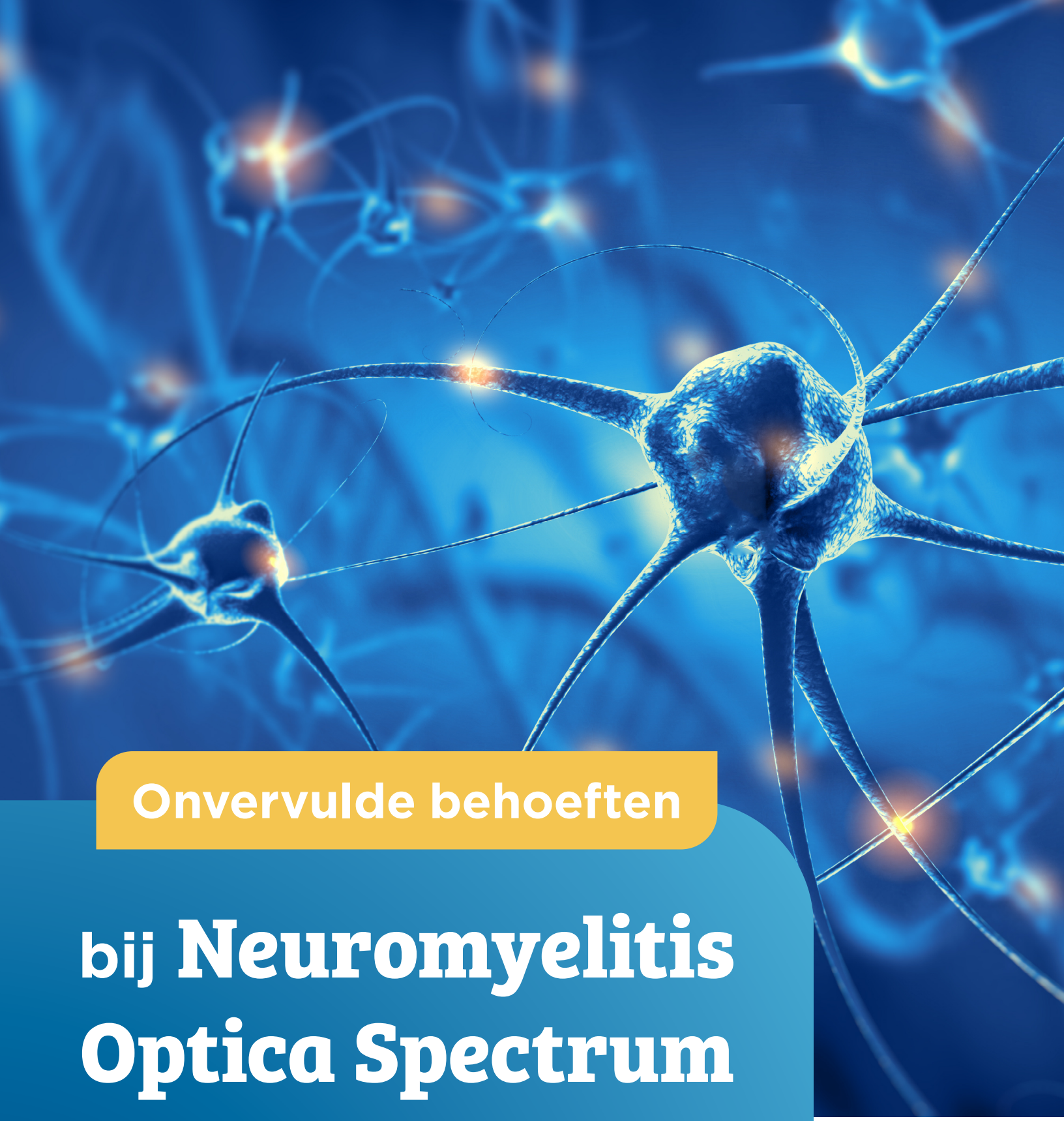


Onvervulde behoeften

bij Neuromyelitis Optica Spectrum Disorders

en Europe

EAfPA
European Alliance for Patient Access

Inleiding

In Europa leven 30 miljoen mensen met een zeldzame ziekte.[1] De weg naar een accurate diagnose is voor velen complex en frustrerend – vooral vanwege het beperkte bewustzijn rond hun ziekte, zelfs bij zorgverleners.

Een van deze zeldzame ziekten is een auto-immuunziekte van het centrale zenuwstelsel die NMO(SD) wordt genoemd, wat voor Neuromyelitis Optica Spectrum Disorders staat. NMO(SD) is een zeldzame auto-immuunziekte van het centrale zenuwstelsel die beschadiging van de oogzenuw en het ruggenmerg veroorzaakt. Deze beschadiging kan leiden tot permanente blindheid, verlamming, controleverlies over darmen en blaas en spierzwakte.[2]

NMO(SD) treft meer dan 10.000 mensen in Europa, maar komt het meest voor bij vrouwen tussen de 30 en 40 jaar. De ziekte treft ook buitenproportioneel mensen van Afrikaanse of Aziatische afkomst.[3,4]

Ondanks de beschikbaarheid van diagnostische tests voor NMO(SD), wordt het vaak verkeerd aangezien voor multiple sclerose.[5] De symptomen van beide ziekten lijken op elkaar. Maar een verkeerde diagnose van NMO(SD) stellen, heeft grote gevolgen voor de patiënten.

NMO(SD) is een ernstige aandoening. Patiënten die helemaal niet of onvoldoende worden behandeld, lopen een hoog risico op blijvende invaliditeit – of erger nog, overlijden.

Om de ernst van NMO(SD) te beperken, moeten de patiënten een tijdige diagnose krijgen. Het is het startpunt voor een effectieve behandeling en kwaliteitszorg. Verschillende belangrijke hindernissen weerhouden patiënten ervan om hun NMO(SD) onder controle te krijgen. Deze zijn:

- **een gebrek aan bewustzijn**
- **een tekort aan specialisten**
- **achterhaalde behandelrichtlijnen**
- **ongelijke toegang tot innovatieve behandelingen**
- **onvoldoende ondersteuning voor mantelzorgers**

Gebrek aan bewustzijn

NMO(SD) is over het algemeen onbekend bij het grote publiek. Zelfs zorgverleners herkennen het zelden, vooral buiten gespecialiseerde centra.

Na een eerste aanval, gekenmerkt door plotseling verlies van gezichtsvermogen en controle over de darmen, belandt de patiënt vaak bij de spoedeisende hulp. Daar voeren clinici tests uit om eventuele afwijkingen te vinden die duidelijkheid kunnen verschaffen over de toestand van de patiënt. De meeste centra beschikken echter zelden over een arts met voldoende kennis van de symptomen van NMO(SD) om deze ziekte accuraat te kunnen herkennen.

Dit leidt tot schubs en herhaaldelijke bezoeken aan de spoedeisende hulp voor NMO(SD)-patiënten, in een poging om te achterhalen wat er aan de hand is.

Een gebrek aan bewustzijn van NMO(SD), met name bij SEH-artsen en huisartsen, is een kritieke onvervulde behoefte. Niet-gediagnosticeerde en onbehandelde symptomen van NMO(SD) kunnen na verloop van tijd verergeren.[2] Wat begint als een plotseling verlies van gezichtsvermogen of van gevoel kan leiden tot verlamming of zelfs de dood.

Stappen vooruit

Bedacht zijn op de ziekte is noodzakelijk voor een optimale patiëntenzorg. Voorlichtingscampagnes die gericht zijn op SEH-artsen en huisartsen kunnen het bewustzijn van NMO(SD) vergroten en een tijdige, nauwkeurige diagnose verbeteren.

“ Een groter bewustzijn van NMO(SD) zal tot betere zorg voor NMO-patiënten leiden. Met meer kennis van de ziekte kunnen zorgverleners patiënten eerder diagnosticeren en behandelen, of naar de juiste centra doorverwijzen voor adequate zorg. ”

Matthias Fuchs,
patiënt
Duitsland

Tekort aan specialisten

Patiënten hebben ook medische zorg nodig van een specialist die bekend is met NMO(SD). Een aantal factoren beperkt echter de toegang van patiënten tot deze zorgverleners.

Een accurate doorverwijzing hangt af van de manier waarop een huisarts de symptomen van de patiënt interpreteert. Vanwege het scala aan symptomen van NMO(SD) kunnen huisartsen patiënten achtereenvolgens doorverwijzen naar verkeerde specialisten – zoals oogartsen, radiologen of gastro-enterologen – voordat ze bij de juiste belanden. Dit van het kastje naar de muur sturen kan een accurate diagnose enkele jaren ophouden.

Overal in Europa is er een tekort aan neurologen die gespecialiseerd zijn in inflammatoire demyeliniserende auto-immuunziekten. Patiënten moeten soms een hele dag met de auto, of zelfs een vliegtuig pakken, om de juiste specialist te zien. En omdat er slechts weinig specialisten zijn die NMO(SD) behandelen, krijgen veel patiënten een wachtlijst te verduren voordat ze zelfs een voet tussen de deur krijgen.

Een deskundige specialist zal proactief een scala aan gespecialiseerde tests uitvoeren, waaronder MRI, CT-scans en screening van AQP4-IgC-antilichamen, die zeer specifiek zijn voor NMO(SD).[6] Specialisten kunnen ook optimale behandelingen voorschrijven die toekomstige aanvallen voorkomen en het risico op invaliditeit door NMO(SD) verminderen.

Stappen vooruit

Omdat de beschikbaarheid van gespecialiseerde neurologen beperkt is, moeten NMO(SD)-patiënten alternatieven hebben om hun medische afspraken consistent te kunnen nakomen. Zo bijvoorbeeld moeten patiënten die een lange afstand moeten afleggen voor specialistische zorg telezorg aangeboden krijgen. Daarnaast moeten specialisten, na de diagnose van NMO(SD) te hebben gesteld bij een patiënt, de zorg coördineren en alle leden van het zorgteam informeren.

“We zien regelmatig de impact van een gebrek aan opgeleide specialisten in NMO: lange wachttijden, grote afstanden afleggen om de juiste arts te zien en soms vertraging bij de diagnose omdat de ziekte niet altijd wordt herkend door de eerste specialist die je ziet. Dit alles kan bijdragen aan de negatieve impact van de zieke en extra stress voor patiënten.”

Camilla Bohm Coleman, ***patiënt, Zweden***

Achterhaalde behandelrichtlijnen

Behandelrichtlijnen en consensusverklaringen brengen de medische gemeenschap op één lijn over de beste diagnose en behandeling van ziekten. Ze zijn ook belangrijk voor beleidsmakers en verzekeraars bij het ontwikkelen van dekkingspolissen en formularia.

De laatste publicatie van de huidige Europese behandelrichtlijnen voor de diagnose en behandeling van NMO(SD) dateert van 2010.[7] Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft sindsdien echter therapieën goedgekeurd – waarvan één pas in 2021 – om schubs bij NMO(SD)-patiënten te verminderen en blijvende invaliditeit te voorkomen.

Zonder bijgewerkte richtlijnen hebben patiënten geen toegang tot deze innovatieve behandelingen. En clinici blijven onbekend met optimale diagnose- en behandeltrajecten voor NMO(SD)-patiënten die ze tegenkomen. Naarmate deze instrumenten evolueren, moeten deze om de wetenschappelijke vooruitgang te weerspiegelen toegankelijk zijn voor mensen buiten het zorgstelsel, met name belangengroepen en patiënten.

Belangenorganisaties en patiëntenverenigingen sturen educatieve instrumenten en berichten door naar patiënten. Zij zijn de belangrijkste stem in gesprekken met beleidsmakers bij het pleiten voor toegang tot patiëntgerichte zorg.

Stappen vooruit

Nu de Europese behandelrichtlijnen voor NMO(SD) zijn bijgewerkt met nieuwe therapieën, is er nog meer behoefte aan het ontwikkelen en verspreiden van educatief materiaal dat duidelijk te begrijpen en toegankelijk is voor patiënten en beleidsmakers. Het perspectief van de patiënt meenemen in de ontwikkeling van richtlijnen zal er ook voor zorgen dat de aanbevelingen patiëntgericht zijn.

“Het bijwerken van de Europese NMO(SD)-behandelrichtlijnen zal ervoor zorgen dat patiënten over nieuwe onderbouwde medicijnen kunnen beschikken. Nog belangrijker is dat NMO-patiënten betrekken bij toekomstige gesprekken over richtlijnen, ervoor zorgt dat ze patiëntgericht zijn en de inspanningen en het bewustzijn van NMO(SD) bij patiënten, zorgverleners, beleidsmakers en het grote publiek helpt te vergroten.”

Professor Dr. Romain Marignier,
NMO-specialist, Frankrijk

Inconsistente toegang tot innovatieve behandelingen

Goedkeuring van nieuwe therapieën door de Europese Commissie garandeert niet dat patiënten er toegang toe hebben. De behandelingen voor NMO)S(SD) kunnen, zoals de meeste voor zeldzame ziekten, duur zijn.

Overheden en zorgstelsels in landen in heel Europa kunnen besluiten dat de behandelingen niet kosteneffectief zijn. In dat geval wordt de toegang voor patiënten bijna onmogelijk.

Om hierin hun weg te vinden, moeten patiënten en belangenorganisaties vroegtijdig en vaak contact leggen met instanties voor de beoordeling van gezondheidstechnologie. Deze instanties doen aanbevelingen betreffende therapieën die de zorgstelsels kunnen financieren of vergoeden. Hun processen kunnen lastig te volgen zijn en staan niet altijd open voor de inbreng van belangenbehartigers en patiënten. De definities van waarde en kosteneffectiviteit, en zodoende ook de toegankelijkheid voor de patiënt, verschillen ook nog eens per land.

> **“Een passende behandeling is essentieel om een bevredigend leven te leiden met NMO(SD).”**
>
> **Christiaan Waters,**
> ***patiënt, Nederland***

Patiënten bieden belangrijke perspectieven op de waarde en de behoeften voor het behandelen van NMO(SD).

Stappen vooruit

Het perspectief van de patiënt moet worden meegenomen in de besluitvorming van instanties voor de beoordeling van gezondheidstechnologie. NMO(SD)-patiënten kunnen met succes contact leggen met deze instanties als ze over de instrumenten en middelen beschikken om ze te begrijpen.

Patiënten hebben de macht om beleidsmakers te laten weten wat de waarde is van toegang tot zorg voor mensen met NMO(SD).

Geringe ondersteuning voor mantelzorgers

Patiënten met NMO(SD), en dan vooral deze met blijvende beperkingen, kunnen moeilijkheden ondervinden bij dagelijkse taken waarvoor je moet kunnen zien en bewegen. Dit kan problemen veroorzaken met zelfstandig wonen en ondersteuning van familie en mantelzorgers noodzakelijk maken.

Het zorgstelsel ziet de rol van familieleden en mantelzorgers echter vaak over het hoofd. Om NMO(SD)-patiënten adequaat te kunnen ondersteunen, moeten mantelzorgers soms hun eigen prioriteiten laten schieten. Dit kunnen hun baan, gezinsbehoeften, sociale activiteiten en persoonlijke verplichtingen zijn.

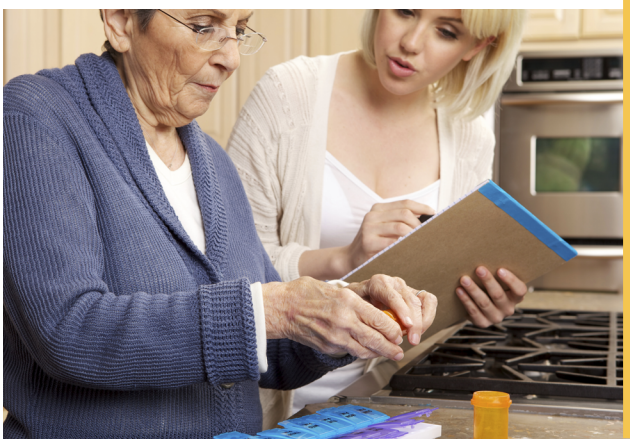
En dit kan zowel financieel als emotioneel aanzienlijke stress veroorzaken voor mantelzorgers. Om een patiënt met beperkingen door NMO(SD) adequaat te kunnen helpen, moeten mantelzorgers ook zelf worden geholpen.

Belangrijke leden van zorgteams voor patiënten en mantelzorgers hebben ook educatieve instrumenten nodig om de behoeften van patiënten met NMO(SD) volledig te begrijpen. Emotionele steun is ook van cruciaal belang terwijl mantelzorgers door de verantwoordelijkheden van het leven navigeren en tegelijkertijd fulltime voor hun dierbaren zorgen.

Stappen vooruit

Niet alleen NMO(SD)-patiënten, maar ook familieleden en mantelzorgers hebben meer toegankelijke educatieve instrumenten en middelen nodig. Ziekenhuizen en gespecialiseerde centra moeten hen erkennen als essentiële leden van het zorgteam van een patiënt. Alles moet in het werk worden gesteld om hen succesvol te maken. Hierbij kan worden gedacht aan:

- hen doorverwijzen naar steungroepen,
- het delen van gemakkelijk te begrijpen leermiddelen, en
- het voorzien van een aanspreekpunt in het ziekenhuis of gespecialiseerd centrum voor NMO(SD).



“ Mantelzorgers hebben evenveel toegang als de patiënt nodig tot hoogwaardige informatie en bronnen over NMO omdat het belangrijk is dat ze samen als een team werken. ”

Souad Mazari, oprichter,
Association NMO France, Frankrijk

Conclusie

Patiënten met NMO(SD) in Europa hebben onvervulde behoeften waardoor ze geen adequate zorg krijgen. Buiten gespecialiseerde kringen is hun ziekte weinig bekend. Als NMO(SD) niet wordt gediagnosticeerd en niet wordt behandeld, bestaat er een hoog risico op blijvende invaliditeit en, in sommige gevallen, overlijden.

Beleidsmakers moeten de hindernissen aanpakken waarmee patiënten worden geconfronteerd. In eerste instantie kunnen ze:

- zich op SEH-artsen en huisartsen richten met voorlichtingscampagnes over NMO(SD);
- mogelijkheden voor telezorg verbeteren zodat patiënten toegang hebben tot essentiële specialisten die zich op een lastige afstand bevinden;
- richtlijnen herzien en duidelijk en gemakkelijk te begrijpen maken voor patiënten en mantelzorgers;
- instanties voor de beoordeling gezondheidstechnologie aanmoedigen om het perspectief van de patiënt mee te nemen in hun beslissingen;
- mantelzorgers als essentiële leden van de behandelteams van patiënten behandelen.

Deze problemen aanpakken kan het begrip van NMO(SD) aanzienlijk verbeteren, de toegang tot behandelingen vergroten en zorgmogelijkheden openen.

Referenties

1. *Wakap SN, Lambert DM, Olry A, et al. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. European Journal of Human Genetics. (2020) 28:165-173. doi: 10.1038/s41431-019-0508-0.*
2. *Wingerchuk DM, Hogancamp WF, O'Brien PC, Weinshenker BG. The clinical course of Neuromyelitis Optica (Devic's Syndrome).Neurology. (1999) 53:1101–14. doi: 10.1212/wnl.53.5.1107.*
3. *Kingwell E, Marriott JJ, Jetté N, Pringsheim T, et al. Incidence and prevalence of multiple sclerosis in Europe: a systematic review. BMC Neurol. (2013) 13:128. doi: 10.1186/1471-2377-13-128*
4. *Hor JY, Asgari N, Nakashima I. Epidemiology of Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder and Its Prevalence and Incidence Worldwide. Frontiers in Neurology. (2020) 11:501. doi: 10.3389/fneur.2020.00501.*
5. *Villa A, Fernanzez V, Melamud L. Neuromyelitis optica misdiagnosed as multiple sclerosis: a hospital-based study. ECTRIMS Online Library. (2018) P978.*
6. *Lennon VA, Wingerchuk DM, Kryzer TJ, et al. A serum autoantibody marker of neuromyelitis optica: distinction from multiple sclerosis. Lancet. (2004) 364:2106–12. doi: 10.1016/S0140-6736(04)17551-X.*
7. *Sellner J, Boggild M, Clanet M, et al. EFNS guidelines on diagnosis and management of neuromyelitis optica. Eur J Neurol. (2010) 17(8):1019–1032. doi: 10.111/j.1468-1331.2010.03066.x.*

EAfPA
European Alliance for Patient Access

Over de European Alliance for Patient Access

De European Alliance for Patient Access is een divisie van de Global Alliance for Patient Access, een internationaal platform voor zorgverleners en belangenbehartigers van patiënten voor het aangaan van een beleidsdialoog over patiëntgerichte zorg.

GAfPA.org

De European Alliance for Patient Access dankt sponsor Horizon Therapeutics voor zijn ondersteuning.