

## Utvärdering av aktuell behandling för att minimera framtida funktionshinder hos barn med multipel skleros.

Ronny Wickström

---

**Bakgrund:** Multipel skleros (MS) är en autoimmun neurologisk sjukdom där de som drabbas under barnåren har en mycket höggradig inflammatorisk bild som gör att behandling är av stor vikt.

**Syfte:** Syftet med detta projekt är att studera effekt och säkerhet av olika behandlingar för MS hos barn och ungdomar med särskilt fokus på den för Sverige närmast unika användningen av läkemedlet rituximab.

**Metod:** Projektet omfattar en internationell genomgång av behandlingspraxis för MS hos barn och ungdomar, studier av de barn i Sverige som behandlats med rituximab samt studier av det svenska MS-registret för att karaktärisera sjukdomens progress i unga år inklusive uppkomst av funktionshinder.

**Resultat:** De första två delarna av projektet är färdigställda och så även snart del tre enligt beskrivning nedan. Den sista delen som är en s.k. real-world-studie där vi avser följa alla MSbehandlingar för att studera effekt och eventuella biverkningar påbörjas under 2023.

a. Den internationella genomgången av behandlingspraxis genomförde i samarbete med det internationella organet IPMSSG och visar tydligt att användning av lågeffektiva läkemedel är fortsatt mycket utbredd, dock mindre så i Sverige än andra länder. Detta är ett problem och en risk för utveckling av framtida funktionshinder.

b. Studien av effekt och säkerhet med rituximab genomfördes som ett samarbete med Universitetet i Wien samt med en kohort från Tyskland. På så sätt skapades en kohort med 61 barn vilket är den i särklass största som beskrivits. Vi kunde där visa att rituximab har en mycket god effekt och likaså god säkerhetsprofil.

c. Arbetet med att fastställa incidens och prevalens av MS hos barn i Sverige kommer att avslutas under våren 2023 och ger oss aktuella siffror över insjuknande, utveckling och associerade sjukdomar och komplikationer hos dessa barn.

**Konklusion/betydelse:** Hypotesen för detta projekt och orsaken att vi gör det är att vi tror att barn och ungdomar med MS som får en högeffektiv behandling direkt vid insjuknandet snarare än en långsammare eskaleringsmodell löper mindre risk för framtida problem och funktionsnedsättningar, men att detta inte fullt återspeglas i behandlingspraxis. Därtill tror vi att rituximab är minst lika bra och säkert som de mer specialiserade MS-läkemedlen som idag finns på marknaden. Vi har i del ett och två av projektet nu kunnat visa att båda dessa hypoteser stämmer. Kunskapen som projektet genererar är helt vital för att kunna visa på vikten av snabbt insatt högeffektiv behandling och att rituximab är ett ytterst lämpligt alternativ. Högeffektiv behandling minskar risken för upprepade sjukdomsskov vilket kommer att minska förekomsten av efterföljande funktionsnedsättningar.

## **Vetenskapliga publikationer och föredrag**

Samtliga delar av projekten presenteras vid vetenskapliga sammankomster och publiceras i vetenskapliga tidskrifter.

### **a. Vetenskapliga publikationer**

i. Sandesjö F, Wassmer E, Deiva K, Amato MP, Chitnis T, Hemingway C, Krupp L, Pohl D, Rostasy K, Waubant E, Banwell B and Wickström R. Current global trends in the treatment of multiple sclerosis in children –impact of the COVID-19 pandemic. *Mult Scler Relat Disord*. 2021 Nov;56:103277

ii. Breu M\*, Sandesjö F\*, Milos RI, Schneider L, Reichelt JB, Blaschek A, Bertolini A, Rostásy K, Höftberger R, Seidl R, Siegert S, Lycke J, Svoboda J, Fink K, Salzer J, Kornek B\* and Wickström R\* (\*shared first and last authorships). Rituximab in Pediatric Onset Multiple Sclerosis. Submitted 2022

### **b. Föredrag**

i. Wickström R. Current global trends in the treatment of multiple sclerosis in children – impact of the COVID-19 pandemic. International Paediatric MS Study Group meeting 2020

ii. Wickström R. Demyelinating disease in children. Keynote speaker, Nordic Neuroimmunology Meeting, Helsinki (2022)

iii. Wickström R. Rituximab in Pediatric Onset Multiple Sclerosis. Presentation annual meeting of European Committee for Treatment and Research in Multiple Sclerosis, Amsterdam (2022)