



GCOM 2024 Openingsessie met Nederlands tintje

Auteur: Ingrid de Groot, voorzitter Diagnosewerkgroep Myositis

Tijdens de openingsessie van Global Conference on Myositis (GCOM) 2024 voerde Ingrid de Groot het woord. Zij sprak namens alle aanwezige patiëntenverenigingen die hadden samengewerkt aan een mooi eigen programma (zie ander artikel in deze nieuwsbrief). Hier doet zij verslag hiervan.



Ingrid de Groot aan het woord bij de openingsessie van GCOM 2024

Het was spannend en een hele eer om het woord te voeren in de openingsessie. Wat we met deze presentatie vooral wilden uitdragen is dat patiëntenverenigingen veel meer doen dan alles waar we bekend en geliefd om zijn. Natuurlijk zijn onze belangrijkste doelen het vertegenwoordigen van de mensen met een spierziekte, het verzorgen van lotgenotencontact, het informeren van de leden, beschikbaar stellen van informatief en educatief materiaal, het jaarlijkse spierziektecongres, etcetera. Maar wat veel mensen niet weten is dat we zoveel méér doen en kunnen dan dat! En dat is waar mijn presentatie vooral over ging: hoe wij als patiënten en patiëntenverenigingen steeds nadrukkelijker betrokken zijn bij wetenschappelijk onderzoek!

Betrokken bij wetenschappelijk onderzoek

De meeste patiëntenverenigingen hebben leden die zich specifiek bezighouden met wetenschappelijk onderzoek. (in onze werkgroep zijn dat Ad Bolks voor IBM en ik voor alle myositis. Zij richten zich daarbij in eerste instantie op hun eigen land, maar kijken zeker ook over de grens. Zo zijn velen van ons betrokken bij internationale onderzoeksprojecten. Denk aan de OMERACT-studie waarover ik al eerder berichtte. In de meeste landen denken werkgroepleden mee over de opzet, de relevantie en de haalbaarheid van onderzoeksvorstellen. Zo schrijven ze bijvoorbeeld steunbrieven aan subsidieverstrekkingen om het belang van de studie voor mensen met myositis te benadrukken. Ander leden zijn lid van gebruikerscommissies die onderzoekaanvragen beoordelen namens een fondsenwerver (denk aan Prinses Beatrix Spierfonds). Zij kijken kritisch naar het belang van de studie, hoe relevant de uitkomsten zijn, hoe haalbaar de studie is etcetera

Verspreiden resultaten

Als de onderzoeksresultaten eenmaal bekend zijn, helpen we mee met het verspreiden van de resultaten in begrijpelijke taal. Bijvoorbeeld tijdens het spierziektecongres en in nieuwsbrieven. Als we zelf hebben meegewerkt aan het onderzoeksproject schrijven we ook wel mee aan wetenschappelijke publicaties. Daarvan verschijnt met enige regelmaat een voorbeeld in de nieuwsbrief. Een ander punt waarbij we als patiëntenvereniging behulpzaam zijn is het werven van deelnemers voor een klinisch onderzoek door onze achterban (dus: onze leden) erover te informeren. Zo berichten we onder meer om welk medicijn of interventie het gaat (bijvoorbeeld een bepaald trainingsprogramma), welk ziekenhuis de studie uitvoert, en aan welke voorwaarden of inclusiecriteria een deelnemer moet voldoen.

En ten slotte zijn enkelen van ons als Patient Research Partner (patiënt onderzoek partner) getraind om als gelijkwaardig lid van een onderzoeksgroep bij te dragen aan het onderzoek door het patiëntenperspectief en ervaringen in te brengen. Vaak gebeurt dat in internationale studiegroepen.

Onderzoeksagenda's

Maar dat is niet alles. Zoals ik eerder beschreef, zijn sommige patiëntenverenigingen aan de slag gegaan met onderzoeksagenda's. Deze maken de stand van zaken inzichtelijk, maar juist ook de wensen en behoeften van patiënten ten aanzien van wetenschappelijk onderzoek in eigen land. Door die te delen met artsen en onderzoekers uit het eigen myositisnetwerk leidt dat hopelijk tot voor ons relevanter onderzoek.

Myositis-overstijgende onderwerpen

Een ander belangrijke bijdrage leveren we door deel te nemen aan nieuwe consortia die zich bezighouden met myositis-overstijgende onderwerpen. Denk aan mentale gezondheid en psychologische impact van myositis, belang van gezonde botten, kwaliteit van leven. Inmiddels hebben veel landen, zo ook wij in Nederland, myositis-expertisecentra, waarmee steeds nadrukkelijker wordt samengewerkt.

Toekenning geneesmiddelen

Ten slotte sluiten wij steeds vaker aan bij overleggen met instanties die gaan over geneesmiddelentoekenning (denk aan EMA en FDA). Om te zorgen dat die geneesmiddelen de kwaliteit van leven van mensen met myositis verbeteren, is er ook steeds vaker overleg of samenwerking met farmaceuten. Die willen van ons horen waar we tegenaan lopen, welke symptomen bij bepaalde vormen van myositis het meest belangrijk zijn, etcetera.

Fondsenwerving

In een aantal landen zijn patiëntenverenigingen ook actief op het gebied van fondsenwerving. Door het opzetten van allerlei acties proberen ze zoveel mogelijk geld op te halen dat ze doneren aan bepaalde onderzoeksgroepen. Of waarmee ze zelfs geheel zelfstandig bepaalde onderzoeksprojecten opzetten, leiden en financieren.

Tot slot

Je hebt het ongetwijfeld niet altijd door, maar je ziet dat er achter de schermen ongelooflijk veel gebeurt. Ik ben blij met de kans om je met dit stukje wat inzicht te geven in wat we zoal doen. En waarom we dus altijd extra mensen in de werkgroep kunnen gebruiken! Het doel van deze presentatie tijdens de openingssessie was echter vooral om de aanwezige artsen, paramedici, onderzoekers, farmaceuten en andere betrokkenen te overtuigen van deze boodschap: zie, erken en maak bij wetenschappelijk onderzoek gebruik van de meerwaarde van onze ervaringskennis, opgedaan door het jarenlang leven met myositis. Die is onmisbaar als we de myositispuzzel willen oplossen!

Uit het applaus en de vele reacties aan ons adres na afloop maken we voorzichtig op dat die boodschap is gehoord en wordt gewaardeerd!

Op de volgende pagina zie je de poster waarop we al onze activiteiten en bijdragen aan wetenschappelijk onderzoek hebben samengebracht.

PATIENT IMPACT ON MYOSITIS RESEARCH



HOW PATIENTS IMPACT RESEARCH

Recent [Chan-Zuckerberg rare disease research grant awarded to Cure JM](#) to identify new biomarkers and improve precise, personalized care through the identification of cell-to-cell interactions that drive inflammation in juvenile myositis.

[Patient-centred research](#) collaborations on myositis Patient Journey and Burden of Disease, including Caregiver Burden, Anti-MDA5 DM, and studies in Pain in Myositis¹ and Tendon Transfer Study² collaborations.

Patients initiated and contributed to a patient/carer priority study and contributed to a continence survey in Myositis study. [Patients helped identify factors in diagnostic delays](#) and helped to co-develop a toolkit to educate and assist primary care clinicians in diagnosing myositis^{4,5}. Stay tuned for this toolkit which is coming!



DM EL-PF



Bringing the patient voice to the US FDA regulatory review processes via the [Externally-led Patient-focused Drug Development \(EL-PFDD\)](#) program.

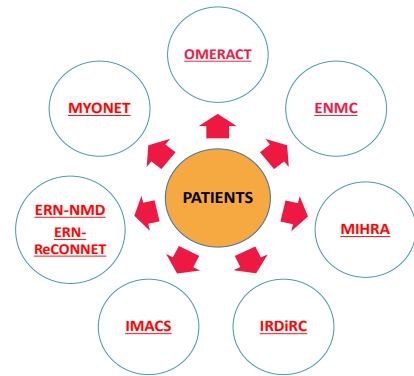
Patients co-authored and contributed to the design, data analysis, publication and dissemination of results of international collaborations such as the COVAD study, OMERACT myositis working group, and IMACS Exercise and Rehabilitation study.

Patients help to review worldwide study grant applications.

Education of Patient Research Partners (PRP) & mentoring of new PRPs, PRP involvement in collaboration with researcher groups.

Involvement of PAOs in clinical trial patient enrollment, educational efforts and facilitating communication from and with sponsors.

Patient coalitions are taking a more active role in advocating for policy changes to help advance research and drug development for myositis.



*IMACS Examples of working groups -Exercise & Rehabilitation group; Psychological impact & Wellbeing Group; IBM Special Interest Group

Visibility

In addition, sites such as International Myositis Society [iMyoS](#) offer the patient community a one-stop platform by listing information and contact details of patient organizations on their website.



Further ways to improve patient collaboration in myositis research

Ensure patients have a seat on advisory boards and research roundtables in order to bring real patient perspectives to the discussion (eg. patient organization advisory boards, pharmaceutical clinical development, and medical advisory boards).

Always include patient input in collaborations with groups such as the [NIH](#) and [PCORI](#) which provide research grants.

Establish an **international myositis research patient & consumer panel** to support better understanding of patient needs.

Patients to help **develop national research agendas** in countries around the globe.

Call to action on World Myositis Day September 21: Opportunities to highlight more patient impact on research!



References:
 1. Bhattacharya A, Lubiano M, Filmore E, Wilson L, Williams J, Gonzalez-Ramos D, Bhal S. Pain profile and opioid medication use in patients with idiopathic inflammatory myopathies. *Rheumatology* [Oxford]. 2022 Dec 23;61(12):2042-2049. doi: 10.1093/rheumatology/kwac773. PMID: 35579352; PMCID: PMC9788817.
 2. Park C, Bhal S, Cheng J, Heneghan J, Wilson L, Lubiano M, Bhattacharya AR. Tendon Transfers to Improve Grip and Pinch in Patients with Sporadic Inclusion Body Myositis. *Hand Reconstr Surg* [Edinb]. 2023 Nov 17;131(11):1454-1458. doi: 10.1097/GRS.00000000000006418. PMID: 38035613; PMCID: PMC10566093.
 3. Schütler S, de Groot J, Lubiano M, Dijkstra A, Johansson J, Dragalova D, Oakley J. Working towards a patient-centred Global Myositis Alliance: call for partnership. *Clin Exp Rheumatol*. 2023 Mar;41(2):214-216. doi: 10.5556/clinexp/rheumatol/uldpdm. Epub 2023 Jan 11. PMID: 36700650.
 4. Namrai T, Desborough J, Chalmers A, Lowe C, Cook M, Phillips C, Parkinson A. BMI Open. 2023 Jun 12;23(6):e060312.doi: 10.1136/bmjopen-2021-026213. PMID: 36527457.
 5. Namrai T, Desborough J, Chalmers A, Lowe C, Cook M, Phillips C, Parkinson A. Diagnostic delay of myositis: protocol for an integrated systematic review. *BMI Open*. 2022 Jun 13;12(6):e060312.doi: 10.1136/bmjopen-2021-026312. PMID: 35697457; PMCID: PMC9196154.
 MDA5 DM: Antimetastoma differentiation-associated gene 5 (MDA5) Dermatomyositis