

Προστατευτική Θεραπεία των Οστών στη Μυική Δυστροφία Duchenne

**236^ο Διεθνής Συνάντηση Εργασίας – Ευρωπαϊκό Κεντρο Νευρομυικών Παθήσεων:
Προστατευτική Θεραπεία των Οστών στη Μυική Δυστροφία Duchenne**

**236th European Neuromuscular Centre International Workshop: Bone protective therapy
in DMD 1-3 June 2018**

Η μυική ισχύς και οστική ισχύς είναι στενά συνδεδεμένες. Η 'θεωρία του μηχανοστάτη' περιγράφει τον τρόπο με τον οποίο η μυική ισχύς, που φυσιολογικά αυξάνεται κατά την παιδική ηλικία, διεγείρει την ανάπτυξη των οστών. Στη Μυική Δυστροφία Duchenne, η μυική αδυναμία, η θεραπεία με στεροειδή και η καθυστερημένη εφηβεία έχουν ως αποτέλεσμα την αυξημένη πιθανότητα για οστικά κατάγματα (κατάγματα μακρών οστών και σπονδυλικά κατάγματα). Τα κατάγματα έχουν σοβαρές συνέπειες, όπως ο πόνος, η απώλεια κινητικότητας καθώς και το σύνδρομο λιπώδους εμβολής. Η οστική υγεία και ο προσδιορισμός του κινδύνου για κατάγματα μπορούν να αξιολογηθούν με διάφορες απεικονιστικές μεθόδους.

Η θεραπεία προστασίας των οστών περιλαμβάνει την πρόληψη των καταγμάτων, τον εντοπισμό των σπονδυλικών καταγμάτων και την θεραπευτική αγωγή των καταγμάτων η οποία θα βοηθήσει στην ανακούφιση από τον πόνο και θα επιτρέψει τον ανασχηματισμό των σπονδυλικών σωμάτων κατά την παιδική ηλικία. Η πλειονότητα των αγοριών με Μυική Δυστροφία Duchenne παρουσιάζουν καθυστέρηση στην είσοδο στην εφηβεία και η αντιμετώπισή της με χορήγηση της κατάλληλης ορμονικής θεραπείας είναι σημαντική για την οστική υγεία. Τα διφωσφονικά αποτελούν μια κατηγορία φαρμάκων που εμποδίζουν την απώλεια οστικής πυκνότητας. Η εντύπωση που επικρατεί είναι πως τα από του στόματος χορηγούμενα διφωσφονικά δεν είναι τόσο αποτελεσματικά όσο εκείνα που χορηγούνται ενδοφλέβια. Επιπλέον, η συμμόρφωση με την από του στόματος αγωγή δεν είναι επαρκής. Τα ενδοφλέβια διφωσφονικά μειώνουν τον οστικό πόνο και προάγουν την επούλωση των σπονδυλικών καταγμάτων. Υπάρχει ωστόσο ο κίνδυνος για σημαντικές ανεπιθύμητες ενέργειες, συνήθως κατά τη χορήγηση της πρώτης δόσης. Τα νεότερα οστεοπροστατευτικά φάρμακα θα πρέπει να δοκιμαστούν στη Μυική Δυστροφία Duchenne.

Η εκπαίδευση των κλινικών ιατρών και των ασθενών είναι απαραίτητη για τη βελτίωση του πεδίου της οστικής υγείας στη Μυική Δυστροφία Duchenne. Ο συνδυασμός των δεδομένων που ήδη υπάρχουν, μπορεί να δώσει απαντήσεις σε ερωτήματα για την οστική υγεία. Είναι απαραίτητη η διεξαγωγή μιας μικρής κλινικής δοκιμής ελεγχόμενης με εικόνικό φάρμακο (placebo-controlled) για την πρόληψη των αρχικών καταγμάτων, όπως και μελέτες για σύγκριση της αποτελεσματικότητας των διφωσφονικών με αυτής των νεότερων φαρμάκων στη θεραπεία των καταγμάτων. Τα επόμενα βήματα περιλαμβάνουν τη διάδοση των γνώσεων και εμπειριών σε όλους όσους συμμετέχουν στη φροντίδα των ατόμων με Μυική Δυστροφία Duchenne, τη δημιουργία Ομάδας Εργασίας και την αναζήτηση οικονομικών πόρων.