

Jaarverslag 2023



Inhoud

<u>1. VOORWOORD</u>	2
<u>2. SPIERZIEKTEN CENTRUM NEDERLAND</u>	3
<u>3. DE KOERS NAAR 2025</u>	5
<u>4. ZORGNETWERKEN VOOR NEUROMUSCULAIRE AANDOENINGEN</u>	6
<u>5. DE BESTE ZORG VOOR DE PATIËNT</u>	7
<u>(NIEUWE) GENEESMIDDELEN EN BESCHIKBAARHEID</u>	7
<u>EURO-NMD, DE EUROPESE SAMENWERKING</u>	7
<u>6. ONDERZOEK</u>	10
<u>TRIAL READINESS/REGISTRIES</u>	10
<u>7. KENNISOVERDRACHT EN TALENT</u>	11
<u>8. FINANCIËN</u>	12

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 we door intensieve samenwerking in het veld, snel in te spelen op ontwikkelingen, blijvend te innoveren en jong talent te boeien.

Op 21 april organiseerden we een inspirerende en succesvolle werkconferentie met als thema “zorg van morgen.” Hier hebben we samen met onze partners in het neuromusculaire veld onze ambities en concrete plannen voor 2023 en 2024 uitgewerkt met betrekking tot de drie kernthema’s van onze transformatiestrategie:

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

Voor het uitvoeren van onze ambities wil SCN transformeren naar een open netwerk. We bekrachtigden de blauwdruk van het landelijk spierziektenzorgnetwerk, dat in september onder projectvoorzitterschap van Niole Voet verscheen en zijn actief betrokken bij het vervolgproject.

In 2023 was de primeur van het Nederlandse neuromusculaire research symposium, voorafgaand aan het traditionele neuromusculaire jaarsymposium. Dit gaf jonge en gevestigde Nederlandse neuromusculaire onderzoekers een unieke gelegenheid om elkaar te ontmoeten en hun werk te presenteren. Een succesvol nieuw initiatief, ook om jong talent te boeien, dat we blijvend opnemen in ons jaarprogramma. Ook het jaarsymposium zelf, dit jaar in hybride vorm, zowel weer live in Amsterdam als ook online, werd opnieuw zeer goed gewaardeerd. Toekomstige therapieën en veranderingen in de zorg voor patiënten met een neuromusculaire ziekte stonden centraal. De SCN “young scientists” van MYOS ontmoetten elkaar op het Event4Talent dat het PBS in samenwerking met hen organiseerde op 31 maart.

In 2023 ontvingen de 5 neuromusculaire expertisecentra na visitatie opnieuw hun ERN (European Reference Network) accreditatie. Ook werden in 2023 diverse nieuwe richtlijnen (mede) ontwikkeld. De ontwikkeling van de landelijke CRAMP2 database naderde zijn voltooiing. De transformatiekoers die eind 2022 werd ingezet, kreeg in 2023 duidelijk vorm en we hopen dit, in samenwerking met onze partners, voort te zetten op weg naar ons doel voor patiënten met spierziekten in Nederland.

Dr. Esther Brusse, Voorzitter Spierziekten Centrum Nederland

2. Spierziekten Centrum Nederland

Missie

Het significant verbeteren van de kwaliteit van leven en participatie van patiënten met spierziekten in Nederland door innovatieve behandelingen te implementeren, gebaseerd op baanbrekend wetenschappelijk onderzoek.

Visie

Dit bereiken we door intensief samen te werken in het veld, snel in te spelen op ontwikkelingen, blijvend te innoveren en door jong talent te boeien en aan ons te binden met hoogwaardige opleidingen en onderzoek.

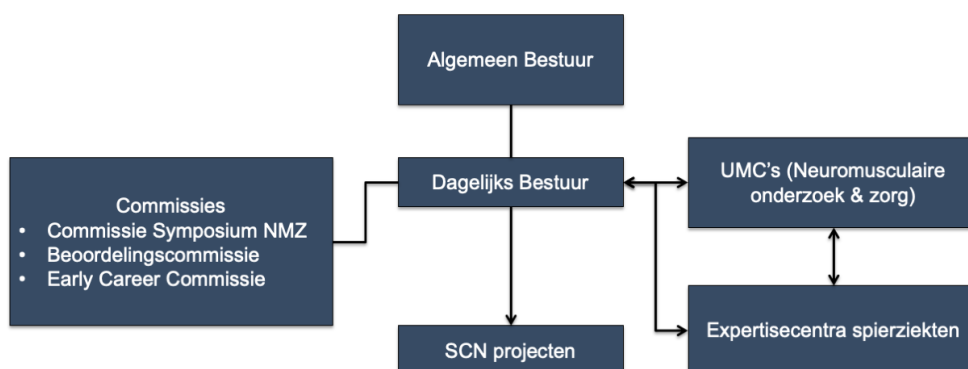
Het Spierziekten Centrum Nederland is een samenwerkingsverband van zorgprofessionals en onderzoekers in Nederland, die gespecialiseerd zijn in neuromusculaire aandoeningen.

Spierziekten Centrum Nederland (SCN) verenigt momenteel de vijf 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.

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.



Esther Brusse
Voorzitter



Bazel van Engelen
Neurologie
Radboudumc



Corien Verschuuren-
Bemelmans
Klinische genetica UMCG



Filip Eftimov
Neurologie
Amsterdam UMC



Janneke Hoeijmakers
Neurologie MUMC+



Michael van Es
Neurologie UMCU



Umesh A. Badrising
Neurologie LUMC



Frank Roos
Directeur



Coen Ottenheijm
Onderzoek
Amsterdam UMC



Femke Stoelinga
Kinderrevalidatiearts
Amsterdam UMC



Jan Groothuis
Revalidatie
Radboudumc



Ludo van der Pol
Kinderneurologie
UMCU



Nadine van der Beek
Neurologie
Erasmus MC



Silvère van der
Maarel
Onderzoek LUMC

Dagelijks bestuur

Algemeen Bestuur

Samenstelling Dagelijks en Algemeen Bestuur

In 2023 hebben we afscheid genomen van Annette van der Geest, kinderrevalidatiearts van het UMCU. Zij werd opgevolgd door Femke Stoelinga, kinderrevalidatiearts van het Amsterdam UMC, verbonden aan het kinderspiercentrum Amsterdam.

3. De koers naar 2025

Van oudsher streven we naar modellen voor de toekomst op basis van gegevens vanuit het verleden. In de huidige VUCA (Volatile, Uncertain, Complex, Ambigüe) wereld is een andere werkwijze gevraagd. We moeten de zorg dus anders en wendbaar organiseren zodat we snel kunnen inspelen op veranderingen die zich onverwacht aandienen.

Dit vergt onder andere:

- Verbindend leiderschap gericht op co-creatie, learning community
- Juiste zorg op de juiste plek door gebruik te maken van netwerken
- Data gedreven zorg
- Visie op de toekomst



SPIERZIEKTEN
CENTRUM
NEDERLAND

Zorg zit in een “perfect storm”



- Houdbare zorg staat meer en meer onder druk.
- We onderscheiden drie dimensies van houdbaarheid: de financiële houdbaarheid – is de zorg betaalbaar? –, de personele dimensie – is er voldoende zorgpersoneel? – en de maatschappelijke dimensie – is er voldoende draagvlak voor het zorgstelsel?
Bron: WRR rapport 104, Kiezen voor houdbare zorg, 2021
- Zorg zit in een “perfect storm”: zorgvraag neemt toe (o.a door nieuwe behandelingen), burnouts en druk op het systeem nemen toe, zorgpersoneel neemt af en alleen maar meer geld ter beschikking stellen lost dat niet op.

We kunnen een probleem niet oplossen met de denkwijze die het heeft veroorzaakt. (Albert Einstein)

Omdenken is gevraagd.

4. 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. Het SCN speelt een belangrijke rol om aan te jagen, te faciliteren, problemen te identificeren en focus aan te brengen in het veld. Het SCN is overstijgend, los van eigen belangen. Een rol van het SCN is het generaliseerbaar maken van specifieke projecten en hierop voortbouwen. De organisatie fungeert als centraal aanspreekpunt.

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.

Op vrijdag 21 april 2023 kwamen we met al onze partners uit het spierziektenveld bijeen tijdens de SCN-werkconferentie “De zorg van morgen”. Samen hebben we onze ambitie aangescherpt en omgezet in concrete plannen voor 2023/2024. Met 75 deelnemers hebben we in een aantal gespreksrondes de drie kernthema’s die we het afgelopen jaar hebben gedefinieerd, verder uitgediept en aangescherpt.

- registries /trial readiness
- nieuwe behandelingen/dure medicijnen
- talentontwikkeling en –behoud.

Doelgericht samenwerken stond centraal en we kijken terug op een zeer geslaagde dag, waarbij we in verbinding duidelijke voortgang hebben ingezet op deze thema’s.

Hierbij hebben we vastgesteld dat het SCN een netwerkorganisatie is, die agendeert, afstemt, samenwerking stimuleert, en kennisdeling organiseert. De organisatie zit in twee transities, die samen opgaan. De eerste is van “aandoeningen verdelen” naar regie voeren op het veld vanuit inhoud. De tweede is van een gesloten naar een open community. Het SCN is niet één uniforme club, maar verschillende centra in verschillende fasen, die van elkaar leren. Daarbij bouwen we voort op wat we hebben bereikt.

5. 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.

(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 voor zeldzame aandoeningen- zijn ook nieuwe uitdagingen verbonden, zoals hoge kosten en intensieve specialistische zorg in de behandelcentra. Nieuwe medicijnen is dan ook 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	Nadine van der Beek
University Medical Center Utrecht	Leonard van den Berg
Radboud University Medical Center	Baziel van Engelen
Maastricht University Medical Center +	Janneke Hoeijmakers

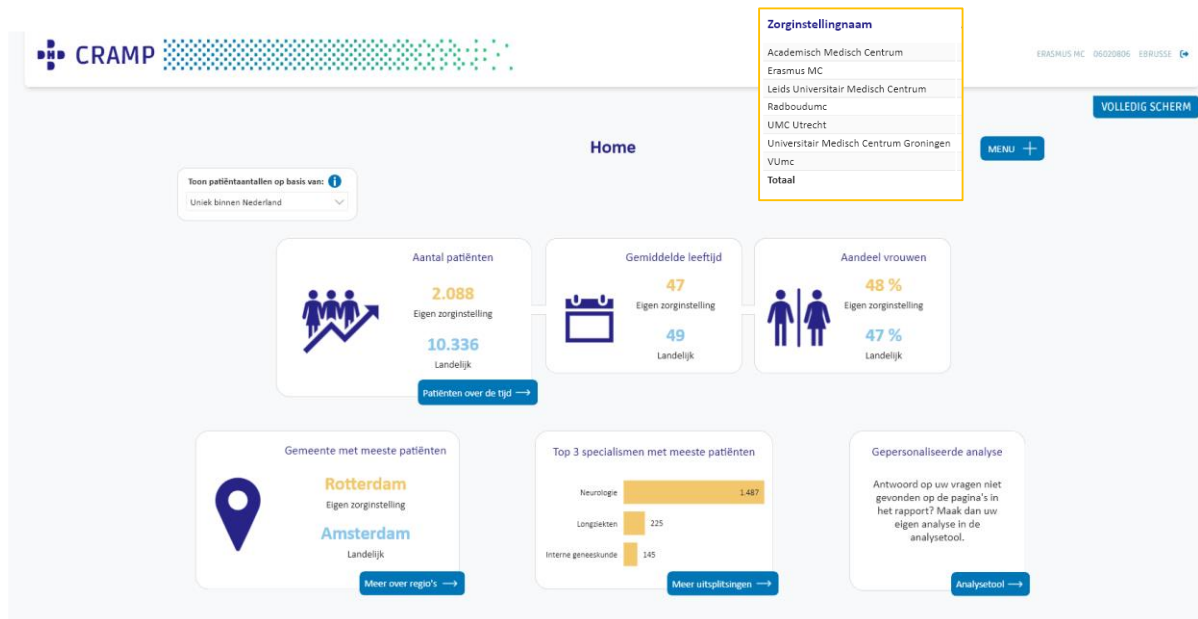
De centra in Nederland die zijn aangesloten bij EURO-NMD

CRAMP 2.0 is het landelijke patiëntenregistratiesysteem van Spierziekten Centrum Nederland. Dit initiatief is in samenwerking met het Prinses Beatrix Spierfonds en DHD tot stand gekomen. 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. Daartoe is een projectplan opgesteld en DHD gecontracteerd om in twee fases de benodigde verbeteringen aan te brengen. In 2022 is deze fase uitgevoerd en eind 2023 was het nieuwe platform (gebaseerd op Microsoft Power BI) klaar om in gebruik te nemen. Hiermee is er binnen Nederland een volledig en toegankelijke manier om inzicht te krijgen in spierziekten in Nederland.

Het doel van de koppeling van CRAMP met andere registers of databases voor neuromusculaire ziekten binnen Europa is om de verzamelde data te gebruiken om de gezondheidszorg te verbeteren, inclusief de diagnose, behandeling en prognose van patiënten met zeldzame neuromusculaire ziekten.

SCN heeft de wens de CRAMP database geschikt te maken voor gefedereerde data analyse met andere registers of databases voor neuromusculaire ziekten binnen Europa. Een van de gekoppelde netwerken is de European Reference Network for Neuromuscular Diseases (ERN EURO-NMD). Naast CRAMP zijn nationale en ziekte-specifieke patiënten registers interoperabel met het EURO-NMD-register, waardoor gefedereerde analyses over deze verschillende bronnen mogelijk zijn.

Om de CRAMP database geschikt te maken voor gefedereerde data analyse met de andere registers en databases, zal de (internationale) richtlijn van de FAIR principes moeten worden gevolgd en zijn ook nog technische aanpassingen nodig.



Figuur: voorbeeld van een overzichtspagina in de vernieuwde CRAMP database (data zijn fictief)

6. 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. Onze wetenschappers doen onderzoek naar een groot aantal spierziekten en behoren tot de wereldtop (<http://www.expertscape.com>). SCN wil daarbij (multidisciplinaire) samenwerking stimuleren en ondersteunen. Dit is relevant binnen alle 3 kernthema's: registraties/trial readiness, nieuwe medicijnen en talentontwikkeling en –behoud.

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 (zie tevens pagina 8, CRAMP 2.0). Dit is een van de drie speerpunten van het SCN waar het afgelopen jaar, ook samen met Spierziekten Nederland, op is ingezet en de komende tijd door zal lopen.

7. Kennisoverdracht en talent

In 2023 was de primeur van het Nederlandse neuromusculaire research symposium, voorafgaand aan het traditionele neuromusculaire jaarsymposium. Dit gaf jonge en gevestigde Nederlandse neuromusculaire onderzoekers een unieke gelegenheid om elkaar te ontmoeten en hun werk te presenteren. Een succesvol nieuw initiatief, ook om jong talent te boeien, dat we blijvend opnemen in ons jaarprogramma. Ook het jaarsymposium zelf, dit jaar in hybride vorm, zowel weer live in Amsterdam als ook online, werd opnieuw zeer goed gewaardeerd. Toekomstige therapieën en veranderingen in de zorg voor patiënten met een neuromusculaire ziekte stonden centraal.

Tijdens het neuromusculair jaarsymposium werden opnieuw de thesis awards uitgereikt voor het beste klinisch en preklinisch proefschrift aan Sonja Leonhard and Rosanne Ausems.

De SCN “young scientists” van MYOS ontmoetten elkaar op het Event4Talent dat het PBS in samenwerking met hen organiseerde op 31 maart.

In het afgelopen jaar zijn er drie nieuwe neuromusculaire hoogleraren benoemd:

Nens van Alfen is benoemd tot klinisch hoogleraar Klinische neurofysiologie, in het bijzonder neuromusculaire echografie aan het Radboudumc / de Radboud Universiteit. Haar focus ligt op echografie van de zenuwen en de spieren. Hier doet zij onderzoek naar, maar de zorg voor patiënten en onderwijs zijn eveneens belangrijke pijlers binnen haar leerstoel.

Nicol Voermans is benoemd tot hoogleraar Spierziekten aan het Radboudumc / de Radboud Universiteit. Voermans zet zich in voor een sterk klinisch centrum met veel expertise over spierziekten, brengt het natuurlijk beloop van deze aandoeningen in kaart en voert studies uit met veelbelovende medicijnen tegen zeldzame spierziekten. Dit alles in een wereldwijd netwerk.

Dr. Pim Pijnappel is in het Erasmus MC benoemd tot bijzonder hoogleraar cel- en genterapie, in het bijzonder voor neuromusculaire en metabole aandoeningen. Met zijn leerstoel gaat Pim zich richten op verschillende manieren om spierziekten en stofwisselingsziekten aan te pakken.

8. 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 financieel resultaat over 2023 bedraagt € 52.951,-. Het batig saldo wordt toegevoegd aan de overige reserves.