

Počinje li DMD u maternici? Novo istraživanje dovodi u pitanje stara uvjerenja



Nalazi podupiru potencijal nove oralne terapije tvrtke Satellos

Novi nalazi istraživanja na miševima dovode u pitanje dugogodišnja uvjerenja o uzrocima Duchenneove mišićne distrofije (DMD), a dokazi pokazuju da je genetska bolest obilježena abnormalnostima u mišićnim matičnim stanicama tijekom fetalnog razvoja - što ukazuje na to da DMD može započeti u maternici.

Prema istraživačima, ovi nalazi sugeriraju da se osobe s DMD-om mogu roditi s deficitima u mišićima. Rad također podržava potencijal SAT-3247, eksperimentalne oralne terapije tvrtke Satellos Bioscience koja ima za cilj vratiti funkciju mišićnih matičnih stanica, za liječenje osoba s DMD-om.

„Ovi nalazi jasno pokazuju da Duchenneova distrofija počinje kao neuspjeh mišićnih matičnih stanica u izgradnji i održavanju mišića - bez ikakvih dokaza o krhkosti ili oštećenju mišićnih vlakana“, rekao je Michael Rudnicki, dr. sc., koautor nove studije i suosnivač te glavni istraživač u Satellosu, u priopćenju za javnost tvrtke. Rudnicki, također viši znanstvenik u Istraživačkom institutu bolnice Ottawa, pružio je financijsku potporu za studiju.

U studiji su znanstvenici primijetili da „disfunkcija „mišićnih matičnih stanica“ i aberantna mišićna arhitektura nastaju „in utero“, odnosno u maternici.

Studija pod naslovom „Intrinzična disfunkcija u mišićnim matičnim stanicama kojima nedostaje distrofin počinje tijekom sekundarne miogeneze“, objavljena je u časopisu Nature Communications.

DMD je nasljedni poremećaj uzrokovan mutacijama u genu koji kodira mišićni protein zvan distrofin. U zrelih mišićnim vlaknima, distrofin je poznat po tome što djeluje poput amortizera, pomažući u zaštiti mišićnih stanica od oštećenja uzrokovanih habanjem.

Znanstvenici su dugo vjerovali da se osobe s DMD-om rađaju sa zdravim mišićima, koji zatim s vremenom akumuliraju prekomjerna oštećenja, što dovodi do simptoma bolesti.

Problemi pronađeni u mišićnim matičnim stanicama kod miševa prije rođenja

Ova nova otkrića osporavaju tu ideju. U studiji, znanstvenici iz Istraživačkog instituta i Sveučilišta u Ottawi, oba u Kanadi, proveli su detaljne analize mišićnih stanica tijekom prenatalnog razvoja na mišjem modelu DMD-a.

Tim je otkrio da miševi nisu pokazali probleme s primarnom miogenezom - procesom u kojem primordijalne stanice u novonastalom embriju počinju poprimati specifične značajke potrebne za razvoj mišića. Međutim, miševi s DMD-om pokazali su značajnu disregulaciju sekundarne miogeneze, procesa u kasnijem fetalnom razvoju u kojem mišićno tkivo raste i sazrijeva.

Ova disregulacija u sekundarnoj miogenezi dovela je do problema s mišićnim matičnim stanicama, otkrili su istraživači. Matične mišićne stanice su normalno odgovorne za stvaranje novih mišićnih stanica, što je ključno i za stvaranje mišića tijekom fetalnog razvoja i za popravak mišića kasnije u životu.

Kod miševa s DMD-om, sposobnost mišićnih matičnih stanica za stvaranje novih mišićnih stanica bila je smanjena, otkrili su istraživači. Kao rezultat toga, miševi s DMD-om imali su manje i manja mišićna vlakna od tipičnih zdravih miševa.

„Naši nalazi pružaju uvjerljive dokaze da je DMD intrinzični poremećaj „mišićnih matičnih stanica“ karakteriziran deficitima u „aktivnosti mišićnih matičnih stanica“ koji počinju tijekom sekundarne miogeneze“, napisali su istraživači.

Daljnjim eksperimentima znanstvenici su rasvijetlili neke od molekularnih mehanizama koji leže u osnovi disfunkcije mišićnih matičnih stanica kod DMD-a.

Kada se mišićna matična stanica aktivira kako bi stvorila novo mišićno tkivo, dijeli se na dvije stanice: jednu koja će postati nova mišićna stanica i drugu koja će ostati mišićna matična stanica, sposobna ponovno se aktivirati ako je potrebno.

Tim je otkrio da distrofin normalno interagira s drugim proteinom zvanim MARK2, a bez te interakcije, mišićne matične stanice ne mogu ispravno provesti ovu vrstu neravnomjerne diobe.

Znanstvenici su nadalje utvrdili da smanjenje aktivnosti drugog proteina, zvanog AAK1, može ispraviti ovaj defekt.

„Modulacijom AAK1 pokazali smo snažno sredstvo za regulaciju polariteta, normalizaciju funkcije matičnih stanica i poboljšanje stvaranja mišića u distrofičnim modelima, što ukazuje na uvjerljiv put prema strategijama regenerativnog liječenja“, rekao je Rudnicki.

SAT-3247 se sada testira na pacijentima s DMD-om

SAT-3247 je oralni inhibitor AAK1 koji je sada u kliničkom ispitivanju. Cilj eksperimentalne terapije je poboljšati aktivnost mišićnih matičnih stanica, čime se potiče popravak i potencijalno usporava napredovanje DMD-a.

Podaci iz ranog ispitivanja u koje je bilo uključeno pet odraslih osoba s DMD-om pokazali su da se snaga stiska pacijenata gotovo udvostručila nakon mjesec dana uzimanja SAT-3247, bez prijavljenih ozbiljnih sigurnosnih problema.

Frank Gleeson, suosnivač i izvršni direktor tvrtke Satellos, rekao je da nalazi nove studije „dodatno potvrđuju naše uvjerenje da je ispravljanje disfunkcije matičnih stanica ključno za promjenu putanje Duchenneove bolesti.“ [1]

[1] Muscular Dystrophy News Today (2025). Does DMD start in the womb? New research challenges old beliefs
Dostupno na: <https://muscular dystrophynews.com/news/dmd-treatment-agamree-avoid-issues-traditional-steroids/>

Novo doba skrbi za SMA usmjereno je na dugoročno zdravlje cijelog tijela



Rijetko genetsko stanje sada se liječi u svim fazama života

Novi tretmani za spinalnu mišićnu atrofiju (SMA) pomažu mnogim ljudima da žive dulje i ispunjenije živote, mijenjajući što znači odrasti – i stariti – s tim stanjem. SMA se sada liječi u svim fazama života, pomičući skrb s palijativne podrške prema dugoročnom zdravlju i neovisnosti.

Brian Lin, dr. sc., direktor istraživačkog portfelja Udruge za mišićnu distrofiju (MDA), kaže da ovo označava novu eru u liječenju SMA, gdje se terapije koje modificiraju bolest kombiniraju s fokusom na SMA kao stanje cijelog tijela.

„To mijenja psihološko stanje svih, gdje su u stanju razmišljati o budućnosti“, kaže.

Redefiniranje skrbi za SMA

Do posljednjih godina, liječenje SMA uglavnom se usredotočivalo na dojenčad i malu djecu, pomažući im u postizanju razvojnih prekretnica.

Za starije osobe sa SMA očekivalo se postupno napredovanje simptoma, što se smatralo neizbježnim dijelom prirodnog tijeka bolesti.

Međutim, prema Linu, studije su pokazale da kada se liječe terapijama koje modificiraju tijek bolesti, starije osobe sa SMA mogu imati stabiliziranu motoričku funkciju i veću neovisnost.

Ističe studiju SUNFISH, koja je pokazala da oralni lijek može pomoći u stabilizaciji ili poboljšanju motoričke funkcije kod osoba u dobi od 2 do 25 godina sa SMA tipa 2 ili 3.

„To su bili veliki rezultati jer, ako pogledamo prirodni tijek te populacije pacijenata, to bi bio postupan pad. Stabilizacija je imala ogroman utjecaj na napredovanje njihove bolesti“, objašnjava Lin.

Ta stabilizacija se prenijela u više od kliničkih dobitaka. S poboljšanom motoričkom funkcijom i izdržljivošću, sve više ljudi koji žive sa SMA sada stječe fakultetske diplome, napreduje u karijeri i uživa u iskustvima poput putovanja - prilikama koje su se nekada činile nedostižnima za mnoge ljude s rijetkim genetskim stanjem, dodaje.

Prelazak na njegu cijelog tijela

Još jedna lekcija naučena iz SUNFISH-a i drugih kliničkih ispitivanja, kaže Lin, jest da tretmani SMA nisu univerzalni, jer nijedna terapija ne djeluje na isti način za svakoga.

Ovo razumijevanje pomoglo je u preusmjeravanju modela skrbi prema njezi cijelog tijela. To je pristup koji gleda dalje od neuromuskularnih simptoma na mnoge sustave na koje SMA može utjecati.

„Lijekovi ne rješavaju sve simptome SMA. Znamo da SMA utječe na mnoga druga područja: respiratorno, srčano, metaboličko i zdravlje kostiju“, napominje.

Kako bi se zadovoljile ove veće potrebe, multidisciplinarni centri za skrb, poput onih koje podržava MDA-ina mreža centara za skrb, okupljaju stručnjake koji mogu pružiti koordiniranu, dugoročnu skrb. Ova skrb može uključivati ranu respiratornu podršku, programe fizikalne i radne terapije, prehrambene smjernice i usluge mentalnog zdravlja.

Ova vrsta integriranog pristupa može napraviti veliku razliku u svakodnevnom životu.

„To znatno olakšava pacijentima teret, jer mogu dobiti svu skrb za sve te različite simptome, ne samo za neuromuskularne simptome, na jednom mjestu“, kaže Lin. „Sva ta područja mogu se riješiti odjednom.“

Prijelaz s pedijatrijske na odraslu zdravstvenu skrb

S medicinskim napretkom koji podržava dulji i ispunjeniji život, planiranje životnih prijelaza postalo je dio sveobuhvatne skrbi za SMA.

Prijelaz s pedijatrijske na odraslu zdravstvenu skrb može biti jedna od najvećih prilagodbi. Mladi

odrasli sa SMA uče sami donositi medicinske odluke, zalagati se za svoje potrebe i upravljati složenim rutinama, a istovremeno primaju kontinuiranu podršku od svojih obitelji i timova za njegu.

„Sada vidimo djecu kako odrastaju u odrasle osobe i imaju karijere. Mnogo toga je planiranje prijelaza“, objašnjava Lin, dodajući da je podrška mentalnom zdravlju također bitan dio procesa.

Putem svog Centra za mentalno zdravlje, MDA povezuje osobe sa SMA i njihove obitelji sa stručnjacima za mentalno zdravlje, grupama podrške, savjetodavnim službama i drugim resursima.

Lin naglašava da fokus na emocionalno blagostanje može ojačati otpornost i pomoći ljudima da se nose s neizvjesnošću, tjeskobom i depresijom koje mogu pratiti život s kroničnim stanjem poput SMA.

Gledajući unaprijed, Lin očekuje da će inovacije i istraživanja nastaviti napredovati, iako priznaje da još uvijek postoje praznine, posebno u skrbi za starije osobe sa SMA.

„Još uvijek nam treba puno podataka o tome kako ovi lijekovi utječu na odrasle i stariju djecu“, kaže, „i trebamo više intervencija koje su više prilagođene onima koji su puno više napredovali ili su malo kasnije primili tretmane.“

U potrazi za tim odgovorima, Lin ističe digitalne zdravstvene tehnologije kao vrijedan alat.

Kontinuirano prikupljanje podataka putem nosivih senzora može pratiti promjene tijekom vremena, nudeći posebne prednosti za odrasle osobe sa SMA. Nosivi senzori omogućuju kliničarima daljinsko praćenje pacijenata i prilagođavanje liječenja u stvarnom vremenu, napominje.

Još jedno obećavajuće područje su kombinirane terapije, koje pokušavaju riješiti SMA iz više kutova ciljajući i nedostatak SMN proteina i snagu mišića.

Lin dijeli svoj optimizam u vezi s tretmanima usmjerenim na mišiće koji djeluju s postojećim terapijama, posebno za one koji liječenje započinju kasnije u životu.

Na primjer, jedna terapija može povećati SMN protein koji nedostaje ljudima sa SMA, dok se druga fokusira na izravno jačanje mišića. Ovaj dvostruki pristup može pomoći u rješavanju različitih aspekata bolesti kod onih koji su doživjeli veću progresiju prije početka liječenja.

Nadograđujući taj potencijal, Lin također ističe trenutna istraživanja terapija matičnim stanicama i regeneracijom mišića. Obje su u ranoj fazi, ali bi s vremenom mogle riješiti problem izgubljene

SDDH @-BILTEN

mišićne funkcije i oštećenih neurona, nudeći nadu osobama sa SMA svih dobnih skupina. [2]

[2] SMA News Today (2025). New era of SMA care focuses on whole-body, long-term health
Dostupno na: <https://smanewstoday.com/news/new-era-sma-care-focuses-whole-body-long-term-health/>



Oralna terapija ALS-a usporava napredovanje bolesti u predkliničkim ispitivanjima



M102, eksperimentalna oralna terapija osmišljena za istovremenu aktivaciju dvaju molekularnih putova koji štite od oštećenja živčanih stanica, pokazala se obećavajućom u predkliničkim modelima amiotrofične lateralne skleroze (ALS), prema jednoj studiji.

Spoj, koji su otkrili i razvili istraživači na Institutu za translacijsku neuroznanost (SITraN) Sveučilišta u Sheffieldu u Velikoj Britaniji, značajno je usporio napredovanje bolesti i očuvao mišićnu funkciju u mišjim modelima bolesti, kao i zaštitio živčane stanice od oštećenja u laboratorijskim eksperimentima.

„Predkliničke studije nisu samo pokazale poboljšanje kretanja, hoda i funkcije živaca u mišjim modelima, već su i zaštitile motorne neurone uzgojene u laboratoriju od oštećenja“, rekla je Pamela Shaw, koautorica studije i direktorica SITraN-a, u sveučilišnoj vijesti.

Studija pod nazivom „M102 aktivira i NRF2 i HSF1 putove transkripcijskih faktora i neuroprotektivan je u staničnim i životinjskim modelima amiotrofične lateralne skleroze“ objavljena je u časopisu Molecular Neurodegeneration.

M102 dizajniran za istovremenu aktivaciju dvaju molekularnih putanja ALS, također nazvana bolest motornih neurona ili MND, karakterizira progresivna degeneracija i smrt motornih neurona, specijaliziranih živčanih stanica koje kontroliraju kretanje.

Temeljni uzroci bolesti nisu u potpunosti shvaćeni, ali pokazalo se da nekoliko molekularnih čimbenika igra ključnu ulogu. To uključuje oksidativni stres - oblik oštećenja stanica uzrokovan

visoko reaktivnim molekulama koje sadrže kisik - kao i pogrešno savijanje i nakupljanje određenih proteina.

M102 je mala oralna molekula dizajnirana za istovremenu aktivaciju dvaju molekularnih putanja, nazvanih NRF2 i HSF1. Put NRF2 aktivira antioksidativne mehanizme koji pomažu stanicama ublažiti oksidativni stres, dok put HSF1 igra ključnu ulogu u stabilizaciji proteina kako bi se spriječilo abnormalno savijanje i nakupljanje.

„MND je jedna od najokrutnijih bolesti, koja ljudima oduzima mobilnost i neovisnost često alarmantnom brzinom. Sada smo u točki u kojoj znanstveno razumijevanje konačno sustiže“, rekao je Shaw. „Naše otkriće M102 daje stvarnu nadu da možemo znatno usporiti napredovanje ove bolesti.“

Eksperimentalnu terapiju trenutno razvija Aclipse Therapeutics, koji je primio milijune dolara bespovratnih sredstava za unapređenje terapije u klinička ispitivanja. Aclipse provodi predklinička ispitivanja kako bi podržao prijavu za istraživački novi lijek, što je formalni zahtjev američkim vlastima za dopuštenje početka kliničkog ispitivanja na ljudima. Aclipse sada planira unaprijediti terapiju u klinička ispitivanja uz uvjet dodatnog financiranja.

„Pretvaranje znanstvenih otkrića u stvarne tretmane zahtijeva timski rad - okupljanje istraživača, kliničara, industrijskih partnera i investitora“, rekao je Richard Mead, doktor znanosti, koautor studije i viši predavač translacijske neuroznanosti na SITraN-u. „Naša suradnja s Aclipse Therapeutics izgradila je taj ključni most između istraživačkog laboratorija i klinike. Sada smo spremni poduzeti sljedeći ključni korak: testiranje M102 na ljudima s MND-om i približavanje liječenju koje zaista može napraviti razliku.“

Liječenje je poboljšalo tjelesnu težinu, neizravnu mjeru progresije ALS-a

U ovoj studiji, znanstvenici iz SITraN-a i Aclipsea predstavili su predkliničke podatke iz pokusa na miševima koji pokazuju da M102 aktivira i NRF2 i HSF1 puteve kako je i osmišljeno.

Znanstvenici su također detaljno opisali rezultate pokusa s M102 u dva mišja modela ALS-a: jednom uzrokovanom mutacijama u genu SOD1 i drugom uzrokovanom mutacijama u genu TDP-43. Većina slučajeva ALS-a nije povezana s genetskim mutacijama, ali mutacije u tim genima temelj su mnogih slučajeva obiteljske i sporadične ALS-a.

U modelu TDP-43, liječenje M102 rezultiralo je poboljšanjima u testovima mišićne aktivnosti i mjerama motoričke funkcije. U modelu SOD1, pokazalo se da terapija očuvava motorne neurone. Liječenje M102 također je pomoglo u poboljšanju tjelesne težine, neizravne mjere progresije bolesti, u oba modela.

U drugim eksperimentima, istraživači su testirali M102 u astrocitima dobivenim od pacijenata s ALS-om, uključujući one s genetskim oblicima ALS-a, kao i pacijente sa sporadičnom bolešću koji nisu imali poznate temeljne mutacije.

Pokazali smo da M102, kombinirani aktivator signalnih putova NRF2 i HSF1, ima pozitivne terapijske učinke u dva različita transgenična mišja modela ALS-a te poboljšava preživljavanje motornih neurona i višestruke patološke markere ... u nizu staničnih modelnih sustava ljudske ALS-a.

Astroцити су станце у облику звијезде које подржавају функцију живака у мозгу и леђној мождини. Код ALS-a често показују значајан оксидативни стрес и погрешно савијање протеина. Међутим, обје значајке су смањене третманом M102. У даљњим тестовима гдје су астрoцити добивени од пацијената узгајани уз моторне неуроне, третман M102 побољшао је преживљавање моторних неурона.

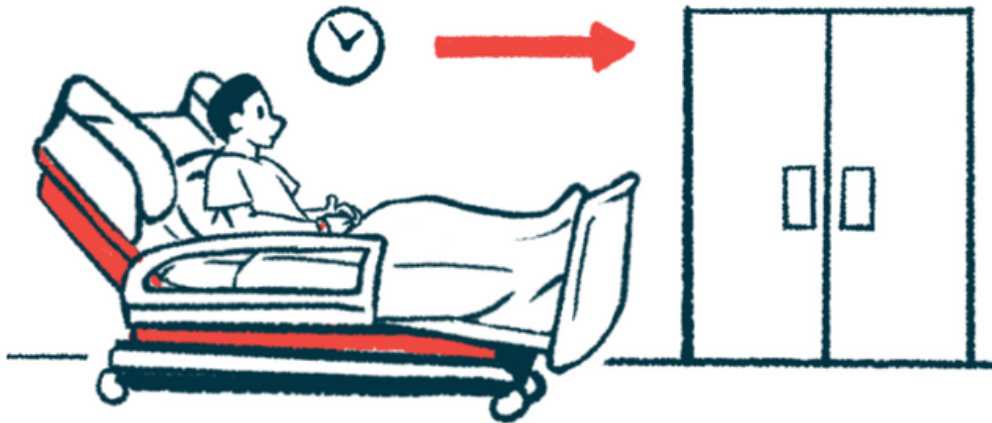
„Pokazali smo da M102, kombinirani aktivator signalnih puteva NRF2 i HSF1, ima pozitivne terapijske učinke u dva različita transgenična mišja modela ALS-a te poboljšava preživljavanje motornih neurona i više patoloških markera (tj. oksidativni stres, pogrešno savijeni SOD1, TDP-43...) u nizu staničnih modelnih sustava ljudske ALS-e“, napisali su istraživači. „Važno je da se ovi neuroprotektivni učinci vide kod više podtipova ALS-a, uključujući dva najčešća genetska podtipa uzrokovana mutacijama u genima C9orf72 i SOD1, kao i sporadične slučajeve ALS-a.“

Istraživači su također proveli farmakološka ispitivanja i izračune kako bi identificirali doze M102 koje bi vjerojatno bile prikladne za upotrebu kod ljudi. Doze za koje se predviđa da će biti učinkovite kod pacijenata s ALS-om bile su "unutar sigurnosne granice", na temelju podataka iz toksikoloških studija. [3]

[3] ALS News Today (2025). ALS oral therapy slows disease progression in preclinical testing

Dostupno na: <https://alsnewstoday.com/news/als-oral-therapy-slows-disease-progression-preclinical-testing/>

Operacija gležnja i stopala omogućuje odraslima s karpometakarpalnom bolešću (CMT) postizanje osobnih ciljeva



Ispravljanje deformiteta značajno poboljšava ravnotežu pacijenata

Operacija ispravljanja deformiteta gležnja i stopala omogućila je odraslima s Charcot-Marie-Toothovom bolešću (CMT) postizanje određenih osobnih ciljeva, poput hodanja bosih nogu ili hodanja po neravnom terenu u cipelama, otkrila je nova studija.

Podvrgavanje kirurškoj korekciji također je značajno poboljšalo ravnotežu među pacijentima s CMT-om, primijetili su istraživači - iako operacija nije utjecala na brzinu hodanja ili druge funkcionalne procjene i procjene hoda, prema podacima.

Istraživači su nastojali bolje razumjeti osobne ciljeve pacijenata kako bi omogućili „učinkovito savjetovanje“. Njihova studija obuhvatila je više od dva tuceta ljudi u Nizozemskoj s CMT-om koji su podvrgnuti operaciji.

„Ovi uvidi mogu pomoći kliničarima u preoperativnom savjetovanju, pomažući u postavljanju realnih očekivanja u vezi s potencijalnim koristima i ograničenjima operacije stopala i gležnja za osobe s CMT-om“, napisali su istraživači, napominjući da „operacija stopala i gležnja kod osoba s CMT-om ima za cilj poboljšati funkcionalnu mobilnost“.

Studija pod nazivom „Kirurška korekcija deformiteta stopala kod Charcot-Marie-Toothove bolesti: učinci na osobne ciljeve i kapacitet hoda“ objavljena je u časopisu *Neuromuscular Disorders*.

CMT je skupina stanja obilježenih oštećenjem živaca koji kontroliraju kretanje i osjet u udovima, što rezultira slabošću i senzornim problemima.

Slabost u potkoljenici i stopalu može dovesti do deformiteta stopala, poput visokih svodova, zakrivljenosti pete prema unutra ili uvijenih prstiju. To može otežati hodanje i ponekad zahtijevati korektivnu operaciju stopala.

Nakon operacije stopala i gležnja, odrasli s CMT-om mogli su hodati bosu

U prethodnoj studiji, većina pacijenata s CMT-om koji su podvrgnuti operaciji stopala i gležnja izvijestila je o poboljšanim sposobnostima hodanja i općenito su bili zadovoljni ishodima.

Ipak, malo se zna o utjecaju operacije na osobne ciljeve pacijenata s CMT-om - ishode poput sposobnosti hodanja u cipelama ili bosu, ili bavljenja poslom, društvenim događajima, sportom ili drugim aktivnostima.

„Daljnja istraživanja su neophodna kako bi se poboljšalo znanje o osobnim ciljevima kod pacijenata s CMT-om koji se podvrgavaju operaciji stopala i gležnja“, napisali su istraživači.

U tu svrhu, istraživački tim regrutirao je 28 odraslih osoba s različitim vrstama CMT-a koji su podvrgnuti operaciji stopala i gležnja. Među njima, osam je imalo operaciju na oba uda.

Prije operacije, većina sudionika - 22, ili 79% - imala je stopala usmjerena prema dolje i savijene gležnjeve. Ukupno 86%, ili 24 pacijenta, nosilo je ortopedске cipele ili uloške. Sudionici su izvijestili o umjerenom ravnoteži, ali o visokom riziku od pada.

Kako bi identificirali osobne ciljeve ovih pacijenata s karpometakarpalnom bolešću (KMB), istraživači su koristili Kanadsku mjeru profesionalne uspješnosti (COPM) - zlatni standard u procjeni osobnih ciljeva koji obuhvaća samopercipiranu uspješnost osobe u svakodnevnom životu.

Prije operacije, COPM je identificirao 137 ciljeva. Najčešći su bili manje problema pri hodanju po neravnom terenu s cipelama, što je tražilo 79%, manje problema tijekom sporta i vožnje bicikla, što je tražilo 57%, te manje problema tijekom posla, škole, kućanskih aktivnosti i društvenih aktivnosti, što je tražilo 46%.

„Trenutna studija naglašava veliku varijabilnost u ciljevima ljudi s KMB-om kojima je zakazana operacija stopala i gležnja“, primijetio je tim.

Rezultati zadovoljstva porasli su za gotovo 4 boda na ljestvici od 10 bodova

Nakon operacije, COPM procjene pokazale su prosječno poboljšanje od 2,8 bodova na ljestvici od 10 bodova u samoprocjeni performansi pacijenata. Rezultati zadovoljstva, u međuvremenu,

porasli su za 3,8 bodova, pokazali su podaci.

Operacija je posebno pomogla u postizanju osobnih ciljeva hodanja bosih nogu, hodanja po neravnom terenu u cipelama i manjeg broja dekubitusa ili problema s pristajanjem cipela.

Svi sudionici izvijestili su o značajnim poboljšanjima performansi i zadovoljstva barem jednim od svojih osobnih ciljeva nakon operacije. Sveukupno, 69% ciljeva pokazalo je povećanje performansi od najmanje dva boda, a 78% pokazalo je povećanje zadovoljstva od najmanje dva boda.

Nalaz da operacija stopala i gležnja kod osoba s karpometakarpalnom bolešću (CMT) ne dovodi do povećanja brzine hoda ključan je za postavljanje realnih očekivanja u vezi s kirurškim ishodima među pacijentima.

Koristeći minimalnu važnu promjenu, ili minimalnu promjenu u rezultatima koje pacijent doživljava kao korisne, u odnosu na druge populacije, 48% rezultata performansi i 64% rezultata zadovoljstva premašilo je te razine, pokazujući poboljšanja od tri boda ili više.

Ravnoteža je također bila značajno bolja nakon operacije, prema istraživačima. Za osam osoba, poboljšano poravnanje gležnja nakon operacije omogućilo im je nošenje ortoza, „dok prije operacije nisu mogli zbog problema s pristajanjem“, primijetio je tim.

Unatoč tome, operacija nije poboljšala druga funkcionalna mjerenja, poput brzine hodanja i širine koraka.

„Nalaz da operacija stopala i gležnja kod osoba s karpometakarpalgijom stopala ne dovodi do povećanja brzine hoda ključan je za postavljanje realnih očekivanja u vezi s kirurškim ishodima“ među pacijentima, zaključio je tim. [4]

[4] Charcot-Marie-Tooth News Today (2025). Ankle, foot surgery allows adults with CMT to achieve personal goals
Dostupno na: <https://charcot-marie-toothnews.com/news/ankle-foot-surgery-allows-cmt-adults-reach-personal-goals-study-finds/>