



Behandling för MPS IV Morquios sjukdom

Vid Morquios sjukdom (typ A och B) saknas galaktos 6-sulfatas respektive beta-galaktosidas

Behandling/åtgärder

Det finns ingen botande behandling vid Morquios sjukdom ännu, men man skall snart inleda kliniska prövningar med enzymterapi, vg läs mer nedan. Behandlingen av barnen får därför i nuläget inriktas på att så mycket som möjligt motverka medicinska komplikationer och försöka underlätta i vardagsmiljön så att livskvaliteten blir så god som möjligt.

Hörsel- och synsättning är vanligt, och hörsel och syn bör kontrolleras regelbundet.

Alla personer med MPS-sjukdomar löper en risk för narkoskomplikationer och bör bedömas av narkosspecialist inför eventuell operation.

Alla barn med MPS IV måste undersökas med magnetkamera (MR) för att bedöma graden av instabilitet i nackkotpelaren. På grund av den stora risken för skador på halsryggmärgen bör man överväga att stabilisera nackkotan och den översta halskotan i förebyggande syfte med en operation. Detta görs helst i förskole- och lågstadieåldrarna.

Habiliteringsinsatser, dvs tillgång till sjukgymnast-, logoped- och arbetsterapeutinsatser, förskolepedagogik, psykolog- och kuratorsstöd m m, skall erbjudas barnet och familjen liksom hörsel- och synhabilitering vid behov. Sjukgymnasten kan hjälpa till att med rörelser och aktiviteter hålla uppe rörligheten så mycket som möjligt och därmed minska tendensen till kontrakturer (felställningar), varvid dock smärtsamma tånjningar bör undvikas. Främst på grund av skelettets deformeringar och höftinstabiliteten behöver barnen med den svårare sjukdomsformen oftast använda rullstol för sin förflyttning när de kommer upp i tonåren, ibland även tidigare.

Arbetsterapeut hjälper till med bedömning av åtgärder för att underlätta vardagen, bl a olika hjälpmedel.

Föräldrarna kan behöva psykologiskt stöd dels i samband med att de får besked om diagnosen, dels i samband med att olika påfrestningar uppkommer. Även barnen och ungdomarna själva kan behöva stöd av psykolog allt eftersom sjukdomen fortskrider och olika problem tillstöter.

Enzymterapistudie för MPS IV A

Inotech Biotechnologies Ltd meddelar att Saint Louis University, och prof. Shunji Tomasu initierar ett samarbete för att utföra det kliniska programmet för Morquio typ A, med Morquio familjer, Morquio Samfundet och MPS-föreningarna. Inotech är ett biotekniskt företag i Basel i Schweiz.

Man hoppas starta de kliniska studierna snart med målinriktad skelett terapi för MPS

Dr Shunji Tomatsu tittar på hur man kan förbättra skelett problemen hos MPS genom att modifiera enzymet så att det lättare kan ta sig in i skelettet. Man inriktar sig på en mänsklig klinisk studie baserat på de goda resultaten man sett på möss.

Företaget uppmanar alla familjer att lägga in sina barn på MPS IV registret; www.morquio.com.

Information om naturalhistorien är viktig för utveckling och uppföljning. Läs mer om studien på

www.inotech.ch eller kontakta Mary Smith president Carol Ann Foundation och

Internationella Morquio Organisationen på tel. 5207442531 (USA)