

NVvH registratie aplastische anemie

prospectieve observationele studie



nieuwsbrief, juli 2016

Introductie

Dit is de vijfde editie van de nieuwsbrief over de NVvH registratie Aplastische Anemie. Sinds januari 2014 worden gegevens verzameld van volwassen patiënten met verworven aplastische anemie die in eerste lijn behandeld worden met antithymocyten globuline (ATG) of een allogene stamceltransplantatie. We versturen deze nieuwsbrief naar geïnteresseerden om u op de hoogte te houden van de gang en stand van zaken rond het register.

De registratie vindt plaats teneinde de in 2013 opgestelde richtlijnen voor diagnose en behandeling van verworven aplastische anemie bij volwassenen te evalueren op respons, overleving en bijwerkingen. Het streven is om **alle** in Nederland behandelde patiënten die aan de inclusiecriteria voldoen te registreren. Op deze wijze hopen we de zorg voor patiënten met deze zeldzame aandoening te kunnen optimaliseren.

Resultaten

De eerste analyses van gegevens in het register hebben al belangrijke resultaten opgeleverd. Hematoloog in opleiding in het LUMC Jennifer Tjon heeft hier een presentatie over gehouden tijdens het Nederlandse Hematologie Congres in Papendal. Een mede hierop gebaseerd manuscript is onlangs verstuurd naar het British Journal of Haematology als reactie op de in november 2015 verschenen nieuwe [britse richtlijnen](#) voor behandeling van aplastische anemie bij volwassenen. Het manuscript omvat een analyse van de toxiciteit van ATG bij de oudere patiënten (>60 jaar) en stelt dat leeftijd noch comorbiditeit een absolute contra-indicatie vormen voor behandeling met ATGAM en cyclosporine bij patiënten met een verworven aplastische anemie.

Contactpersoon

Saskia Sypkens Smit heeft een nieuwe uitdagende baan gevonden en zal daarom stoppen met haar werkzaamheden voor het register. We willen Saskia bedanken voor de geweldige wijze waarop zij heeft geholpen met het opstarten en onderhouden van het register aplastische anemie. De nieuwe contactpersoon is Hedwig Stuivenberg. Zij is bereikbaar middels het bekende e-mailadres aplastischeanemie@lumc.nl. Voor telefonisch contact belt u vanaf nu met 071-5265910.



Invoer van gegevens

Er zijn grote vooreringen gemaakt met de database die de oude op het SharePoint moet gaan vervangen. De nieuwe database wordt nu nog getest en aangepast. De data-invoer blijft dus nog zoals hij was, online via de database op het SharePoint, of middels de CRF-formulieren die op het SharePoint te vinden zijn. De online database is ook beschikbaar voor het inzien van de ingevoerde gegevens.

Update RACE

In Leiden zijn inmiddels twee patiënten behandeld in de RACE studie (ATGAM en cyclosporine met of zonder Eltrombopag als eerstelijnsbehandeling van ernstige aplastische anemie). In academische centra in Utrecht, Groningen en Amsterdam (AMC) zal de studie op korte termijn ook geopend worden. In deze studie zowel de Eltrombopag als de ATGAM ter beschikking gesteld worden door GSK/Novartis en Pfizer.

Eltrombopag

Eltrombopag is recent geregistreerd als tweedelijnsbehandeling bij aplastische anemie na falen op ATG voor patiënten die niet in aanmerking komen voor een allogene stamceltransplantatie. Eerder al gaf het Zorg Instituut Nederland al een positief advies met betrekking tot de vergoeding van Eltrombopag. Dit advies was mede gebaseerd op het feit dat we in 2013 richtlijnen voor de behandeling van aplastische anemie hebben opgesteld en op het feit dat we dankzij het NVvH register Aplastische Anemie enig inzicht konden geven over het aantal patiënten dat in aanmerking zou kunnen komen voor behandeling met eltrombopag. Hiervoor dank aan jullie allen!

Per 1 mei dienen zorgverzekeraars het te vergoeden. De artsenverklaring voor eltrombopag wordt aangepast maar tot dan kun je desgewenst de "overige indicatie" zelf "aplastische anemie" toevoegen aan de huidige versie.

Van patiënten met aplastische anemie die met eltrombopag behandeld wordt voegen we graag de gegevens toe aan het NVvH register. Op deze wijze hopen we inzicht te krijgen in de effectiviteit en veiligheid van deze behandeling. Voor up-to-date informatie over de mogelijkheden tot vergoeding van eltrombopag en om patiënten die behandeld worden of werden met eltrombopag aan te melden kunt u ons [mailen](mailto:aplastischeanemie@lumc.nl).