

Здоровье костей и Остеопороз при миодистрофии Дюшенна

ВСТРЕЧА 12-13 МАЯ 2016 ГОДА
САСИ БОУДЕН, ДОКТОР МЕДИЦИНСКИХ НАУК
ДЕТСКАЯ ЭНДОКРИНОЛОГИЯ
28 ИЮНЯ 2016

Исследования и клиника

- ▶ У детей специалисты занимающиеся здоровьем костей (Эндокринологи, нефрологи)
- ▶ Основные научные исследователи
- ▶ Природа и сфера применения клинических проблем
- ▶ Механизмы плохого состояния здоровья костей
- ▶ Молекулярно-клеточные механизмы
- ▶ Руководства по клиническому уходу
- ▶ Методы лечения для улучшения здоровья костей

Объем и тяжесть повреждения костей при миодистрофии

- ▶ Переломы очень распространены при миодистрофии. (длинные кости и переломы позвонков) 30-60%
- ▶ Переломы → заболеваемость и смертность Жировая эмболия
- ▶ Очень часто переломы приводят к преждевременной потере способности к передвижению (20% -50%)

Механизмы повреждения костей при миодистрофии Дюшенна

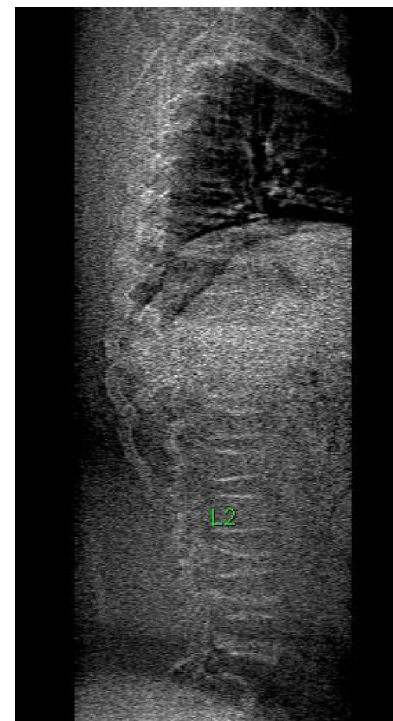
- ▶ Прогрессирующая миопатия
- ▶ Потеря мышечной массы
- ▶ Иммобилизация
- ▶ Терапия глюкокортикостероидами (ГКС)
- ▶ Замедление роста
- ▶ Задержка полового созревания

КОСТНО-МЫШЕЧНОЕ ВЗАИМОДЕЙСТВИЕ

- ▶ Мышцы для кости
- ▶ Кость для мышц
- ▶ Остеоциты выделяют вещества, которые влияют на мышцы
- ▶ Остеокальцин может оказать положительное воздействие на мышечную массу и функции
- ▶ TGF-beta костного происхождения индуцирует мышечную слабость
- ▶ Золедроновая кислота уменьшает передачу сигналов TGF-beta в мышцах и увеличивает диаметр мышечных волокон у мышей CED

Мониторинг здоровья костей

- ▶ Денситометрия
- ▶ Z оценка не предсказывает перелом
 - ▶ Хорошо для мониторинга
 - ▶ Показывает тенденцию плотности костной ткани
- ▶ Оценка переломов позвонка
- ▶ По рентгеновскому снимку
- ▶ По денситометрии



Когда начинать лечение бифосфонатами?

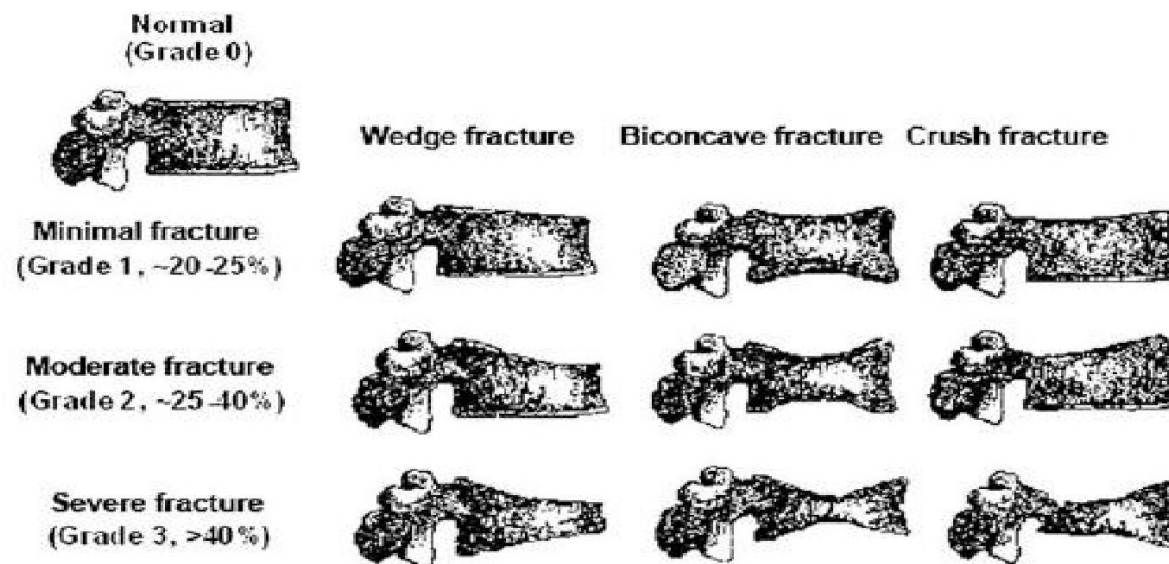
- ▶ Профилактическая терапия до первого перелома
- ▶ Вторичная профилактика после первого перелома

Текущее состояние профилактики и лечения остеопороза при миодистрофии

- ▶ Лечение Бисфосфонатами: внутривенные & пероральные бисфосфонаты
- ▶ Бисфосфонаты внутривенно:
 - ▶ Фаза стабилизации (высокая доза)
 - ▶ Поддерживающая фаза (низкая доза) (переход на пероральные?)
- ▶ Как долго мы лечим?

Обнаружение ранней стадии хрупкости костей (для вторичной профилактики)

- ▶ При скрининге позвоночника для выявления бессимптомных переломов позвонков



Другие подходы к терапии

- ▶ Анти-резорбтивная терапия:
 - ▶ Denosumab (RANKL антитела блокирующие остеокласты)
- ▶ Костное анаболическое терапия:
 - ▶ PTH (Teriparatide)
- ▶ Антитела к склеростину (Romosozumab)
- ▶ Будет ли комбинированная терапия более полезной?

Другие вопросы

- ▶ Могут ли костные биохимические маркеры быть прогностическими признаками возможных переломов?
- ▶ Есть ли новые методы лечения, ориентированные на мышцы (антимииостатиновая терапия, пропуск экзонов, увеличение уровня атрофина, профилактика фиброза), которые оказывают влияние на здоровье костей?
- ▶ Может ли понимание взаимодействия кости и мышц привести к разработке новых методов лечения для пациентов с МДД?

Переведено проектом Мой Мио
<http://mymio.org>

Оригинал презентации:

[http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect conference presentations 16](http://www.parentprojectmd.org/site/PageServer?pagename=Connect+conference+presentations+16)