

Onderzoek

HET BELANG VAN PATIËNTENREGISTRATIES

'Hoe meer gegevens, hoe meer onderzoek'

Voor vijftien spierziekten bestaat al een patiëntenregistratie. Maar wat heb je hier als patiënt precies aan? En wat valt er nog te verbeteren aan de registraties?



Auteur: Jolanda Keesom

'De oudste registratie voor een spierziekte is die voor amyotrofische laterale sclerose, oftewel ALS. Die begon in 2005 en heeft inmiddels enorm veel bruikbare data opgeleverd. Daaraan zie je hoe belangrijk registratie is', stelt neuroloog Filip Eftimov van het Amsterdam UMC. Zelf heeft hij de afgelopen jaren een internationale registratie voor Chronische inflammatoire demyeliniserende polyneuropathie (CIDP) opgezet die in acht landen wordt gebruikt.

'Hoe meer data we hebben, des te beter we in staat zijn de puzzel van deze ziekte te leggen. En des te eerder we in aanmerking komen om mee te doen aan internationale medicijnonderzoeken.'

Ook vanuit het Spierziekten Centrum Nederland, het samenwerkingsverband van de expertisecentra, ziet Filip Eftimov de meerwaarde van de registraties: 'Allemaal leveren ze informatie op over het normale ziektebeloop, over variaties in de ziekte en de invloed op het functioneren van mensen. Daarnaast verzamelen de registraties meestal ook biomedische gegevens, bijvoorbeeld om een 'biomarker', een indicator voor de ziekte te vinden. Bovendien leggen alle registraties via online vragenlijsten de ervaringen van patiënten vast. Die blijven in medicijnstudies vaak onderbelicht.'



Fotografie: ZonMw/Studio Reynveld

*'Alle registraties leggen
ervaringen van patiënten vast'*

Filip Eftimov



Onderzoek

KLAAR VOOR DE START

Neuroloog Karin Faber van Maastricht UMC+ begon in 2017 samen met haar Nijmeegse collega's een patiëntenregistratie voor myotone dystrofie (MD). 'Om meer inzicht te krijgen in het natuurlijk beloop van de ziekte leggen we bij de jaarlijkse controle extra gegevens vast voor de registratie. Daarmee kunnen we ook uitkomstmaten bepalen voor het effect van behandelingen. Dat is des te belangrijker nu er voor het eerst medicijntrials starten. Ook kunnen we met behulp van de registratie bepalen wie daarvoor in aanmerking komt, zonder mensen extra te belasten.'

Het gebruik van gegevens uit de registratie voor onderzoek heeft al nieuwe inzichten opgeleverd. 'Uit het promotieonderzoek van Isis Joosten naar hart- en longproblemen bij de milde vorm van MD weten we dat daarvoor meer aandacht nodig is.' Daarom wil Karin Faber de registratie nu gebruiken om bij kinderen met MD de risico's op hart-, long- en hersenproblemen te onderzoeken. Ook hoopt ze er gevoelige uitkomstmaten mee vast te stellen voor toekomstige medicijnonderzoeken. 'Voor mensen met MD is het bijvoorbeeld belangrijk welk effect een behandeling heeft op hun totale functioneren, niet alleen op hun spierkracht.'

EEN NIEUWE VERSIE

Mensen met facioscapulohumerale dystrofie (FSHD) kunnen zich sinds 2015 via een website aanmelden voor de patiëntenregistratie, los van controle of behandeling. Biomedisch wetenschapper Hanneke



'Halverwege 2024 komen we met een nieuwe versie voor FSHD'

Hanneke Deenen



Karin Faber ↗

Deenen van het Radboudumc in Nijmegen beheert die registratie vanaf het begin. 'Doel is mensen sneller met informatie te bereiken en eerder te vinden voor onderzoek, ook in internationaal verband.' 'Dat lukt aardig,' vult arts-onderzoeker Joost Kools aan. 'Via de registratie hebben personen bijvoorbeeld meegedaan aan een onderzoek naar de doelmatigheid van looporthesen. Ook kregen ze uitnodigingen voor twee nieuwe internationale medicijnonderzoeken.'

Tot nu toe werden geen medische gegevens in deze registratie opgenomen. Wel vulden de deelnemers elk half jaar uitgebreide vragenlijsten in over onderwerpen als vermoeidheid, pijn, depressie en kwaliteit van leven. Uit een analyse van de antwoorden op de vragen daarover blijkt dat er in de loop van de tijd erg weinig verandert. 'Reden genoeg om die tijdrovende vragenlijsten te vervangen door een

Onderzoek



'Het bijhouden van de registratie kan efficiënter'

Romy van der Werf



project gestart om de bestaande registraties te verbeteren. 'We willen ervoor zorgen dat ze makkelijker te vinden zijn voor patiënten en artsen. En dat de gegevens zo goed mogelijk voor onderzoek te gebruiken zijn,' legt projectmedewerker Romy van der Werf uit. Het project loopt nog, maar een paar dingen zijn al duidelijk. 'Voor de bruikbaarheid van de gegevens zou het goed zijn om de dataverzameling te standaardiseren volgens internationale normen. Ook kan het bijhouden van de registratie efficiënter,' denkt Romy. 'De gegevens voor de registratie kunnen bijvoorbeeld uit het elektronisch patiëntendossier gehaald worden. Op dit moment gaat dat nog niet automatisch en zijn er mensen nodig om de gegevens handmatig over te zetten. Dat is ingewikkeld en tijdrovend, en daar is nu vaak te weinig menskracht voor beschikbaar.' Ze hoopt ook dat de aandacht voor de registraties patiënten motiveert om eraan mee te doen. 'Hoe meer mensen zich registreren, hoe meer gegevens beschikbaar zijn en hoe meer onderzoek gedaan kan worden om de ziekte te begrijpen.'

kortere en specifiekere versie en die minder vaak voor te leggen', vertelt Joost Kools van Radboudumc. Ook is het doel om in de toekomst de FSHD-registratie te koppelen aan medische gegevens uit zorg en onderzoek. Hanneke Deenen: 'We hebben onze registratie vergeleken met die voor Duchenne en MD, waarin wel klinische gegevens worden vastgelegd. Daarom hebben we besloten om halverwege 2024 met een nieuwe versie van onze registratie te komen. Hiervoor onderzoeken we onder meer of het mogelijk is om gegevens op te nemen uit de tienjarige studie naar het natuurlijk beloop van FSHD die in Radboudumc wordt gedaan.'

VERBETERINGEN

Spierziekten Nederland is zelf in 2022 samen met het Spierziekten Centrum Nederland ook een

Spierziekten Centrum Nederland wil daarnaast graag iets doen aan het versnipperde beeld van spierziekten, vertelt Filip Eftimov. 'Vergeleken met hart- en vaatziekten, kanker of multiple sclerose krijgen spierziekten weinig aandacht. Om de maatschappelijke impact duidelijker te maken, werken we nu aan een overkoepelende registratie, de zogeheten CRAMP-database. Daarvoor gebruiken we de gegevens van de zogeheten diagnose-behandelcombinaties (dbc's) van ziekenhuizen. Die willen we combineren met gegevens uit andere bronnen, bijvoorbeeld uit onderzoek. Uiteindelijk hopen we dat je als patiënt daardoor, net als bij andere ernstige aandoeningen, het medicijn krijgt dat het beste bij je past.'



Joost Kools



WAAR ZIJN DE REGISTRATIES VOOR SPIERZIEKTEN TE VINDEN?

De registraties voor CIDP, Duchenne en Becker spierdystrofie, dunnevezelneuropathie, GBS, IBM, LGMD, myasthenia gravis (MG), LEMS en congenitale myasthenia gravis, myositis, myotone dystrofie type 1 (MD1) en de ziekte van Pompe zijn verbonden aan een expertisecentrum. Meer informatie daarover is te vinden via www.spierziektencentrum.nl/patientenzorg/

De volgende registraties staan los van een expertisecentrum:

- ALS: www.tricals.org/nl/registreer-castor/
- FSHD: www.fshdregistratie.nl/
- Spinale musculaire atrofie (SMA): www.smacentrum.nl/

PRINSES BEATRIX SPIERFONDS INVESTEERT IN REGISTRATIES

Het wetenschappelijk onderzoek naar spierziekten bevindt zich in een spannende fase. Voor meerdere spierziekten worden mogelijke medicijnen in klinische trials bij mensen getest. Dit aantal zal de komende jaren verder toenemen. Het Spierfonds wil, samen met de andere partijen in het spierziektenveld, dat deze klinische trials ook in Nederland worden uitgevoerd. Zodat mensen met een spierziekte hieraan kunnen meedoen en zo eerder kunnen profiteren van een mogelijk medicijn. Dat kan jaren winst opleveren. Daarom investeert het Spierfonds in het opzetten van registraties zodat we in Nederland goed voorbereid zijn op de komst van trials.