



Verslag presentatie prof.dr. Marianne de Visser, 21 september 2024

Auteur: Ingrid de Groot

Op 21 september 2024, Wereld Myositis Dag, verzorgde prof. dr. Marianne de Visser een presentatie, voor de laatste keer als medisch adviseur van onze werkgroep. Dertig mensen luisterden online aandachtig mee toen Marianne ons bijpraatte over twee belangrijke onderwerpen: het belang van gezonde botten en CAR-T celtherapie.

Gezonde botten

Om te beginnen sprak Marianne over het belang van gezonde botten bij mensen met een spierziekte. Zij deed verslag van de ENMC-workshop in januari, waaraan zij deelnam. Daarbij waren behalve artsen en onderzoekers, ook mensen met een spierziekte aanwezig, namelijk Madelon Kroneman, Ingrid de Groot van Spierziekten Nederland en Silke Schlüter (Duitsland).

De botmassa is afhankelijk van geslacht, lichaamsbouw en leeftijd. De piek ligt tussen 25 en 30 jaar. Daarna neemt de botmassa geleidelijk af. Factoren die de botmassa bepalen zijn genetisch van aard, maar ook fysieke inspanning en voeding hebben invloed. Het grootste verlies van botmassa wordt gezien bij vrouwen met tengere lichaamsbouw met een lichte huid.

Osteoporose

Osteoporose is een progressieve botziekte. Kenmerken zijn: afname in botmassa en botdichtheid en een structurele afbraak van botweefsel. Dit leidt op den duur tot fragiele botten en een verhoogde kans op fracturen (botbreuken) in met name de heup, wervels en andere botten. De botdichtheid wordt gemeten met een zogenaamde DEXA-scan (Dual Energy X-ray Absorptiometry), een onderzoek dat je mogelijk al eens hebt gehad. Met een minimale hoeveelheid röntgenstraling worden opnamen gemaakt van het dijbeenbot en het onderste deel van de wervelkolom. De computer berekent het kalkgehalte in het bot. Dat wordt vergeleken met de gemiddelde waarden voor leeftijd en geslacht. Op basis van de score wordt vastgesteld of iemand osteoporose heeft of het voorstadium daarvan (osteopenie).

Risicofactoren

Osteoporose komt 2x vaker voor bij vrouwen. Ook leeftijd speelt een rol: na de menopauze verliest een vrouw ongeveer 20% van haar botmassa. Rond 70-jarige leeftijd ongeveer de helft.

Marianne vertelde wat voor mensen met myositis de risicofactoren voor osteoporose en botbreuken zijn:

- Het gebruik van corticosteroïden (bijv. prednison of dexamethason)
- (hoge) ziekteactiviteit van de myositis (waardoor mensen minder bewegen, spierzwakte hebben, meer risico op vallen, ondervoeding en hoge ontstekingswaarden in het bloed)
- Omgevings- en gedragsfactoren: roken, gebrek aan vitamine D, gebruik van alcohol en cafeïne, gewicht, het al dan niet slikken van medicatie tegen osteoporose, en zonlicht)
- Factoren waarop je geen invloed hebt: vrouwelijk geslacht, leeftijd, genetische invloeden, post-menopauze, eerdere botbreuken.

Voor artsen is het belangrijk om alert te zijn op botbreuken die het gevolg zijn van osteoporose. De arts moet dan letten op leeftijd, lage botdichtheid, de plek van de breuk (ruggenwervel, pols, heup, bekken of bovenarm) en de oorzaak van de breuk. Zo is het 'verdacht' als er sprake is van een minimaal trauma (verwonding).

Al deze zaken kwamen aan de orde tijdens de ENMC-workshop in januari. Daar vertelden de drie patiënten hun persoonlijke ervaringen met botbreuken en de gevolgen daarvan. Die verhalen logen er niet om. Een min of meer spontane onderbeenbreuk met een lange revalidatie had tot gevolg dat ook lopen met een rollator niet langer mogelijk was. De patiënt werd vanaf dat moment dus min of meer rolstoelafhankelijk. Mijn persoonlijke ervaring: ik brak mijn pink en kreeg gips om een groot deel van de hand. Omdat ik mijn handen nodig heb om te lopen (krukken of rolstoel) had dit grote gevolgen. Door het langzame herstel kon ik lange tijd niet autorijden, mijn krukken of rolstoel gebruiken, of masker van nachtbeademing goed opzetten. Alledrie hebben we ervaren dat de impact, zelfs van kleine breuken, groot is. Of het nu gaat om zelfredzaamheid, mobiel zijn, of in beweging blijven.

Vragenlijst

Omdat wij als patiënten het vermoeden hadden dat dit voor meer mensen met een spierziekte gold, stuurden we een vragenlijst rond. Dit deden we in Noorwegen, Duitsland, Frankrijk en Nederland. Velen van jullie hebben die destijds ingevuld, waarvoor dank!

581 mensen (waarvan 11% met een vorm van myositis) vulden de vragenlijst in. Daaruit bleek dat 30% van de deelnemers in de laatste vijf jaar minstens één keer gevallen is. Voor mensen met een botbreuk leidde dat in 46% van de gevallen tot een verminderd vermogen of zelfs blijvend onvermogen om te lopen (10%). Een op de vijf mensen meldde dat zij osteoporose of osteopenie hebben. Onder de mensen die “nee” of “weet niet” antwoordden, zijn vermoedelijk mensen die het (nog) niet weten dat ze het hebben. Dat komt omdat 55% van de deelnemers pas na de eerste botbreuk onderzoek naar osteoporose onderging.

De meeste mensen die de diagnose kregen, hoorden dat in een algemeen ziekenhuis. Terwijl mensen met een spierziekte vaak in academisch ziekenhuis worden behandeld. De link tussen botbreuk, osteoporose en spierziekte wordt nog niet vaak (genoeg) gelegd.

Behandeling osteoporose

De behandeling van osteoporose of osteopenie is in de meeste gevallen vitamine D, calciumsupplementen en zogenaamde bisfosfonaten (medicijnen die de botafbraak remmen, zoals alendroninezuur) of injecties. Sommige mensen werden niet behandeld (10%) en 23% neemt supplementen op eigen initiatief (dus niet voorgeschreven door een arts). Van de mensen die voorgeschreven medicijnen slikken, heeft 1 op de 5 last van bijwerkingen en voor 1 op de 3 mensen is dat een reden om te stoppen met deze medicijnen. Het gaat dan om bijwerkingen als maag-darmklachten, spier- of gewrichtspijn of zich niet lekker/koortsig voelen.

1 op de 5 deelnemers slikt(e) langer dan een jaar corticosteroïden en van die groep blijkt 25% osteoporose of osteopenie te hebben.

Vragenlijst zorgverleners

Prof.dr. Nicol Voermans, een van de organisatoren, stuurde een vragenlijst naar zorgverleners (merendeels neurologen), die door 39 mensen in 13 landen werd ingevuld. Uit te antwoorden bleek dat de meesten maar matig onderwijs over botten hebben gehad. Toch zeggen zij er wel aandacht voor te hebben bij het stellen van de diagnose en tijdens het volgen van de patiënt op de poli. Daarvoor gebruiken zij vooral de DEXA-scan om te screenen. Als behandeling worden met name vitamine D, calcium en beweegprogramma's voorgeschreven.

Osteoporose bij myositis

Marianne de Visser verdiepte zich in hoe vaak osteoporose voorkomt bij myositis. Dat leidde tot een publicatie uit 2021 van Cox en medewerkers waarin deze vraag op systematische wijze was onderzocht. Cox's onderzoek leverde 37 wetenschappelijke artikelen op, waaruit bleek dat osteopenie voorkomt in 7-75% van de patiënten en waarbij 13-27% osteoporose blijkt te hebben. Dat leidde tot botbreuken in wervels en andere botten in 11-75% van de gevallen. De helft daarvan was 'asymptotisch', dat wil zeggen: men ondervond geen (pijn)klachten van de botbreuk. Vitamine D-tekort komt voor in 65-69% van de gevallen. En patiënten met myositis hebben een ongeveer 13% grotere kans om een ernstig vitamine D-tekort te hebben dan gezonde mensen.

Hoe is osteoporose te voorkomen?

Om osteoporose te voorkomen zijn de volgende punten van belang:

- Gezond dieet met voldoende vit. D en calcium
- Voldoende bewegen
- Medicatie (pillen of infuus)

Botbreuken door osteoporose zijn te voorkomen door:

- Stoppen met roken
- Medicatie
- Zorgen dat er geen losse tapijten of obstakels in huis liggen
- Zorg voor goede verlichting (onder andere op de trap, en in de hal)

Conclusies osteoporose

- Osteoporose komt meer voor bij ouderen, vrouwen, jongere mensen en na menopauze.
- Ook komt het vaker voor bij ziekten die gepaard gaan met spierzwakte en verminderde mobiliteit, zoals myositis en bij corticosteroïdgebruik.
- Er is te weinig aandacht voor herkenning, voorkómen en behandelen van osteoporose.
- Er moet meer onderzoek komen, vooral ook naar medicatie ter voorkoming van osteoporose.
- Er moet meer aandacht zijn voor educatie van patiënten én van zorgverleners.

Patiënten hebben dringend behoefte aan:

- Informatie: wat is osteoporose, welke risicofactoren zijn er, wat kan je er zelf tegen doen en welke medicatie moet ik gebruiken?
- Vroegtijdige screening.
- Meer bewustwording bij zorgverleners.
- Informatie over alternatieven voor medicatie, bijvoorbeeld specifieke beweegprogramma's.

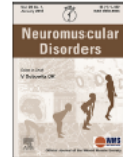
Neuromuscular Disorders 43 (2024) 1–13



Contents lists available at ScienceDirect

Neuromuscular Disorders

journal homepage: www.elsevier.com/locate/nmd



Workshop report

274th ENMC international workshop: recommendations for optimizing bone strength in neuromuscular disorders. Hoofddorp, The Netherlands, 19–21 January 2024

Nicol C. Voermans^{a,*}, Anne T.M. Ditttrich^{b,1}, Sara Liguori^{c,d,1}, Chiara Panicucci^{e,1}, Antimo Moretti^c, David R. Weber^f, Leanne M. Ward^g, on behalf of the 274th ENMC workshop study group²



Foto boven: In het wetenschappelijk tijdschrift *Neuromuscular Disorders* staat een uitgebreid verslag van de workshop.

Foto onder: de deelnemers aan de workshop.

CAR-T celtherapie

Een nieuwe, veelbelovende ontwikkeling waarover veel patiënten praten, is de CAR-T celtherapie. Dit is een vorm van immunotherapie. Belangrijk om te weten is dat onze afweer via zogenaamde B-cellen en T-cellen verloopt. Een belangrijk eiwit daarbij is CD19, een eiwit dat voorkomt op het oppervlak van die B-cellen, een type witte bloedcel. Voor de CAR-T celbehandeling, worden witte bloedcellen bij de patiënt afgenomen. Daaruit worden T-cellen gehaald, die daarna worden bewerkt om zich tegen CD19 te kunnen richten. In het laboratorium worden deze cellen bewerkt. Als er voldoende van deze CAR T-cellen zijn gekweekt, worden ze via een infuus aan de patiënt teruggegeven. De CAR T-cellen herkennen de B-cellen die bij myositis tot problemen leiden en zorgen dat

deze vernietigd worden. Dat laatste is ook hoe bijvoorbeeld Rituximab werkt, een medicijn dat veel myositispatiënten krijgen.

CAR T-celtherapie is niet nieuw. Met name in de behandeling van bepaalde vormen van kanker is er al veel ervaring opgedaan. Voor myositis is het dus wel nieuw. Deze therapie heeft in bepaalde gevallen tot behoorlijk spectaculaire resultaten geleid. Bijvoorbeeld bij een 44-jarige vrouw met antisynthetase syndroom (ASyS) met myositis, artritis, huidafwijkingen en aangedane longen.

Marianne beantwoordt de vraag of CAR-T celtherapie voor myositis ook veelbelovend is als volgt:

- Tot nu toe gaat het om behandeling van slechts enkele patiënten met myositis en ASyS.
- De resultaten lijken inderdaad veelbelovend, MAAR: meestal worden de patiënten nog maar kort gevolgd na de therapie (follow-up).
- Het is wel degelijk een zware behandeling met kans op complicaties.