Manifest m.b.t. onderzoeksagenda CIAP-MGUS-pnp vanuit patiëntperspectief

Diagnosewerkgroep CIAP/MGUS-pnp, Spierziekten Nederland

Binnen Spierziekten Nederland stellen de verschillende diagnosewerkgroepen een onderzoeksagenda vanuit patiëntperspectief op. Omdat bij MGUS-pnp de oorzaak al bekend is, en er al trials met medicijnen zijn, concentreren wij ons binnen de diagnosewerkgroep CIAP/MGUS-pnp vooralsnog op onderzoek naar genezing en oorzaken van CIAP. Tevens willen wij ons inzetten voor onderzoek naar oorzaken en bestrijding van pijn en naar verbetering van loopondersteuning. Dit laatste is voor mensen met CIAP en MGUS-pnp (en andere neuromusculaire aandoeningen) van gelijk belang.

Visie

CIAP is een invaliderende ziekte, die sterke inbreuk maakt op de mobiliteit en zelfredzaamheid van mensen die ermee te maken hebben. Voorop in onze visie staat daarom een onderzoeksprogramma gericht op het afremmen, stoppen of zelfs genezen en voorkomen van de ziekte. Daaropvolgend vinden wij onderzoek van belang dat gericht is op een betere kwaliteit van leven voor mensen met CIAP.
De grote omvang van de groep CIAP-patiënten in Nederland (naar schatting 120.000) betekent dat de maatschappelijke schade substantieel is. Dit alles rechtvaardigt onderzoek naar genezing en voorkoming van deze aandoening.

Wat we willen bereiken

We willen bijdragen aan de volgende overkoepelende doelen:

- een behandeling vinden om CIAP af te remmen, te stoppen en/of te genezen;
- mogelijkheden tot preventie vaststellen;
- de diagnosestelling verbeteren, zodat eerdere opsporing mogelijk wordt;
- de ziektelast verminderen door behandelmethoden gericht op vermindering van symptomen (zoals pijn, spierzwakte, balans);
- de kwaliteit van zorg verbeteren;
- zorgen dat patiënten, hun omgeving en behandelaars inzicht krijgen in de ziektelast van CIAP (ook op sociaal terrein) en hoe die last zich (naar verwachting) ontwikkelt.

Doorontwikkelgebieden

Er is zeer weinig geld beschikbaar voor fundamenteel onderzoek naar de oorzaak van CIAP. Op basis van gesprekken en interviews die we hebben gevoerd komen we tot de volgende (onderzoeks)gebieden waarvan wij zien en/of denken dat er wél voortgang wordt of kan worden geboekt:

- (perifere) zenuwregeneratie;
- neuropathische pijn;
- enkel-voet-orthese-zorg (EVO-zorg) en
- patiëntenregistratie.

Concrete actiepunten

Spierziekten Nederland doet zelf geen onderzoek en financiert dit ook niet. Wel oefenen we invloed uit op de richting van onderzoek en jagen we dit aan. Hierbij willen we ons focussen op de genoemde doorontwikkelgebieden:

- Zenuwregeneratie: in het Pasterkamp Lab (van de afdeling Translationele neurowetenschappen van de Universiteit Utrecht) wordt onderzoek gedaan naar regeneratie van (hersen)zenuwen. Dit onderzoek is met name gelinkt aan de spierziekte ALS. Wij willen nagaan of dit onderzoek uitbreidbaar is naar perifere zenuwen.
- Neuropathische pijn: in het Eijkelkamp Lab (van de afdeling Translationele Immunologie van de Universiteit Utrecht) wordt onderzoek gedaan naar de neuro-immunologie van (chronische) pijn. Wij willen nagaan of en bevorderen dat de belangen van mensen met CIAP kunnen worden meegenomen in dat onderzoek.
- EVO-zorg: we willen overleg voeren met onderzoekers van Amsterdam UMC, innovatieve orthopedische instrumentmakers en ziektekostenverzekeraars (en subsidiegevers zoals ZonMw). In het Amsterdam UMC vinden diverse onderzoeken plaats. Wij willen nagaan of en bevorderen dat orthesen verder ontwikkeld worden en dat de verstrekking simpeler en meer uniform door heel Nederland kan gebeuren, zodat de kwaliteit van orthopedische zorg in heel Nederland gelijkmatiger wordt.

- Patiëntenregistratie: voor fundamenteel onderzoek naar de oorzaken van CIAP is een patiëntenregistratie essentieel. Die is er nu nog niet. Spierziekten Nederland inventariseerde eerder al met verschillende spierziekte-expertisecentra hoe spierziekteregistraties zo goed mogelijk kunnen worden opgezet. Wij willen deze kennis combineren met die van andere expertisecentra/patiëntenverenigingen met ervaring op het gebied van invoering van registratiesystemen en verder overleggen met Erasmus MC en het CIAP-expertisecentrum over de haalbaarheid.

Uitvoering geven aan deze punten betekent overleggen met veel wetenschappers en andere technische mensen. De afwezigheid van financiering wordt vaak als belemmering genoemd. Daarom willen wij ook in overleg treden met instanties om beter te begrijpen hoe financiering loopt en mogelijke blokkades verminderen, zoals met:

- Prinses Beatrix Spierfonds,
- ziektekostenverzekeraars,
- farmaceuten,
- andere patiëntenverenigingen (zoals Diabetesfonds en -vereniging en vergelijkbare organisaties in het buitenland).

De doorontwikkelgebieden en concrete actiepunten zijn geselecteerd op basis van onze huidige inzichten en inschatting van bereikbaarheid. Dat zal de komende tijd om voortdurende kritische evaluatie vragen en tot mogelijke bijstelling leiden, in ieder geval totdat onze doelstellingen zijn bereikt.

Last but not least: wij willen door luider aan de weg timmeren het belang van CIAP beter voor het voetlicht brengen. Dat betekent: veel mensen spreken en hopelijk een beweging veroorzaken, zodat er meer ruimte ontstaat om op overzienbare termijn effectief iets aan deze ziekte te doen.

Heb je vragen, opmerkingen, adviezen e.d.? Neem contact met ons op via Myocafé.