

Jaarverslag 2018



**SPIERZIEKTEN
CENTRUM
NEDERLAND**



Inhoudsopgave

1. Voorwoord
2. Spierziekten Centrum Nederland
3. Zorg
4. Onderzoek
5. Kennis delen
6. Samenwerking
7. Financiën – Jaarrekening 2018



1. Voorwoord

Beste lezer,

We hebben een goed jaar achter de rug! 2018 stond in het teken van krachtenbundeling en samenwerking. Er werd een “Gouden Driehoek” bijeenkomst georganiseerd waarbij alle bestuursleden en vertegenwoordigers van alle, steeds meer samenwerkende spierfondsen, en patiënten organisaties aanwezig waren. Er werd gestart met het organiseren van een retraite om alle klinici en onderzoekers van Nederland in 2019 bij elkaar te brengen. Op deze manier nemen we onze rol in het streven naar optimale diagnose en behandeling voor patiënten met spierziekten in Nederland en internationaal.

Dr. Anneke van der Kooi
Voorzitter Spierziekten Centrum Nederland





2. Spierziekten Centrum Nederland

Missie

De missie van Spierziekten Centrum Nederland is de toepassing van - en kennis delen over - onderzoek naar optimale diagnose en behandeling voor kinderen en volwassenen met spier- en zenuwziekten in Nederland en internationaal.

Visie

Door bundeling van krachten op het gebied van vernieuwende, hoogwaardige zorg en wetenschappelijk onderzoek zal de kwaliteit van leven en behandeling van patiënten met spierziekten in Nederland verbeteren.

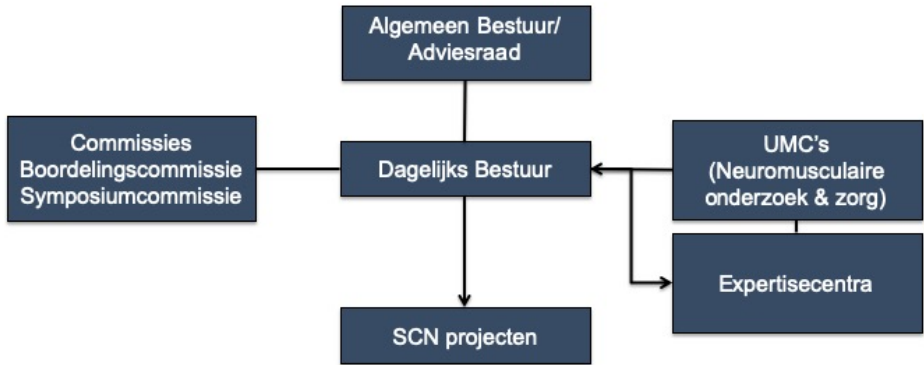
Spierziekten Centrum Nederland verenigt de zes NFU geaccrediteerde expertisecentra voor neuromusculaire ziekten en het neuromusculaire behandelcentrum in UMC Groningen en biedt een platform voor de experimentele en klinische onderzoeksgroepen in de universitair medische ziekenhuizen in Nederland. Hiermee verbindt zij de onderzoekers en zorgverleners om de gezamenlijke doelstellingen te realiseren.

Spieziekten Centrum Nederland zet hoog in op Onderwijs, Onderzoek en Zorg:

1. Hoogwaardige zorg op maat voor alle mensen met spierziekten in Nederland.
2. Het tot stand laten komen, ondersteunen en coördineren van hoogwaardig onderzoek op het gebied van spierziekten dat tot de top 3 van de wereld behoort.
3. Goede kennisoverdracht en onderwijs op het gebeid van spierziekten naar alle betrokken disciplines en optimale communicatie naar doelgroepen.

Vertegenwoordiging en organisatie

De dagelijkse leiding ligt bij het Dagelijks Bestuur en deze bestaat uit de voorzitter van Spierziekten Centrum Nederland en de projectleider. In 2018 heeft Leonard van den Berg besloten om na het verstrijken van zijn tweede termijn af te treden. Het voorzitterschap van Spierziekten Centrum Nederland is op 1 mei 2018 overgedragen aan Anneke van der Kooi. Van het Algemeen Bestuur is in 2018 afscheid genomen van Robert Pangalila, Frank Baas en Jan Verschuuren. Tot het Algemeen Bestuur zijn toegetreden in 2018: Silvère van der Maarel, Coen Ottenheijm, Jan Groothuis, Filip Eftimov en Ludo van der Pol. Met deze wijzigingen en uitbreiding is de doelstelling om het Algemeen Bestuur een goede weerspiegeling te laten zijn van het spierziekteveld in 2018 in gezet.





Afscheid in 2018



Voorzitter: Leonard
Van den Berg



Jan
Verschuuren
(Neurologie)
LUMC



Frank
Baas
(Onderzoek)
LUMC



Robert
Pangalila
(Revalidatie)
Erasmus MC

Samenstelling start 2019



Voorzitter: Anneke
van der Kooi



Chiara
Straathof
(Neurologie)
LUMC



Silvère
van der Maarel
(Onderzoek)
LUMC



Coen
Ottenheijm
(Onderzoek)
Amsterdam UMC



Jan
Groothuis
(Revalidatie)
Radboudumc



Filip
Eftimov
(Neurologie)
Amsterdam UMC



Ludo
Van der Pol
(Kinderneurologie)
UMCU



Carlos
Vrins



Jan
Kuks
(Neurologie)
UMCG



Baziel
Van Engelen
(Neurologie)
Radboudumc



Karin
Faber
(Neurologie)
MUMC+



Pieter
van Doorn
(Neurologie)
Erasmus MC



Nicolette
Notermans
(Neurologie)
UMCU

Dagelijks Bestuur

Algemeen Bestuur

Samenstelling Dagelijks en Algemeen Bestuur



3. De beste zorg voor de patiënt

Goede zorg op maat te kunnen bieden aan mensen met een zeldzame spierziekte in Nederland is een speerpunt van Spierziekten Centrum Nederland. Het afgelopen jaar zijn veel activiteiten ondernomen die bijdragen aan dit doel.

3.1 Patiëntgerichte websites

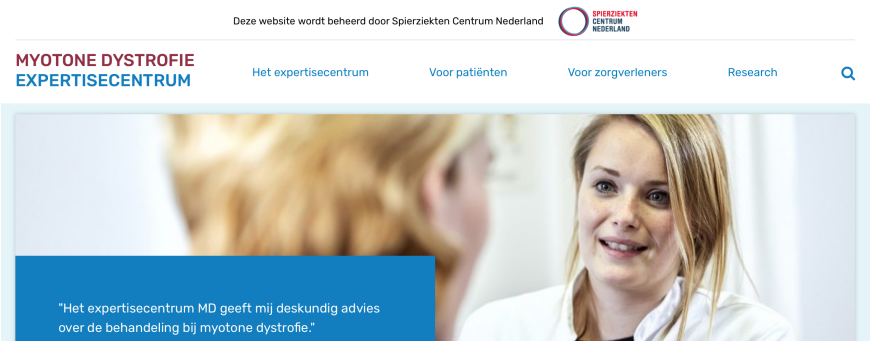
In samenwerking met Spierziekten Nederland en met financiële steun van het Innovatiefonds Zorgverzekeraars zijn vier diagnose specifieke websites gelanceerd in het voorjaar van 2018. Elke website wordt verzorgd door een of meerdere expertisecentra die betrokken zijn bij het onderzoek naar de betreffende spierziekte. Ze zijn bedoeld om patiënten te voorzien van informatie en nieuws. Via de websites kunnen patiënten zich ook aanmelden voor deelname aan lopende onderzoeken. Het Innovatiefonds Zorgverzekeraars heeft in het najaar extra budget beschikbaar gesteld voor uitbreiding van het aantal patiëntgerichte websites. In 2019 zal gewerkt worden aan de opzet van website voor de aandoeningen de ziekte van Duchenne, dunnevezelneuropathie, immuun-gemedieerde neuropathieën, CIAP, de ziekte van Pompe en het postpoliosyndroom.

Spierziekten	Website
Facioscapulohumerale Dystrofie (FSHD)	www.fshdexpertisecentrum.nl
Inclusion body-myositis (IBM)	www.ibmexpertisecentrum.nl
Myotone Dystrofie (MD)	www.mdexpertisecentrum.nl
Myasthenia Gravis (MG)	www.mgexpertisecentrum.nl
Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS)	www.als-centrum.nl

De vijf spierziekte specifieke websites die voor patiënten en geïnteresseerden nu beschikbaar zijn.

3.2 Richtlijnenontwikkeling

De verscheidenheid aan zeldzame spierziekten maakt het opstellen en harmoniseren van goede richtlijnen van groot belang. Dit jaar zijn Spierziekten Centrum Nederland en de patiëntenvereniging Spierziekten Nederland aangesloten bij het overlegplatform van Kennisinstituut van de Federatie Medische Specialisten (KIMS). De inzet is het krijgen van ondersteuning en betere afstemming bij richtlijnontwikkeling voor zeldzame aandoeningen. Hierbij wordt ook gekeken naar de vertaling van al bestaande internationale richtlijnen en het maken van richtlijnmodules voor aandoeningoverstijgende problemen, zoals pijn en vermoeidheid. Een eenduidig stappenplan voor de ontwikkeling van richtlijnen en een prioriteitenlijst met spierziekten wordt samengesteld. De consensusrichtlijn Autoimmuun Myasthenia Gravis is de eerste richtlijn die tot stand gekomen is via SCN en is eind 2018 gepubliceerd en beschikbaar op de website.





3. De beste zorg voor de patiënt



Het neuromusculaire team in UMCG

3.3 Bereikbaarheid en toegankelijkheid van zorg in het Noorden

Van de zeven universitair medische centra beschikken zes over door NFU geaccrediteerde expertisecentra op het gebied van spierziekten. Deze centra voldoen aan [de criteria voor expertise centrum zeldzame aandoening](#). Het universitair medisch centrum in Groningen (UMCG) is helaas niet erkend als expertisecentrum, maar heeft wel een uitstekend behandelcentrum voor spierziekten met een multidisciplinair team en een centrum voor thuisbeademing (CTB). Binnen dit behandelcentrum is Prof. Dr. Jan Kuks de neuroloog, die is gespecialiseerd in spierziekten. Over een aantal jaren zal hij echter afscheid nemen van zijn positie, maar concrete plannen voor vervanging zijn er nog niet. Omdat het een groot gebied in Noord-Nederland beslaat en daarmee een belangrijke regiofunctie vervult, is het Spierziekten Centrum Nederland er erg aan gelegen dat dit behandelcentrum voor de patiënten behouden blijft. Samen met Spierziekten Nederland is Spierziekten Centrum Nederland in gesprek met UMCG over de continuïteit van de klinische neuromyologie in Groningen.

3.5 Europese samenwerking

Goede patiëntenzorg heeft baat bij samenwerking en kennisdeling op internationaal niveau. Ook in 2018 was Spierziekten Centrum Nederland betrokken bij EURO-NMD. Dit European Reference Network (ERN) voor zeldzame spierziekten bestaat uit 61 Health Care Providers (HCP's) verspreid over 14 landen in Europa. De zes NFU geaccrediteerde Nederlandse spierziektecentra zijn bij deze door de Europese Commissie goedgekeurde ERN aangesloten. Spierziekten Centrum Nederland is het aanspreekpunt in Nederland voor dit Europese Netwerk en biedt directe ondersteuning aan de Nederlandse HCP's bij de doelstellingen en activiteiten.

Health Care Provider	Representative
Amsterdam University Medical Centre	Anneke van der Kooi
Leiden University Medical Centre	Jan Verschuuren
Erasmus Medical Centre	Ans van der Ploeg
University Medical Centre Utrecht	Leonard van den Berg
Radboud University Medical Centre	Baziel van Engelen
Maastricht University Medical Centre +	Karin Faber

De centra in Nederland die zijn aangesloten bij EURO-NMD

3. De beste zorg voor de patiënt

3.6 (Nieuw) geneesmiddelen en behandeling van spierziekten

Voor steeds meer tot voorheen ongeneeslijke ziekten zie we innovatieve geneesmiddelen beschikbaar komen en steeds vaker gaat het dan ook nog eens om therapieën op maat ('personalized medicine'). Vooral bij zeldzame aandoeningen gaat het dan om uiterst dure behandelingen. De kosten van het medicijn Spinraza voor SMA-patiënten is een goed en zeer recent voorbeeld.

Ondanks de inzet van oa. Spierziekten Centrum Nederland kwam het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) op het advies van Zorginstituut Nederland met het besluit in de zomer van 2018 om de vergoeding van Spinraza-behandeling te koppelen aan de leeftijdsgrens van 9,5 jaar. Spierziekten Centrum Nederland ondersteunt de noodzaak van aanvullend onderzoek dat moet aantonen dat ook een vergoedingsregeling boven de gestelde leeftijdsgrens gerechtvaardigd is.*

In 2018 was Spierziekten Centrum Nederland ook nauw betrokken bij overleggen met ministerie van VWS over haar beleidsvoornemen om specialistische geneesmiddelen over te hevelen naar ziekenhuisbekostiging, waarbij de zorg en behandeling intramuraal aangeboden wordt. Tot de groep geneesmiddelen behoren ook de therapie met immunoglobulinen, een behandeling die effectief is bij een reeks spierziekten. Niet zozeer over de overheveling zelf, maar het streven van het ministerie om al vanaf 1 januari 2019 in te laten voeren, zijn wij kritisch. Om te zorgen dat de maatregelen zorgvuldig wordt ingevoerd hebben wij samen met ander betrokken partijen, waaronder (academische) ziekenhuizen, medische specialisten, verzekeraars en Spierziekten Nederland, succesvol gepleit voor invoering op een later moment. In 2019 zal het moment van overheveling nader bepaald worden.



*Op 13 juni 2019 heeft Zorginstituut Nederland het advies uitgebracht om Spinraza onder bepaalde condities voorwaardelijk tot het basispakket toe te laten voor patiënten met SMA die 9,5 jaar en ouder zijn. Ondertussen zal dan onderzoek gedaan worden naar onder meer de effectiviteit van de behandeling voor die categorie patiënten. De minister van VWS heeft ook aangekondigd dat op basis van dit advies de leeftijdsgrens opgeheven zal worden.



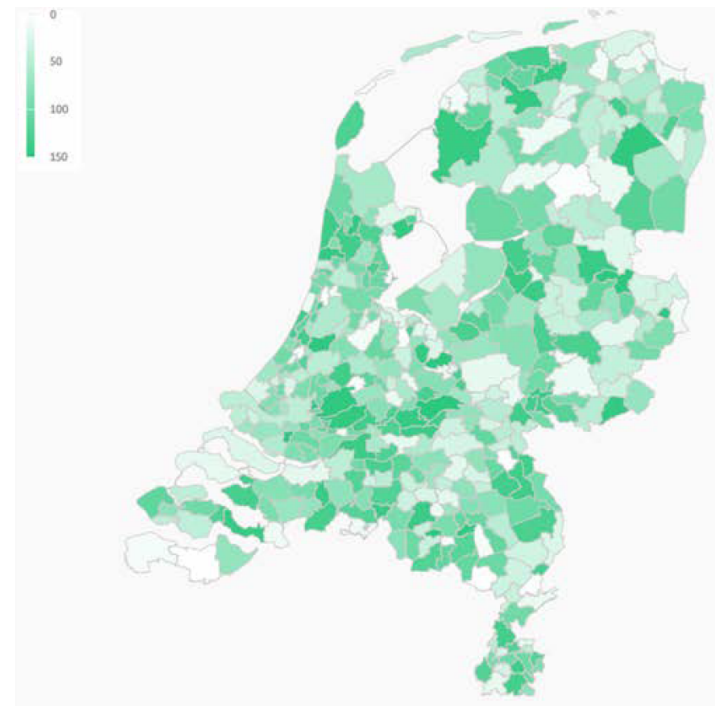
4. Onderzoek

In Nederland wordt veel onderzoek gedaan naar spierziekten of mechanismen die sterke raakvlakken hebben met processen die ook bij spierziekten een belangrijke rol spelen. Spierziekten Centrum Nederland wil dit onderzoek zoveel mogelijk inzichtelijk en zichtbaar maken. Daarnaast wil zij ook meer (multidisciplinaire) samenwerking stimuleren en ondersteunen. Ook in 2018 hebben we met behulp van onze website www.spierziektencentrum.nl, de eerder al genoemde diagnose specifieke websites, de maandelijkse nieuwsbrief Reflex en overleggen ons ingezet om deze doelen te bereiken.

Trial readiness

Vaker kunnen aansluiten bij internationale klinische trials en het aantrekkelijker maken voor het starten deze trials in Nederland is een belangrijke doelstelling van Spierziekten Centrum Nederland. Deze ambitie wordt gedeeld met alle spierfondsen en patiëntenverenigingen en (ook) op dit gebied blijven we de komende periode de krachten bundelen. Het versterken van trial readiness wordt door verschillende factoren bepaald, waaronder goede werving patiënten, een goede infrastructuur en afstemming procedures en meetinstrumenten, en vraagt om goede coördinatie. Bij spierziekten gaat het daarnaast om een grote verzameling van zeldzame ziekten. Het is daarom belangrijk om een betrouwbare landelijke patiëntendatabase te hebben, zodat de verdeling van de verschillende diagnoses en aantallen per spierziekten in kaart wordt gebracht.

Het nieuwe landelijke spierziekteregistratiesysteem Complete Registry of All Myopathies and Polyneuropathies 2.0 (CRAMP 2.0) en de bijbehorende analysetool zal hierbij een zeer



belangrijke rol gaan spelen. Dit systeem verzamelt via de Landelijke Basisregistratie Ziekenhuiszorg (LBZ) de diagnoses die zijn vastgelegd in het elektronisch patiëntendossier (EPD) in het ziekenhuis. Bij CRAMP 2.0 is daarom sprake van geringe registratielast. Voor een goede dekking is het belangrijk dat alle UMC's zijn aangesloten. Dat de ziekenhuizen niet allemaal dezelfde EPD-systemen gebruiken, was een uitdaging, maar sinds 2018 leveren nu zes centra gegevens aan het nieuwe systeem. Alleen met Maastricht UMC+ wordt nog naar een goede oplossing gezocht in 2019 zodat we 100% UMC-dekking hebben.

5. Kennisoverdracht en zichtbaarheid

5.1 Nascholingssymposium Neuromusculaire Ziekten 2018

Elke tweede vrijdag van januari wordt het jaarlijkse (na)scholingssymposium voor medische specialisten en artsen in opleiding gehouden. Op 12 januari 2018 is dit symposium voor het eerste georganiseerd onder de vlag van Spierziekten Centrum Nederland. Onder de titel 'Hoofd, Schouders, Knie en Teen' kwamen 200 deelnemers samen in de congreszaal in het hoofdkantoor van ABN-AMRO te Amsterdam om bijgepraat te worden over diagnostiek en behandeling van neuromusculaire aandoeningen.

Traditioneel werd op het symposium de Prinses Beatrix Spierfonds Jaarprijs voor de beste wetenschappelijke publicatie van het afgelopen jaar uitgereikt. Deze keer ging de prijs naar dr. Nathalie Doorenweerd (LUMC). Haar artikel '*Timing and localization of human dystrophin isoform expression provide insights into the cognitive phenotype of Duchenne muscular dystrophy*' (Scientific Reports, 2017) beschrijft bevindingen in haar onderzoek naar de ziekte van Duchenne.

5.2. Website en nieuwsbrieven

De website www.spierziektencentrum.nl, draagt bij aan het platform dat Spierziekten Centrum Nederland wil bieden aan de onderzoekers en artsen en het beter zichtbaar maken van zorg en onderzoek in Nederland. Met gemiddeld 2000 bezoekers per maand wordt de website goed bezocht.

Via de maandelijkse nieuwsbrief Reflex werden afgelopen jaar bijna 230 artsen, onderzoekers en andere geïnteresseerden direct geïnformeerd over actualiteiten, oproepen en activiteiten. Omdat met name het onderzoeksveld een internationaal karakter heeft en we alle professionals in Nederland willen bereiken, wordt sinds begin 2018 de Reflex in het Engels rondgestuurd.



6. Samenwerking

Samenwerking

Spierziekten Centrum Nederland is het samenwerkingsverband van onderzoekers en artsen op het gebied van spierziekten. Samen met de vijf spierfondsen en twee patiëntenvereniging is ook de wens om de krachten te bundelen en gezamenlijke doelen te formuleren. In het kader hiervan vond er op 31 oktober 2018 in Utrecht een unieke bijeenkomst plaatst. Voor het eerst kwamen alle organisaties op het gebied van spierziekten bij elkaar. In 2019 zal de samenwerking en een gezamenlijke agenda verder uitgewerkt worden.



Bijeenkomst op 31 oktober 2018 met vertegenwoordigers van Spierziekten Centrum Nederland, Spieren voor Spieren, Prinses Beatrix Spierfonds, Stichting ALS Nederland, FSHD Stichting, Duchenne Parent Project, ALS Patient Connected en Spierziekten Nederland.

Financiële steun van de samenwerkende spierfondsen

De start van Spierziekten Centrum Nederland werd mogelijk gemaakt door een subsidie van het Prinses Beatrix Spierfonds. Vanaf september 2018 ontvangt het centrum in ieder geval voor een jaar financiële steun van de samenwerkende spierfondsen. Bij dit nieuwe samenwerkingsverband zijn alle vijf de spierfondsen in Nederland betrokken. In de loop van 2019 zal na een evaluatie een vervolg van de steun besproken worden.



Bekendmaking toekenning financiële steun op het symposium neuromusculaire ziekten op 11 januari 2019.

Wendy van Bree Fotografie



7. Jaarrekening

Baten	Realisatie 2018
Op rekening 1-1-2018	5434
Prinses Beatrix Spierfonds	50000
Overheveling ISNO rekening	19267
Inkomsten Symposium NMZ 2018	314
Betaling deelnemerskosten kick-off 2017	2142
Som van de baten	77157
Lasten	Realisatie 2018
Personeelskosten	65154
Administratieve kosten	811
Reiskosten	1328
Digitale platform en communicatie	1304
Spierziekteregistratiesysteem	3993
Overige activiteiten	154
Som van de lasten	72744
Resultaat 2018	4413