Proposal of a clinical response score and predictors of clinical response to 2 years of GH replacement therapy in adult GH deficiency.

Schneider HJ, Buchfelder M, Wallaschofski H, Luger A, Johannsson G, Kann PH, Mattsson A.
European Journal of Endocrinology (2015)173, 843-851

RIASSUNTO

OBJECTIVE: There is no single clinical marker to reliably assess the clinical response to growth hormone replacement therapy (GHRT) in adults with growth hormone deficiency (GHD). The objective of this study was to propose a clinical response score to GHRT in adult GHD and to establish clinical factors that predict clinical response.
DESIGN: This was a prospective observational cohort study from the international KIMS database (Pfizer International Metabolic Database).
METHODS: We included 3612 adult patients with GHD for proposing the response score and 844 patients for assessing predictors of response. We propose a clinical response score based on changes in total cholesterol, waist circumference and QoL-AGHDA quality of life measurements after 2 years of GHRT. A score point was added for each quintile of change in each variable, resulting in a sum score ranging from 3 to 15. For clinical response at 2 years, we analysed predictors at baseline and after 6 months using logistic regression analyses.
RESULTS: In a baseline prediction model, IGF1, QoL-AGHDA, total cholesterol and waist circumference predicted response, with worse baseline parameters being associated with a favourable response (AUC 0.736). In a combined baseline and 6-month prediction model, baseline QoL-AGHDA, total cholesterol and waist circumference, and 6-month change in waist circumference were significant predictors of response (AUC 0.815).
CONCLUSIONS: A simple clinical response score might be helpful in evaluating the success of GHRT. The baseline prediction model may aid in the decision to initiate GHRT and the combined prediction model may be helpful in the decision to continue GHRT.

COMMENTO

Quale sarà la risposta clinica alla terapia con rGH del singolo paziente che viene alla nostra osservazione con diagnosi di deficit di GH (GHD) dell'adulto?
Nel paziente con GHD che ha iniziato la terapia sostitutiva, possiamo stabilire dopo qualche tempo se è utile continuare tale terapia?
A tali quesiti ha cercato di rispondere l'interessante lavoro di Schneider e collaboratori pubblicato di recente su European Journal of Endocrinology. Gli Autori hanno derivato i dati per la propria indagine da quelli del KIMS riguardanti 3612 pazienti con GHD. Essi hanno valutato per ogni paziente la risposta clinica alla terapia con rGH determinando uno score valutativo basale ed uno score dopo 6 mesi di terapia, tenendo conto dei seguenti parametri: livelli di IGF 1, QoL-AGHDA (indice di qualità di vita), livelli di colesterolo totale, misura della circonferenza vita. Essi hanno attribuito un punto per ogni variazione di quintile per un range score da 3 a 15 ed hanno confrontato i dati basali e quelli a 6 mesi di terapia mediante analisi di regressione. Tenendo conto dei risultati ottenuti dai singoli pazienti dopo 2 anni di terapia, hanno tratto le conclusioni, stabilendo che i pazienti con alto score basale formato da bassi livelli di IGF1 e QoL-AGHDA e valori elevati di colesterolo totale e di circonferenza vita, erano quelli che avrebbero tratto maggiore giovamento dalla terapia con rGH. Invece un modello combinato formato dai dati basali e da quelli a 6 mesi, era in grado di individuare i pazienti in cui continuare la terapia. In effetti, i dati basali con alto score di

QoL-AGHDA, colesterolo totale e circonferenza vita, associati al solo dato di riduzione significativa della circonferenza vita dopo 6 mesi di terapia, avrebbe contrassegnato i singoli pazienti che avrebbero tratto maggiore giovamento dalla prosecuzione della terapia.
Trattasi di uno studio molto interessante basato su una vastissima casistica raccolta dal KIMS, che consente di programmare la più appropriata condotta terapeutica per il singolo paziente basata sul suo stato fisico, metabolico e psicologico e non solo sulla diagnosi di GHD. Qualora venga verificato e condiviso dalla comunità clinico-scientifica internazionale, potrà consentire una più oculata scelta del paziente da trattare e di quello che deve continuare la terapia, evitando prolungati trattamenti in pazienti che non ne trarrebbero vantaggi, con conseguente significativa riduzione del rapporto costo/beneficio.

Giuseppe Bellastella

Dipartimento di Scienze Mediche, Chirurgiche,

Neurologiche, Metaboliche e dell'Invecchiamento

U.O.C. di Endocrinologia e Malattie del Metabolismo

Seconda Università di Napoli

Piazza L. Miraglia 2

80138, Napoli

giuseppe.bellastella@unina2.it