating Charcot–Marie–Tooth disease.

Dostupno na: <https://www.news-medical.net/news/20231219/Groundbreaking-genome-editing-technique-holds-promise-for-treating-Charcote28093Mariee28093Tooth-disease.aspx>

Kako u potpunosti prihvaćam život s pojasnom mišićnom distrofijom



Postavljanje ciljeva, prilagodba i zagovaranje za sebe su važni

Vjerujem da se svi mi koji živimo s kroničnom bolešću nosimo s budućnošću punom nepoznanica. Svi se borimo s neizvjesnošću u pogledu kvalitete života iz godine u godinu, mjeseca u mjesec, pa čak i iz dana u dan. Moja kronična bolest je pojasna mišićna distrofija. Što duže živimo, to više stječemo iskustava. Dok upravljamo svojim zdravljem stječemo mudrost iz prošlih uspjeha i neuspjeha. Kad ste bolesni veći dio života, ponekad vam se može činiti da živite tuđi život. Gledajući unatrag kroz objektiv prošlosti, neki se događaji mogu činiti poput izvantjelesnih iskustava.

Dijagnosticirana mi je mišićna distrofija u ljeto 1985., u dobi od 12 godina. Kad sam bio mlad, pogotovo prije nego što je bolest počela napredovati, svaka godina mi se činila kao desetljeće. Vrijeme se činilo kao da je neograničeno. Moje misli o budućnosti bile su rastrkane i u najboljem slučaju mutne. Sada se pitam jesam li u to vrijeme podsvjesno postavljao prepreke kako bih zaštitio svoje buduće ja od pogoršanja zdravlja. Ili sam jednostavno bio previše zadubljen u sadašnjost da bih mario za ono što bi moglo uslijediti? Ili sam jednostavno bio naivan?

Bilo da je to bila jedna od tih stvari ili kombinacija svih njih, postalo je očito da, kako sam počeo gubiti sposobnost penjanja uz stepenice i trčanja tijekom srednjoškolskih godina, jedan od mojih mehanizama suočavanja bio je usmjeren na pokušaj da ne razmišljam predaleko naprijed u

životu. To ne znači da nisam imao ciljeve; jednostavno sam s vremenom odabrao živjeti svoj život ne razmišljajući prvenstveno o mišićnoj distrofiji.

S godinama sam polako izgubio sposobnost hodanja i počeo koristiti ručna invalidska kolica u svojim ranim 20-ima. Do 30. godine koristio sam ih stalno.

U 40. godini prešao sam na električna invalidska kolica i kupio kombi s rampom i ručnim kontrolama, što mi je dalo slobodu da nastavim voziti. Vožnja je bila moj cilj, a smišljanje kako to učiniti dok živim s mišićnom distrofijom bilo je sekundarno u odnosu na to. Bio sam odlučan ne dopustiti da bolest diktira moj put naprijed.

Stavljam svoje ciljeve na prvo mjesto

Pojasna mišićna distrofija bila je, i još uvijek jest, druga misao za mene kad god je to bilo moguće. Ova mi je perspektiva omogućila da se oslobodim okova svakodnevnog života s kroničnom bolešću. Imam prekrasan sustav podrške obitelji i prijatelja koji su bili uz mene kroz mnoge godine i avanture. Odavno sam naučio da traženje pomoći nije znak slabosti, već pokazivanje snage.

Također sam naučio da je dio moje misije dok idem kroz život da zagovaram za sebe dok educiram druge o svojoj bolesti. U mojim tinejdžerskim godinama to je podrazumijevalo objašnjavanje mojih poteškoća s ravnotežom dok hodam po neravnim površinama i potrebu da mi netko nosi teške predmete. U svojim 20-ima sam svirao bubnjar i uvijek sam imao nekoga sa sobom tko mi je postavljao opremu. Život s mišićnom distrofijom omogućio mi je da imam pratitelja kao da sam slavan!

Danas su se te vrste zadataka promijenile u stvari kao što su pomoć pri ulasku i silaženju sa zahoda, odijevanje i učenje zrakoplovnih prijevoznika kada letim s električnim invalidskim kolicima. Sada mi treba više podrške nego ikad kako bih održao kvalitetu života, ali nastavljam svoje ciljeve stavljati na prvo mjesto, dok na drugom mjestu smišljam kako se nositi s mišićnom distrofijom.

Kako je moja mišićna distrofija napredovala, moj je um odvojio gubitak funkcije u više vremenskih intervala. Svaki dio vremena činio mi se kao drugačiji život, ali naučio sam da sreća proizlazi iz prisutnosti u trenutku, dok sam u stanju prihvatiti trenutnu situaciju zbog svega što ona nudi. [5]

[5] Muscular Dystrophy News Today (2024). How I fully embrace life with limb-girdle muscular dystrophy. Dostupno na: <https://muscular dystrophynews.com/columns/how-i-embrace-life-limb-girdle-muscular-dystrophy>