

Lev med...

SCLEROSE

LÆS OGSÅ ...

Nyt om medicin og forskning. Regionale medlemsmøder - 10

Vil du med ud at rejse - 34

Så kysser vi sclerose farvel igen - 38

 KORT NYT s. 6

 FORSKNING s. 16

 RÅDGIVNINGEN s. 42



s. 30 **Selfie fra en
isolationsstue**

»Stamceller er fremtiden«

Amerikanske Richard Burt står bag ideen om at bruge blodstamcelletransplantation mod sclerose. Han kalder metoden et paradigmeskifte indenfor området. Men behandlingen skal tilpasses netop denne type patienter for at virke optimalt



Af Louise Wendt Jensen

For omkring 30 år siden da Richard Burt var i gang med at specialisere sig indenfor kræft- og blodsygdomme ved National Institutes of Health uden for Washington DC, blev han sendt til Johns Hopkins-hospitalet i Baltimore for at lære mere om blodstamcelletransplantation til leukæmi-patienter.

Her så han, hvordan de efter transplantationen blev revaccineret, fordi deres immunforsvar var blevet nulstillet og havde mistet »hukommelsen« i forhold til at angribe fremmede elementer.

Og der slog det ham: på den måde måtte man også kunne nulstille immunforsvaret hos patienter med autoimmune sygdomme, hvor immunforsvaret ikke kun angriber fremmede elementer, men også patientens egen krop.

Særlig dedikeret afdeling

Da tanken var tænkt, var kursen for Richard Burts virke lagt. Han begyndte at forske i blodstamcelletransplantation udført på mus med forskellige autoimmune sygdomme blandt andet sclerose. Og efter ti år fik han tilladelse til at gå videre med transplantation på mennesker.

I dag leder han »The Division of Immunotherapy and Autoimmune Diseases« på Northwestern University i Chicago, en afdeling dedikeret til blodstamcelletrans-

plantation mod autoimmune sygdomme. Her foregår det store MIST-studie (Multiple Sclerosis International Stem Cell Transplant Trial), som også Uppsala og centre i Brasilien og Storbritannien deltager i.

Studiet er omtalt tidligere i bladet. De sidste patienter forventes tidligst afsluttet om et par år, og derefter skal de følges i fem år.

Men for få uger siden offentliggjorde Burt en videnskabelig artikel med status på 145 sclerose-

patienter, der alle har fået en blodstamcelletransplantation til omkring 125.00 dollars på Northwestern University.

Klar bedring

To år efter transplantationen havde 50 procent af patienterne, der var blevet fulgt så længe, oplevet et fald på mindst ét point på EDSS-skalaen. Efter fire år var det 64 procent. 80 procent af patienterne var stadig attackfrie. Sygdomsaktiviteten set på MR-scanning var også betydeligt reduceret. Desuden var der meget få infektioner og komplikationer hos de transplanterede.

Det understreges dog i artiklen, at da der ikke er tale om et randomiseret blindet studie, kan der være indbyggede fejlkilder, som smitter af på resultaterne. Omvendt er der også medtaget patienter, som man i dag nok ikke ville udføre en transplantation på,

men som man på det tidspunkt håbede at kunne hjælpe.

Hjælper kun på attackvis sclerose

For det er desværre ikke alle patienter en blodstamcelletransplantation kan forbedre.

Forbedringerne gjaldt kun for de patienter, der havde attackvis sclerose og havde haft sygdommen i mindre end ti år. Hos mennesker med sekundær progressiv sclerose eller sygdom længere end ti år, så man ingen forbedring på EDSS-skalaen.

»Folk skal have inflammation for at få gavn af behandlingen. Når man går over i den sekundære progressive fase er der tale om neurodegenerativ sygdom. Så kan man måske stoppe noget sygdomsaktivitet på MR-scanninger, men det hjælper ikke i det lange løb. Nedbrydningen af nerver vil fortsætte,« forklarer Richard Burt over telefonen fra Chicago.

Han vil ikke sætte en aldersgrænse for transplantation. Hellere en sygdomslængde på omkring de ti år. Derfor er udvælgelsen af patienter en vigtig faktor for succes.

Må ikke behandles som cancer-patienter

En anden meget vigtig faktor, er det regime af cellegifte, der bruges mod knoglemarven. Her bruger Richard Burt stoffet cyklofosamid i stedet for en hårdere cocktail af kemostoffer. Cyklofosamid er non-myeloablativ, det vil sige, at det kun slår knoglemarven ud i stedet for helt at ødelægge den.

Mange har en cancertilgang, når de udfører transplantationer. De tror, transplantationer kan gøres ens for alle patienter, men det kan de absolut ikke.

Richard Burt

»Vi giver ikke sclerosepatienter regimer, der bruges til cancerpatienter. Ved cancer vil man ødelægge knoglemarven. Det er alt for giftigt for mennesker med sclerose. Her vil vi bare slå immunsystemet ud, så det genstarter og bliver mere tolerant,« siger Richard Burt og påpeger, at jo flere medicinske præparater, man har været igennem inden transplantationen, jo større er risikoen for efterfølgende komplikationer.

Langvarig feber er skadelig

En yderligere meget vigtig erfaring er desuden, at sclerosepatienter skal have binyrebarkhormon under behandlingen, for at undgå at udvikle længevarende feber. Langvarig feber under transplantationen har vist sig at være virkelig skadelig for patienternes resultat på længere sigt.

»Mange vil ikke give binyrebarkhormon, fordi de er bange for, at det vil gøre kroppen mere modtagelig overfor infektioner. Det vil man for eksempel aldrig give til cancerpatienter. Men den feber, vi ser hos mange af vores sclerosepatienter, er unik for dem, og den kom bag på os. Den stammer ikke fra infektioner. Jeg forstår faktisk ikke helt, hvorfor den opstår. Måske fordi nervesystemets evne til at regulere varme er svækket. Men uanset hvad kan vi se, at det er vigtigt at blokere den,« siger Richard Burt.

Specialisering er nødvendig

Han påpeger, at man kun kan finde ud af den slags ved at specia-

lisere sig indenfor behandlingen af netop den her type patienter.

»Mange har en concertilgang, når de udfører transplantationer. De tror, transplantationer kan gøres ens for alle patienter, men det kan de absolut ikke. Måden, du udfører dem på, afgør udfaldet. Den her behandling kan noget, ingen andre kan. Men som alle andre meget potente behandlinger, kan den også være farlig, hvis man ikke har ekspertisen.«

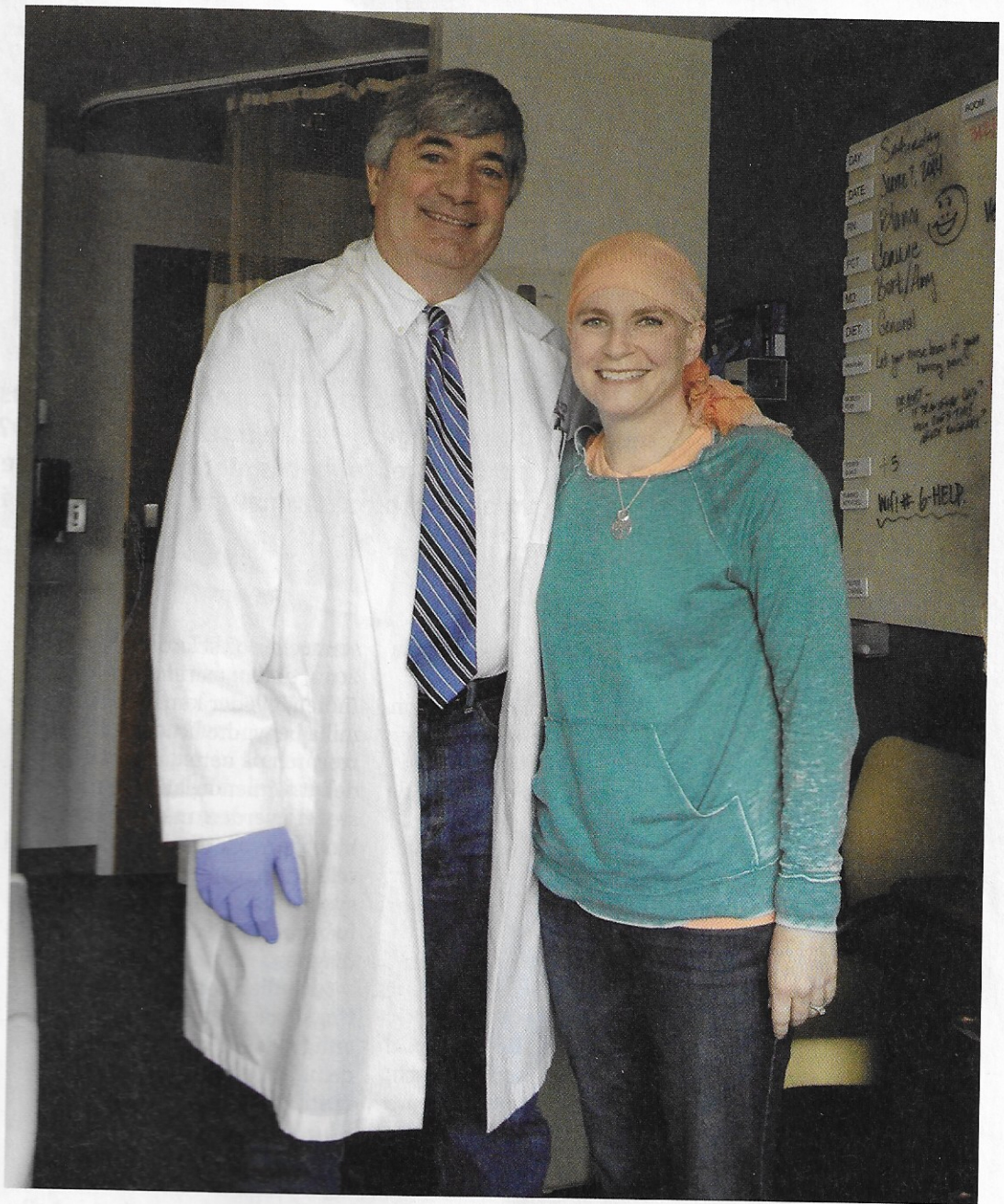
Netop risikoen ved behandlingen – som i værste fald kan være døden – er en anke mange neurologer har mod metoden.

»Risikoen afhænger af det regime, du bruger, og de patienter du udvælger til behandling. Gør man det her rigtigt, er risikoen langt under en procent,« er Richard Burts modsvær.

Han roses mange steder på internettet af sine patienter for at have kureret dem.

»Det er ikke et ord, jeg bruger. Man skal være meget forsigtig med den slags. Men vi gør noget her som intet medicinsk præparat hidtil har kunnet; nemlig at vende sygdommen uden yderligere behov for behandling i en i hvert fald meget lang periode. For mig er der ingen tvivl om, at stamceller er fremtiden,« siger Richard Burt, der gerne gennemser MR-scanninger fra udenlandske patienter, for at afgøre om man kan være egnet til en transplantation. ☺

I foråret 2014 fik amerikanske Veronica Raymond en blodstamcelletransplantation på Northwestern University i Chicago hos Richard Burt. Du kan læse om hendes oplevelser på hendes personlige blog www.iwillchooselemonade.blogspot.com (på engelsk)



Mere om Richard Burt og hans arbejde på
www.stemcell-immunotherapy.org