

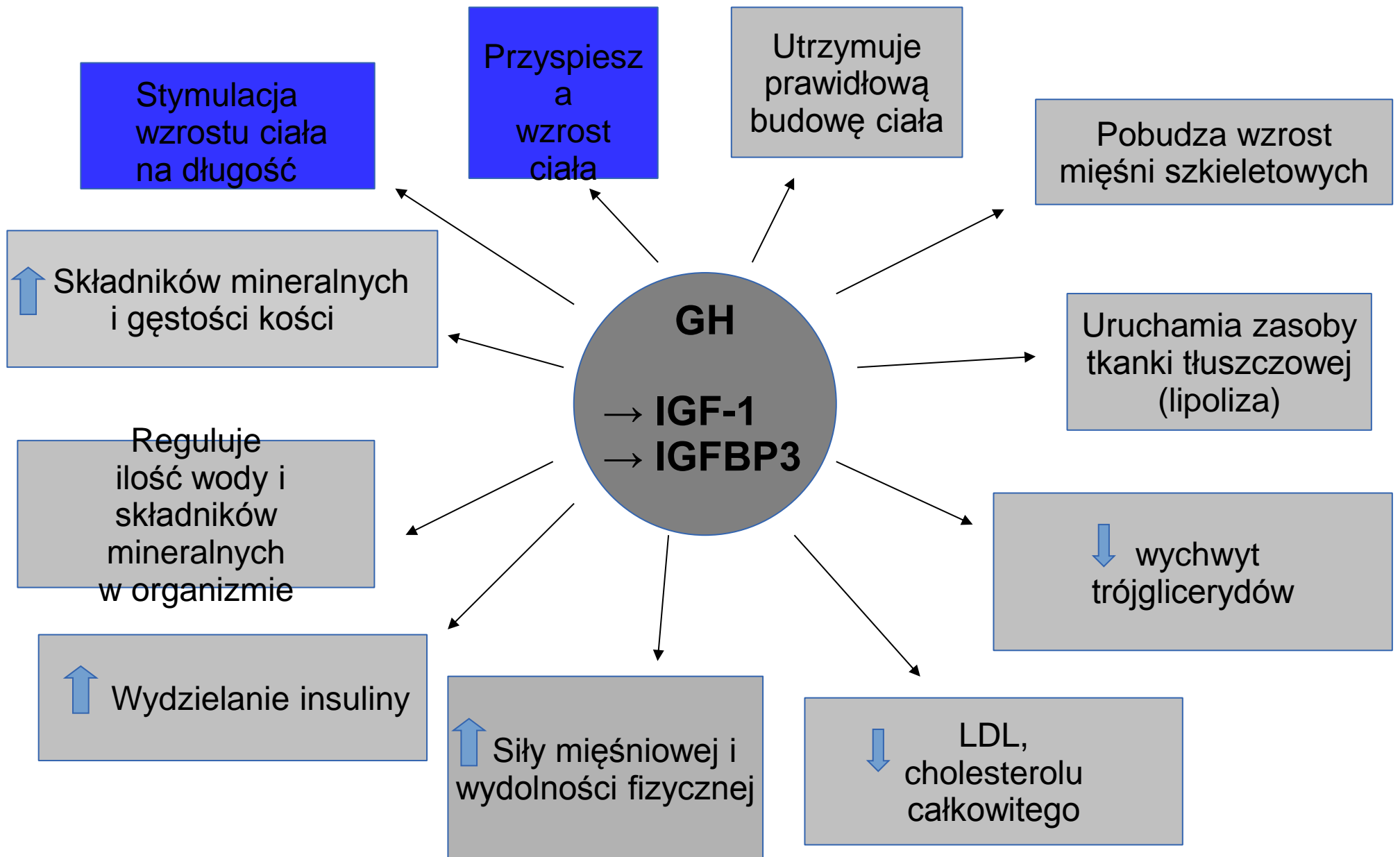
Zmiany w programie lekowym leczenia chorych z PWS hormonem wzrostu – implikacje praktyczne.



Iek. Magdalena Cabała
dr hab. Robert Śmigiel prof. nadzw.

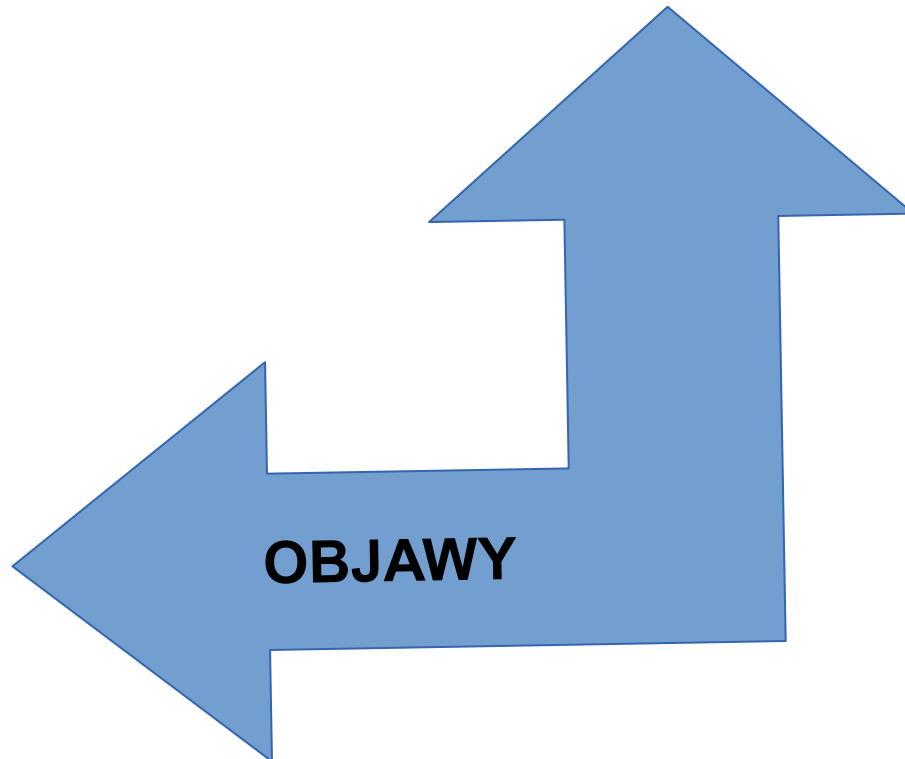
Zakład Pediatrii Społecznej
UM we Wrocławiu

Hormon wzrostu (GH) - funkcja



Deficyt GH u pacjentów z PWS ?

- 40-100%
- 58%-100% nieadekwatna sekrecja GH (24 h)
- ↓ IGF-1 oraz IGFBP3



POZYTYWNE skutki terapii GH u dzieci



Prawidłowy linijny **wzrost** szkieletu

- Korzystny wpływ na **budowę ciała**



- Zwiększenie bazowego **zapotrzebowania energetycznego** organizmu



POZYTYWNE skutki terapii GH u dzieci

- Zmniejszenie wolnej **tkanki tłuszczowej**
- Zwiększenie **beztłuszczowej masy ciała**



- Korzystny wpływ na **gęstość mineralną kości**



POZYTYWNE skutki terapii GH u dzieci

- Poprawia **profil lipidowy**
- Poprawia funkcjonowanie **fizyczne**
i poznawcze oraz **wzorce zachowań**





Skutki uboczne (CHPL - Omnitrope)

- Parestezje
 - Łagodne nadciśnienie śródczaszkowe
 - Bóle stawów, mięśni
 - Obrzęki obwodowe
- * białaczka, cukrzyca t. 2, sztywność mięśniowo-szkieletowa, reakcje skórne miejscowe, zmniejszenie stężenia kortyzolu, złuszczenie głowy kości udowej, hiperglikemia, zmniejszenie stężenia T4, nagły zgon

GH - Kiedy **tak**, a kiedy **nie** ?

- **Jak najszybciej** → najlepszy efekt
- Zalecane: ok. **6 m.ż.**
- **< 2 r.ż. !!!**
- Znaczna otyłość
- Niekontrolowana cukrzyca
- Ciężki zespół bezdechów śródsennych
- Aktywna choroba nowotworowa
- Psychoza aktywna



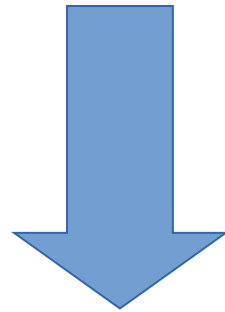
Czy dorośli z PWS potrzebują GH?

- Poprawa budowy ciała
- Zmniejszenie tłuszczowej masy ciała
- Zwiększenie beztłuszczowej masy ciała
- Poprawa w zakresie zaburzeń zachowania
- Poprawa funkcji mięśnia sercowego
- Poprawa **jakości życia**

niejednoznaczne: BMI, gęstość mineralna kości,
stężenie glukozy/ryzyko cukrzycy

Powrót do tematu, czyli implikacje praktyczne...

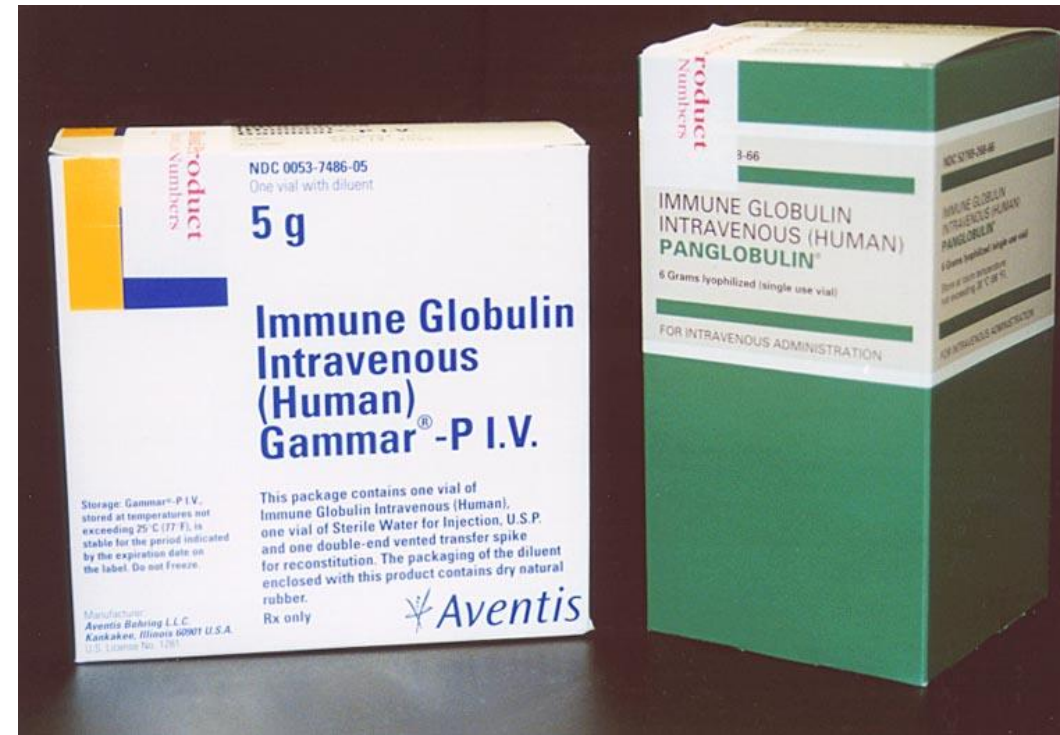
Zarządzenie nr 71/2015/DGL (20.10.2015)



Możliwość **kontynuacji** leczenia hormonem wzrostu w programie tych pacjentów, którzy osiągnęli pełnoletność.

Program lekowy

GH ↔ IVIG



DZIECI



DOROŚLI

Powrót do tematu, czyli implikacje praktyczne...

- Efekt przerywania terapii GH po zakończeniu wzrastania.
- **Jakość życia dorosłych z PWS w trakcie terapii GH.**
- Skutki długoterminowej terapii GH po zakończonej terapii.
- Optymalny czas rozpoczęcia i dawki GH u dzieci.
- Wpływ terapii GH na zachowanie i funkcje poznawcze pacjentów w różnym wieku.
- **Wpływ terapii na dobrostan pacjentów i dzienną aktywność.**
- Wpływ zmian stężenia IGF-1 na efekt kliniczny.
- Długotrwały efekt terapii na stężenie glukozy/ryzyko cukrzycy.
- Wpływ terapii GH na sen oraz zaburzenia oddychania w trakcie snu.
- Zróżnicowanie badawcze (badania z randomizacją) w podejściu do terapii GH.