

Långtidseffekter av bisfosfonatbehandling vid Osteogenesis imperfecta (OI) – tidigt insatt behandling.

Eva Åström

Bakgrund och syfte: Osteogenesis imperfecta (OI) är en sällsynt medfödd kollagensjukdom som i sin svårare form innebär omfattande funktionsnedsättning med skelettskörhet och upprepade benbrott ledande till skelettfelställningar, kortvuxenhet, muskelsvaghet och ständig värk. Medicinering med Bisfosfonat (BP, givet som intravenös infusion) har visat positiva effekter på barn med svår sjukdom (på smärta, bentäthet och frakturfrekvens) men kunskaper om dess långtidseffekter och hur länge man bör behandla saknas, speciellt vid tidigt insatt behandling. Det är viktigt att fortlöpande följa upp alla behandlingseffekter inklusive observans på eventuella negativa effekter på lång sikt. Vi publicerade 2007 en 4½-årsuppföljning (3-6 år) av de första 11 barnen med tidigt insatt behandling (11-13 månader, median 3,6 månaders ålder).

Metod: Vi har fortsatt att följa dessa individer fram till överföring till vuxenvården vid 18 års ålder avseende tillväxt, rörelseförmåga, smärta, bentäthet, kothöjd (påverkan på kotfrakturer/kotkompressioner), skelettsammansättning (blodprover) och eventuell påverkan på tänder och käkar. Jämförelser har gjorts med en egen historisk kontrollgrupp av obehandlade barn (innan BP började användas vid OI) med samma typ av OI och tillväxtkurvor för barn med obehandlad OI.

Resultat: Barnen växer bättre och fortsätter att växa längre upp i åldern än de obehandlade, smärtan minskar, förflyttningförmågan förbättras, komprimerade kotor tillväxer och där är normalisering är möjlig fram till avslutad längdtillväxt. Benomsättningen minskar ofta till normala nivåer. Tre barn slutade behandlas efter 3-5½ år p.g.a smärtfrihet, normaliserad kothöjd och bentäthet och hos dem planade bentätheten och längdtillväxten av, så behandlingen återinsattes. Hos övriga fortsatte behandlingen till avslutad längdtillväxt eller till 18 års ålder. Vi har dessutom studerat bisfosfonateffekten på barnens tänder och käkar. Resultaten visar försenad tandmognad och att barnen får sina tänder senare.

Konklusion/betydelse: tidigt insatt bisfosfonatbehandling under barnens uppväxt har visat sig vara säker och har revolutionerande positiv effekt på barnens totala hälsotillstånd och utan påtagliga negativa effekter. Rutinen är nu att behandling fortsätter att ges till avslutad längdtillväxt.

Spridning av resultaten:

Vi planerar att och rapportera resultaten på internationell Olkonferens/möte samt publicera resultaten i en internationell vetenskaplig tidskrift. Sunnerdahls Handikappfond kommer då att omnämnas i Acknowledgement.