

Jaarverslag 2022



**SPIERZIEKTEN
CENTRUM
NEDERLAND**

Inhoudsopgave

1. VOORWOORD	2
2. SPIERZIEKTEN CENTRUM NEDERLAND	3
3. DE KOERS NAAR 2024	5
4. DE BESTE ZORG VOOR DE PATIËNT	6
ZORGNETWERKEN VOOR NEUROMUSCULAIRE AANDOENINGEN	6
(NIEUWE) GENEESMIDDELEN EN BESCHIKBAARHEID	7
EURO-NMD, DE EUROPESE SAMENWERKING	7
5. ONDERZOEK	8
HOOGWAARDIG ONDERZOEK	8
TRIAL READINESS/REGISTRIES	8
6. KENNISOVERDRACHT EN TALENT	9
NASCHOLINGSSYMPOSIUM NEUROMUSCULAIRE ZIEKTEN 2022	9
THE NEUROMUSCULAR YOUNG SCIENTISTS (MYOS)	9
WEBSITE EN NIEUWSBRIEVEN	9
7. FINANCIËN	10
BATEN	FOUT! BLADWIJZER NIET GEDEFINIEERD.
LASTEN	FOUT! BLADWIJZER NIET GEDEFINIEERD.

1. Voorwoord

Beste lezer,

Spierziekten Centrum Nederland is een samenwerkingsverband van onderzoekers en zorgprofessionals in Nederland. Ons doel is de kwaliteit van leven en participatie van patiënten met spierziekten in Nederland te verbeteren. Dit doen wij door innovatieve behandelingen te implementeren, gebaseerd op baanbrekend wetenschappelijk onderzoek.

Per 1 februari 2022 werd Frank Roos benoemd als directeur, om SCN verder uit te bouwen en te verstevigen. Dit heeft in 2022 geleid tot een herijking van onze missie, visie en strategie om de Nederlandse neuromusculaire alliantie verder vorm te kunnen geven.

Zo hebben we in november, in afstemming met alle partijen uit de gouden driehoek, de transformatiestrategie met drie kernthema's bepaald voor de komende jaren:

1. registraties/trial readiness
2. nieuwe medicijnen
3. talentontwikkeling en –behoud

Het jaarsymposium was een zeer succesvolle editie met als thema nieuwe ontwikkelingen in de diagnostiek. Wederom vond de uitreiking van de NMD- thesis award plaats. Ondanks de COVID pandemie was het afgelopen jaar gelukkig weer mogelijk om elkaar live te ontmoeten, nationaal en internationaal, op congressen en symposia, maar ook op de patiëntendagen. Dit gold ook voor de “young scientists” van MYOS, onder meer op de Muscles2Meet, dat het PBS in samenwerking met de SCN organiseerde.

Opnieuw werden in 2022 diverse nieuwe richtlijnen (mede) ontwikkeld. Ook zijn er belangrijke stappen gemaakt in de ontwikkeling van de landelijke CRAMP2 database. Tot slot: per 1 januari 2023 is het voorzitterschap van SCN overgedragen. De verwachting is dat de nieuwe voorzitter en directeur de komende jaren het SCN tot bloei zullen brengen.

Dr. Anneke van der Kooij, scheidend Voorzitter Spierziekten Centrum Nederland

Dr. Esther Brusse, Voorzitter Spierziekten Centrum Nederland

2. Spierziekten Centrum Nederland

Missie

De missie van Spierziekten Centrum Nederland is de kwaliteit van leven en participatie van patiënten met spierziekten in Nederland te verbeteren.

Visie

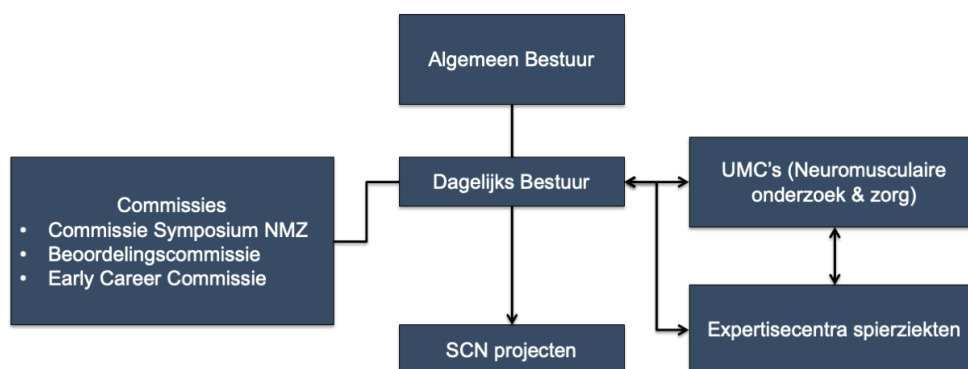
Dit doen wij door innovatieve behandelingen te implementeren, gebaseerd op baanbrekend wetenschappelijk onderzoek.

Spierziekten Centrum Nederland (SCN) verenigt de zes NFU geaccrediteerde expertisecentra voor neuromusculaire ziekten en het neuromusculaire behandelcentrum in UMC Groningen. Tevens biedt het een platform aan 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. **De samenwerkende spierfondsen* ondersteunen het SCN middels een jaarlijkse subsidie.**

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

1. Hoogwaardige zorg op maat voor alle mensen met een spierziekte 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 gebied van spierziekten naar alle betrokken disciplines en optimale communicatie naar doelgroepen.

Vertegenwoordiging en organisatie



De dagelijkse leiding ligt bij het Dagelijkse Bestuur en deze bestaat uit de voorzitter van Spierziekten Centrum Nederland en de directeur. In het Algemeen Bestuur vertegenwoordigen de leden de zeven UMC's in Nederland en verschillende disciplines op het gebied van neuromusculaire ziekten. Het SCN wordt ondersteund door een subsidie van de samenwerkende spierfondsen.

* Prinses Beatrix Spierfondsen, Spieren voor Spieren, Stichting ALS Nederland, Duchenne Parent Project, FSHD stichting



Esther Brusse
voorzitter



Baziël van Engelen,
neurologie Radboud
UMC



Filip Eftimov
neurologie
Amsterdam UMC



Jan Groothuis
revalidatie Radboud
UMC



Ludo van der Pol
kinderneurologie
UMCU



Nadine van der Beek
neurologie Erasmus
MC



Corien Verschuuren-
Bemelmans klinische
genetica UMCG



Frank Roos
Directeur



Silvère van der
Maarel, onderzoek
LUMC



Coen Ottenheijm
onderzoek
Amsterdam UMC



Janneke
Hoeijmakers
neurologie MUMC+



Michael van Es
neurologie UMCU



Umesh A. Badrising
neurologie LUMC



Annette van der
Geest revalidatie
UMCU

Dagelijks bestuur

Algemeen bestuur

Samenstelling Dagelijks en Algemeen Bestuur

Eind 2022 hebben we afscheid genomen van Chiara Straathof en Anneke van der Kooij. De nieuwe bestuursleden zijn: Umesh Badrising namens het LUMC , Nadine van der Beek namens het Erasmus MC en Esther Brusse is de nieuwe voorzitter geworden.³ De koers naar 2024

3. De koers naar 2024

In 2019 op de Spierziekten Retraite heeft SCN een viertal doelen voor de komende jaren geformuleerd. Deze doelen zijn verder uitgewerkt en in zomer van 2020 heeft SCN haar 4-jarenplan bekendgemaakt. Hierin staan verbondenheid & internationalisering, kennisoverdracht, uitstekende zorg en toponderzoek centraal. In 2023 zal een nieuwe koers worden uitgewerkt voor de komende jaren op basis van de herijkte missie, visie en strategie eind 2022.

Missie - De toepassing van - en kennis delen over - onderzoek naar optimale diagnose en behandeling voor iedereen met een spier- en zenuwziekte

Onze Koers 2024	Verbondenheid & internationalisering	Kennisoverdracht	Uitstekende zorg	Toponderzoek
	<ul style="list-style-type: none"> nationaal en internationaal (EURO-NMD) aanspreekpunt openstelling voor alle NMZ zorgprofessionals patiënten participatie betere zichtbaarheid middels maandelijkse nieuwsbrieven en up-to-date bilinguale website voor professionals SCN vermelding in alle publicaties en presentaties jaarlijks symposium 2 jaarlijkse retraite borgen continuïteit aan ERN gekoppelde expertisecentra; NFU heraccreditatie 2021 met uitbreiding aantal expertisecentra (LGMD, CM) 	<ul style="list-style-type: none"> jaarlijks symposium voor zorgprofessionals jaarlijkse masterclasses voor onderzoekers mentorprogramma etalagestages SCN awards voor klinisch en basaal-translatieel onderzoek talent ontwikkeling/behoud advies aan patiëntenverenigingen 	<ul style="list-style-type: none"> ontwikkeling/uitbouw van zorgnetwerken voor 5-tal spierziekten (ALS, FSHD, SMA, DMD, DVN) ontwikkeling van 1-2 nieuwe richtlijnen per jaar implementatie van richtlijnen via SCN netwerk up-to-date ziekte specifieke websites voor patiënten uitbreiding van aantal ziekte specifieke websites (LGMD, CM) ontwikkelen van een route kaart naar behandeling shared decision making 	<ul style="list-style-type: none"> overzicht van al het landelijk spierziekteonderzoek inzicht in beschikbare biobanken FAIR data CRAMP 2.0 operationeel goede registraties van alle ziektes met een ziekte specifiek expertisecentrum daaraan gekoppelde uitkomstmaten registratie ontwikkeling van een thematisch onderzoeks-agenda gezamenlijke Flagship programma's

Over 4 jaar heeft Nederland een brede Spierziekten Alliantie waarin o.a. spierfondsen, patiëntenverenigingen en een krachtig Spierziekten Centrum Nederland samenwerken

4. De beste zorg voor de patiënt

Sinds 2021 beschikt SCN over patiëntgerichte websites voor 16 neuromusculaire aandoeningen die samen met de patiëntenvereniging Spierziekten Nederland zijn ontwikkeld. De website voor het CMT/HMSN centrum en het Limb-Girdle Spierdystrofie Centrum zijn in 2021 opgeleverd. Daarnaast zijn er websites speciaal voor Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS Centrum Nederland) en Spinale Musculaire Atrofie (SMA expertisecentrum). Op elke website informeren onze expertisecentra patiënten en zorgverleners over de ziekte, behandelingen en lopend onderzoek naar de ziekte en kan men er terecht voor vragen.

Spierziekte specifieke websites	URL
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
Limb-Girdle muscular dystrophy (LGMD)	www.lgmdexpertisecentrum.nl
Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS)	www.als-centrum.nl
Charcot-Marie-Tooth (CMT)	www.cmtexpertisecentrum.nl
Chronische Idiopatische Axonale Polyneuropathie (CIAP)	www.ciapexpertisecentrum.nl
Chronische Inflammatoire Demyeliniserende Polyneuropathie (CIDP)	www.cidpexpertisecentrum.nl
Ziekte van Duchenne/Becker	www.duchenneexpertisecentrum.nl
Dunnevezelneuropathie	www.dnvexpertisecentrum.nl
Guillain-Barré Syndroom	www.gbsexpertisecentrum.nl
Myositis	www.myositisexpertisecentrum.nl
Ziekte van Pompe	www.pompeexpertisecentrum.nl
Postpoliosyndroom	www.postpolioexpertisecentrum.nl
Spinale Musculaire Atrofie (SMA)	www.smaonderzoek.nl

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

Zorgnetwerken voor neuromusculaire aandoeningen

Door SCN wordt de expertise van de academische centra samengebracht en gedeeld. Goede en juiste zorg beperkt zich echter niet tot de academische centra. Het is belangrijk dat zorgverleners in alle ziekenhuizen en zorgcentra in Nederland toegang hebben tot deze expertise.

We staan aan de vooravond van een transformatie in de zorg waarin SCN het voortouw wil nemen en richtinggevend wil zijn voor zeldzame ziekten. We zetten daarbij in op het verder uitbouwen van de alliantie tussen de samenwerkende spierfondsen, de patiëntenverenigingen, Spierziekten Centrum Nederland en topklinische (revalidatie) centra, passend bij een open netwerkorganisatie waartoe besloten is eind 2022. De gekozen strategie is gebaseerd op het verder ontwikkelen van netwerkzorg, een ander narratief resulterend in meer aandacht voor zeldzame spierziekten en een snelle introductie van nieuwe medicijnen/behandelingen.

(Nieuwe) geneesmiddelen en beschikbaarheid

In Nederland en de rest van de wereld wordt veel onderzoek gedaan naar nieuwe therapieën, waarbij behandelingen op maat ('personalized medicine') vaker mogelijk worden. Dat steeds meer innovatieve geneesmiddelen beschikbaar komen voor voorheen ongeneeslijke ziekten is hoopgevend. Aan deze nieuwe behandelingen -vooral zeldzame aandoeningen- zijn vaak wel hoge kosten verbonden en daarmee komt betaalbare zorg steeds meer onder druk te staan. Nieuwe medicijnen is benoemd als een van de drie kern thema's voor de komende jaren.

EURO-NMD, de Europese samenwerking

Goede patiëntenzorg heeft baat bij samenwerking en kennisdeling op internationaal niveau. Daarom zijn onze zes expertisecentra al vanaf de oprichting aangesloten bij het Europese Referentienetwerk (ERN) voor zeldzame spierziekten, EURO-NMD.

Vertegenwoordigers van deze expertisecentra zijn aangesloten bij de *Board of EURO-NMD* (zie tabel). Nederland is ook goed vertegenwoordigd in de *Executive Committee of EURO-NMD*. De executive committee onder leiding van de coördinator van EURO-NMD is verantwoordelijk voor het algemene beleid en de strategische richting van het netwerk en houdt toezicht op de activiteiten en voortgang. SCN is officieel het aanspreekpunt namens Nederland voor EURO-NMD en helpt bij de coördinatie en ondersteuning binnen Nederland. EURO-NMD is in 2020 uitgebreid en nu zijn er meer dan 65 expertisecentra (health care providers) aangesloten uit 21 Europese landen. Nederland is met 6 expertisecentra vertegenwoordigd.

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

De centra in Nederland die zijn aangesloten bij EURO-NMD

CRAMP 2.0 is het landelijke patiëntenregistratiesysteem van Spierziekten Centrum Nederland. Sinds 2016 zijn in zes academische ziekenhuizen meer dan 24.000 nieuwe diagnoses vastgelegd. In 2021 hebben we onderzoek gedaan hoe CRAMP verder te verbeteren, ook in het licht van de pilot om CRAMP op termijn aan te sluiten op de EURO-NMD Registry Hub. **Hiervoor is een projectplan opgesteld en een subsidie aangevraagd bij het Prinses Beatrix spierfonds.** Vervolgens is DHD gecontracteerd om in twee fases de benodigde verbeteringen aan te brengen. In 2022 is de eerste fase succesvol uitgevoerd.

5. Onderzoek

In Nederland wordt hoogwaardig onderzoek gedaan naar spierziekten en naar mechanismen die sterke raakvlakken hebben met processen die ook bij spierziekten een belangrijke rol spelen. De website van SCN maakt dit onderzoek inzichtelijk. Daarnaast wil SCN ook meer (multidisciplinaire) samenwerking stimuleren en ondersteunen.

Hoogwaardig onderzoek

De website www.spierziektencentrum.nl is een belangrijk platform om het neuromusculaire onderzoek in Nederland in kaart te brengen. Onze wetenschappers doen onderzoek naar een groot aantal spierziekten en behoren tot de wereldtop (<http://www.expertscape.com>). Er zijn zestien diagnose specifieke expertises in Nederland op het gebied van onderzoek (en zorg) met een eigen website.

Aan de hand van Nederlands onderzoek en internationale samenwerkingen zijn ruim 200 publicaties voortgekomen. Veel promovendi hebben na een succesvolle verdediging van hun proefschrift hun doctoraat behaald op het gebied van spierziektenonderzoek.

Trial readiness/registries

Een belangrijke doelstelling is dat al het (internationale) onderzoek naar spierziekten, inclusief de ontwikkeling van nieuwe behandelingen, onze patiënten bereikt. Dit betekent ook dat we vaker willen aansluiten bij internationale klinische trials en Nederland aantrekkelijker willen maken voor het starten van trials in Nederland. Samenwerking, het verbeteren van de infrastructuur en het neerzetten van een betrouwbare landelijke patiëntendatabase zijn cruciale factoren om dit doel te bereiken. Dit is een van de drie speerpunten van het SCN waar we de komende jaren op zullen inzetten.

6. Kennisoverdracht en talent

Nascholingssymposium Neuromusculaire Ziekten 2022

Elke tweede vrijdag van januari wordt het jaarlijkse (na)scholingssymposium voor medische specialisten en artsen in opleiding gehouden. Het symposium is bedoeld om artsen te informeren over nieuwe ontwikkelingen in diagnostiek, medicamenteuze behandeling en classificatie van neuromusculaire ziekten, en heeft als doelgroep (kinder)neurologen, revalidatieartsen, genetici, kinderartsen, physician assistants en artsen in opleiding.

Het symposium in 2022 was gewijd aan de laatste ontwikkelingen in diagnostiek bij neuromusculaire aandoeningen. Het was een virtueel congres met interactieve opzet. Een recordaantal deelnemers heeft geparticipeerd in deze vorm en haar waardering uitgesproken voor de opzet en inhoud.

Op vrijdag 14 januari vond op het symposium Neuromusculaire Ziekten de uitreikingen van de NL-NMD Thesis Awards plaats. Dr. Anke Rietveld ontving de NL-NMD Thesis Award voor haar proefschrift "Anti-cytosolic 5'-nucleotidase 1A autoantibodies in inclusion body myositis: clinical application and molecular correlations".

The neuroMuscular YOung Scientists (MYOS)



Muscles2Meet 2022, het symposium voor PhD studenten georganiseerd door het Prinses Beatrix Spierfonds, is gehouden in juni, voorafgegaan door Event4Talent in maart.

Website en nieuwsbrieven

De website www.spierziektencentrum.nl, draagt bij aan het platform dat SCN wil bieden aan de onderzoekers en zorgprofessionals en het zichtbaar maken van zorg en onderzoek in Nederland. Met een stijging van het unieke aantal maandelijkse bezoekers werd de website in 2022 weer veel beter bezocht dan voorgaande jaren. Via de maandelijkse nieuwsbrief Reflex werden het afgelopen jaar meer dan 400 zorgprofessionals, onderzoekers en andere geïnteresseerden direct geïnformeerd over actualiteiten, oproepen, activiteiten en het laatste nieuws.

7. Financiën

Het financieel verslag is opgemaakt door Eijkhout en Partners, accountants en adviseurs gevestigd in Nijmegen. Het volledige verslag is te vinden op de website. Het saldo van baten en lasten over 2022 ad € 21.361 wordt geheel toegevoegd aan de overige reserves. **Het beleid ten aanzien van de reserves is dat tenminste drie maanden aan lopende betalingsverplichtingen kan worden voldaan.**