

Θεραπευτικές επιλογές

Σήμερα υπάρχουν δύο εγκεκριμένες θεραπευτικές επιλογές στην Ευρώπη για την αντιμετώπιση της SMA:

- **Μια φαρμακευτική αγωγή** που χορηγείται σε επαναλαμβανόμενες δόσεις συντήρησης σε βάθος χρόνου, για το υπόλοιπο της ζωής του ασθενούς, και έχει ως στόχο τη διαχείριση της κλινικής κατάστασης των ασθενών.
- **Μια εφάπαξ γονιδιακή θεραπεία**, η οποία σχεδιάστηκε για να αντιμετωπίσει την μονογονιδιακή αιτία της νόσου. Η θεραπεία αυτή αντικαθιστά στα κύτταρα του ασθενούς τη λειτουργία του γονιδίου SMN1, που λείπει ή δεν λειτουργεί, με ένα νέο λειτουργικό αντίγραφο. Έτσι, σταματά η καταστροφή των κινητικών νευρώνων και αναστέλλεται η πρόοδος της νόσου.