

Lamb MM, Cai B, Royer J, et al. The effect of steroid treatment on weight in nonambulatory males with Duchenne muscular dystrophy. Am J Med Genet 2018 Sep 26 epub ahead of print.

Er is nog weinig kennis over het gewicht in de rolstoelgebonden fase bij jongens en mannen met Duchenne spierdystrofie, zowel met als zonder behandeling met corticosteroiden. Behandeling met corticosteroiden bij rolstoelgebonden mannen wordt in toenemende mate gewoon. In dit onderzoek is gekeken naar de effecten van behandeling met corticosteroiden op het gewicht.

De medische dossiers van 392 rolstoelgebonden jongens en mannen werden bestudeerd. In totaal was het gewicht 1832 x geregistreerd bij 176 jongens en mannen die niet met corticosteroiden waren behandeld en 2596 x bij 209 jongens en mannen die 6 maanden of langer waren behandeld met corticosteroiden. Om een gewichtscurve te kunnen maken werden de gewicht-naar-leeftijd scores in periodes van 6 maanden berekend vanaf 8,5 jaar tot 20 jaar. Dit werd gedaan om ze te kunnen vergelijken met de algemene Amerikaanse curve voor jongens. Er waren onvoldoende metingen van de lengtegroei bekend om een vergelijkbare lengte-naar-leeftijd curve te kunnen maken.

De patronen van behandeling met corticosteroiden varieerden sterk. Sommigen startten en stopten wel 3x. Slechts enkelen startten de behandeling nadat ze rolstoelgebonden waren geworden. Rond de tijd van het niet meer kunnen lopen stopte 39% van de jongens met de behandeling. Gemiddeld duurde de behandeling 5,6 jaar, maar varieerde tussen 0,5 en 17 jaar.

De spreiding van de gewichtscurve bij de jongens en mannen met Duchenne spierdystrofie was ruimer dan die van hun Amerikaanse leeftijdgenoten:

	10 ^e percentiel	90 ^e percentiel
gezonde jongens 20 jaar	59 kg	89 kg
jongens Duchenne 20 jaar zonder behandeling	29 kg	92 kg
jongens Duchenne 20 jaar met behandeling	39 kg	103 kg

De jongens en mannen zonder behandeling hadden gemiddeld een lagere gewicht-naar-leeftijd z-score¹ dan de jongens en mannen met behandeling en hun gezonde leeftijdgenoten. De gemiddelde z-score voor jongens en mannen met behandeling was iets lager dan de gezonde leeftijdgenoten. Op jongere leeftijd waren de z-scores voor zowel behandelde als onbehandelde jongens en mannen hoger dan die van de gezonde leeftijdgenoten. Maar bij het ouder worden nam de gewicht-naar-leeftijd score af, waarschijnlijk door spiermassaverlies en verbindweefseling.

Volgens de onderzoekers is langdurige behandeling met corticosteroiden gerelateerd aan gewichtstoename/gewichtsbehoud bij rolstoelgebonden jongens en mannen met Duchenne spierdystrofie. De figuur van de gewichtscurve in de publicatie kan van belang zijn voor professionals en families om de bijwerkingen van het gebruik van corticosteroiden te kunnen monitoren.

¹ De z-score is een term uit de statistiek. Het geeft aan hoeveel standaardafwijkingen een observatie van het gemiddelde af zit. Je kunt daarmee direct zien hoe iemand scoort ten opzichte van de rest.