

Ny SMA-medicin giver forældre håb, men også sorg og frustration

RCFM har i et videnskabeligt projekt undersøgt forældres håb og bekymringer i forbindelse med, at deres børn med SMA har fået medicinsk behandling. Resultatet kalder på øget støtte og rådgivning.

Hvorfor foretage undersøgelsen?

Siden 2018 er der godkendt tre typer medicinsk behandling til personer med SMA i Danmark. Behandlingerne er de første, der kan ændre sygdommens naturlige udvikling. Det betyder bl.a., at børn, der får medicinen tidligt, kan opnå funktioner, som tidligere var utænkelige.

Derudover begyndte man i 2023 at screene børn for SMA ved fødslen. Derfor overlever mange alvorligt ramte børn nu også takket være en tidlig indsats.

For at kunne give forældrene den rigtige rådgivning, manglede vi viden om, hvordan medicinen har ændret livet som forældre til et barn med SMA.

Vi bad derfor forældrene fortælle om deres børns sygdomsforløb med medicinen og om deres håb og bekymringer for fremtiden.

Hvad fandt vi ud af?

Den nye medicin gav forældrene et stærkt håb om, at deres børn ville få et godt liv med samme muligheder som andre børn.

Nogle forældre oplevede dog samtidig en sorg over, at medicinen var kommet for sent, eller ikke havde haft den håbede virkning.

Flere udtrykte også sorg over, at livet ikke var blevet som forventet og savnede normalitet i hverdagen.

Forældrene var generelt bekymrede for deres børns fremtid med medicinen: ville den blive ved med at virke, ville den fortsat være tilgængelig, og ville den have bivirkninger?

- Familierne udtrykte et stort behov for rettidig information om behandlingerne og praktiske råd til at støtte deres barn i hverdagen.
- De ønskede anerkendelse af, at ethvert barns behandlingsforløb er unikt, og at den rådgivning, de fik, blev tilpasset deres behov.
- De oplevede, at det var vigtigt at få støtte fra andre i samme situation.

Hvad har projektet lært os?

Behandlinger til personer med SMA er fortsat under udvikling, og omverdens fokus er derfor, med rette, koncentreret om de medicinske resultater.

Projektet minder os imidlertid om, at der også er en menneskelig dimension, nemlig familierne, hvis hverdag er fyldt med håb, frustrationer og spørgsmål.

Budskabet til sundhedspersonale, rehabiliterings-specialister og beslutningstagere er klart:

Indførelsen af ny medicin er kun begyndelsen. Familierne har efterfølgende et stort behov for følelsesmæssig støtte, oplysning og information, som bør indgå i de rehabiliterende indsatser.



Hvordan gjorde vi?

- Vi inviterede 75 forældre til at deltage i projektet
- 26 forældre til 20 børn med SMA tilmeldte sig
- Interviews fandt sted i foråret 2024 og foregik i hjemmet eller online på Teams
- Alle interviews fulgte en interviewguide og blev transkriberet og analyseret for gennemgående temaer



Projektet blev udført af en projektgruppe i RCFM forskning og udvikling ledet af Charlotte Handberg.

Resultaterne er udkommet i en videnskabelig artikel:

Disease modifying therapies for children with spinal muscular atrophy - parents' experiences of hopes, grief and need for rehabilitation for their child. Journal of Neuromuscular Diseases, October 2025.

For mere information kontakt Charlotte Handberg på chha@rcfm.dk