

## DYNE-101 donosi funkcionalna poboljšanja za osobe s DM1 u kliničkom ispitivanju



*Podaci nove skupine sudionika mogli bi podržati zahtjev za ubrzano odobrenje*

Eksperimentalna terapija DYNE-101 pokazala je očekivane rezultate i dovela do funkcionalnih poboljšanja kod osoba s miotoničkom distrofijom tipa 1 (DM1) u kliničkom ispitivanju, prema ažuriranju tvrtke Dyne Therapeutics.

Faza 1/2 ACHIEVE ispitivanja (NCT05481879) sada će uključivati novu skupinu sudionika koji će primiti dozu koja je dosad pokazala najperspektivnije kliničke koristi. Podaci ove skupine — nazvane registracijska proširena skupina — mogli bi podržati zahtjev za ubrzano odobrenje DYNE-101 za DM1 u SAD-u. Dyne također nastoji dobiti ubrzane postupke odobrenja u drugim zemljama.

„Podaci iz ACHIEVE ispitivanja za DM1 pokazuju značajne funkcionalne koristi u nizu kliničkih mjera i uzbuđeni smo što smo odabrali dozu za našu registracijsku proširenu skupinu,“ rekao je Doug Kerr, dr. med., dr. sc., glavni medicinski direktor Dynea, u priopćenju za medije. „Potaknuti snažnim rezultatima, ubrzavamo razvoj DYNE-101, svjesni hitnosti da donesemo potencijalni prvi tretman osobama koje žive s DM1.“

Drugo ispitivanje faze 1/2, nazvano DELIVER (NCT05524883) testira eksperimentalnu terapiju DYNE-251 kod dječaka u dobi od 4 do 16 godina s Duchenne mišićnom distrofijom (DMD). Ovo ispitivanje također uključuje registracijsku proširenu skupinu koja bi trebala podržati regulatorne aplikacije.

„Kod oba programa ostajemo na putu da završimo upis u naše registracijske proširene skupine do 2025., s ciljem podnošenja zahtjeva za ubrzano odobrenje do 2026., u nadi da ćemo transformirati paradigmu liječenja pacijenata,“ rekao je John Cox, predsjednik i izvršni direktor Dynea.

DM1 je oblik mišićne distrofije kod kojeg mutacije u genu DMPK dovode do stvaranja abnormalne verzije RNA, molekule koja služi kao predložak za sintezu proteina. Ta abnormalna RNA se nakuplja i ometa pravilnu proizvodnju proteina važnih za zdravlje mišića, osobito proces spajanja RNA molekula potrebnih za sintezu proteina.

## *Testiranje DYNE-101*

DYNE-101 sadrži oligonukleotide, kratke niti genetskog materijala koje mogu utjecati na aktivnost gena, dizajnirane da se vežu na ove nakupine DMPK RNA i uzrokuju njihovu razgradnju. Oligonukleotidi su povezani s antitijelima koja ih ciljano usmjeravaju na mišićne stanice.

ACHIEVE ispituje različite intravenozne doze DYNE-101 u usporedbi s placeboom kod odraslih osoba s DM1 u dobi od 18 do 49 godina.

Prethodni privremeni podaci iz više skupina doziranja sugerirali su da DYNE-101 djeluje prema očekivanjima, ispravljajući nedostatke spajanja RNA, smanjujući miotoniju — simptom DM1 obilježen poteškoćama u opuštanju mišića — i poboljšavajući druge aspekte fizičke funkcije.

Nedavno ažuriranje odnosi se na osam pacijenata koji su primili DYNE-101 u dozi od 6,8 mg/kg jednom svaka dva mjeseca, što je režim koji je Dyne odabrao za registracijsku proširenu skupinu.

Liječenje je dovelo do značajnog smanjenja DMPK RNA, uz korekciju nedostatka spajanja RNA, mjereno složenim indeksom alternativnog spajanja (CASI-22), nakon tri mjeseca. Također su zabilježena smanjenja miotonije i funkcionalna poboljšanja u mjerama snage mišića, ravnoteže i umora, primijećena već nakon tri mjeseca i održana do šest mjeseci.

Uočeni su povoljni trendovi u pacijentovim izvještajima o opterećenju bolešću, uključujući podskale povezane sa zdravljem mozga i leđne moždine.

Među skupinama koje su primale doze, DYNE-101 se dobro podnosi, bez identificiranih ozbiljnih nuspojava povezanih s liječenjem.

## *'Značajan korak naprijed' za DM1*

Dyne je komunicirao s FDA-om o načinu za ubrzanim odobrenjem DYNE-101, što uvjetno omogućava stavljanje lijeka na tržište na temelju preliminarnih dokaza da je vjerojatno učinkovit, dok su potvrđujuća klinička ispitivanja u tijeku. U slučaju DYNE-101 tvrtka planira koristiti CASI-22 kao zamjensku krajnju točku.

Registracijska proširena skupina uključivat će oko 32 pacijenta koji će primiti režim doziranja od 6,8 mg/kg. Primarni cilj u ovoj skupini bit će CASI-22 uz prikupljanje funkcionalnih mjera.

„Podaci iz ACHIEVE ispitivanja predstavljaju značajan korak naprijed i naglašavaju potencijal DYNE-101 za rješavanje mnogih od najizazovnijih simptoma s kojima se suočavaju osobe koje žive s DM1,“ rekao je James Lilleker, dr. sc., neurolog i glavni istraživač ACHIEVE ispitivanja.

DYNE-251, razvijen na istoj platformi kao DYNE-101, osmišljen je za povećanje proizvodnje distrofin proteina, koji nedostaje osobama s DMD-om s mutacijama gena DMD koje omogućuju preskakanje egzona 51.

Dyne je ranije izvijestio da podaci iz DELIVER ispitivanja pokazuju povećanje razine distrofina i funkcionalna poboljšanja. Od tog ažuriranja, prijavljeno je da se terapija i dalje dobro podnosi bez novih ozbiljnih nuspojava povezanih s liječenjem.

Tvrtka nastoji dobiti ubrzano odobrenje DYNE-251 koristeći razine distrofina kao zamjensku mjeru ishoda. [1]

[1] Muscular Dystrophy News Today (2025). DYNE-101 is leading to functional gains for DM1 patients in trial.

Dostupno na: <https://muscular dystrophy news.com/news/dyne-101-leading-functional-gains-dm1-patients-achieve-trial/>

## Povećanje razine SMN proteina može biti koristan početni korak u liječenju SMA



### *Ready-to-use protein poboljšava učinkovitost terapija usmjerenih na SMN2*

Kombinacija ready-to-use SMN proteina i eksperimentalnog liječenja usmjerenog na gen SMN2, koje djeluje slično kao Spinraza (nusinersen), ublažila je abnormalnosti u motoričkim neuronima izvedenim iz pacijenta sa spinalnom mišićnom atrofijom (SMA), navode istraživači.

Dodavanje proteina, koje povećava razinu (ekspresiju) SMN proteina, u kombinaciji s terapijom usmjerenom na SMN2 pokazalo se učinkovitijim od bilo kojeg pristupa pojedinačno, istaknuli su istraživači koji su razvili ovaj protein pune duljine.

“Ovi rezultati pružaju uvjerljive dokaze o potencijalu našeg [ready-to-use] proteina kao dodatka postojećim terapijama,” napisali su istraživači.

Rad pod naslovom „Rekombinantni SMN protein djeluje sinergijski s terapijom za spinalnu mišićnu atrofiju kako bi se ublažili patološki fenotipovi motoričkih neurona“ objavljen je kao pismo u časopisu Translational Neurodegeneration od strane istraživačkog tima iz Italije.

### *Potrebni su ‘dodatni pristupi’ za poboljšanje trenutnih terapija za SMA*

Rijetko genetsko stanje obilježeno simptomima bolesti progresivne slabosti i trošenja mišića, SMA uzrokovano je mutacijama u obje kopije gena SMN1. Posljedično, proizvodi se vrlo malo ili nimalo SMN proteina, što dovodi do gubitka motoričkih neurona – specijaliziranih živčanih stanica koje kontroliraju dobrovoljne pokrete.

Spinraza, prva odobrena terapija za modifikaciju bolesti, je antisense oligonukleotid (ASO) – molekula temeljena na RNA. Ova terapija povećava razinu SMN proteina vezivanjem za glasničku RNA (mRNA) SMN2 gena, korigirajući njeno spajanje, proces koji omogućuje jednom genu da proizvodi više različitih proteina.

Bez ciljne terapije, SMN2 – „rezervni“ gen za SMN1 – proizvodi kraći, manje stabilan i slabiji protein.

Postojeće terapije za SMA koje mijenjaju tijek bolesti – Spinraza, Evrysdi (risdiplam) i genska terapija Zolgensma (onasemnogene abeparvovec-xioi) – mogu značajno poboljšati motoričke i respiratorne funkcije pacijenata. Međutim, odgovor na liječenje je varijabilan, a ove terapije su najučinkovitije kada se primijene rano u životu.

“Važno ograničenje” Spinraze i Evrysdi-a, obje terapije koje modificiraju spajanje SMN2, je to što ne mogu brzo inducirati visoku proizvodnju SMN proteina, istaknuli su znanstvenici. Također, količina dostupne SMN2 mRNA može biti ograničena kod pacijenata, osobito onih s SMA tip 1, uobičajenim i teškim oblikom bolesti.

“Ove zapažanja sugeriraju da postojeće terapije još uvijek nisu lijek, što naglašava potrebu za razvojem dodatnih pristupa za poboljšanje učinkovitosti ovih dostupnih terapija,” napisali su istraživači.

### *Ready-to-use protein testiran na neuronima izvedenim iz pacijenta sa SMA i nositelja*

Znanstvenici su razvili novu terapiju, nazvanu TAT-flSMN, koja dostavlja ready-to-use ljudski SMN protein pune duljine. Proveli su različite laboratorijske testove ovog proteina, uključujući na motoričkim neuronima izvedenim iz induciranih pluripotentnih matičnih stanica pacijenta sa SMA tip 2 i zdravog, povezanog nositelja SMA (s jednom mutiranom kopijom SMN1 gena). Ove matične stanice su značajne jer se mogu programirati da se razviju u bilo koju vrstu stanice u tijelu; u ovoj studiji, sazrijevale su kao motorički neuroni.

Rezultati su pokazali da su neuriti (projekcije živčanih stanica) motoričkih neurona pacijenta sa SMA bili kraći i osjetljiviji na programiranu staničnu smrt u usporedbi s onima izvedenim iz nositelja, koji je služio kao kontrola.

Defekti su ublaženi kada su motorički neuroni pacijenta dobili povećane doze TAT-flSMN proteina, izvijestili su znanstvenici. Dulji neuriti i manja stanična smrt također su zabilježeni kod motoričkih neurona tretiranih s PMO25. PMO25 je eksperimentalni ASO koji cilja SMN2 gen, djelujući slično Spinrazi kako bi povećao proizvodnju funkcionalnog SMN proteina.

# SDDH @-BILTEN

Kombinacija TAT-flSMN i PMO25 učinkovitije je smanjila promjene povezane sa SMA u motoričkim neuronima nego bilo koja terapija pojedinačno, “što sugerira da pravovremeno povećanje SMN proteina može značajno ublažiti patološke fenotipove motoričkih neurona povezane sa SMA,” napisali su istraživači.

“Vjerujemo da će kliničko upravljanje SMA biti poboljšano s preciznijim strategijama za povećanje ekspresije SMN proteina, poput TAT-flSMN, ali i njihovom kombinacijom s nutricionističkim i rehabilitacijskim programima u sklopu sveobuhvatnog plana skrbi za pacijente,” zaključili su. [2]

[2] SMA News Today (2025). Raising SMN protein levels may be helpful early step in SMA treatment.  
Dostupno na: <https://smanewstoday.com/news/raising-smn-protein-levels-boost-sma-therapy-effectiveness/>



## Novi podaci ispitivanja ALS-a pokazuju gotovo dvogodišnje produljenje životnog vijeka s NP001



### *Produljenje životnog vijeka dokazano je u podskupini pacijenata u 2 ispitivanja faze 2*

NP001 (natrijev klorit) povezan je sa značajnim produljenjem životnog vijeka u podskupini pacijenata s amiotrofičnom lateralnom sklerozom (ALS) koji nisu pokazivali znakove napredovanja bolesti tijekom liječenja eksperimentalnom terapijom u kliničkim ispitivanjima faze 2, prema novim podacima iz dviju studija.

U ovoj skupini tzv. "neprogresora", pacijenti koji su primali NP001 tijekom šest mjeseci živjeli su 22 mjeseca dulje od osoba u kontrolnoj skupini, od kojih je većina primala odobrenu terapiju za ALS, riluzol. Tvrtka Neuvivo, koja razvija terapiju, vjeruje da je produženje preživljenja povezano sa sposobnošću NP001 da uspori respiratorno propadanje, navodi se u priopćenju tvrtke.

"Podaci dosljedno pokazuju da NP001 usporava ili zaustavlja napredovanje ALS-a kod podskupine pacijenata s upalnim oblikom bolesti već nakon šest mjeseci liječenja", navedeno je u priopćenju.

Ovi nalazi su u skladu s nedavno objavljenim analizama iz veće skupine sudionika ispitivanja, istaknula je tvrtka. Te su analize podržale Neuvivovu prošlogodišnju prijavu američkoj Agenciji za hranu i lijekove (FDA) za odobrenje NP001 kao terapije za ALS.

Novi podaci predstavljeni su na ALS Network Research Summitu, održanom ranije ovog

mjeseca u San Franciscu, a iznio ih je dr. Michael McGrath, osnivač i glavni znanstveni direktor tvrtke Neuvivo.

Ari Azhir, izvršna direktorica i suosnivačica Neuviva, istaknula je kako se novi nalazi "dobro poklapaju" s prethodno objavljenim podacima te "doprinosu sve većem broju dokaza koji podupiru kliničku korist NP001 u liječenju ALS-a". Dodala je i da "ovaj lijek može pružiti značajnu korist osobama koje žive s ALS-om".

*NP001 je testiran u dvije ranije kliničke studije protiv placebo*

ALS je složena neurodegenerativna bolest u kojoj odumiru živčane stanice odgovorne za kontrolu voljnih pokreta tijela. To dovodi do progresivnog gubitka svakodnevnih funkcija, uključujući hodanje, jedenje i govor. Konačni gubitak funkcije disanja najčešći je uzrok smrti bolesnika.

Među čimbenicima za koje se vjeruje da pridonose neurodegeneraciji kod ALS-a su upala i disfunkcija imunoloških stanica.

NP001, koji se daje intravenozno ili putem infuzije u krvotok, ima za cilj reprogramirati imunološke stanice zvane makrofagi iz toksičnog, proupalnog stanja u neupalno stanje. U konačnici, očekuje se da će ovo potisnuti nekontrolirane imunološke odgovore koji pokreću upalu i oštećenje živčanih stanica kod ALS-a, čime se usporava napredovanje bolesti.

Ovaj terapijski kandidat prethodno je testiran u dvije placebo- kontrolirane kliničke studije faze 2 – studiji faze 2a (NCT01281631) i studiji faze 2b (NCT02794857) – na osobama s ALS-om u dobi od 21 do 80 godina, kojima su simptomi počeli unutar tri godine prije početka studije. edna od dvije doze NP001 (1 mg/kg ili 2 mg/kg) ili placebo davani su u mjesečnim ciklusima, s infuzijama primijenjenim tijekom 3-5 uzastopnih dana, tijekom šestomjesečnog razdoblja liječenja.

Rezultati studija pokazali su da NP001 nije značajno usporio progresiju bolesti u odnosu na placebo, kako je ocijenjeno revidiranom ALS funkcionalnom ljestvicom za procjenu (ALSFRR). Međutim,  dodatne analize  pokazale su da bi liječenje moglo usporiti napredovanje bolesti i sačuvati funkciju pluća u podskupini sredovječnih pacijenata s visokom razinom upale.

Tvrtka Neuvivo je potom u listopadu prošle godine objavila još dvije studije koje su dodatno analizirale dugoročne ishode preživljenja pacijenata koji su prethodno sudjelovali u šestomjesečnim kliničkim ispitivanjima.

Ti su nalazi pokazali da je životni vijek značajno produljen – za 4,8 mjeseci – kod pacijenata



koji su primali NP001 u dozi od 2 mg/kg u usporedbi s onima koji su dobivali placebo. Nadalje, još izraženija korist zabilježena je kod pacijenata koji su imali 65 ili manje godina u trenutku upisa u studiju te kod onih s umjerenim razinama upale. Terapija NP001 također je bila povezana s oko 50% usporavanjem respiratornog propadanja, što Neuvivo smatra ključnim čimbenikom koji je pridonio poboljšanju životnog vijeka.

*Novi podaci pokazuju usporenje smanjenja plućne funkcije kod određenih pacijenata*

U prezentaciji na summitu, McGrath je podijelio nalaze dodatnih analiza koje su proširile ove rezultate. Ovi novi podaci su se posebno usredotočili na podskupinu pacijenata koji su smatrani neprogresivnim - što znači da nisu doživjeli pogoršanje ALSFRS-R rezultata - tijekom ispitivanja faze 2.

"Jedan od najzbunjujućih aspekata istraživanja ALS-a je činjenica da bolest ne napreduje ravnomjerno", rekao je McGrath, koji je i profesor emeritus medicine na Sveučilištu Kalifornija u San Franciscu. "Moja analiza promatrala je pacijente čije se napredovanje usporilo ili zaustavilo korištenjem standardnog testa za funkcionalne promjene kod pacijenata s ALS-om." Među tim osobama koje nisu napredovale, liječenje NP001 u dozi od 2 mg/kg bilo je povezano sa značajnim usporavanjem opadanja plućne funkcije u usporedbi s placebo.

Nadalje, među pacijentima za koje se smatra da imaju karakteristike rizika za napredovanje bolesti na temelju studija prirodne povijesti, 31% pacijenata liječenih NP001 nije pokazalo progresiju bolesti tijekom šest mjeseci u usporedbi s 14% onih koji su primali placebo.

Medijan produćjenja životnog vijeka pacijenata liječenih NP001 bio je 58 mjeseci, ili gotovo pet godina, u usporedbi s 36 mjeseci, ili tri godine, u kontrolnoj skupini. Sveukupno, to je značilo značajnu, gotovo dvogodišnju korist u preživljavanju uz liječenje.

Među osobama koje nisu napredovale, klinička poboljšanja bila su popraćena korekcijom upalnih biomarkera i smanjenjem lakog lanca neurofilamenta, biomarkera oštećenja živaca, prema tvrtki. Neuvivo vjeruje da podaci dodatno podupiru ideju da je usporavanje opadanja disanja ključno za poboljšanje preživljavanja ALS-a.

Tvrtka je napomenula da trenutačno ne postoje dostupne terapije koje mogu očuvati funkciju disanja kod pacijenata s ALS-om. Ako na kraju bude odobren, NP001 bi bio prvi tretman koji bi mogao modificirati bolest, prema Neuvivu. [3]

[3] ALS News Today (2025). New ALS trial data show nearly 2-year survival benefit with NP001.

Dostupno na: <https://alsnewstoday.com/news/new-als-trial-data-show-22-month-survival-benefit-np001/>

## NMD670 dobio orphan status lijeka za CMT dok započinje kliničko ispitivanje



*Studija faze 2 traži 80 sudionika u SAD-u i Europi*

Američka uprava za hranu i lijekove (FDA) dodijelila je orphan status eksperimentalnoj oralnoj terapiji NMD670 za liječenje Charcot-Marie-Toothove bolesti (CMT).

Orphan status dodjeljuje se terapijama namijenjenima prevenciji, dijagnosticiranju ili liječenju rijetkih bolesti, koje se u SAD-u definiraju kao one koje pogađaju manje od 200.000 ljudi. Cilj oznake je ubrzati razvoj takvih terapija pružanjem poticaja poput poreznih olakšica za klinička ispitivanja, izuzeća od određenih naknada i sedmogodišnje tržišne ekskluzivnosti ako terapija bude odobrena.

U međuvremenu, u tijeku je prvo kliničko ispitivanje (NCT06482437) koje testira NMD670 kod osoba s CMT-om i traži sudionike. FDA je odobrila ispitivanje u lipnju prošle godine, a tvrtka NMD Pharma objavila je u studenom da je studija započela te da je prvi pacijent primio dozu lijeka.

Ispitivanje nazvano SYNAPSE-CMT, koje se provodi u fazi 2, uključit će 80 odraslih osoba s genetski potvrđenim CMT-om tipa 1 i tipa 2 — najčešćim oblicima ove bolesti — na lokacijama u SAD-u i Europi.

„NMD Pharma predano radi na rješavanju potreba pacijenata koji žive s neuromuskularnim

bolestima rijetke bolesti NMD670,“ izjavio je Thomas Holm Pedersen, dr. sc., izvršni direktor tvrtke NMD Pharma, u priopćenju za medije.

## *Mala molekula usmjerena na inhibiciju CIC-1*

CMT (Charcot-Marie-Tooth) skupina je nasljednih neuromuskularnih poremećaja karakteriziranih perifernom neuropatijom, odnosno oštećenjem živaca izvan mozga i leđne moždine koji su odgovorni za osjet i pokret. Među simptomima su slabost i propadanje skeletnih mišića, koji kontroliraju voljne pokrete.

NMD670 je prva u klasi oralna mala molekula koja inhibira kloridni ionski kanal 1 (CIC-1), protein uključen u funkciju skeletnih mišića.

Podaci pokazuju da inhibicija CIC-1 poboljšava signalizaciju na neuromuskularnoj spojnici (NMJ) – mjestu gdje se živčane i mišićne stanice povezuju kako bi omogućile dobrovoljne pokrete. Tvrtka NMD Pharma vjeruje da bi ovo moglo pomoći u vraćanju normalnije funkcije skeletnih mišića kod neuromuskularnih bolesti poput CMT-a.

Orphan status lijeka za rijetke bolesti (status lijeka za rijetke bolesti) „ne samo da naglašava hitnu potrebu za novim, učinkovitim tretmanima za ovu rijetku bolest, već i potvrđuje terapijski potencijal našeg pristupa inhibicije CIC-1 specifične za skeletne mišiće u rješavanju povezane slabosti i umora mišića“, izjavio je Holm Pedersen.

Prošlog mjeseca tvrtka je objavila rad u časopisu Annals of Clinical and Translational Neurology koji sadrži podatke koji podupiru ulogu inhibicije CIC-1 u CMT-u. Uključeni su nalazi iz opservacijske studije ESTABLISH (NCT04980807), koju je NMD Pharma pokrenula 2021. godine kako bi bolje razumjela kako CMT utječe na signalizaciju na neuromuskularnoj spojnici. U studiji je sudjelovala 21 osoba s CMT1 ili CMT2 te 10 zdravih osoba, a svi su prošli testove za procjenu fizičke funkcije i NMJ signalizacije.

Rezultati su pokazali da osobe s CMT-om imaju značajne nedostatke u funkciji na neuromuskularnoj spojnici u usporedbi sa zdravim osobama. Kod pacijenata se veći stupanj disfunkcije neuromuskularne spojnice s lošijom fizičkom funkcijom, uključujući snagu, ravnotežu, pokretljivost i izdržljivost.

Objava također uključuje pretkliničke nalaze iz mišjih modela CMT1 i CMT2. Podaci pokazuju da je liječenje NMD670 poboljšalo različite aspekte funkcije mišića, uključujući maksimalnu mišićnu snagu i izdržljivost.

U kliničkom ispitivanju SYNAPSE-CMT sudionici će nasumično biti raspoređeni na primanje

# SDDH @-BILTEN

NMD670 ili placebo, koji će uzimati dva puta dnevno u obliku oralnih tableta tijekom tri tjedna. Glavni cilj je procijeniti promjene u fizičkoj funkciji, koje će se mjeriti testovima poput šestominutnog hoda, trčanja/hoda na 10 metara te testa ustajanja i kretanja (timed-up-and-go test).

Sekundarni ishodi uključuju mjerenje ozbiljnosti bolesti, umora, neuropatije, kvalitete života i sigurnosti. Očekuje se da će ispitivanje biti završeno 2026. godine.

Tijek kliničkih ispitivanja također uključuje testiranje NMD670 za druge neuromuskularne indikacije, uključujući generaliziranu mijasteničnu gravis (gMG) i spinalnu mišićnu atrofiju. Američka agencija za hranu i lijekove (FDA) dodijelila je NMD670 orphan status lijeka za za gMG. [4]

[4] Charcot-Marie-Tooth News (2025). NMD670 granted orphan drug status for CMT as clinical trial starts.

Dostupno na: <https://charcot-marie-toothnews.com/news/nmd670-granted-orphan-drug-status-cmt-clinical-trial-starts/>

## Bolest dišnog sustava natjerala me da se borim za život



*Uz SMA, "razboliti se" znači puno više nego za većinu*

Dok sam ležala u krevetu, želeći da moje tijelo nađe malo energije za pisanje ove kolumne, na mom telefonu je iskočila obavijest. Prema USA Today, "četverostruki udar virusa" širio se zemljom. Sve što sam mogao učiniti bilo je zakolutati očima.

Nakon proteklih nekoliko tjedana, nije mi trebao novinski članak koji bi mi rekao koliko su virusi harali u zajednici. Također nisam trebala da moje razine tjeskobe budu više nego što su već bile. Jao, bilo je to doba godine kada je sezona prehlade i gripe nemilosrdno napadala svakoga na svom ratnom putu. Nažalost, postala sam jedna od njenih žrtava kada me prošlog mjeseca uhvatila gadna prehlada.

Kada živite sa spinalnom mišićnom atrofijom (SMA), respiratorna bolest može biti opasna po život zbog slabosti mišića. Jednostavno rečeno, nisam dovoljno jaka da kašljem i očistim pluća od sluzi. Prije sam zbog obične prehlade bio na odjelu intenzivne njege. Skraćenica od tri slova, RSV, koja je kratica za respiratorni sincicijski virus, izaziva mi strašne uspomene. A upala pluća mi je skoro oduzela život nekoliko puta.

S obzirom na moju povijest, sa sigurnošću se može reći da moja pluća nemaju najbolje rezultate kada je u pitanju bolest. Dakle, kad me nedavna respiratorna infekcija srušila po prvi put u godinama, moji su se najgori strahovi ostvarili. Morala sam se očajnički boriti za svoj život.

Od moje zadnje respiratorne infekcije prije sedam godina, tijelo mi je postalo slabije, ostavljajući me uznemirujući osjećaj da ću se razboljeti. Sada živim s kroničnim umorom. Koristim nazojeunalnu sondu jer više ne mogu dobro gutati. Kapacitet pluća mi se malo smanjio, a mišići su mi izgubili snagu. Usred tih polaganih opadanja mog zdravlja pojavila se nametljiva misao da neću biti dovoljno jaka da dobijem sljedeću bitku i da ću podleći sljedećem respiratornom virusu.

Nažalost, ova mogućnost je sumorna stvarnost za nas u zajednici SMA. To je razlog zašto se sklonim tijekom sezone klica, odričem se društvenih angažmana zimi i još uvijek nosim masku u javnosti. Ali unatoč mojim najvećim naporima, ne mogu zauvijek pobjeći od neizbježnog.

Tri sam se tjedna neumorno borila uz svoje roditelje, koji su bili svjetionik u ovom mračnom vremenu. Dali su mi raspršivače albuterola svaka četiri sata, s raspršivačima hipertonične fiziološke otopine između. Stavili su me na posturalnu drenažu, položaj koji dopušta gravitaciji da drenira sluz iz mojih pluća, i izvodili fizikalnu terapiju prsnog koša svaki sat. Što je najvažnije, nikad me nisu napustili i činili su sve što su mogli da mi bude ugodno.

Dok sjedim ovdje nakon toga, razmišljajući o tome što je moje tijelo pretrpjelo, osjećam se zahvalno i blagoslovljeno. Borila sam se na načine za koje nisam znala da sam sposobna za borbu. S druge strane, trenutno sam slabija nego ikad. Moje tijelo je gurnuto daleko izvan svojih granica, i iako se isplatilo, sada moram učiniti drugačiju vrstu ozdravljenja. I počinje s odmorom.

Trenutno se nalazim negdje između trijumfa i krhkosti. To što sam preživjela tako mučno iskustvo podsjetilo me na moju otpornost. Ipak, to me također učinilo svjesnijom ranjivosti mog tijela.

Imam još dosta vremena do kraja sezone prehlade i gripe. Do tada ću ostati na oprezu. Ostatak ću usredotočiti na liječenje i obnovu, jedan dah po jedan. [4]

[5] SMA News Today (2025). A respiratory illness left me fighting for my life.

Dostupno na: <https://smanewstoday.com/columns/respiratory-illness-left-me-fighting-life/>