

Muskelsvækkelse rammer også hjertet

Danske læger vil systematisere forebyggelse og behandling af det stigende antal hjertekomplikationer hos personer med muskeldystrofi

Af Jane W. Schelde

Et stigende antal hjerteproblemer hos især unge med Duchennes muskeldystrofi får nu danske læger til at gå sammen for at sætte større fokus på området og indlede et samarbejde om forebyggelse og behandling. I første omgang har læger fra relevante afdelinger på Århus Universitetshospital og Institut for Muskelsvind aftalt møde i denne måned, og senere følger et tilsvarende møde i København.

Det stigende antal hjerteproblemer skyldes især, at Duchenne-drenge og andre med muskeldystrofi har fået en længere levetid, i takt med at mulighederne for at behandle vejrtrækningsproblemer er blevet bedre. Den længere levetid betyder dog, at muskelsvækkelsen, der følger med sygdomsudviklingen, også kan ramme hjertemusklen og føre til nedsat pumpefunktion og i nogle tilfælde akut hjertesvigt - også kaldet kardiomyopati og hjerteinsufficiens. I alvorlige tilfælde forekommer dødsfald, der sker pludseligt, uden at der har været synlige symptomer på hjerteproblemerne, og det er derfor vigtigt i et kommende samarbejde at fokusere på både forebyggelse, en tidlig opdagelse af hjerteproblemerne og en tidlig behandlingsindsats.

På det nordiske symposium blev der netop sat fokus på hjertekomplikationerne hos personer med muskeldystrofi. Målet var at finde frem til fælles procedurer for forebyggelse og behandling af hjertekomplikationer specielt hos børn og unge med Duchennes muskeldystrofi, men også hos personer med andre muskeldystrofier som f.eks. Beckers og limb-girdle muskeldystrofi, dystrophia myotonica og kongenit myopati.

Ingen synlige symptomer

I sit indlæg på symposiet fortalte overlæge Henning Mølgaard fra kardiologisk afdeling på Skejby Sygehus i Århus om de hjerteproblemer, der kan opstå ved muskeldystrofi. I de fleste tilfælde vil problemerne skyldes kardiomyopati, der er en relativ hyppig sygdom i Danmark. Sygdommen udvikles enten som led i en muskelsygdom eller af ukendte årsager. Ved kardiomyopati er hjertets evne til at pumpe forringet, fordi hjertemusklen er slap. Symptomerne er typisk åndenød, træthed, nedsat appetit og et nedsat funktionsniveau. Eller der er ingen synlige symptomer, fremhævede Henning Mølgaard.

Det sidste gælder bl.a. i gruppen af børn og unge med Duchennes muskeldystrofi. Disse unge har i forvejen et nedsat aktivitetsniveau på grund af muskelsvinddiagnosen, og det vil derfor være sværere at opdage tegn på, at hjertet ikke pumper tilstrækkeligt. Hos voksne med muskeldystrofi kan det omvendte ske, at muskelsvinddiagnosen først konstateres, efter at personen har fået hjerteproblemer og er kommet i behandling.

Netop de manglende eller upålidelige symptomer ved Duchennes muskeldystrofi betyder, at man ikke kan bruge symptomerne som det første og vigtigste signal om nedsat hjertefunktion, som man gør ved andre patientgrupper. Derfor er andre undersøgelser nødvendige som f.eks. målinger af plasma i blodet og mængden af neurohormoner, elektrokardiografi (EKG) og røntgenundersøgelse af brystkassen. Ingen af disse undersøgelser kan dog bruges som sikre tegn alene, da andre faktorer kan spille ind på resultaterne. Ifølge Henning Mølgaard vil den vigtigste undersøgelse derfor være ekkokardiografi, som er en ultralydsundersøgelse af hjertet. Ved undersøgelsen kan lægerne se forskellige snit af hjertet i funktion og kan dermed i langt de fleste tilfælde vurdere pumpefunktionen, størrelsen af hjerterummene m.m.

Som afslutning på sit indlæg havde Henning Mølgaard et konkret bud på en fremtidig procedure for at finde de personer med muskeldystrofi, der kan have brug for behandling. Ved at undersøge disse personer systematisk én gang om året og i et samarbejde mellem

neurologer, pædiatere og kardiologer vil man tidligt kunne indlede en behandling hos dem, der viser sig at have problemer. Ifølge Henning Mølgaard bør behandlingen desuden centraliseres på universitetshospitalerne i Århus og København, hvor der er eksperter i såvel hjertesygdomme som muskelsvind.

Behandlingen af kardiomyopati er primært medicinsk og har i flere undersøgelser blandt andre patientgrupper vist sig at have en positiv og dokumenteret effekt på hjertets pumpeevne og personens livslængde. Der findes kun få internationale undersøgelser med personer med Duchennes muskeldystrofi, men der er en forventning om, at medicinen vil have samme effekt her.

Indsamling af viden

Forslaget blev positivt modtaget af de danske læger. Mange understregede, at det vil være vigtigt i et kommende projekt at registrere alle informationer, der indsamles for at kunne dokumentere hjerteproblemernes omfang, effekten og bivirkninger ved den medicinske behandling m.m.

Overvejelserne om at tilbyde en forebyggende medicinsk behandling til personer i risikogruppen blev dog mødt med skepsis fra flere læger, fordi der netop ikke findes dokumentation på området.

“Der må være en forventet gevinst, før man går i gang med en behandling,” sagde bl.a. overlæge Ole Nørregaard fra Respirationscenter Vest, der også påpegede, at forebyggelse af hjerteproblemer ikke kun handler om medicinsk behandling, men også om personens livsstil, vejrtrækning, rygskævhed m.m.. Det er vigtigt at have hele spektret med, sagde han.

Også overlæge Johannes Jakobsen fra Neurologisk afdeling på Århus Kommunehospital var afvisende over for at begynde en behandling, før der var symptomer på hjerteproblemer, men han var enig i, at der er brug for fokus på området og en aftale om en mere systematisk undersøgelsesprocedure og et nærmere samarbejde med kardiologerne.

Afdelingslæge Flemming Juul Hansen fra Neuropædiatrisk ambulatorium på Rigshospitalet tilføjede, at man var begyndt at undersøge unge med Duchennes muskeldystrofi for hjerteproblemer, men ikke så systematisk, som der nu bliver lagt op til.

Læge Thomas Sejersen fra Børneneurologisk afdeling på Karolinska Sjukhuset i Stockholm havde erfaringer med årlige systematiske hjerteundersøgelser af børn, men ikke med tilsvarende rutinemæssig behandling. Han var fortaler for en tidlig indsats i hjertebehandlingen og mente, at det var teoretisk sandsynligt, at en behandling også kunne have en forebyggende effekt, som burde afprøves i et kontrolleret forsøg.

Det første projekt vil dog være at udarbejde en dansk model for et fremtidig samarbejde på hjerteområdet. Mødet i Århus senere i denne måned vil lægge op til et konkret samarbejde mellem kardiologisk afdeling på Skejby Sygehus, Respirationscenter Vest, pædiatrisk afdeling, og neurologisk afdeling på Århus Kommunehospital og Institut for Muskelsvind.

Medicinen virker men hjælper den?

Steroidbehandling af drenge med Duchennes muskeldystrofi skal undersøges i et skandinavisk samarbejde

Af Jørgen Jeppesen

Behandling med steroid virker på nogle drenge med Duchennes muskeldystrofi (dmd), men ingen kan endnu sige, om den øgede muskelstyrke på længere sigt er en fordel eller ulempe. Derfor vil læger i Sverige, Norge og Danmark organisere et ensartet, kontrolleret behandlingsforsøg på et større antal drenge i de tre lande.

Det blev resultatet af et møde i marts på Skejby Sygehus i Århus, hvor neurologer og børnelæger fra Norden var samlet på initiativ af Institut for Muskelsvind for at diskutere steroidbehandling. En behandling, som op gennem 1990'erne er blevet ret udbredt i lande som USA, England og Tyskland; i Skandinavien har svenske muskelsvindlæger afprøvet præparatet i nogle mindre forsøg.

Den tyske børnelæge Bernd Reitter har siden 1992 været primus motor i et behandlingsforsøg, der omfatter 14 tyske hospitalsafdelinger med 80 dmd-drenge. Data fra forsøgene er endnu ikke bearbejdet færdige, men Bernd Reitter turde alligevel godt anbefale behandlingen, hvis den finder sted under streng lægelig kontrol.

"Jeg står ikke her og reklamerer for steroider. Ingen kan lide steroider. Men det er et nødvendigt trin på vej til noget bedre," sagde han. De fleste tyske familier har fortsat behandlingen, efter at forsøgsperioden er udløbet, fordi de anser bivirkningerne for acceptable i forhold til effekten.

Den mest udbredte bivirkning er vægtøgning. 40 af de 80 tyske dmd-drenge fik abnorm vægtøgning. Medicinen kan også påvirke koncentrationsevnen negativt, og måske skader den kredsløbet på længere sigt. Men den kan også give mere energi og måske en varig øget muskelstyrke. En række undersøgelser viser, at evnen til at gå kan forlænges med mellem et og to år.

Lægerne tvivler

Thomas Sejersen, børneneurolog på Karolinska Sygehus i Stockholm, understregede, at han har været og fortsat er meget skeptisk over for steroidbehandling. Mange fundamentale spørgsmål er ubesvarede, sagde han. Hvornår skal behandlingen begynde? Hvornår skal den slutte? Hvilken type medicin er bedst? Hvilken dosis er den rigtige?

Karolinska Sygehus informerer efter diagnosticeringen alle familier om muligheden for steroidbehandling. Lægen hverken anbefaler eller fraråder, men lægger afgørelsen i forældrenes hænder. Flere siger nej tak, oplyste Thomas Sejersen.

I Danmark og Norge anvendes behandlingen næsten ikke. Neuropædiater Flemming Juul Hansen fra Rigshospitalet fortalte, at han nævner muligheden for alle forældre på et eller andet tidspunkt i sygdomsforløbet, og de fleste forældre er skeptiske.

"Jeg er selv meget i tvivl," sagde han og oplyste, at han kun ordinerer behandlingen i specielle situationer, f.eks. ved forbigående kraftsvækkelse i forbindelse med en operation.

Cheflæge Jes Rahbek fra Institut for Muskelsvind var meget kritisk over for steroidbehandlingen uden dog at forkaste den. Men han savnede meget mere dybtgående undersøgelser af bivirkninger på indlæringssevne og kredsløb. Og hvilken effekt har behandlingen på patienten som helhed, spurgte han? Jes Rahbek gik ind for et skandinavisk multicenterstudie med meget streng kontrol og vidensopsamling. Uden denne kontrol er det "næsten uetisk" at bruge steroid, mente han.

Lægernes pligt

Overlæge og professor Johannes Jakobsen fra Neurologisk afdeling på Århus Kommunehospital samlede diskussionen i en række spørgsmål. Det første lød: Hvordan er den videnskabelige kvalitet af steroid-undersøgelserne?

Det gennemgående svar var, at de hidtidige undersøgelser har været for kortsigtede, og bivirkningerne er ikke undersøgt nok. Bernd Reitter sagde, at vi ikke har nok viden til at give los for brugen af steroid, men vi har tilstrækkelig videnskabelig viden til at sige, at medicinen har en positiv virkning på nogle; men man må ikke give medicinen uden stram kontrol.

Næste spørgsmål lød: Hjælper det drengene, at vi øger muskelstyrken?

En deltager svarede ved polemisk at spørge, hvilken mening det giver at måle håndmuskulernes kraft frem for at undersøge, om man fortsat kan spise selv, skrive selv, osv.?

Igen blev det Bernd Reitter, der ufrivilligt forsvarede steroidbehandlingen, selv om han gang på gang understregede, at medicinen egentlig er noget skidt. Forældrene forlanger med god ret, at lægerne afprøver alle muligheder, sagde han. Desuden har lægerne pligt til at søge at kontrollere en behandling, som under alle omstændigheder vil finde sted, tilføjede han.

"Og jeg er ydmyg. Jeg er tilfreds med, at vi kan lade nogle drenge gå lidt længere," sagde Bernd Reitter.

Forældrenes ansvar

Hvor alvorlige er bivirkningerne, lød Johannes Jakobsens tredje spørgsmål?

Ingen kunne give et klart svar, for man ved det ikke. Dels varierer bivirkningerne fra individ til individ, dels er der ret snævre grænser for, hvor grundigt man kan undersøge bivirkningerne. Fordi der er så få patienter at måle på, og fordi effekten af medicinen er relativt lille.

Thomas Sejersen mente, at det kun er forældrene, der i sidste ende kan og skal afgøre, hvor alvorlige bivirkningerne er: "Vi må stole på forældrenes dømmekraft. At de kan afveje fordele og ulemper i det konkrete tilfælde," sagde han. Men mere end halvdelen af drengene får øget vægt og andre bivirkninger, fastslog Thomas Sejersen.

Fjerde spørgsmål handlede om, hvordan lægerne rådgiver. Er det forældrenes eller drengenes behov, der styrer os, spurgte Johannes Jakobsen?

Lægens personlige holdning spiller en rolle, men det betyder ikke, at man ikke sagligt kan diskutere fordele og ulemper med forældrene, mente Thomas Sejersen.

"Det eneste, der i virkeligheden er fair, er netop at bringe muligheden på bordet og diskutere den grundigt med forældrene. Men jeg er udmærket klar over, at vi dermed sætter forældrene i en vanskelig situation," sagde han.

Bernd Reitter konstaterede, at forældrene kommer til ham med ét spørgsmål, nemlig: Er der noget, der hjælper mod denne sygdom?

Johannes Jakobsen konkluderede med forsamlingens samtykke, at lægen skal informere om muligheden for steroidbehandling samt om fordele og ulemper, så godt man kender dem. Men lægen skal også sige, at selv om der er en fordel på kort sigt, så ved man ikke, om den effekt virkelig hjælper drengen på længere sigt.

En arbejdsgruppe skal nu udarbejde forslag til et kontrolleret behandlingsforsøg i Skandinavien. Den består af Jes Rahbek, Johannes Jakobsen og Flemming Juul Hansen fra Danmark samt Thomas Sejersen og Björn Lindvall fra Sverige. De norske repræsentanter udpeges senere.