

## **Forsøg med genterapi – en patienthistorie**

Af Bent Holmstrøm, jan 2016

For næsten et år siden blev jeg spurgt, om jeg ville være interesseret i at være med i et forsøg, hvor man med genterapi ville prøve at få leveren til at producere mere faktor IX. Det var en helt ny procedure, som man ikke havde prøvet før nogen steder overhovedet. Jeg var selvfølgelig straks interesseret, men vi var kun 6 patienter på verdensplan, der skulle udvælges, og i Danmark skulle forsøget først godkendes af Etisk Råd.

Så jeg spurgte med måneders mellemrum, om der snart var en afgørelse, men det trak ud, og i mellemtiden overvejede jeg, hvilke argumenter jeg kunne komme med, hvis man overvejede en anden forsøgsperson. For eksempel at jeg altid havde overholdt mine rapporteringer om blødninger og profylaktiske infusioner, endda fra før det blev sat i system. Jeg husker, at jeg fik at vide, at Gormsen inde på Kommunehospitalet gav besked om, at han straks ville se mine rapporteringer, når de kom, men vist nok mest på grund af det underholdende moment, der var vist ikke så meget nyt af videnskabelig interesse. Senere kom det hele på skemaer på Rigshospitalet, men jeg har altså overholdt indrapporteringerne helt fra sidst i 70'erne.

Desuden havde jeg tænkt at sige, at hvis der gik noget galt, var det da bedre, at det kom til at gå ud over en gammel gubbe på snart 70, end et ungt menneske med hele livet foran sig.

Så kom der endelig besked om, at jeg kunne komme med i forsøget, hvis jeg kunne leve op til de medicinske forudsætninger, bl.a. at jeg havde et faktor indhold ikke over 2%, når jeg ikke havde taget infusioner i en uge. Det var vist første gang, jeg håbede, at jeg ikke producerede mere faktor IX end det!

Så fik jeg endelig besked i september 2015 om, at jeg var godkendt til forsøget. Alle de medicinske forudsætninger var til stede, og som jeg selv havde overvejet, var jeg også blevet udvalgt, fordi jeg havde rapporteret om både blødninger og profylaktiske infusioner, havde overholdt aftalte kontrolbesøg på Riget, og i det hele taget holdt tæt kontakt med hensyn til min hæmofili.

Så endelig kunne jeg tage 3 dage af sted til Frankfurt, hvor jeg først skulle bo på hotel og tage til forskellige undersøgelser på klinikken, hvor jeg fik en fin modtagelse, ja faktisk hjertelig. Jeg havde forventet et professionelt dygtigt men nok også lidt stift medicinsk hold, men de var lige så åbne og uhøjtidelige som hæmofilicentret på Riget. Det sætter jeg stor pris på, måske fordi mine første kontakter med hospitaler og læger begyndte sidst i fyrrerne, og da var tonen langt mere stiv og upersonlig.

Men da jeg kom til hotellet i Frankfurt viste det sig, at det var et hotel uden restaurant, så jeg gik ud og prøvede at opspore en restaurant i nærheden, men fandt kun et par pizzeriaer der ikke tog mod VISAkort, og jeg havde ikke euro med. Selv i Thailand kan jeg klare mig med det, men der er Tyskland åbenbart bagefter. En sød ung dame på hotellet hjalp mig så med at flikke

nogle madder sammen, og igen oplevede jeg, at er man ikke for utilnærmelig vil folk altid gerne hjælpe en, i Thailand, Tyskland og både Fyn og Jylland!

Da jeg næste dag på klinikken fortalte om mine genvordigheder, hev professor Miesbach straks sin pung frem, fandt 50 € frem og gav mig, så jeg ikke skulle sulte, vi kunne bare afregne, når jeg skulle hjem. Jeg syntes ikke selv, jeg er fordomsfuld, men en sådan gestus havde jeg ikke forventet af en tysk professor jeg lige havde mødt, og kun skulle være sammen med på klinikken i 2 dage. Næstkommanderende Dr. Krekeler var en sød dame, som jeg også udvekslede mange erfaringer og synspunkter med i de 2 dage.

Næste dag blev jeg indlagt på klinikken. Selve indgrebet var blot en infusion i armen i omkring 30 minutter af en 3.læge, der kom med materialet i en sikker boks som var det radioaktivt. Men da der var tale om genmanipuleret materiale, var der store sikkerhedsforanstaltninger. Der måtte ikke slippe den mindste smule forurenede materiale ud i omgivelserne, og alt blev noteret ned i en logbog med angivelse af nøjagtige tidspunkter. Bagefter afsøgte man hele området omkring sengen for at være sikker på, at der ikke slap usete tamponer, plaster eller andet ud, så genmanipulerede mikrober kunne smittede uskyldige ofre, så de blev spidermen eller flyvende lyserøde elefanter.

Jeg var indlagt til næste dag, hvor man tog nogle flere prøver. Vi fik taget en selfie af os tre sammen, hvis det egentlig hedder det, når det er en anden, der tager billedet. De ville gerne høre fra mig om hvordan det gik, selvom Miesbach og Peter Kampmann fra RH er i stadig kontakt omkring forsøget.

Et par dage efter fik jeg en mail fra Frankfurt med billedet, de havde taget, og Peter fortæller mig, at Miesbach stadig spørger til mig, når de konfererer om forsøget.

Jeg mærkede ikke noget ubehag af selve forsøget, jeg var nummer 3 i rækken, og indtil videre var det kun den første forsøgsperson der fik bivirkninger. Han steg til 12% faktor IX men så begyndte hans levertal at stige, og man måtte give ham Prednison, hvorefter både hans levertal og faktor niveau faldt, det stabiliserede sig omkring 6%.

Jeg kører selv til Riget hver uge og får taget blodprøver i 10-12 glas, som jeg har med til dem fra forrige besøg og selv får med op til afdelingen, hvor de bliver videregivet til laboratoriet, der dels analyserer nogle af dem, dels sender andre videre, bl.a. til Belgien. Men det er tydeligt at Riget er stort. Hver gang jeg kommer til blodprøvningen er assistenten i tvivl om, hvad hun skal stille op med alle de glas, og nu hvor det er foregået hver uge i omkring 3 måneder, er der så mange dernede, at vedkomne hver gang skal finde en at spørge. Desuden er Riget en del af flere sygehuse, så 2 gange har jeg været ude for, at deres printere ikke kan skrive mærkater ud, så det skal gøres manuel, med flere timers forsinkelse, og det er så ikke kun Riget, men alle hospitaler i København og omegn det går ud over

Jeg kan ikke lade være med at tænke på al den effektivisering der foregår både kommunalt og statsligt, nok er en fordel i det daglige, men hvad nu når det hele er afhængigt af EN computer, og den så strejker?

OK, men udover blodprøverne skal jeg også afgive legemsvæsker lige fra top til tå, men det er til at overse, og selvom det kan være besværligt, så er jeg interesseret i, at der bliver forsket i hæmofilibehandlingen, både for mig selv her og nu og i det hele taget. Der er da også kommet resultater ud af det. I november begyndte mit faktorniveau at stige, først til 8%, så 7% og nu har det lagt sig på 6%, hvor det ser ud til, at det ligger stabilt. De andre 3 forsøgspersoner, der begyndte før mig, er også endt der. Bortset fra den første, der fik vrøvl med leveren og en anden, der kortvarigt fik feber (hvis jeg husker rigtigt), så har der ikke været nogle bivirkninger.

Jeg er selv stoppet med profylaktiske infusioner den 2. december. I januar begynder jeg på kun at besøge Riget hver 2. uge, om et par måneder bliver det en gang om måneden, så hvert halve år og til sidst en gang om året i 5 år.

Når man som jeg kører fra Sydsjælland omkring 1½ time hver vej, skal lede efter parkering ved Riget, selv med blåt skilt i forruden (efter bygningen af parkeringshuset til personaleparkering, er det dog gået fra "næsten umuligt" til "svært") og man i årevis har vejarbejde på Sydmotorvejen, så er jeg altså blevet træt af den tur. Dog ikke mere træt end at det bliver opvejet ved, at jeg ikke længere behøver at sidde og lede efter nye vener at stikke i hver 3. dag!



"Selfien" fra Goethe Institutet i Frankfurt:  
Dr. Krekeler, undertegnede og professor Miesbach