

Viss vetenskaplig dokumentation finns om patientnytta vid tillväxthormonbehandling av barn med idiopatisk kortvuxenhet

SBU Alert

■ När det blev möjligt att framställa tillväxthormon på syntetisk väg, i mitten av 1980-talet, började man diskutera om även kortvuxna barn utan klarlagd brist på tillväxthormon, s k idiopatisk kortvuxenhet, kunde ha nytta av tillväxthormonbehandling. SBU har tagit upp detta ämne i en nyligen publicerad Alert-rapport.

Idiopatisk kortvuxenhet är i dag inte en godkänd indikation för tillväxthormonbehandling. Behandlingen ges i form av dagliga injektioner och pågår ofta till 10-årsåldern.

SBU Alert hittade endast fem kontrollerade och två okontrollerade studier där barn med idiopatisk kortvuxenhet som behandlats med tillväxthormon hade följts tills de nått sin slutlängd. Behandlingens genomsnittliga effekt på slutlängden varierar mycket mellan studierna. SBU Alerts sammanvägningar

av de olika resultaten pekar på en genomsnittlig längdtillväxt på 3–7 cm.

Det är inte fastställt om behandling med tillväxthormon minskar beteendestörningar och skolsvårigheter under barndomen, inte heller om behandling leder till ökad livskvalitet i vuxen ålder, enligt Alert-rapporten.

SBU Alert lyfter fram två viktiga frågor med etiska implikationer: Är det etiskt försvarbart att utsätta friska barn för en daglig behandling under lång tid till osäker individuell nytta? Bör kortvuxenhet hos i övrigt friska individer klassificeras som sjukdom eller ska behandling som befrämjar längdtillväxt hos denna grupp betraktas som »kosmetisk«?

Vad gäller ekonomin uppskattar SBU Alert att enbart läkemedelskostnaden för ett barns behandling i genomsnitt ligger på drygt en miljon kronor, vilket innebär flera hundra tusen kronor per vunen centimeter i längdtillväxt.

SBU graderar sina värderingar av den vetenskapliga dokumentationens kvalitet och bevisvärde för aktuella frågeställningar i fyra nivåer: god, viss, ringa eller ingen.

I det här fallet görs bedömningen att det finns viss vetenskaplig dokumentation om patientnytta vid behandling av idiopatisk kortvuxenhet samt att ingen vetenskaplig dokumentation om metodens kostnadseffektivitet föreligger.

Sakkunniga i arbetet: Martin Ritzén, professor, barnendokrinologiska laboratoriet, Astrid Lindgrens Barnsjukhus, Karolinska institutet, Stockholm, samt Frida Meyer, AT-läkare, Mälarsjukhuset, Eskilstuna (handledare: Mona Britton, SBU).

Granskare: Kerstin Albertsson-Wikland, professor, Drottning Silvias barn- och ungdomssjukhus, Göteborg.

Läs hela dokumentet på <http://alert.sbu.se>

Alert är ett komplement till de omfattande systematiska litteraturoversikter som SBU genomför, och riktar sig i första hand till beslutsfattare och verksamhetschefer i sjukvården. SBU Alert ska tidigt identifiera nya metoder, bedöma förväntade effekter när det gäller vårdresultat, ekonomi och vårdstruktur samt peka på kunskapsluckor.

Sambandet mellan studiedesign och behandlingseffekt fortfarande osäkert

■ Frågan om vilken studiedesign som ger det säkraste måttet på behandlingseffekt är i huvudsak besvarad. Den rando-

miserade, kontrollerade studien har minst potential för systematiska fel. Samtidigt visar en nyligen publicerad studie i JAMA att den vanliga uppfattningen att observationsstudier överskattar behandlingseffekter inte är helt korrekt. Denna uppfattning bygger på äldre översikter där observationsstudierna ofta bestod av retrospektiva fallserier.

Artikeln har författats av en grupp framstående företrädare för evidensbaserad medicin i Nordamerika och uppfyller alla de metodologiska krav man kan ställa. Man fann en god korrelation mellan effekten av behandlingar som studerats såväl med randomiserad metodik som i prospektiva kohortstudier.

Samtidigt var inte korrelationen fullständig utan det fanns exempel på observationsstudier med såväl större som mindre effekt än i motsvarande randomiserade undersökningar. Signifikant fler jämförelser visade en större effekt i observationsstudierna än i de randomiserade studierna.

Man föreställer sig ofta att observa-

tionsstudier föregår de randomiserade, kontrollerade undersökningarna, men i åtskilliga fall var ordningen omvänd. Detta kan ju ha berott på att man önskat studera om en behandlingseffekt står sig i en mindre selekterad patientpopulation.

Detta är ett av de viktigaste användningsområdena för klinisk behandlingsforskning. Det är ofta inget som hindrar att man använder samma studieprotokoll, men i en öppen kohortdesign för de patienter som inte kan eller vill randomiseras. Samtidigt får man alla de problem med störfaktorer, som observationsstudier är förknippade med, vilket gör analysen och tolkningen mer komplicerad.

Sten Thelander
thelander@sbu.se

Ioannidis JP, et al. Comparison of evidence of treatment effects in randomized and nonrandomized studies. Review. JAMA 2001;286(7):821-30

Referat till Nya rön skall innehålla

- Kort titel som speglar huvudbudskapet
- Något om materialets sammansättning
- Huvudresultat och författarnas konklusion
 - Tillämpning på svenska förhållanden
 - Fullständig referens för artikeln
- Din adress, fax och e-postadress samt telefonnummer
- Tillstånd att publicera referatet på vår hemsida, VIKTIGT!
- Referat får innehålla högst 250 ord

Skicka referatet med e-post som ett vidhängande Word-dokument till nya.ron@lakartidningen.se

Välkommen med Ditt bidrag