

**IN DIT
NUMMER:**

Landelijk onderzoek: Hemofilie in Nederland (HiN-6)	1
Bezoek aan het Hemofiliebehandelcentrum in Paramaribo oktober 2019	2
Veranderingen binnen het team van het Hemofiliebehandelcentrum	3
Nieuwe collega stelt zich voor	4
Informatieavond over vernieuwingen in de hemofiliebehandeling	4
Teamleden	6
Activiteiten 2020	6

Landelijk onderzoek: Hemofilie in Nederland (HiN-6)

Hemofilie in Nederland-6 (HiN-6) is een landelijk onderzoek onder alle mensen met hemofilie dat nu voor de zesde keer is uitgevoerd. De eerste keer was in 1972.

Dit terugkerend onderzoek naar hemofilie is uniek in de wereld. Het onderzoek heeft een grote bijdrage geleverd in het verbeteren van de hemofiezorg in Nederland. Artsen en onderzoekers willen weten hoe het nóg beter kan, en daarom is vorig jaar de zesde editie van start gegaan. Graag houden wij u op de hoogte van de voortgang.

Data en sample verzameling afgerond!

Eind augustus zijn de laatste patiënten geïnccludeerd voor de HiN-6. Op dit moment wordt er hard gewerkt om alle data te controleren en te ordenen.

Resultaten HiN-6 studie

Hoe vaak je moet prikken, of een stollingsfactorproduct helpt om bloedingen te voorkómen en de kosten van behandeling spelen een rol bij productkeuze. Twee jaar geleden hebben we mensen met hemofilie geïnterviewd over productkeuze. De resultaten van dit onderzoek zijn recentelijk gepubliceerd in het vakblad *The Patient*.

<https://link.springer.com/article/10.1007/s40271-019-00395-6>

Patiëntendag

Op zaterdag 16 mei 2020 zal er samen met de NVHP een patiëntendag georganiseerd worden. Vanuit de HiN-6 onderzoeksgroep wil men die dag graag de resultaten van de HiN-6 met u delen en krijgt u het patiëntenverslag mee. U komt toch ook?

Dank aan iedereen

Hierbij dankt de HiN-6 onderzoeksgroep graag iedereen die mee heeft geholpen aan de HiN-6 studie. Op de achtergrond zijn veel mensen betrokken geweest om het onderzoek mogelijk te maken. U kunt denken aan de verpleegkundigen, artsen en laboratoriummedewerkers. Daarnaast zijn verschillende mensen betrokken geweest bij de organisatie en het invoeren van de data. Als laatste willen wij natuurlijk u als deelnemer bedanken. Zonder u was het HiN-6 project niet mogelijk geweest.



Bezoek aan het Hemofiliebehandelcentrum in Paramaribo oktober 2019



Bijna 10 jaar geleden vernamen we van John Tjong Tjin Joe, zelf hemofiliepatiënt en geboren in Suriname, over de slechte zorg voor hemofiliepatiënten in Suriname: er was nauwelijks kennis over hemofilie bij de artsen en heel weinig stollingsproducten. Patiënten waren vanaf de puberteit al kreupel en stierven op jonge leeftijd.

In dat jaar richtten John en zijn partner Lou van Beetz de Surinaamse Stichting Hemofiliepatiënten (SSHP) op en vroeg ondersteuning van het Hemofiliebehandelcentrum AMC.



In januari 2010 zijn Marjolein Peters en Caroline Valk voor het eerst naar Suriname gegaan en zijn daarna regelmatig terug gekeerd. Het Hemofiliebehandelcentrum AMC heeft een paar jaar geleden besloten om een officiële Twinning aan te gaan met het Academisch Ziekenhuis Paramaribo (AZP), in zeer nauwe samenwerking met het SSHP.

In oktober 2019 is het team bestaande uit de hemofiliebehandelaren Michiel Coppens en Marjolein Peters; de hemofilieverpleegkundige Caroline Valk; de fysiotherapeut Wypke de Boer en de medisch maatschappelijk werkende Greetje Zaal, weer afgereisd naar Paramaribo. Het is fascinerend om in een tropisch land te lopen waar door iedereen Nederlands gesproken wordt.

We werden zeer hartelijke ontvangen door de patiënten, waar we in de afgelopen jaren een goede band mee opgebouwd hebben en door de artsen en verpleegkundigen die verantwoordelijk zijn voor de zorg.

In onze koffers hadden we extra voorlichtingsboekjes, naalden en Port a cath naalden mee. Dit keer hebben we voor het eerst een Carousselpoli georganiseerd en is voor iedere hemofiliepatiënt het behandelplan bijgewerkt. Zoveel mogelijk was het Surinaamse team "in the lead".

De Patiëntenbijeenkomst werd heel goed bezocht. In de afgelopen 10 jaar is de onderlinge band tussen de hemofiliepatiënten gegroeid en steunen zij elkaar in moeilijke tijden. Zij zijn blij met de extra informatie die ze van ons krijgen. Na het gezamenlijk gedeelte, werd de groep gesplitst in een mannen- en een vrouwen-groep. Dat praat nu eenmaal makkelijker en kunnen moeders van jonge kinderen steun aan elkaar vinden. In de afgelopen jaren hebben we van de meeste vrouwelijke familieleden bloed afgenomen voor DNA onderzoek dat in het AMC verricht werd. Voor deze vrouwen betekende het dat zij niet meer in onzekerheid hoefde te leven: nu weten ze zeker of ze draagster zijn of niet. Tijdens de patiëntenbijeenkomst horen we ook veel emotionele verhalen door te weinig stollingsproducten of door het zeer laat stellen van de diagnose. Er is veel verbeterd maar de situatie is ook nog heel precair.



"Tijdens de patiëntenbijeenkomst horen we ook veel emotionele verhalen door te weinig stollingsproducten of door het zeer laat stellen van de diagnose."

Vervolg pag. 2



Bij een Twinning-programma is het belangrijk om kleine stapjes te maken. Zo is in de afgelopen jaren het laboratorium sterk verbeterd en zijn er nu in het AZP twee toegewijde artsen, waardoor de wachttijd op de Eerste Hulp veel korter is geworden.

De patiënten zijn veel beter geïnformeerd. Hopelijk komt er binnenkort ook een oplossing voor het tekort aan stollingsproducten.

Tenslotte hebben we om de kennis onder medici te verhogen, in samenwerking met een gynaecoloog uit het AZP, een bijscholing gegeven over stollingsstoornissen bij vrouwen. Suriname heeft ongeveer 550.000 inwoners en er zijn slechts 20 patiënten met hemofilie bekend (allen ernstig) i.p.v. de geschatte 50 patiënten en slechts 2 patiënten met de ziekte van Von Willebrand. De reden is onder-diagnostiek en de korte levensverwachting. De bijscholing werd door 100 (!) artsen bezocht.

Wij zijn heel trots dat we samen met de SSHP deze langdurige Twinning met het ziekenhuis in Paramaribo mogen aangaan en dat we samen met het team aldaar de zorg voor de patiënten kunnen verbeteren.

Veranderingen binnen het team van het Hemofiliebehandelcentrum

In juni heeft Marjolein Peters, kinderhematoloog en hoofd van het Amsterdamse hemofilie behandelcentrum, met een prachtig symposium afscheid genomen van collega's en patiënten om te gaan genieten van een welverdiende nieuwe fase van haar leven met meer rust en vrijheid.

De titel van dit symposium was "*Dreams of Transition*". Het thema "transitie" kwam naar voren in enkele prachtige filmpjes waarin jongeren met hemofilie of een andere chronische ziekte in openhartige interviews vertelden hoe zij de overgang van kind naar volwassene hadden ervaren.

Marjolein heeft een hele belangrijke rol gehad in de opbouw van het Amsterdamse hemofilie behandel centrum en betekende ontzettend veel voor veel de kinderen met hemofilie die zij groot heeft zien worden. Haar taken als hoofd worden overgenomen door Karin Fijnvandraat, de patiënten worden overgenomen door Samantha Gouw, die beide kinderhematologen zijn.

Karen van Leeuwen, hemofilie verpleegkundige, is weer teruggekeerd op ons hemofilie behandelcentrum na een periode werkzaam geweest te zijn op de Spoed Eisende Hulp. Zij is nu in opleiding voor verpleegkundig specialist en hoopt in die functie ons team nog lang te kunnen versterken. Daarnaast is ons team verpleegkundigen versterkt door een nieuwe collega: Kim Barten. Zij zal zich verder in deze nieuwsbrief zelf voorstellen. Vanaf 1 januari komt na een jaar afwezigheid Marjolein van de Pot opnieuw ons team versterken!

Ons behandelteam bestaat per 1 september 2019 dan uit 4 hemofiliebehandelaren, 1 verpleegkundig specialist (voor kinderen), 1 verpleegkundig specialist in opleiding (voor volwassenen), 4 verpleegkundig consulenten, 1 office manager, 1 kwaliteitsmedewerker, 2 fysiotherapeuten, maatschappelijk werkenden en (kinder) psychologen.

Nieuwe collega stelt zich voor



Kim Barten- Meijerman

Hallo allemaal,

Vanaf september 2019 ben ik nieuw bij het Hemofilie Behandel Centrum als verpleegkundig consulent. Een aantal patiënten en zijn/haar ouders, broers/zus of partner heb ik al gezien, maar graag stel ik me aan jullie voor.

Ik ben Kim Barten-Meijerman. Ruim 10 jaar ben ik werkzaam als verpleegkundige. Eerst op diverse verpleegafdelingen en later op de Intensive Care. Nu heb ik de overstap gemaakt naar de chronische zorg van patiënten met stollingsstoornissen. Een zeer goede keus, want ik heb het enorm naar mijn zin!

Ik kijk er naar uit om jullie allen te ontmoeten en mijn steentje bij te dragen aan jullie zorgproces.

Tot gauw! Groetjes, Kim

Informatieavond 'Vernieuwingen in de hemofiliebehandeling'

opnieuw een succes

Op 22 januari jl. was er een voorlichtingsavond georganiseerd over de nieuwe ontwikkelingen in de behandeling van hemofilie.

Door het grote succes van de eerdere voorlichtingsavond eerder dit jaar werd op 29 oktober 2019 nogmaals een voorlichtingsavond georganiseerd over de nieuwe ontwikkelingen in de hemofilie behandeling. Dat er veel behoefte aan informatie over dit onderwerp is bleek wederom uit een goede opkomst.

De eerste spreker was Manon Degenaar, vicevoorzitter van de NVHP (Nederlandse Vereniging voor Hemofiliepatiënten). Zij verstreekte informatie over het doel van de vereniging;

- Lotgenotencontact
- Betrouwbare bron van informatie, website, folders, ledenblad Faktor en digitale nieuwsbrief
- Belangen behartigen van de patiënten, als gesprekspartner bij behandelcentra, overheid, verzekeraar of farmaceut

De tweede spreker was Karin Fijn van Draat, kinderhematoloog en hoofd van het Hemofilie Behandelcentrum.

Verlengde halfwaardetijd: minder prikken?

Als eerste kwam in haar verhaal de producten met een verlengde halfwaardetijd aan bod. Zowel voor hemofilie A als hemofilie B zijn er met verschillende technieken stollingsfactorconcentraten gemaakt die langer in het bloed blijven. Dit wordt gemeten met de halfwaardetijd. De halfwaardetijd is de tijd die het duurt voordat de concentratie van de stollingsfactor met de helft is afgenomen.



"Zowel voor hemofilie A als hemofilie B zijn er met verschillende technieken stollingsfactorconcentraten gemaakt die langer in het bloed blijven."

Vervolg pag. 4

Voor **hemofilie A** is dat bij reguliere producten gemiddeld 12 uur. Dit kan bij de producten met een verlengde halfwaardetijd toenemen tot gemiddeld 19 uur. Wat het effect van de verlengde halfwaardetijd producten is voor mensen met hemofilie A is per persoon verschillend. U kunt met uw hemofiliebehandelaar bespreken welk product het beste voor u is.

Voor **hemofilie B** is de halfwaardetijd van reguliere producten gemiddeld 18 uur. Dit kan bij de producten met een verlengde halfwaardetijd toenemen tot wel 80-90 uur! Hierdoor kan bij sommige mensen met hemofilie B het mogelijk worden om de toediening van profylaxe af te bouwen van 2 x per week naar 1x per week.

Bloedingen voorkomen zonder FVIII toe te dienen

De nieuwste laboratoriumtechnieken hebben het mogelijk gemaakt om een eiwit te ontwerpen dat de werking van **FVIII** nabootst. Dit eiwit heet Emicizumab en is inmiddels geregistreerd alleen voor mensen met hemofilie en remmers onder de naam *Hemlibra*. Het voordeel van dit eiwit is dat het onder de huid (subcutaan) toegediend kan worden. Het middel blijkt heel goed te helpen in het voorkomen van bloedingen bij mensen met remmers. Zelfs de gewrichten die al heel veel te lijden hadden door frequente bloedingen bleken een stuk op te knappen en minder pijn te veroorzaken.

In de eerste onderzoeken met dit middel bleken er ernstige bijwerkingen op te treden omdat sommige mensen, die ermee behandeld werden in combinatie met **FEIBA**, trombose kregen. Sindsdien wordt afgeraden om dit middel in combinatie met een hoge dosis **FEIBA** te gebruiken. De ervaring met dit middel is nog beperkt. De komende jaren zal moeten blijken wat de effectiviteit (werking) en veiligheid van het middel is als het in grote groepen mensen gebruikt gaat worden.

En omdat Emicizumab onder de huid toegediend kan worden, is dit middel in de toekomst wellicht ook geschikt voor mensen met hemofilie zonder een remmer.

Gentherapie

De derde spreker van de avond was Michiel Coppens, internist vasculaire geneeskunde. Hij vertelde over de laatste ontwikkelingen in hemofilie gentherapie. Bij gentherapie wordt het DNA van factor IX (hemofilie B) of factor VIII (hemofilie A) in levercellen ingebracht en die levercellen maken vervolgens de missende stollingsfactor.

Hoe krijg je dat DNA nou in levercellen zonder die cellen dood te maken?



Daarvoor wordt slim gebruikt gemaakt van de buitenkant van een virus, in dit geval een zogenaamd *adeno-associated virus* (ook wel AAV). Virussen maken ons ziek doordat zij lichaamscellen binnendringen en die cellen vervolgens nieuw virus te laten maken waarna die cel doodgaat. Bij gentherapie wordt alleen de buitenkant van het virus gebruikt die nodig is om cellen binnen te dringen, de zogenaamde envelop. De binnenkant wordt vervangen door het DNA van de missende stollingsfactor.

In 2010 werd een Engelse studie gepubliceerd die een absolute doorbraak betekende. Patiënten met ernstige hemofilie B werden behandeld met 1 enkel infuus met bewerkte virusdeeltjes en bij hen steeg de factor IX activiteit van 0%/afwezig naar 5-10%. Hoewel ze daarmee niet genezen waren, konden zij wel stoppen met profylactische behandeling met factor IX concentraat. Ruim 7 jaar later hebben ze nog precies dezelfde hoeveelheid factor IX en daarmee is er hoop dat deze behandeling heel lang werkt, misschien wel levenslang. Inmiddels zijn er meer dan 10 internationale studies gedaan die sterk op elkaar lijken, maar niet allemaal even succesvol zijn. Soms reageert het lichaam op de gentherapie met een afweerreactie die de gentherapie afbreekt. Als dit gebeurt, gebeurt het binnen 3 maanden, maar waarom het soms en soms niet gebeurt is onbekend. Toch ziet de toekomst er rooskleurig uit. Bij hemofilie B lijkt het mogelijk om de factor IX activiteit terug te brengen naar 20-40% van normaal en bij hemofilie A lijken waardes van 50% of hoger haalbaar. Toch is het belangrijk te benadrukken dat gentherapie nog geen reguliere behandeling is. Het gebeurt nu nog uitsluitend in onderzoeksverband en pas als dat onderzoek heeft laten zien dat het werkt en - boven alles - veilig is, zal het over enige jaren onderdeel van de behandeling kunnen worden. In 2015 deed het Amsterdam UMC mee aan een internationale hemofilie B gentherapie studie en in 2019 is een tweede studie gestart voor patiënten met hemofilie B en een eerste studie voor patiënten met hemofilie A.

Amsterdam UMC
locatie AMC
Hemofiliebehandelcentrum
Meibergdreef 9
1105 AZ Amsterdam
Telefoon: (020) 56 67 964
E-mail: hemofilie@amc.uva.nl

Het Hemofiliebehandelcentrum AMC (HBC) richt zich op patiëntenzorg, onderwijs en wetenschappelijk onderzoek op het gebied van hemofilie en aanverwante aangeboren stollingsstoornissen (waaronder Von Willebrand ziekte en bloedplaatjes stoornissen).

Het Hemofiliebehandelcentrum AMC is HKZ-gecertificeerd en is het enige HBC in de regio's Noord-Holland en Flevoland.

Mocht u meer informatie wensen over het Hemofiliebehandelcentrum AMC kunt u mailen naar hemofilie@amc.uva.nl.

Bezoek onze website

<https://www.amc.nl/HBC>

Teamleden Hemofiliebehandelcentrum AMC

Behandelaren

Mw. prof. dr. K. Fijnvandraat (kind - *Hoofd*)
Dhr. dr. M. Coppens (volwassenen)
Mw. prof. dr. S. Middeldorp (volwassenen)
Mw. dr. S. Gouw (kind)

Verpleegkundig Specialist

Mw. M. Beijleveld

Verpleegkundig Specialist i.o.

Mw. K. van Leeuwen

Hemofilieverpleegkundigen

Mw. C. Valk
Mw. A. Bentvelsen
Mw. K. Barten - Meijerman

Mw. M. van der Pot

Paramedici en ondersteuning

Dhr. C. Nooij (fysio volwassenen)
Mw. dr. L. Haverman (psycholoog kind & jeugd)
Mw. W. de Boer (fysio kind)
Mw. C. Chan (maatschappelijk werk kind)
Mw. S. Jilali (backoffice/coördinator)

Activiteiten 2020

- | | |
|-------------|---|
| Winter | - Informatieavond jonge kinderen. |
| Winter | - Hemofilieschool voor jongens die dit jaar naar de middelbare school gaan. |
| Voorjaar | - Koffie-ochtend met ouders van jonge kinderen (0 tot 6 jaar). |
| Voorjaar | - Hemofiliekamp voor jongens tussen de 6-12 jaar. |
| 16 mei 2020 | - Patiëntendag NVHP / HiN-6 |

De meeste data zijn op moment van verschijnen van deze nieuwsbrief nog niet bekend. De meeste activiteiten zijn een jaarlijks terugkerend evenement en u kunt de uitnodigingen hiervoor van ons verwachten. Wij proberen de uitnodigingen zo vroeg mogelijk te versturen, zodat u de datum kunt vrijhouden in uw agenda.

