



Charlotte Handberg, Pia Zinck Drivsholm, Ulla Werlauff, Sanne Okkels Birk Lorenzen, Annette Mahoney. *Disease modifying therapies for children with spinal muscular atrophy - parents' experiences of hopes, grief and need for rehabilitation for their child.* Journal of Neuromuscular Diseases. 2025 Oct 30, 1-15: 22143602251392800. doi: [10.1177/22143602251392800](https://doi.org/10.1177/22143602251392800)

Forældre til børn med spinal muskelatrofi (SMA) i sygdomsmodificerende behandling - håb, sorg og behov for støtte og rehabilitering

Introduktion

Siden 2018 er tre sygdomsmodificerende behandlinger til SMA blev godkendt i Danmark, og newborn screening blev introduceret i 2023. Med de nye behandlinger overlever flere børn, men med ændrede behov for pleje og rehabilitering. Forældrenes følelsesmæssige belastning er stor og der er sparsom viden om deres behov for information og rådgivning.

Formål

Studiets formål, var at undersøge, hvordan forældre til børn med SMA i sygdomsmodificerende behandling håndterer håb og bekymringer relateret til sygdomsprogression, og at undersøge deres behov for information, rådgivning og rehabilitering.

Metode

Kvalitativt design, guidet af metodologien *Interpretive Description* og Joyce Travelbees teori om interpersonelle aspekter som lidelse, mening, håb og kommunikation. Semistrukturerede interviews blev udført i forældrenes hjem eller online mellem 29. februar og 3. maj 2024.

Resultater

26 forældre til 20 børn deltog i undersøgelsen. 24 forældre blev interviewet derhjemme, og 2 online. Familierne beskriver hvordan de oplever diagnose, behandling og den skiftende virkelighed i livet med SMA. De beskriver et stærkt håb forbundet med den nye behandling, men også med sorg og bekymring over sygdomsprogression, behandlingsrespons og mangel på normalitet.

Diskussion

Efterhånden som behandlingerne til personer med SMA bliver udviklet, er omverdenens fokus med rette på de medicinske resultater. Resultaterne fra dette studie minder os imidlertid om den menneskelige dimension: de omsorgspersoner, der lever i hverdagen med håb, ubesvarede spørgsmål og behovet for holistisk støtte.

Til sundhedspersonale, rehabiliteringsspecialister og beslutningstagere er budskabet klart: At introducere behandlinger er kun begyndelsen – følelsesmæssig, informativ og rehabiliterende støtte er ligeså afgørende.

Implikationer for praksis

Med sygdomsmodificerende behandlinger følger et stort behov for en koordineret, multiprofessionel individuelt tilpasset rehabiliteringsindsats, der imødekommer forældres ønsker om rettidig information om behandlingerne og praktiske råd om, hvordan de kan støtte deres barn i hverdagen.

Peer-støtte, skræddersyet rådgivning og anerkendelse af, at ethvert barns behandlingsforløb er unikt, blev fremhævet som essentielt.

Charlotte Handberg, professor, ph.d. MPH, sygeplejerske, RehabiliteringsCenter for Muskelsvind og Aarhus Universitet. chha@rcfm.dk

