

SOUČASNÉ INDIKACE LÉČBY RŮSTOVÝM HORMONEM V PEDIATRII

Na základě posouzení účinnosti a bezpečnosti, po schválení příslušnými institucemi Evropské unie, Státním ústavem pro kontrolu léčiv a Všeobecnou zdravotní pojišťovnou ČR je v současné době léčba růstovým hormonem indikována u následujících pěti indikačních skupin pediatrických pacientů:

1. Deficit růstového hormonu

Definice: hladina růstového hormonu nižší než 20 mIU/l (10 µg/l) nejméně ve dvou stimulačních testech, při současném posouzení růstové dynamiky, hladin IGF-I, ostatních funkcí hypofýzy a morfologie hypofýzy.

Dávkování: obvykle 0,025–0,033 mg/kg/den (tj. 0,5–0,7 IU/kg/týden) v každodenní s. c. injekci

Zahájení léčby: bezprostředně po stanovení diagnózy; absolutní kontraindikací léčby je neukončená onkologická léčba v případě nádorového onemocnění

Ukončení léčby: po ukončení růstu (růstová rychlost nižší než 2 cm/rok, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců, a současně kostní věk nejméně 15 let u dívek resp. 17 let u chlapců) se léčba přerušuje na 4–6 týdnů. Poté se provádí re-testování podle pravidel Growth Hormone Research Society. Při potvrzení těžké formy deficitu růstového hormonu (stimulovaná hladina růstového hormonu nižší než 6 mIU/l, tj. 3 µg/l) pokračuje substituční léčba růstovým hormonem v dávkování pro dospělé věk. Re-testování není nutné provádět u pacientů s prokázaným genovým defektem spojeným s deficitem růstového hormonu. Léčba po ukončení růstu pokračuje zpravidla do 18–19 let věku na pediatrickém pracovišti, poté na akreditovaném pracovišti pro dospělé.

2. Turnerův syndrom

Definice: karyotyp 45,X nebo jeho varianty (příslušná chromozomální mozaika a/nebo strukturální anomálie X chromozomu).

Dávkování: obvykle 0,05 mg/kg/den (tj. 1,0 IU/kg/týden) v každodenní s. c. injekci

Zahájení léčby: po stanovení diagnózy; obvykle nikoliv dříve než ve 2–3 letech věku

Ukončení léčby: po ukončení růstu (růstová rychlost nižší než 2 cm/rok, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců).

3. Růstové selhání v důsledku chronické renální insuficience

Definice: chronická renální insuficience ve fázi konzervativního léčení, ve fázi dialýzy nebo po transplantaci ledviny, a současně tělesná výška pod 3. percentilem pro daný věk a pohlaví a/nebo růstová rychlost pod 25. percentilem pro daný věk a pohlaví, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců

Dávkování: obvykle 0,05 mg/kg/den (tj. 1,0 IU/kg/týden) v každodenní s. c. injekci

Zahájení léčby: po splnění uvedených kritérií, po zvážení celkového stavu a dlouhodobé prognózy pacienta; o zahájení léčby rozhoduje společně dětský endokrinolog a nefrolog, léčbu řídí dětský endokrinolog

Ukončení léčby: po ukončení růstu (růstová rychlost nižší než 2 cm/rok, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců).

4. Syndrom Pradera-Williho

Definice: cytogeneticky nebo molekulárně-geneticky prokázaný syndrom Pradera-Williho. Jen zcela výjimečně lze léčbu zahájit u pacientů s negativním cytogenetickým i molekulárně-genetickým nálezem při splnění klinických diagnostických kritérií.

Dávkování: obvykle 0,033 mg/kg/den (tj. 0,7 IU/kg/týden) v každodenní s. c. injekci

Zahájení léčby: po stanovení diagnózy; u dětí mladších tří let na základě individuálního posouzení očekávaného přínosu a rizik terapie

Ukončení léčby: po ukončení růstu (růstová rychlost nižší než 2 cm/rok, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců); léčba dospělých osob se syndromem Pradera-Williho je v současné době předmětem zkoumání a zatím nepatří mezi rutinní indikace terapie růstovým hormonem.

5. Postnatální růstové selhání navazující na intrauterinní růstovou retardaci

Definice: porodní hmotnost a/nebo porodní délka menší než -2 směrodatné odchylky pro daný gestační věk a pohlaví a současně aktuální tělesná výška nižší než -2,5 směrodatné odchylky pro daný věk a pohlaví

Dávkování: 0,033–0,067 mg/kg/den (tj. 0,7–1,4 IU/kg/týden) v každodenní s. c. injekci; v současné době se dává přednost dávkování v nižším doporučeném pásmu, výzkumy optimálního dávkování však dosud pokračují

Zahájení léčby: ve věku nad 3 roky při splnění výše uvedených kritérií

Ukončení léčby: po ukončení růstu (růstová rychlost nižší než 2 cm/rok, vypočítaná z období alespoň 6 měsíců).

K provádění léčby růstovým hormonem v pediatrii jsou oprávněni výhradně určení specialisté 12 pediatrických center pro léčbu růstovým hormonem.

Tento souhrn současných indikací pro léčbu růstovým hormonem v pediatrii schválil výbor České endokrinologické společnosti ČLS JEP dne 9. 11. 2004 po předcházejícím projednání Pracovní skupinou pro růstový hormon v pediatrii ČES.

prof. MUDr. Jan Lebl, CSc.,
doc. MUDr. Marta Šnajderová, CSc.
za Pracovní skupinu pro růstový hormon
v pediatrii ČES a za výbor
České endokrinologické společnosti
ČLS JEP