

Redaksjonelt

Etter at rekombinant veksthormon ble tilgjengelig i ubegrensede mengder i 1985, har det i Norge etterhvert tilkommet tre godkjente behandlingsindikasjoner: Veksthormonmangel hos barn og voksne, Turner syndrom og kronisk nyresvikt med vekstretardasjon hos barn. Bortsett fra enkelte uavklarte spørsmål vedrørende indikasjon og gjennomføringen av behandlingen hos voksne som blir tatt opp i en artikkel i dette heftet, er det enighet om retningslinjene for behandlingen ved de andre tilstandene.

Behandling med veksthormon har imidlertid vært prøvet ved en rekke andre tilstander forbundet med vekstsvikt. Felles for alle disse behandlingsforsøk er at veksthormon i farmakologiske doser ikke overraskende fører til en initial god respons på veksthastigheten, mens det er stor tvil om behandlingen fører til en økning i den endelige sluthøyde. Stor interesse har vært knyttet til behandling av barn med idiopatisk kortvoksthet. I de seneste år har det vært publisert en rekke studier der behandlingen med veksthormon har vært ført frem til avsluttet vekst slik at langtidseffekten av behandlingen kan vurderes. I en artikkel i dette heftet har vi gått gjennom en del av de mest sentrale studier for å klargjøre om det foreligger grunnlag for å revurdere den norske konsensus vedrørende veksthormonbehandling av idiopatisk kortvoksthet.

Bunlinjen for denne vurderingen blir at veksthormonbehandling på denne indikasjonen ikke har vært noen ubetinget suksess, idet en behandling som gjerne strekker seg over 4-5 år bare fører til en gjennomsnittlig økning i den voksne høyde i størrelsesordenen 3 – 5 cm. I alle studiene ble det funnet noen barn som viste nærmest behandlingsresistens, mens enkelte andre viste overraskende god respons. Det spekuleres i at den siste gruppen omfatter barn med udiagnostisert partiell veksthormonsvikt eller resistens mot veksthormon. Problemet er at det for tiden ikke finnes metoder til å identifisere slike pasienter i gruppen som seiler under fellesdiagnosen idiopatisk kortvoksthet.

En statistisk vurdering av resultatene i den store amerikanske studien av veksthormonbehandling ved idiopatisk kortvoksthet som ble publisert i fjor (N.Engl.J.Med. 1999;340:502)

indikerer at bare en av fem behandlede gutter vil få 5 cm økning i sluthøyden, og at samme høydegevinst vil oppnås bare en av elleve jenter. Det er derfor vel verd å vurdere om et slikt resultat står i forhold til de relativt store økonomiske kostnader og også de menneskelige, når barn blir behandlet med daglige injeksjoner over mange år og kanskje med dårlig sluttresultat. Resultatene må også sees i perspektivet av at en rekke undersøkelser viser at kortvokstheten slett ikke alltid er forbundet med en stor psykisk belastning for barnet, og at noen barn kan bli et offer for "høydismen" ("heightism") som nok også gjør seg gjeldende under våre samfunnsforhold.

Etter en samlet vurdering er vi derfor kommet til at det ikke foreligger grunnlag for å foreta noen endringer i kriteriene som skal være oppfylt før prøvebehandling av idiopatisk kortvoksthet med veksthormon kan vurderes, slik de ble nedfelt i den norske konsensus av 1990 og slik de er gjengitt i vår artikkel. Bestrebelsene med å finne metoder til å identifisere grupper av barn innenfor sekkediagnosen idiopatisk kortvoksthet som vil kunne profitere særlig godt på behandling må imidlertid intensiveres og da vil trolig molekylærbiologisk metodikk være sentral.

I løpet av de siste 10-15 år er det blitt klart at alvorlig veksthormonmangel også har kliniske konsekvenser for voksne, med bl.a. utvikling av økt subkutant og viceralt fett, redusert muskelmasse, osteoporosetendens, redusert myokardfunksjon, endrede blodlipider, redusert fysisk prestasjonsevne og redusert følelse av psykisk velvære. Det er likevel bare en liten del av alle som behandles med veksthormon i barnealder som skal behandles som voksne, nemlig kun de som etter avsluttet vekst fortsatt har veksthormonmangel. Dette betyr bl.a. at jenter med Turner syndrom og barn med kronisk nyresvikt eller idiopatisk kortvoksthet ikke skal behandles etter at de er utvokst.

Selv om alt tyder på at behandling med veksthormon er relativt sikker på kort sikt, gir den nylig publiserte rapporten i Lancet om en seks ganger økning i nye tilfeller av type 2 diabetes hos barn som har vært behandlet med veksthormon grunn til betydelig ettertanke (Lancet 2000;355:610). Funnet av en sjelden,

men så alvorlig bivirkning, gir for det første grunn til varsomhet når det gjelder behandling av barn som ikke har veksthormonmangel, men i tillegg gir det nye perspektiver på den diskusjon som fortsatt går om indikasjonene for veksthormonbehandling hos voksne. Selv om dosene som brukes til voksne er betydelig lavere enn det som benyttes til barn i vekst, dreier det seg her om behandling som kan strekke seg over mange tiår.

For bl.a. å hindre overbehandling av voksne som ikke har persisterende veksthormonmangel, skal således alle barn seponere sin veksthormonbehandling rundt det tidspunkt når de er utvokst. Imidlertid skal det også sikres at unge voksne med persisterende og alvorlig veksthormonmangel får mulighet til adekvat substitusjonsbehandling. Det er da helt nødvendig at pediateren har kjennskap til hvem som skal henvises til indremedisiner for retesting. I dette nummer av *Pediatrik Endokrinologi* beskrives

et forslag til retningslinjer for hvordan overgangen fra barn til voksen kan organiseres. Det foreslås at hovedprinsippet blir at pediateren seponerer veksthormon og henviser, mens indremedisineren retester og evt. gjeninnsetter veksthormonbehandling.

I dette heftet presenterer også Kolbeinn Gudmundsson flere klinisk viktige poenger omkring diagnostikk og behandling av diabetes insipidus, mens Jens V. Jørgensen og medarbeidere kommenterer de nylig publiserte europeiske retningslinjer for neonatal screening for kongenitt hypothyreose. Det er gledelig, men ikke uventet, at disse i svært stor grad er i overensstemmelse med de norske anbefalinger som ble publisert av Jørgen Knudtzon og medarbeidere for tre år siden (*Pediatrik Endokrinologi* 1997;11:45).

Dagfinn Aarskog
Robert Bjercknes