

# Juvenilis dermatomyositis

**Dr. Constantin Tamás**

Semmelweis Egyetem, II. sz. Gyermekgyógyászati Klinika, Budapest

## **Definíció**

Az *idiopathiás inflammatorikus myopathiák* (IIM) progresszív izomgyengeséghez vezető izomgyulladásal és dermatomyositis esetén különböző bőrtünetekkel (heliotroph rash, Gottron papulák, Gottron jel és V jel) jellemezhetők. E betegség két fajtáját különböztethetjük meg két korcsoportban megjelenő gyakoribb előfordulása alapján: a juvenilis DM a 5–16 éves korban, míg a felnőtt típusú DM a 45–65 évesek között fordul elő leggyakrabban. Az első juvenilis dermatomyositis-ről (JDM) szóló esetet Potain írta le. JDM-ben szenvedő gyermekek jobb prognózissal rendelkeznek, mint a felnőtt korú DM-es betegek. A JDM kapcsolata rákos megbetegedésekkel igen ritka.

## **Epidemiológia**

A JDM/JPM ritka betegség, incidenciája az Egyesült Királyságban és Írországban 1,9/1.000.000 16 év alatti gyermekekre vonatkoztatva, prevalenciája egy svédországi vizsgálatban 25,0/100000-nek adódott. A nemek arányát tekintve jellemző az enyhe női dominancia.

## **Etiológia és patomechanizmus**

Genetikailag fogékony egyéneknél különböző környezeti hatások provokálják a kóros immunológiai folyamatok aktiválódását, és ez vezet a myositis kialakulásához. Az egyes klinikopathológiai alcsoportoknak megfelelően más és más autoimmun mechanizmusok játszódnak le, de a következmények azonosak: krónikus gyulladás, az izomrostok károsodása és pusztulása, fibrosis kialakulása. A myositisek genetikai hátterének feltárása érdekében intenzív kutatások folynak. A *genetikai faktorok*

szerepe mellett szól a családi halmozódás, a gyakoribb előfordulás bizonyos etnikai csoportokban és a myositis szoros HLA-asszociációja.

Jelen tudásunk szerint az IIM-k pathogenesisében bizonyos *környezeti ágensek*, mint provokáló tényezők hatnak. Ez elsősorban a myositisek szezonális megjelenése alapján vetődik fel. Sokféle mikrobiális ágens iniciáló szerepét feltételezik (Coxsackie B1-, enterovírusok, a parvovírus B19, a HTLV-1, Toxoplasma, és Borrelia, de a bizonyítékok egyelőre ellentmondásosak.

A napfény-expozíció, elsősorban az UV-fény etiológiai szerepe is felvetődik DM-ben, hiszen ez fokozza a betegség pathomechanizmusában fontos szerepet játszó citokin, a TNF- $\alpha$  szintézisét.

Habár a *pathomechanizmus* központi eleme autoimmun reakció, ez idáig még nem sikerült a célpontként szolgáló autoantigén(eke)t azonosítani. Valamely ismeretlen trigger tényező hatására tehát az érintett izmokban lokálisan *pro-inflammatorikus citokin* termelés indukálódik. Ezek a citokinek elősegítik a helper T limfociták (Th), makrofágok és neutrofil sejtek infiltrációját. Az aktivált Th sejtek Th1 vagy Th2 sejtekké differenciálódnak. A pathomechanizmusban a celluláris és a humorális immunitás egyaránt szerepet játszik, a Th1 sejtek a celluláris, a Th2 sejtek a humorális immunitást serkentik. PM-ben a Th1-Th2 egyensúly – hasonlóan a legtöbb szisztémás autoimmun betegséghez – a Th1 populáció javára változik, míg DM-ben inkább Th2 dominancia érvényesül. Végül az izomrostok károsodását PM-ben citotoxikus T sejtek (Tc), míg DM-ben a Th sejtek mediálta citokin és B-limfociták által kiváltott humorális mechanizmusok idézik elő.

*PM-ben az endomyeális gyulladásos infiltrátum* két fő sejtje a makrofág és a Tc sejt. A *DM pathomechanizmusában* alapvető különbség a PM-hez képest, hogy az immunfolyamat az intramuscularis microvasculatura endotheliuma ellen irányul. A perivascularis infiltrátumban Th sejtek, B-limfociták, makrofágok és neutrofil sejtek figyelhetők meg. Az érintett bőrben szintén hasonló perivascularis infiltrátum látható.

### **Klinikai tünetek**

Az *izomgyengeség* kezdődhet akutan, de lassan, hónapok alatt kifejlődve is. Az előbbi DM-re, míg az utóbbi inkább PM-re jellegzetes. Az izomgyengeség típusosan szimmetrikus és a proximális, végtagövi izmokat érinti, így azok a tevékenységek okoznak nehézséget, amelyek elvégzéséhez ezen izmok szükségesek (fésülködés, borotválkozás, lépcsőn járás, székről történő felállás, a buszra történő fel- és leszállás).



Sokszor a nyak hajlítóizmai is érintettek. Az izomgyengeség általában mind az alsó, mind a felső végtagokon kialakul; foka elérheti a teljes mozgásképtelenséget is. A distalis izomgyengeség kezdetben ritka, de kórfolyás során a későbbiekben az esetek negyedében is jelentkezhet; súlyossága azonban nem éri el a proximális izomgyengeségét. Az izomgyengeséget izomfájdalom és érzékenység kíséri, ez inkább DM-re jellemző, PM-ben kevésbé fordul elő. Jellemző, hogy a myalgia inkább a felső végtagokat érinti. A szem- és arcizmok típusosan megkíméltek maradnak.

A DM-ben megfigyelhető *bőrelváltozásokat* az 1. táblázat foglalja össze. A bőrtüneteket három csoportba osztjuk: pathognomikus, a betegségekre specifikus tünetek; karakterisztikus, azaz más betegségekben, például SLE-ben is előforduló tünetek; és egyéb, a DM-ben ritkábban észlelhető tünetekre. A bőrtünetek időbeli megjelenésüket tekintve leggyakrabban megelőzik az izomgyengeség kialakulását, de akár hetekkel is követhetik annak megjelenését. A bőrtünetek tekintetében legfontosabb differenciáldiagnosztikai szempontból szóbajövő kórképet a 2. táblázat foglalja össze.

### *1. táblázat. A dermatomyositis jellegzetes bőrtünetei*

#### **Pathognomikus tünetek**

Gottron-papula	Vörhenyes árnyalatú papulák a kéz MCP és IP ízületei felett. Közepük lehet atrophias, besüppedt, fénylő, fehér.
Gottron-jel	Szimmetrikus, vörhenyes maculák oedemával vagy anélkül a kéz IP ízületeinek dorsalis oldalán; az olecranonon, a patellán és a medialis malleolus felett.

#### **Karakterisztikus tünetek**

Heliotrop rash	Periorbitalis erythema a szemhéjakon, melyekhez gyakran társul oedema. A felső szemhéj gyakrabban érintett, mint az alsó.
Periungualis teleangiectasia	Felette a bőr gyakran atrophias. Elsősorban JDM-ben.
Szimmetrikus macularis erythema	A kéz dorsalis felszínén, az alkar és a kar extensor felszínén, a vállon (sáltünet), a nyakon, a mellkason a ruhakivágásnak megfelelően (V-jel), valamint az arc centrális részén.

**Ritkábban előforduló tünetek**

Teleangiectasia, superficialis atrophia	Főként a mellkas, a hát és a váll bőrén.
Calcinosis cutis	Elsősorban JDM-ben. Lokalizációját tekintve subcutan, superficialis, intramuscularis és extenzív exoskeleton lehet.
Pruritus	
Poikiloderma atrophicans vasculare	
Hypo- és hyperpigmentáció	
Vesiculobullosus lesiők	
Erythroderma	
Livedo reticularis	
Leukocytoclasticus vasculitis	
Anasarca	

**2. táblázat A DM-ben megfigyelhető bőrtünetek differenciáldiagnosztikája**

<b>1. SLE</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>○ Az SLE-s bőrelváltozásokra a kiemelkedő felszínek, a kézfejen az ízületek közötti terület érintettsége, míg ADM-ben a periorbitalis area, a kézen pedig az ízületek feletti terület érintettsége jellemző.</li><li>○ A bőrelváltozások színe SLE-ben rózsaszín, ADM-ben lilás.</li><li>○ Bőrbioopsziás mintában az SLE-s betegeknél nem mutathatók ki immunfluoreszcenciás vizsgálattal a C5-9 komplement komplexek, az ANA titere pedig magasabb, mint ADM-ben</li></ul>
<b>2. HIV infectio</b>	Utánozhatja az ADM-t, ezért a vírusfertőzést ki kell zárni.
<b>3. Polymorph fény-exanthema</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>○ Allergiás eredetű bőrbetegség.</li><li>○ Csalánkiütés-szerű elváltozások jelentkeznek a fénynek kitett bőrterületeken, Az arcon, a nyakon, a dekoltázson, a karokon.</li><li>○ Általában a tavaszi-nyári időszakban jelentkezik.</li><li>○ Provokációs teszttel ADM-től biztosan elkülöníthető.</li></ul>



<b>4. Contact dermatitis</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Szintén allergiás mechanizmusú folyamat, amely az allergénnel való kontaktusnak megfelelően alakul ki.</li> <li>○ Differenciáldiagnosztikai problémát akkor okoz, ha a bőrtünetek „szóródnak”.</li> <li>○ Patch teszttel (epicutan allergiás próbával) az allergén kimutatható.</li> </ul>
<b>5. Lichen ruber planus</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Testszerte 1-3 mm átmérőjű, viaszosan fénylő papulák jelentkeznek.</li> <li>○ A kifejlődött Gottron-papulák a kezeken jelennek meg.</li> <li>○ Jellemző a Köbner-jelenség, a kaparási vonalnak megfelelően lichenes papulasor alakul ki.</li> <li>○ A két folyamat szövettani lelete eltér.</li> </ul>
<b>6. Seborrhoeás dermatitis</b>	A faggyúmirigyekben gazdag területekre lokalizálódik, elsősorban a hajas fejbőrre, homlokra, a presternalis és az interscapularis régióra.
<b>7. Psoriasis</b>	Az Auspitz tünet (a papulát megkarcolva apró vérzés figyelhető meg), valamint a Köbner jelenség segíti a diagnózist.
<b>8. Atopiás dermatitis</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Fehér dermografizmus.</li> <li>○ A szérum emelkedett IgE tartalma.</li> <li>○ Pozitív bőrpróbák</li> <li>○ Más allergiás betegségek (rhinoconjunctivitis allergica, asthma bronchiale) tárulása.</li> </ul>
<b>9. Trichinellosis</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>○ Urticaria és tartós szemhéjoedema jelentkezhet, ami összetéveszthető heliotrop rash-sel.</li> <li>○ A trichinellosisra eosinophilia jellemző.</li> <li>○ A tünetek thiabendazol kezelésre reagálnak.</li> </ul>

A karakterisztikus vázizomgyengeségen kívül számos egyéb *szisztémás tünet* fordulhat elő IIM-ban. Súlyosabb esetekben a harántcsíkolt izomzatból álló felső garatizomzat érintettsége miatt félrenyelés alakul ki (*oropharyngealis dysfunctio*). A nyelőcső érintettsége következtében *dysphagia* alakul ki. Gyakori a gastro-esophagealis reflux is. A gastro-intestinalis traktus izmainak érintettsége következtében motilitási zavarok fordulhatnak elő. Jelentkezhet *dysphonia* is; továbbá a rekeszizom és a mellkasfali *légzőizmok érintettsége* dyspnoe-hoz, illetve légzési elégtelen-

séghez vezethet. A légzőizmok érintettsége többnyire súlyos, akutan kezdődő myositis esetében jön létre. A tüdő parenchymája is érintett lehet: az ún. *interstitialis tüdőbetegség (ILD)* alveolitis, vagy pulmonalis fibrosis képében jelentkezik leggyakrabban. Tünetei a progrediáló nehézlégzés és köhögés, valamint kóros légzésfunkció (restriktív légzés-zavar). Ritkább, de súlyos manifesztáció a *szívizomzat érintettsége* esetén bekövetkező ingerképzési- és vezetési zavar. Kialakulhat myocarditis, pericarditis, pangásos szívelégtelenség is. Típusos lehet a csuklót, térdet, a kéz kisízületeit érintő *arthralgia*, illetve a *non-erozív arthritis* jelentkezése is.

Fontos megemlítenünk az *amyopathiás DM-t*, mint önálló klinikai entitást. Ilyenkor a bőrtünetek állnak előtérben, az izmok megkíméltek maradnak (bár szubklinikus izomgyengeség, illetve kórszövettani vizsgálattal észlelhető eltérések jelen lehetnek).

A leggyakoribb myopathiák: a polymyositis (PM) és a dermatomyositis, amelynek mortalitása elérte az 50%-ot a glükokortikoidok széleskörű alkalmazásának elterjedését megelőzően. Az elmúlt évtizedekben a korai diagnózis és az azt követően elkezdett agresszív immunszuppresszív kezelési protokollok a betegség standard ellátási stratégiájává váltak, ennek köszönhetően az IIM betegek túlélési esélyei világszerte javultak. A gyakran jelentkező extrasceletális és extramusculáris manifesztációk, úgymint a pulmonalis, gastrointestinalis és cardialis szövödmények, fokozzák a betegség morbiditását és mortalitását.

A juvenilis dermatomyositis gyakran szövődik *dystrophiás kalcifikációkkal*, amely rokkantsághoz, krónikus fájdalomhoz, a bőr kifekélyesedéséhez és ízületi kontraktúrák kialakulásához vezethet. Egyelőre nincsen általánosan elfogadott kezelési protokoll, egyes tanulmányok e szövödmények megelőzésére a kalcium antagonisták alkalmazását ajánlják. Mind a juvenilis és a felnőtt típusú DM bőrlézióinak terápiájában a tacrolimus, mint adjuváns szer alkalmazása megfontolandó.

### **Diagnózis**

Az IIM diagnózisának felállítása a *Bohan és Peter* által megfogalmazott kritériumok alapján történik:

- a proximalis izmok szimmetrikus, progresszív gyengesége
- a kreatin kináz (CK) és a laktát dehidrogenáz (LDH) enzimek aktivitásának emelkedése a szérumban
- a megváltozott EMG kép karakterisztikus triádja
- pozitív izom biopsziás eredmény
- karakterisztikus dermatológiai elváltozások



Említésre méltó, hogy számos beteg esetében az egyértelmű klinikai gyanú ellenére – karakterisztikus bőrtünetek jelenléte és proximális típusú izomgyengeség – sem jutunk definitív diagnózishoz a kivizsgálás során. Több szerző is vizsgálta a JDM klinikai és laboratóriumi tüneteinek előfordulási gyakoriságát a diagnózis felállításának idejében az IIM dignózzal kezelt betegek körében. A Bohan és Peter kritériumok szenzitivitása 74–100%, átlagosan 91% az egyes tanulmányokban. E vizsgálatokban a specificitás 90%-nak adódott. Definitív és valószínű JDM-ben szenvedő betegeink biopsziás mintáinak szövettani vizsgálata 85%-ban bizonyult pozitívnak. Megnehezíti a diagnózis felállítását, hogy JDM esetében a myositis gyakran focalis, a biopszia ismételt elvégzése pedig nem kívánatos polipragmázia.

A Bohan és Peter által 1975-ben kidolgozott kritériumrendszere óta számos új diagnosztikus eszközök és módszer (*immunszerológia, HLA analízis, MRI*) került bevezetésre az IIM-k diagnosztikájában. Az utóbbi időben a figyelem az új, kevésbé invazív diagnosztikus eljárások, mint például az MRI és az MR-spectroscopia felé fordult. Az MR hasznos eljárás a myopathia aktivitásának meghatározására. A vizsgálat érzékenyen jelzi a gyulladás miatt megemelkedett szöveti víztartalmat az izomzatban, a fasciákban, a perimysiumban és a subcutisban. A betegség későbbi, krónikus fázisában kimutathatjuk az izomzat atrophiját, a zsíros infiltrációt és az extrófiás meszesedést. Az MRI jóval szenzitívebb (90%), mint a szövettan (65%), tehát már akkor kimutatja a myopathiát, amikor az izombiopszia és az EMG negatívak, de kevésbé specifikus (90% vs. 100%). MR alapján, „célzottan” végzett izombiopszia szövettani vizsgálatának specificitása és szenzitivitása a 100%-ot közelíti. (Az MR spektroszkópia során <sup>31</sup>P használatával a foszfát metabolitok (ATP, anorganikus foszfát, foszfokreatinin) koncentrációját mérik nyugalomban és terhelés alatt. Aktív myositis esetén a foszfát metabolitok koncentrációja nyugalomban és terhelés alatt is szignifikánsan alacsonyabb, mint egészséges egyéneknél.)

*Nemzetközi konszenzusra lenne szükség*, amely meghatározná mind a diagnosztika, mind a terápiás lépések pontos algoritmusát. E konszenzus sürgősségét az a tény is alátámasztja, hogy a diagnózis késői felállításának és az adekvát terápia megkezdésének késedelme a betegség funkcionális kimenetelének és a későbbi szövődmények kialakulásának (pl. calcinosis) elkerülhető kockázati tényezője.

## **Kórlefolyás**

Vizsgálataink szerint a gyermekek és felnőttek között leggyakrabban a DM monofázisos formájával találkozhatunk. A policiklusos lefolyású altípus (ismétlődő relapszusokkal zajló) előfordulása hasonlóan mutatkozott mindkét korcsoportban. A betegség krónikussá válása inkább a JDM-ben szenvedő betegek csoportjára volt jellemző. Huber és munkatársai 65 JDM-es páciensük közül 24 esetben (37%) találták a betegség monofázisos formájával, míg 41 esetben (63%) a betegséget krónikus illetve policiklusos lefolyásúnak találták. Phillips munkatársaival a relapszusok hasonló előfordulási gyakoriságát találta (50–60%).

## **Terápia**

A betegség mortalitása a glükokortikoidok széleskörű alkalmazásának elterjedését megelőzően elérte az 50%-ot. Az elmúlt évtizedekben a korai diagnózis és az azt követően elkezdett agresszív immunszuppresszív kezelési protokollok a betegség standard ellátási stratégiájává váltak, ennek köszönhetően az IIM betegek túlélési esélyei világszerte javultak. A gyakran jelentkező extrasceletalis és extramuscularis manifesztációk, úgymint a pulmonalis, emésztőrendszeri és cardialis szövődmények, növelik a betegség morbiditását és mortalitását.

*A terápia célja, az akut izomkárosodás, a krónikus atrófia és a kontraktúrák megelőzése, továbbá a leendő relapszusok elkerülése, mindezekkel együtt az életminőség javítása.* A betegek kezelésének alapja az immunszuppresszió, amelyet az első vonalbeli glükokortikoid terápia bevezetésével indítunk, 1–2 mg/kg/nap kezdő dózisz prednisonnal vagy ekvivalensével. Ez a hagyományos terápia a felnőtt és gyermekkorú betegek 60–80%-ában mondható hatásosnak.

A glükokortikoid kezelést ineffektívnek tekintjük, ha az izomerő 3 hónapos kezelés mellett nem nő, illetve ha a dózis csökkentése után a betegség ismét fellángol (2, 5). Ezekben az esetekben, valamint ha súlyos mellékhatások jelentkeznek, amelyek miatt a kezelés felfüggesztésére kényszerülünk, további immunszuppresszív szerek alkalmazása szükséges. Ilyen második vonalbeli szerek az azathioprin (AZA), a methotrexat (MTX), a cyclosporin (CYA), az intravénás immunglobulin (IVIG) és a cyclophosphamid (CYC). A myositises betegek közel 20–40%-a a kezelés során nem csak glükokortikoidot igényel, hanem egyéb immunszuppresszív szert is. Több szerző is javasolja a második vonalbeli szerek korai bevezetését, különösen negatív prognosztikai faktorok jelenléte esetén már a betegség korai szakában, többnyire glükokortikoidokkal kombinál-



va (3. táblázat). Ezekben az esetekben a remisszió-indukció érdekében megfontolandó lökés glükokortikoid terápia alkalmazása (30 mg/kg/nap, maximum 1000 mg methylprednisolon iv. 3 napig). További vizsgálatok szükségesek a mycophenolat-mophetil kezeléssel kapcsolatosan, amely azonban az eddigi bízató eredmények alapján a konvencionális immunszuppresszív szerek mellett alternatív terápianak tekinthető.

### *3. táblázat Juvenilis és felnőtt DM betegek rossz prognózisára utaló tünetek*

---

Az akut-fulmináns betegségek sokszor életveszélyes állapothoz vezetnek  
A dysphagia az aspiratio lehetőségét vetíti előre  
Cardialis érintettség  
Dysphonia  
Interstitialis tüdő betegség  
Vasculitis  
Pozitív anti-szintetáz (anti-Jo-1) vagy anti-SRP autoantitest  
A diagnózis és a megfelelő terápia késése  
Inadekvát kezelés  
Idősebb kor  
Férfi nem  
Afrikai rassz  
Malignitás

---

Az immunterápiák, mint az anti-CD20+ B-sejt depletiót okozó monoklonális antitest (rituximab), az anti-TNF alfa és a CD28/CTLA-4 ko-stimulátor molekulák elleni antitestek, egyes esettanulmányokban és kisebb mintaszámú vizsgálatokban a DM-es betegek gyógyulását előmozdítani látszanak. A szelektív B-sejt gátlás fulmináns betegség esetében a cyclophosphamid kezelés alternatívája lehet. A TNF-gátló szerek alkalmazása mind a fibrózis megelőzésében, mind az akut gyulladásos folyamatok gátlásában szerepet játszhat, kiegészítő terápiaként szerepet kaphat a kezelés során. A ko-stimulátor molekulák között találjuk a „legfiatalabb” biológiai terápiát, az abateceptet, amely az Egyesült Államokban 2005 decemberében FDA engedélyt kapott a rheumatoid arthritis terápiájában.

A JDM gyakran szövődik dystrophiás kalcifikációkkal, amely rokkantsághoz, krónikus fájdalomhoz, a bőr kifehélyesedéséhez és ízületi kontraktúrák kialakulásához vezethet. Egyelőre nincsen általánosan elfo-

gadott kezelési protokoll, egyes tanulmányok e szövödmények megelőzésére a kalcium antagonisták alkalmazását ajánlják. Mind a juvenilis mind a felnőtt típusú DM bőrlézióinak terápiájában a tacrolimus, mint adjuváns szer alkalmazása megfontolandó.

A kezelés szerves része a fizioterápia is, melynek célja az izomerő javítása és az ízületi kontraktúrák, az izomatrófia kialakulásának megakadályozása. Aktív gyulladáshoz tünetek fennállása esetén azonban a gyógytorna növeli a gyulladásban lévő izmok necrosisát, ezért veszélyes lehet. Aktív myositises tünetek esetén is fontos az ízületek mozgásterjedelmének megőrzése. A légzőizmok elégtelen működése esetén el kell kezdeni a betegek légzési fizioterápiáját is. Ha a myositis aktivitása mérséklődik, izometriás gyakorlatok ajánlottak. A tartósan inaktív stádiumban több hónapon keresztül, izotóniás tornagyakorlatokat végeztek. A gyógytorna mellett fontos és előnyös mozgásforma az úszás is.

*Munkacsoportunk a korai agresszív terápia stratégiáját követi.* Az akut szakban lökés glükokortikoid kezeléssel/kezelésekkel érhetjük el a betegség hatékony és gyors kontrollját. A szteroid kezelés mellett többnyire bázisterápia bevezetése szükséges, amely segítségével megelőzhetjük a betegség relapszusát.

### **A betegek követése**

Az IIM-k kimenetelének teljes értékeléséhez nélkülözhetetlen a kezelés és a betegség szélesebb körű hatásainak vizsgálata. Habár mint azt a későbbiek során is látni fogjuk, az utóbbi évtizedekben az IIM-k túlélése világszerte progresszíven javult, ennek ellenére ez a betegség sajnos továbbra is hosszú távú hatással van az egyes betegek mindennapi életére. Minden terápiás próbálkozás ellenére az IIM-ben szenvedő betegek jelentős hányadában az izomerő visszatérése nem tekinthető teljesnek. A kezelés kiválasztásában és megtervezésében ezért egyre inkább előtérbe kerülnek azok a szempontok, amelyek révén az egészségi kimenetelt optimalizálni tudjuk. Ennek érdekében szükséges a kezelés eredményéről, illetve a beteg állapotáról objektív visszajelzést kapnunk. A *funkcionális kimenetel és életminőség vizsgálata* révén tehát betekintést nyerhetünk az orvosi tevékenység megítélésének egy sajátos, a beteg általi szemszögébe. Másrészt a funkcionális kimenetelt értékelő eljárások kidolgozása révén lehetővé válik az egyes esetek objektív összehasonlítása, aminek révén optimalizálhatjuk a terápiára adott válasz értékelését.

A betegség aktivitásának az autoimmun gyulladáshoz folyamatból közvetlenül származó, de még reverzibilis manifesztációkat tekintjük.



Ezzel szemben a *betegség károsodást* elsődlegesen az aktív betegségből származó, másodsorban a betegség kezeléséből eredő szövődmények jelentik. Ez tartósan fennmaradó, anatómiai, élettani, pathológiai (hegesedés, fibrosis, atrophia) és funkcionális elváltozások összessége. Fontos, hogy a betegség aktivitásának és a károsodás a megítélésékor a teljes klinikai spektrumot (azaz nemcsak a vázizomzat állapotát, hanem az egyéb célszerveket is) értékeljük. Régóta fennálló betegség esetén néha nehezséget okoz az aktuális aktivitás megítélésben a betegségből származó korábbi károsodás.

Az egészségi állapot felmérésére különféle eszközök állnak rendelkezésünkre. A betegség aktivitásának és az általa okozott károsodásnak a megítélése szubjektív és objektív mérőeszközök segítségével történhet.

Nemcsak a funkcionális status, hanem az *élet minősége* is alapvető aspektusa a betegség kimenetelének. Az egészséggel összefüggő életminőség vizsgálata (Health-related Quality of Life, HR-QoL) egyre inkább elterjed az orvostudomány különböző ágaiban. Objektív, mérhető adatokat nyújt arról, hogyan befolyásolja egy adott betegség az egyén mindennapi életét.

### **Összefoglalás**

A juvenilis dermatomyositis *szisztémás betegség*, a bőr- és izomtüneteken túl számolnunk kell az extramuscularis és extraskelletalis manifesztációk megjelenésével (a leggyakoribb az arthritis és a gastrointestinalis vasculitis), amely kiterjedt konziliáriusi hátteret kíván meg. A betegség aktivitásának megítéléséhez sokszor modern és drága laboratóriumi és képalkotó vizsgálatokat kell végeznünk. A terápia nyomonkövetése során ismernünk kell az *izomerő* vizsgálatának metodikáját és a *betegség aktivitásának, a kialakult károsodások és a funkcionális kimenetel - életminőség felmérésének* technikáját. A kezelés megkezdésekor már rendelkezésre kell álljon a képzett *gyógytornász*. A terápia során fel kell készülnünk a kezelés *toxikus mellékhatásainak* felismerésére és kezelésére. A *Semmelweis Egyetem II. sz. Gyermekgyógyászati Klinikáján gyermekreumatológiai fő profillal rendelkező Nefrológia - Immunológia Belgyógyászati Mátrix Osztály* került kialakításra, ahol az ország egész területéről fogadunk juvenilis dermatomyositisben, valamint egyéb gyulladással és non-inflammatorikus (veleszületett és metaboliás) myopathiákban szenvedő betegeket.