

236th ENMC International Workshop: Bone protective therapy in DMD 1-3 June 2018

Spierkracht en de sterkte van de botten hangen nauw met elkaar samen. Huidige inzichten gaan ervan uit dat de krachten die de spieren uitoefenen op de botten de botontwikkeling bevorderen. Deze krachten worden tijdens de kinderleeftijd normaliter steeds groter.

Bij Duchenne spierdystrofie zorgen spierzwakte, behandeling met corticosteroiden en een verlate puberteit voor een verhoogd risico op botbreuken, zowel in de ledematen als in de rugwervels. Zulke breuken kunnen ernstige gevolgen hebben zoals pijn, verlies van het loopvermogen, en het vetembolie syndroom. Er zijn verschillende technieken om de conditie van de botten en het risico op botbreuken af te beelden.

Therapie om de botten te beschermen bestaat uit het voorkomen van breuken, het opsporen van inzakkingen van de rugwervels (wat zonder symptomen kan voorkomen) en de behandeling van breuken om de pijn te verminderen en het herstel van de rugwervels te bevorderen. Bij de meeste jongens met Duchenne is de puberteit verlaat en behandeling hiervan is belangrijk voor de conditie van de botten.

De werkgroep was van mening dat de behandeling met bisfosfonaten in de vorm van tabletten minder effectief is dan als deze via een infuus worden toegediend. Ook lijken tabletten minder regelmatig te worden ingenomen. Bisfosfonaten zijn geneesmiddelen die het verlies aan botdichtheid tegengaan. Toediening middels een infuus vermindert de pijn en bevordert het herstel van de rugwervels na inzakking, maar er is ook een risico op bijwerkingen die dan meestal bij de eerste toediening optreden. Er worden steeds meer nieuwe medicijnen voor botten ontwikkeld waarvan de toepassing bij Duchenne onderzocht kan worden.

Scholing van artsen en patiënten is essentieel om het vakgebied van de botgenezing bij Duchenne vooruit te helpen. Bepaalde vragen kunnen mogelijk beantwoord worden door het combineren van gegevens die nu al voorhanden zijn. Zowel het uitvoeren van een beperkte placebo gecontroleerde klinische trial met als doel botbreuken te voorkomen, als het uitvoeren van trials die bisfosfonaten vergelijken met nieuwe medicijnen bij de behandeling van al aanwezige botbreuken zijn noodzakelijk om de zorg voor patiënten met Duchenne zo goed mogelijk te krijgen.

Toekomstige stappen moeten gaan over de verspreiding van kennis onder alle betrokkenen bij Duchenne spierdystrofie, over het opzetten van een werkgroep en het onderzoeken van de mogelijkheden om financiering te verkrijgen voor uitvoering van de plannen.