

Heatwole CR, Eichinger KJ, Friedman DI, et al. Open-label trial of recombinant human insulin-like growth factor 1/recombinant human insulin-like growth factor binding protein 3 in myotonic dystrophy type 1. Arch Neurol 2011; 68 (1): 37-44.

Bij 15 ambulante mensen met MD1 is onderzoek gedaan naar de effecten van een behandeling met IGF-1/IGFBP-3¹. Het doel van dit onderzoek was het verkrijgen van inzicht in veiligheid, eventuele bijwerkingen en effecten op de spieren bij MD1.

Groep 1 (6 personen) kreeg 0,5 mg/kg/dag gedurende 8 weken en vervolgens 1,0 mg/kg/dag gedurende 16 weken. Groep 2 (9 personen) kreeg 0,5 mg/kg/dag gedurende 8 weken, 1,0 mg/kg/dag eveneens 8 weken en tenslotte 2,0 mg/kg/dag gedurende 8 weken. Na stopzetting van de behandeling werden de deelnemers nog 16 weken gevolgd ('wash-out' periode). Alle deelnemers voltooiden het onderzoek. De meest genoemde bijwerkingen waren roodheid of pijn op de injectieplaats.

Er was geen verbetering meetbaar in spierkracht en spierfunctie, Sickness Impact Profile² en symptomen van myotonie. De IGF-1 spiegels in het bloed waren voor de behandeling wel binnen de normaalwaarden, maar aan de lage kant. Tijdens de behandeling steeg deze sterk maar daalde weer tijdens de wash-out periode. De vetvrije massa nam toe met 0,8 tot 1,95 kilo na 24 weken behandeling, maar daalde daarna weer naar de oorspronkelijke waarde. De triglyceridespiegel³ in het bloed daalde en het HDL-cholesterol nam toe. Het HbA_{1c}⁴ daalde, evenals de nuchtere bloedglucosewaarde. Bestaande maagdarmstoornissen namen af bij 3 deelnemers en dit handhaafde zich tijdens de wash-out periode. Er waren geen nadelige veranderingen in het cognitieve vermogen. Hoewel dit onderzoek wordt beperkt door het kleine aantal deelnemers en het ontbreken van een placebogroep kan gezegd worden dat de behandeling goed werd verdragen. De resultaten zijn bemoedigend omdat er sprake is van een toename van vetvrije massa⁵ en verbetering van de cholesterolwaarden en de gemiddelde bloedglucosespiegel. Nader, gerandomiseerd onderzoek naar effectiviteit, veiligheid en optimale dosering is nodig.

¹ IGF-1 staat voor insulinegelijkende groeifactor. Het wordt door het menselijk lichaam geproduceerd. Het is in de circulatie gebonden aan verschillende eiwitten, waarbij IGFBP-3 het belangrijkste bindingseiwit is. IGF-1 helpt bij herstel en opbouw.

² Sickness Impact Profile is een vragenlijst die bijvoorbeeld het effect van een behandeling achteraf kan meten.

³ Een verhoogd triglyceridengehalte in het bloed is een risicofactor voor hart- en vaatziekten. HDL-cholesterol is een gunstige soort die het lichaam beschermt tegen hart-en vaatziekten.

⁴ HbA_{1c} is een maat die een beeld geeft van de gemiddelde bloedglucosespiegel over de afgelopen twee tot drie maanden.

⁵ De vetvrije massa bestaat uit spierweefsel, organen en skelet. De toename van vetvrije massa in dit onderzoek wijst op toename van spierweefsel. Mogelijk is deze hoeveelheid te verspreid over het lichaam en gedurende een te korte periode om verbetering in spierkracht en spierfunctie te kunnen meten.

