



6th International IPWSO Conference
Cluj-Napoca 21.06.07 - 24.06.07
"Coming here, you will discover yourself, discovering others"
Romanian Prader-Willi Association

ASOCIACIÓN MADRILEÑA
PARA EL SÍNDROME DE
PRADER-WILLI



GROWTH HORMONE EFFECTS IN INFANTS AND TODDLERS WITH PRADER-WILLI SYNDROME: DOES EARLY INTERVENTION MAKE A DIFFERENCE?

Barbara Y. Whitman, Ph.D.¹, Sue Myers, M.D.¹, Aaron Carrel, MD², David Allen, MD²

¹St. Louis University Department of Pediatrics, ²University of Wisconsin - Madison

INTRODUCTION: Infants with PWS display decreased muscle mass, hypotonia, and abnormally increased fat mass as assessed by DEXA scan prior to excessive weight gain, or hyperphagia. Growth hormone (GH) administration to children with PWS improves, but does not normalize, body composition, energy expenditure, and strength and agility. This study investigates whether GH therapy in infants with PWS can ameliorate hypotonia and prevent deterioration in body composition. We compare a subset of these children, now treated for four years, starting in infancy, with the youngest subset of a previous study for whom growth hormone replacement was not initiated until age four and above.

METHODS: Twenty-nine infants and toddlers with genetically confirmed PWS (ages 4-37 months) were randomized to GH treatment (1mg/m²/day) or control (no treatment) for 1 year. During years 1-2, control subjects were treated with GH (1.5mg/m²/day), while previously treated subjects continued on 1mg/m²/day. Sixteen of these children now between the ages of 48 to 72 months and enrolled in the study for 4 years are compared with the youngest subset of a previous GH study. Comparisons are made between the 4 year values of those enrolled in the infant study and the baseline values of the children starting GH replacement between 48 and 72 months.

RESULTS: Children treated since infancy had significantly improved standardized height scores (0.96 vs -1.2, p<.0001), had significantly better BMI's (19.2 vs. 25, p<.005); body composition by DEXA indicated that the early treated groups had significantly less body fat (36.0 vs. 43.5, p<.04). In addition, the early treated group talked significantly earlier (14.5 mo vs. 21.5 mo., p<.01) and more normalized head circumference (1.22 vs. -0.25).

DISCUSSION: This comparison of a group of children receiving GH replacement therapy from infancy to an untreated group of approximately the same age suggests that early GH hormone therapy has a broad ranging impact in this population beyond simply increased height. The positive changes in both body composition and neuro-developmental areas are intriguing and deserve long term follow-up.



6th International IPWSO Conference
Cluj-Napoca 21.06.07 - 24.06.07
"Coming here, you will discover yourself, discovering others"
Romanian Prader-Willi Association

ASOCIACIÓN MADRILEÑA
PARA EL SÍNDROME DE
PRADER-WILLI



EFFECTOS DE LA HORMONA DE CRECIMIENTO EN BEBÉS Y EN NIÑOS QUE EMPIEZAN A ANDAR CON SÍNDROME DE PRADER-WILLI: ¿MARCA DIFERENCIAS LA INTERVENCIÓN TEMPRANA?

Barbara Y. Whitman, Ph.D.¹, Sue Myers, M.D.¹, Aaron Carrel, MD², David Allen, MD²

¹St. Louis University Department of Pediatrics, ²University of Wisconsin - Madison

Traducido por: R. Bardón

INTRODUCCION: Los bebés con PWS presentan masa muscular disminuida, hipotonía, y un anormal incremento de masa grasa como demuestra la exploración por densitometría ósea antes de una ganancia excesiva de peso y de hiperfagia. La administración de hormona de crecimiento (GH) a niños con SPW mejora, pero no normaliza, la composición corporal, el gasto energético, la fuerza y la agilidad. Este estudio investiga si la terapia con GH en bebés con SPW puede aminorar la hipotonía y prevenir el deterioro en la composición corporal. Hemos comparado una muestra de estos niños, tratados ahora durante cuatro años desde la primera infancia, con los niños más jóvenes de otro estudio previo con hormona de crecimiento que no se aplicó hasta los cuatro años o más adelante.

METODOS: Veinticinco bebés y niños que estaban empezando a andar, confirmados genéticamente de SPW (con edades entre los 4 y los 37 meses) se sometieron a un ensayo randomizado donde un grupo se sometió a tratamiento con GH (1mg/m²/día) y otro fue el control (sin tratamiento), durante un 1 año. Entre el primer y segundo año, los sujetos control fueron tratados con GH (1.5mg/m²/día), mientras los niños tratados previamente continuaron el tratamiento a una dosis de 1mg/m²/día. Dieciséis de estos niños ahora con edades entre los 48 y los 72 meses y sometidos a este estudio durante cuatro años, se compararon con los más jóvenes de un estudio previo con GH. Las comparaciones se hicieron entre los valores del cuarto año de los bebés que se sometieron al estudio y los valores basales de los niños que habían comenzado el tratamiento con GH entre los 48 y los 72 meses.

RESULTADOS: Los niños tratados desde que eran bebés mostraron una mejoría significativa estandarizadas las medidas de altura (0.96 vs -1.2, p<.0001), tuvieron significativamente mejores IMC (Índices de masa corporal) (19.2 vs. 25, p<.005); la composición corporal medida por densitometría indicó que el grupo tratado tempranamente tenía significativamente menos grasa corporal (36.0 vs. 43.5, p<.04). Además, el grupo tratado tempranamente habló significativamente antes (a los 14.5 meses vs. 21.5 meses, p<.01) y normalizó su perímetro craneal (1.22 vs. -0.25).

DISCUSION: La comparación entre un grupo de niños que recibió terapia con GH desde la primera infancia con un grupo no tratado de aproximadamente la misma edad, sugiere que el tratamiento temprano con GH tiene un amplio impacto en este grupo de población más allá del simple incremento en la altura. Los cambios positivos tanto en el área de la composición corporal como en la del desarrollo neurológico son intrigantes y merecen ser investigados a largo plazo.