



Quality of Life of patients with Gaucher disease after total hip replacement

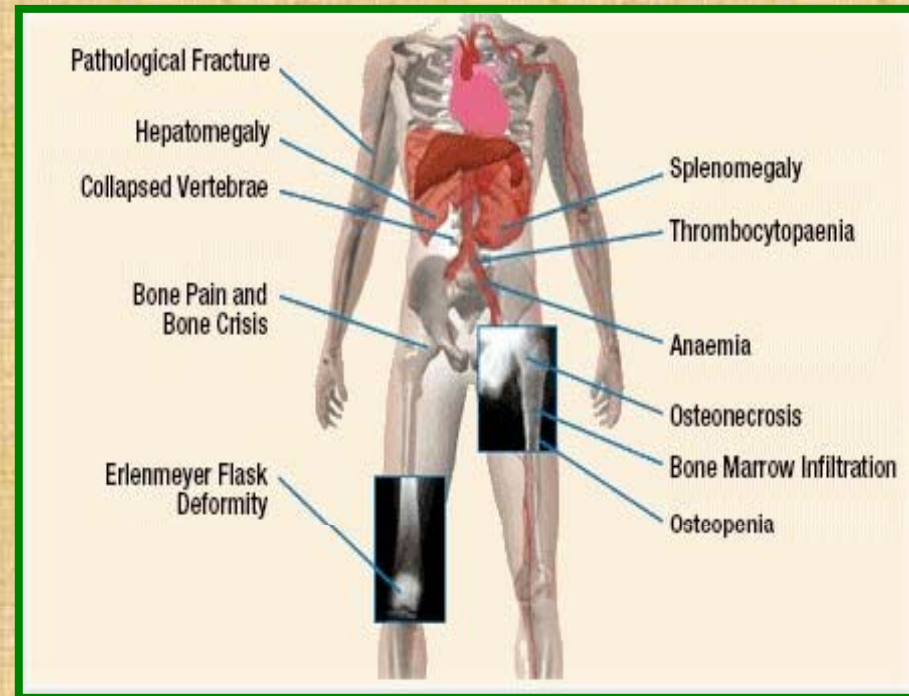
Lihi Mansano, Alexander Bregman*, Deborah Elstein**,
Ari Zimran**, Ehud Lebel*;

*Department of Orthopedic Surgery and **the Gaucher Clinic,
Shaare Zedek Medical Center; affiliated with the Hadassah-Hebrew
University School of Medicine, Jerusalem, Israel

32nd Annual Meeting of the Israel Orthopaedic Association

Gaucher disease

- The most common lysosomal storage disease
- Glucocerebroside accumulation in the spleen, liver, and bone marrow
- Functional bone involvement
 - osteoporosis
 - lytic bone lesions
 - non-traumatic fractures
 - infarcts
 - osteonecrosis



Hip problems in Gaucher disease

- Osteonecrosis of femur head
- Degeneration of hip joint
- Pain
- Limited ambulation

Orthopedic Interventions:

- **Core-decompression**
 - Shows disappointing results
 - Ineffective after head collapse
- **Total hip replacement (THR)**
 - Relieves pain
 - Improves ambulation
 - Unexceptional rate of loosening



THR in patients with Gaucher disease

- Showed excellent results with a relatively low rate of complications
[Lebel et al, Cementless total hip arthroplasties in Gaucher disease: long-term follow-up. Am J Orthop 2009]
- Implants are at no greater risk of loosening than in otherwise healthy individuals
[Itzchaki et al, Orthopedic considerations in Gaucher disease since the advent of enzyme replacement therapy. Acta Orthop Scand. 2004]



Objective of the study:

Does hip replacement improve Quality of Life (QoL) for patients with Gaucher disease and osteonecrosis?

Should this procedure be performed **early**?

OR

Should surgery be **delayed** until all conservative measures have been exhausted?

Study design

- **Cross-sectional study** of patients with Gaucher disease
- **Evaluation of QoL in:**
 1. patients having undergone THR
 2. patients with femoral head osteonecrosis who have not undergone THR

Evaluation tools

- **Standard QoL questionnaires**

SF-36

Euro-QoL 5D

- **Disease-specific questionnaire**

Harris Hip Score (hip specific evaluation)

- **Open-ended questionnaire**

Hebrew questionnaire regarding attitudes

Short Form 36 (SF-36)

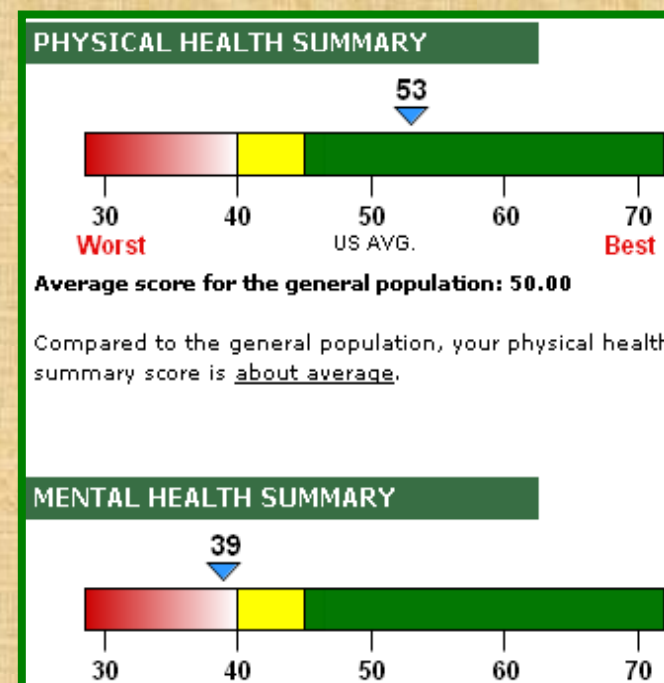
36 questions reflecting:

- level of function
- pain
- social functioning
- vitality
- emotional role

Standard form (also in clinical trials)

Scores divided into 2 components

- Physical (max score 70)
- Mental (max score 70)



Harris Hip Score (HHS)

- Standard tool to assess **clinical** outcomes of THR
- High validity & reliability
- Reflects total health (function; pain; deformity; and range of motion)
- (Not a QoL questionnaire)
- Max score: 100 (excellent)

ניקוד	נעליים וגרביים
4	ללא קושי
2	עם קושי
0	לא מסוגל
3	קב אחד
2	שני מקלות הליכה
0	שני קביים
0	לא מסוגל ללכת

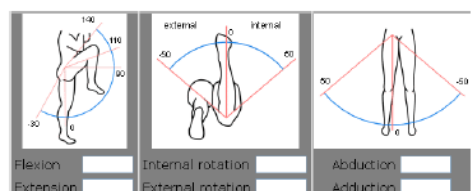
ניקוד	ישיבה
4	נוח בכסא רגיל למשך שעה
2	מסוגל לשבת על כסא גבוה למשך 30 דקות
0	לא מסוגל לשבת בנוחות על כל כסא

ניקוד	תחבורה הציבורית
1	מסוגל לנסוע בתחבורה ציבורית
0	לא מסוגל לנסוע בתחבורה ציבורית

ניקוד	מרחק הליכה
11	ללא הגבלה
8	מעל 1 ק"מ
5	מתחת ל 1 ק"מ
2	בתוך הבית בלבד
0	בין המיטה לכסא

ניקוד	העדר עיוות
0/1	פחות מ 30 מעלות קונטרטורה בכיפוף/ מעל 30 מעלות
0/1	פחות מ 10 מעלות קונטרטורה באדוקציה/ מעל 10 מעלות
0/1	פחות מ 10 מעלות קונטרטורה ברוטיציה פנימית/ מעל 10 מעלות
0/1	פחות מ 3.2 ס"מ הפרש באורך רגלים/ מעל 3.2 ס"מ הפרש

ניקוד	טווח תנועה
0-5	עד 5 נקודות לטווח תנועה לפי אלגוריתם



The Open-ended Questionnaire

- Open-ended, non-validated, multiple-choice questions
- Fields of interest:
 - post-operative pain relief
 - function
 - timing of the surgery
 - decision making
- Each reply is graded 1-5 points

שאלון נלווה להערכת איכות חיים אצל חולי גושה לפני ואחרי החלפת מפרק הירך
[הפניה בלשון זכר לצרכי נוחות ומופנית לבני שני המינים]

1. פרטים אישיים ובהקשר לניתוח

א. מספר סידורי _____ שנת לידה _____ מגדר _____
 ב. ממתן ידוע על בעיה במפרק הירך (אם בשני הצדדים – לפרט) _____

ג. באיזה צד הבעיה? (להקיף בעיגול) ימין , שמאל , שני הצדדים
 ד. מתי התחילו הכאבים (איזה גיל או איזו שנה) _____

ה. האם בוצע ניתוח כלשהו לפני החלפת המפרק (להקיף בעיגול) לא
 כן _____

ו. תאריך החלפת הירך _____ באיזה ב"ח בוצע הניתוח _____
 ז. האם היו בעיות משמעותיות לאחר הניתוח _____

ח. האם בוצעה החלפה חוזרת (רביזיה)? לא כן (תאריך _____)

2. מה הביא אותך להחליט על ביצוע הניתוח להחלפת מפרק הירך? (אפשר לסמן יותר
 ממשובה אחת)

א. המלצת-הצוות
 ב. המלצת-האורתופד
 ג. עוצמת-הכאב
 ד. ההגבלה-בתפקוד
 ה. תחושת-הנכות
 ו. אחר _____

3. האם הניתוח הקל על כאביך באופן כללי? (להקיף בעיגול)

א. מאוד
 ב. במידה-רבה
 ג. במידה-מעטה
 ד. לא-שיפר
 ה. המצב-יותר-גרוע

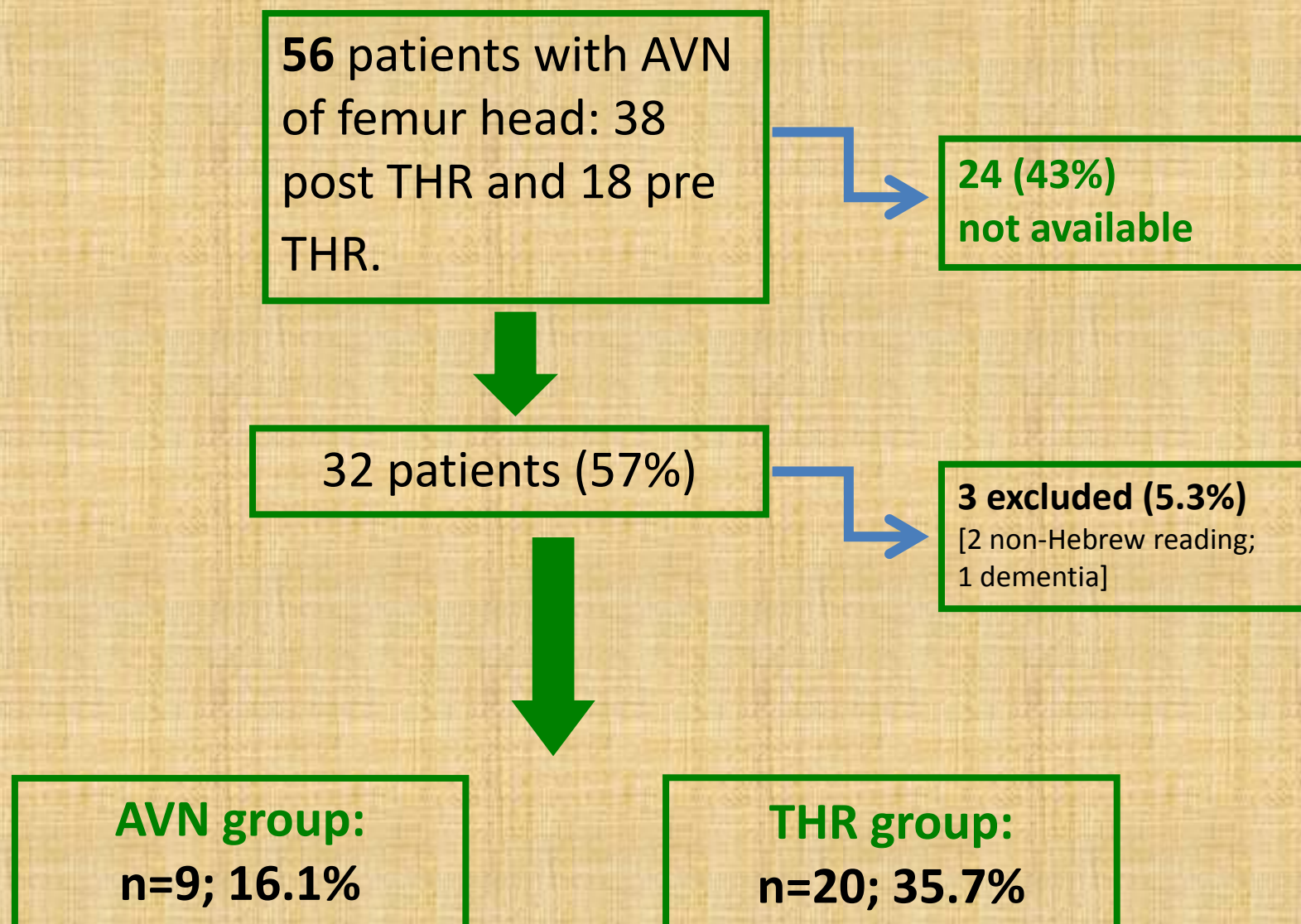
4. האם הניתוח שיפר את תפקודך באופן כללי? (להקיף בעיגול)

א. מאוד
 ב. במידה-רבה
 ג. במידה-מעטה
 ד. לא-שיפר
 ה. המצב-יותר-גרוע

Evaluation Tools Summary

	FUNCTION	PAIN
Responsiveness	HHS	EQ-5D
Social & emotional role	SF-36	Open questionnaire, SF-36

Patient Flow Chart



Demographics

THR Group (n=20)

- Median age 59 (31-74) years
- 50% females (n=10)
- Mean years since THR: 10 (range: 4-30 years)

AVN Group (n=9)

- Median age: 44 (33-63) years
- 67% females (n=6)

Results: EQ-5D (health status)

#1 = THR Group

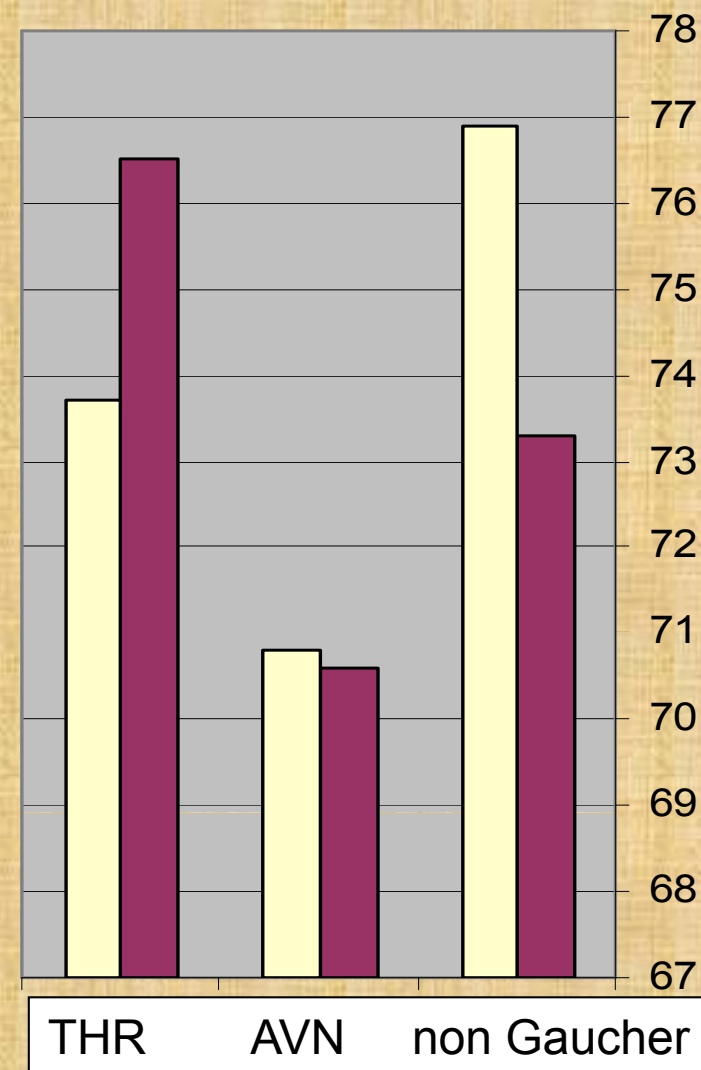
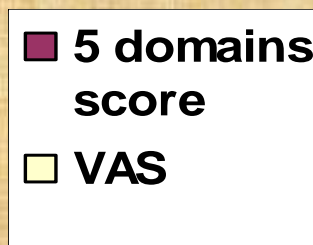
- 5- domain score: 76.8
- VAS: 73.7

#2 = AVN Group

- 5-domain score: 70.6
- VAS: 70.8

#3 = Non-Gaucher*

- 5-domain score: 73.3
- VAS rank: 76.9



VAS = Visual Analogue Scale

* Krupic et al, 2012: 1216 prospective Swedish cohort, 2002-2006)

Results: Harris Hip Scores (function)

THR Group:

Mean summary scores = 75.68 (± 19.29)

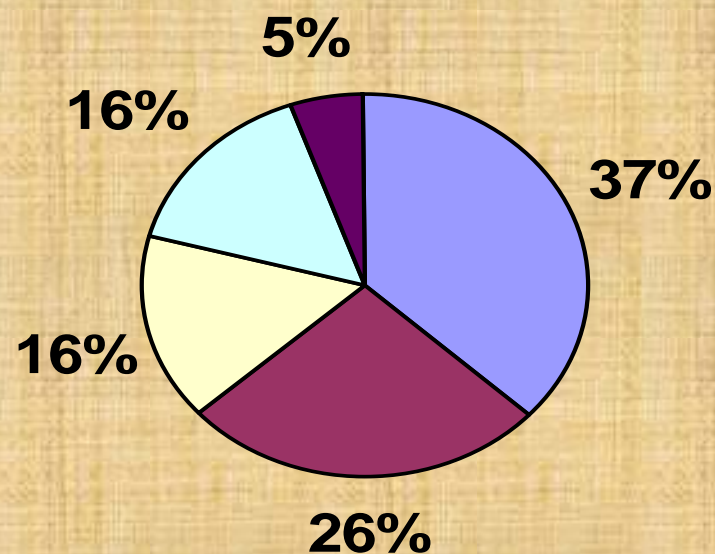
AVN Group:

Mean summary scores = 75.99 (± 21.35)

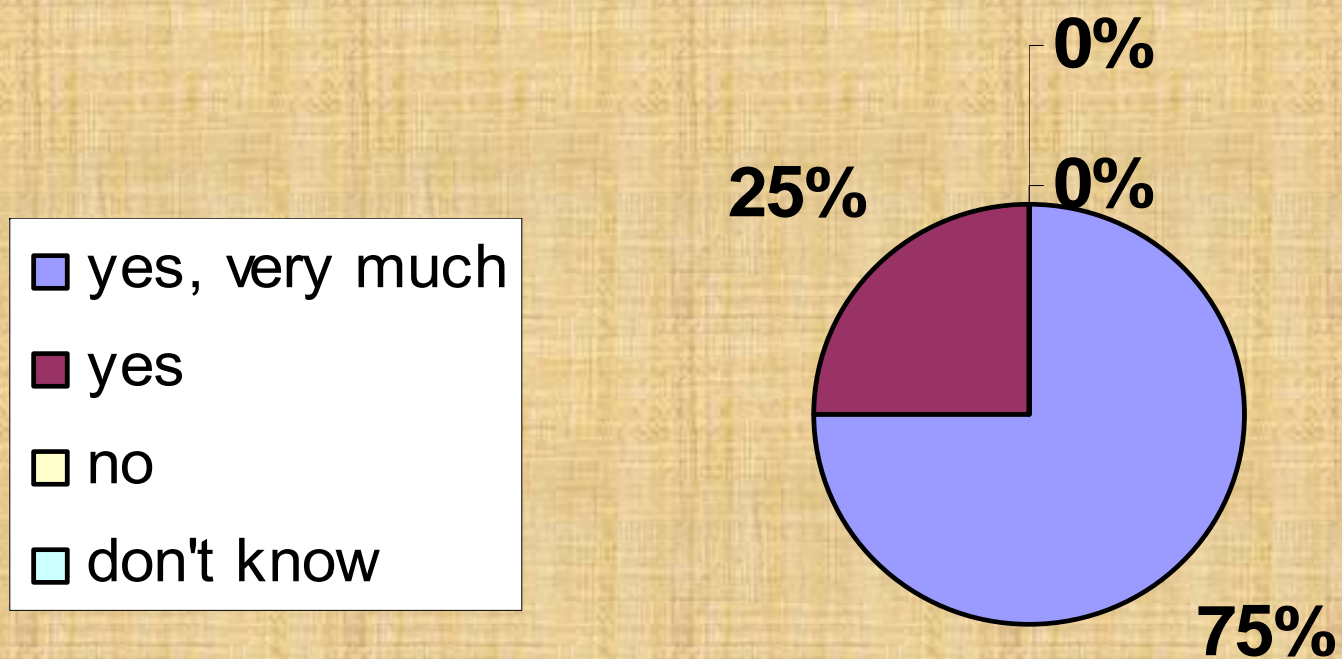
Results: open ended questions

Would you recommend earlier THR rather than delay surgery?

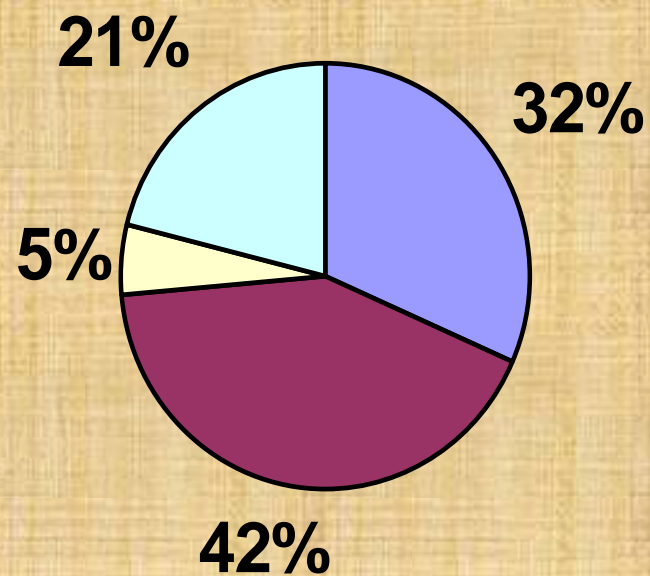
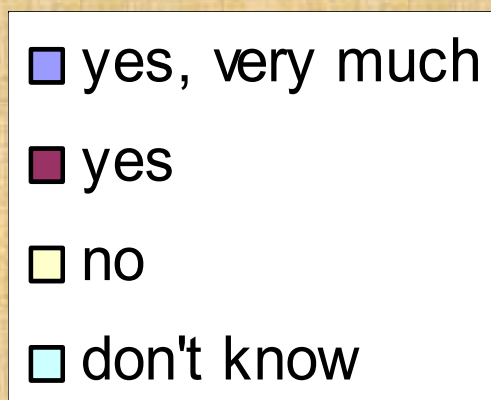
- as early as possible
- a bit earlier
- postpone as much as possible
- never mind
- don't know



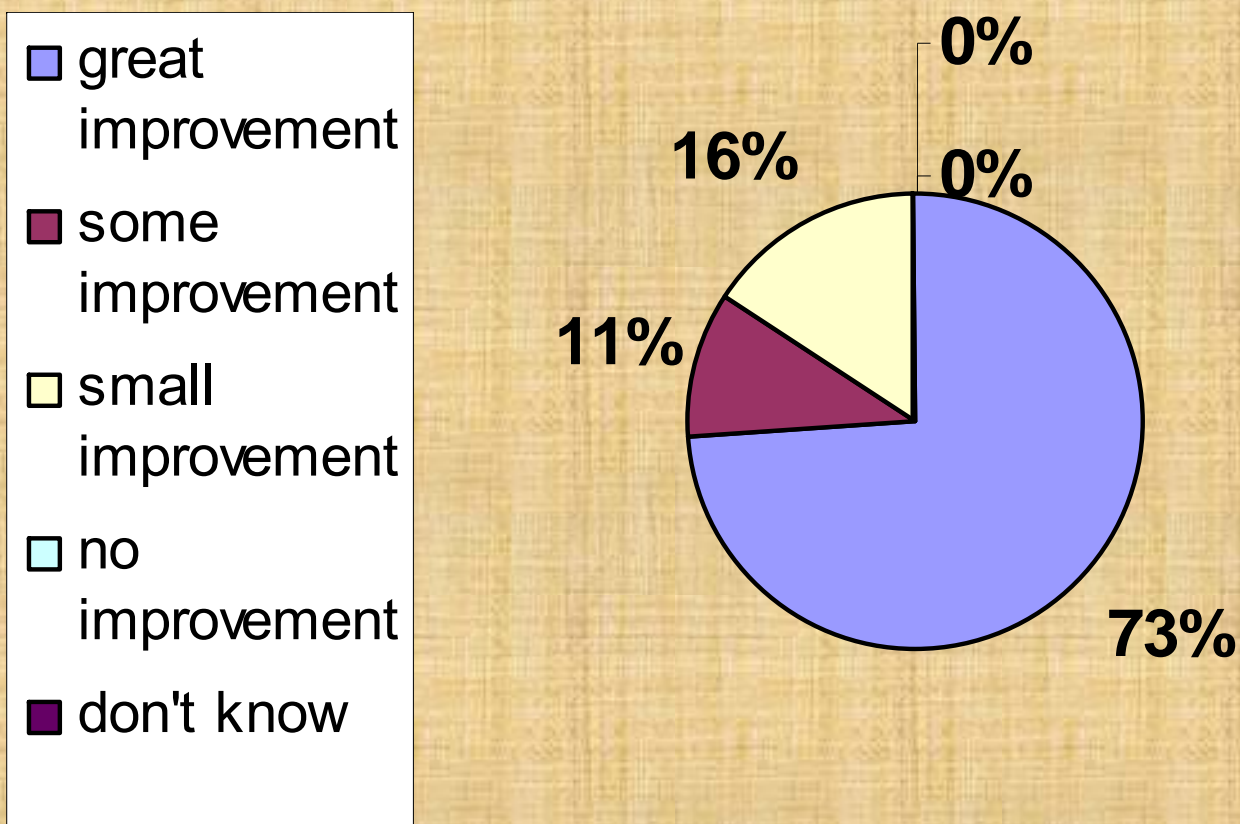
Was pain relieved by the procedure?



Was THR justified (relative to former status)?



Did you experience any functional improvement?



Limitations of the current study

- Selection bias: only 57% of eligible patients were included
- Allocation bias: patients with more pain may have elected THR (leading to better-than-expected results than that of AVN group who may have had less pain)
- QoL may reflect issues other than THR status (including bone pain at other sites or co-morbidities)

Discussion (1)

- **QoL (SF-36, EQ-5D)**
 - QoL after THR in Gaucher is comparable to QoL in other Gaucher populations on ERT
- **QoL of patients delaying surgery**
 - Probably less good than those who had THR
- **Function (HHS)**
 - Improved results after THR, reflects improved hip function and reduced pain

Discussion (2)

Majority of patients noted:

- Pain reduction after surgery
- Recommended earlier intervention
- Improved function and justification for THR

Although 25% of patients apparently did not experience improvement with THR, the QoL assessments are not specific to hip joint pain

Conclusions

- **Patient input regarding need for surgery is crucial**
 - THR may not improve QoL in those unwilling to undergo this procedure or in those with other issues
- **If needed, THR should be considered/recommended early**
 - **Confirms Giraldo et al (2005) that QoL in patients with Gaucher disease is correlated with bone pain and AVN (2 separate categories)**
- **Confirms impression of clinicians and surgeons that:**
 - **THR is a valid intervention for hip-related pain and functional disability in patients with Gaucher disease**
 - **Some degree of improvement in QoL, especially in those whose major symptom related to hip AVN**

Thank you

lihimansano@gmail.com