Nytt håp om behandling av pleksiforme nevrofibromer

Arvid Heiberg, tidligere overlege og professor ved avdeling for medisinsk genetikk, Rikshospitalet- Oslo universitetssykehus.

Pleksiforme nevrofibromer (PN) ses ved den vanligste typen nevrofibromatose-NF1- hos fra 10-30 % av pasientene og kan utgjøre et betydelig problem både kosmetisk og funksjonsmessig. PN kommer oftest i barnealder, kan være medfødte og kan både være kosmetisk skjemmende dersom i ansiktet eller klemme på underliggende organer og dermed gi smerter eller nedsatt funksjon- f.eks i armer eller ben.

PN er i utgangspunktet godartede svulster, men omkring 10% av svulstene kan bli ondartede- dette i motsetning til vanlige nevrofibromer, men hovedproblemet er at de ikke enkelt kan fjernes kirurgisk uten å skade underliggende vev eller funksjonen.

Mange PN er også usynlige og ligger i f.eks mage, bekken eller brysthulen. Dersom de vokser kan de trykke på organene rundt og skade funksjonen. Avhengig av hvor de sitter kan de få betydelig størrelse. De starter ofte tidlig i livet og vokser mest i barne- og ungdomsalderen.

Hittil har behandlingen vært at man observerer svulstene og prøver kirurgiske inngrep dersom funksjonen blir påvirket eller de kosmetiske følgende store, men det er ofte vanskelig å fjerne svulstene helt fordi de brer seg inn i omkringliggende vev, en trøst er at veksthastigheten avtar etter at man har nådd voksen alder.

Det er derfor et betydelig fremskritt at to medikamenter nå er godkjent som bremser veksthastigheten i svulstene hos noen, men ikke alle pasientene som hittil er behandlet. Det er to preparater som er godkjente i Beslutningsforum- Koselugo og Ezmekely, det siste for barn mellom 2-18 år.

For voksne, foreløpig i alle fall inntil 19.11.26 er det mulig å få det på såkalt compassionate use (gratis etter søknad) fra universitetsklinikk snarest.

Siden begge preparatene har bivirkninger må begge brukes under streng kontroll hos pasienter som har alvorlige symptomer- gjelder dette deg eller ditt barn sørg for å få en hastehenvisning til lege ved universitetsklinikk.