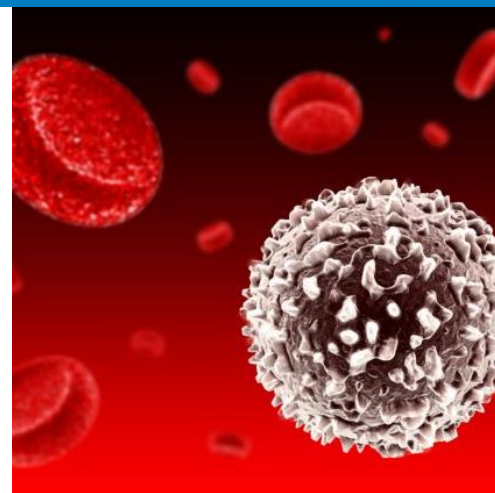


Aplastische anemie

De Nederlandse ervaring

Jennifer Tjon, hematoloog
Iris Lommerse, hematoloog in opleiding
LUMC

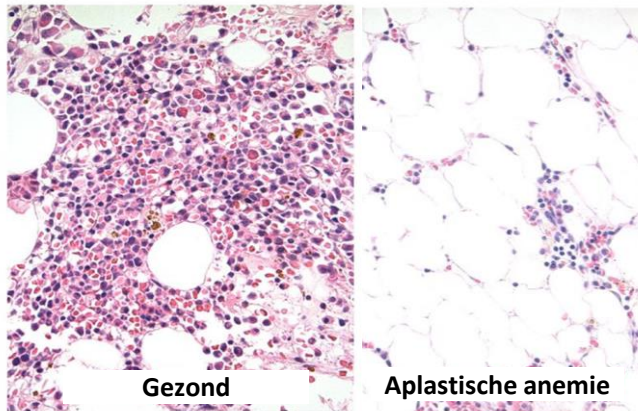


Aplastische anemie is een zeldzame bloedziekte



Zeldzaam

35-40 mensen per jaar



Gezond

Aplastische anemie

“Leeg” beenmerg

Verminderde bloedcelaanmaak
Waardoor lage **rode bloedcellen**
bloedplaatjes en **witte bloedcellen**

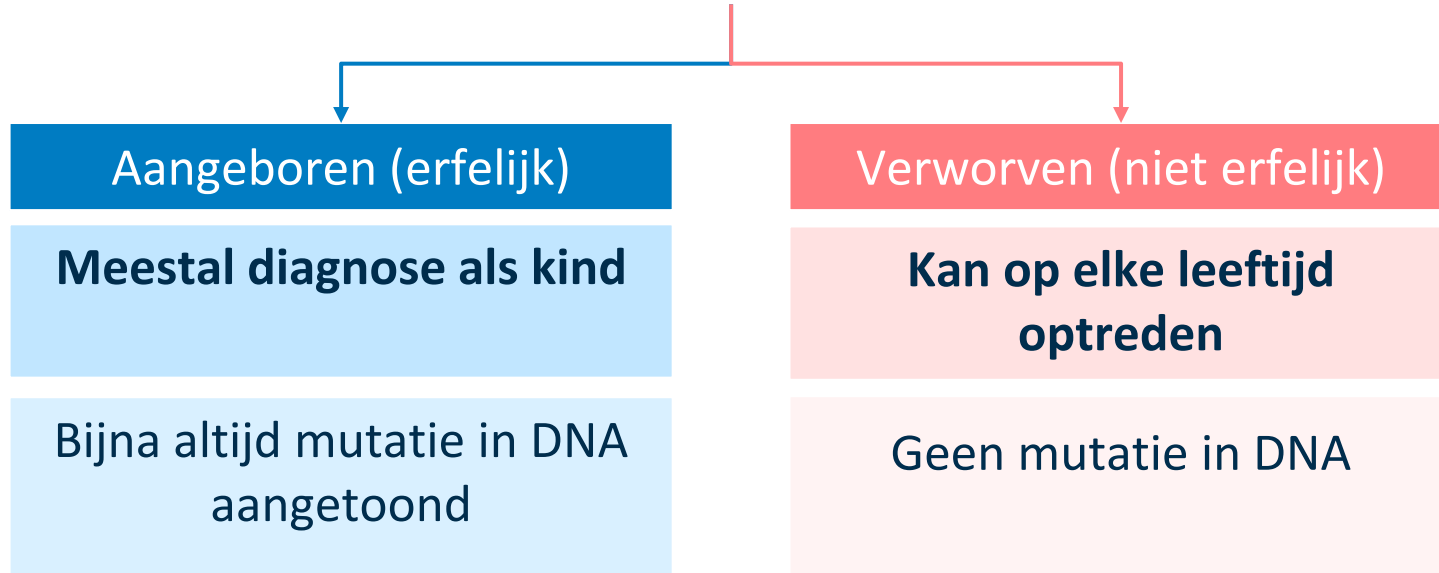


Klachten

Infecties
Bloedingen
Vermoeidheid

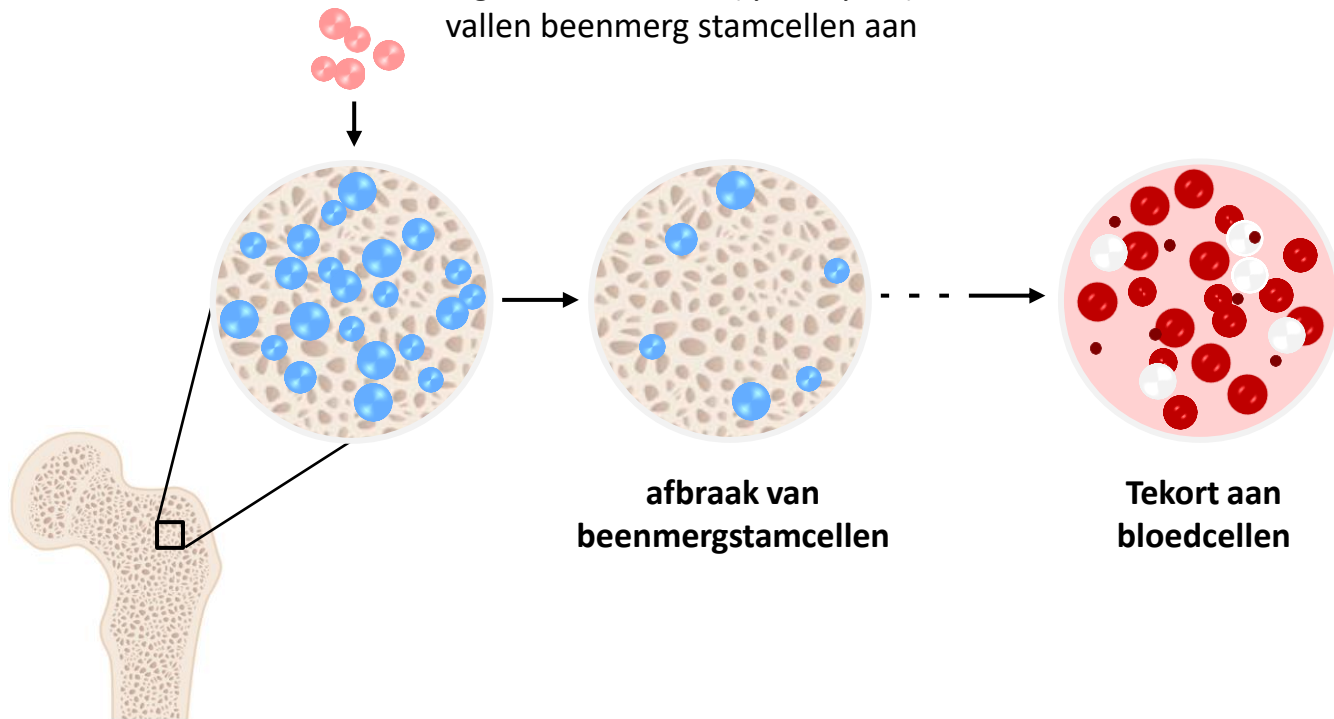
Aplastische anemie ontstaanswijze

Verminderde productie bloedcellen



Verworven aplastische anemie

Auto-immuun reactie:
Eigen afweercellen (lymfocyten)
vallen beenmerg stamcellen aan



Klachten
Infecties
Bloedingen
Vermoeidheid

Aplastische anemie: behandeling

- Bijna nooit spontane verbetering
- Bij zeer lage bloedgetallen liever niet te lang wachten met behandeling ivm kans op infecties/bloedingen

Behandeling volgens Nederlandse richtlijn

Aangeboren

Allogene stamceltransplantatie

Verworven

<40 jaar

Allogene
stamceltransplantatie

>40 jaar / geen donor

Afweeeronderdrukkende
medicijnen (ATG en
ciclosporine)



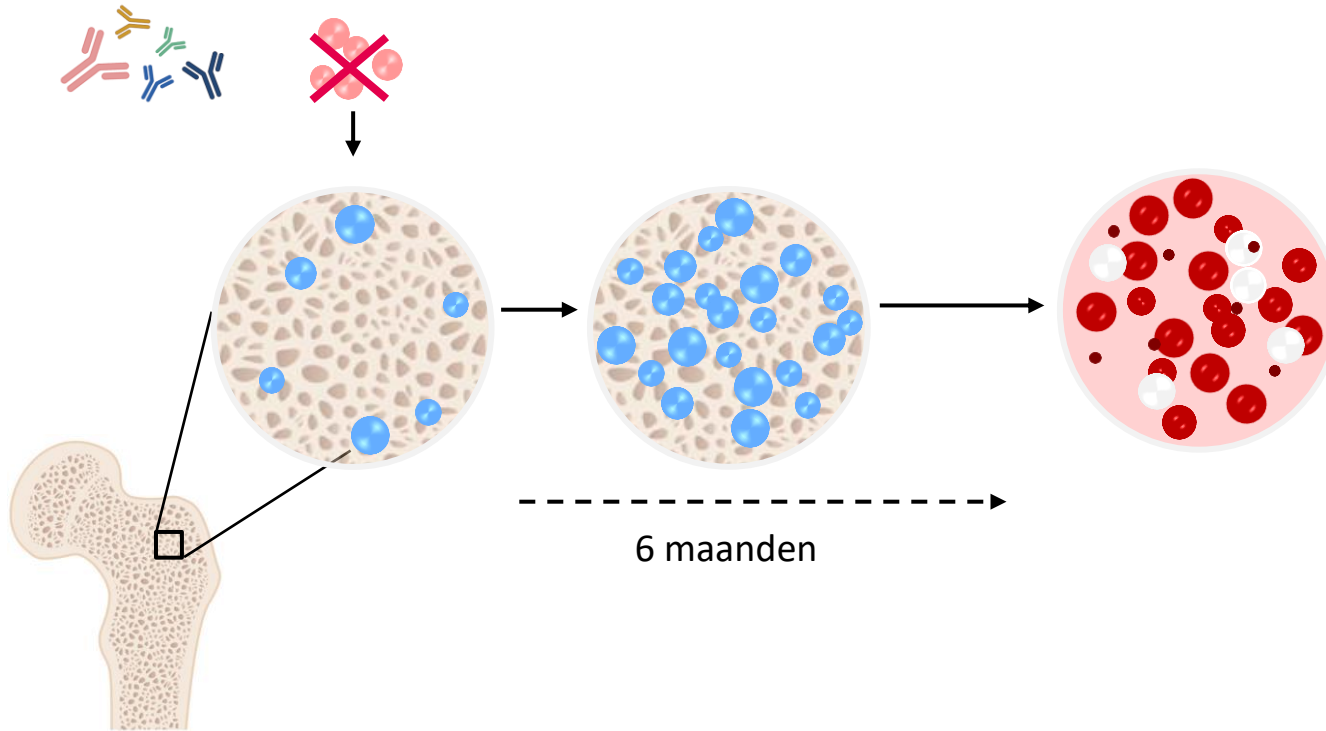
**Meestal ATG en ciclosporine de eerste lijn
behandeling voor verworven AA**

Anti-thymocytenoglobuline (ATG)

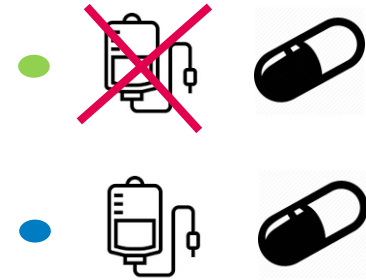
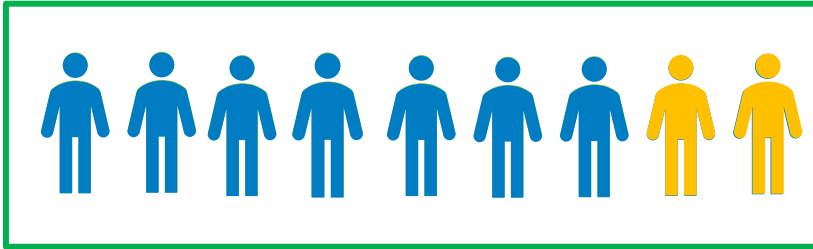
- Doel: verwijderen van de lymfocyten die de beenmerg stamcellen afbreken zodat hierna de bloedcelaanmaak kan herstellen
- ATG wordt gemaakt door een dier te injecteren met menselijke lymfocyten
- Als reactie zal dit dier antistoffen maken tegen deze menselijke lymfocyten
- Deze antistoffen worden uit het dier gezuiverd

Paard-ATG = ATGAM

ATGAM en Ciclosporine



Uitkomsten na ATGAM behandeling in Nederland



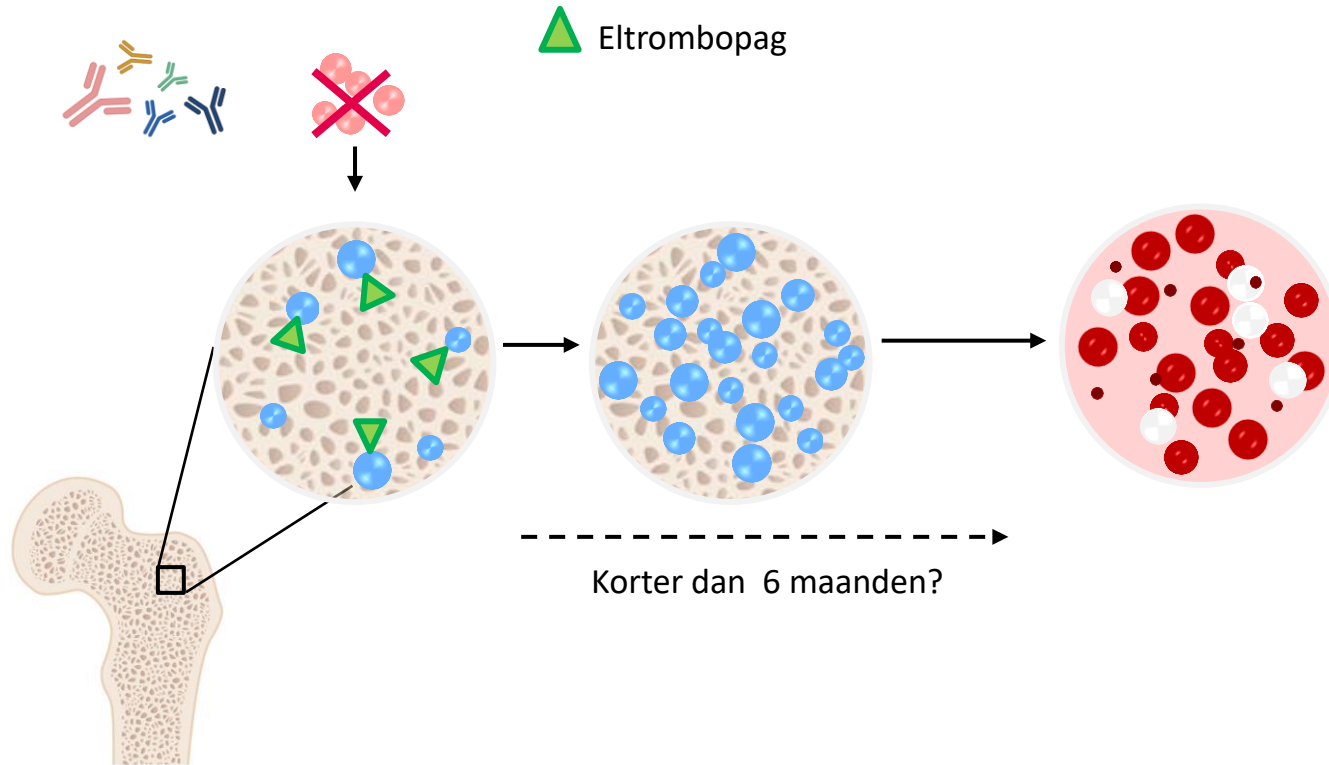
6 maanden:

- Meerderheid geen transfusies, wel ciclosporine
- Deel volgende lijn behandeling: **Eltrombopag of toch Stamceltransplantatie**

Op lange termijn:

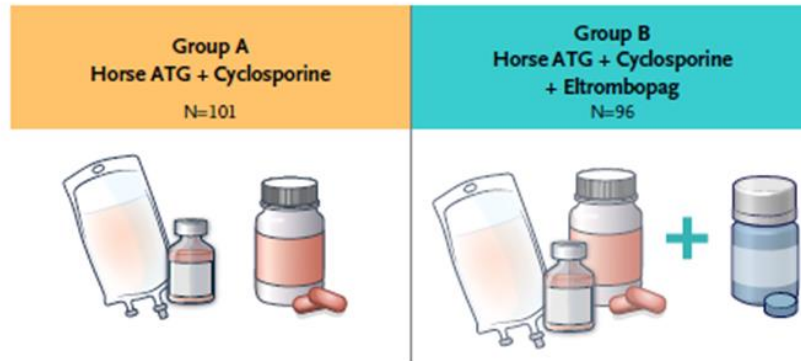
- Meerderheid geen transfusies en ook geen medicatie meer nodig
- Klein deel lage dosis medicatie nodig voor stabiele bloedwaarden

Eltrombopag: “groeifactor” voor stamcellen



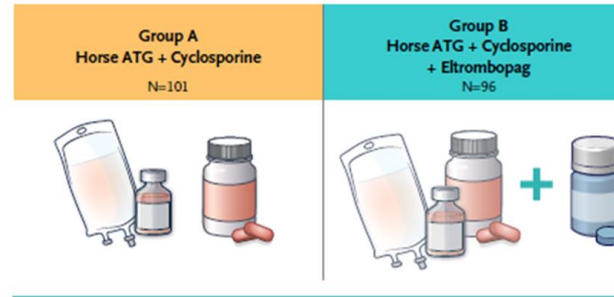
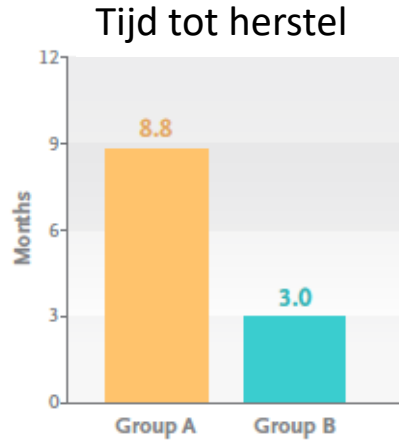
RACE studie (Europese studie, deelname NL)

Leidt het toevoegen van Eltrombopag aan behandeling met ATGAM en ciclosporine tot sneller/beter herstel van de bloedwaarden?



24 ziekenhuizen in 6 landen

RACE studie



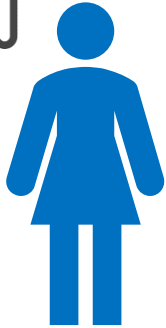
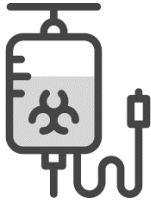
- Sneller herstel van de bloedwaarden met eltrombopag
- Uitkomsten na 2 jaar hetzelfde in beide groepen
- Nog weinig kennis over bijwerkingen op lange termijn (studie duurde 2 jaar)

Advies Richtlijn versie 2024

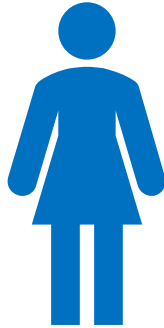
“De werkgroep adviseert om Eltrombopag niet standaard toe te voegen aan eerste lijn IST met ATGAM en ciclosporine.

Hier kan op individuele basis van worden afgeweken wanneer het gewenst is snel herstel van de bloedwaarden te verkrijgen, zoals bij een zeer ernstige aplastische anemie met hoog infectierisico of bloedingsrisico”

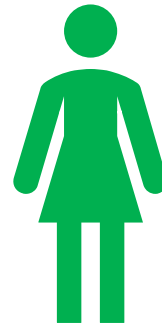
Stamceltransplantatie



Chemotherapie
Immunotherapie
Bestraling



Toediening stamcellen



Nieuw bloedsysteem

Voordeel:
Nadeel:

Herstel van bloedwaarden < 1-2 maanden
Bijwerkingen door chemo/bestraling
Kans op (omgekeerde) afstotingsreactie

Kwaliteit van leven na behandeling voor AA

Conclusie: behandeling voor AA in NL succesvol in herstel van bloedwaarden. MAAR...

Terugkerend thema in de spreekkamer/via belrondes van de patientenvereniging:

- Aanhoudende vermoeidheid, concentratiestoornissen, moeite met conditie opbouw zelfs als de bloedwaarden “normaal” zijn



Wat weten we van kwaliteit van leven bij AA?

- Voor iedere 'groep' andere factoren van belang
- Van oudsher vooral vragenlijsten voor kanker
- Tot voor kort: geen vragenlijst voor AA/PNH beschikbaar
- Belangrijk vanwege:
 - Kennis: Waar zitten de pijnpunten?
 - Inzet van gerichte ondersteuning, toegespitst op de persoon
 - Vergelijken behandelingen met QoL als uitkomstmaat
 - Voorlichting over verwachtingen ten aanzien van QoL gedurende behandeltraject



Ziekte specifieke vragenlijst: QIQ-AA/PNH-54*

54 multiple choice vragen

12 domeinen →

4 antwoordopties:

- Helemaal niet
- Een beetje
- Veel
- Zeer veel

Fysiek georiënteerde domeinen	Psychologisch georiënteerd domeinen
Vermoeidheid (FA)	Vertrouwen in eigen lichaam (BI)
Infecties (IN)	Cognitief functioneren (CF)
Fysiek functioneren (PF)	Emotioneel functioneren (EF)
Andere symptomen (OS)	Aanwezigheid van ziekte in dagelijks leven (II)
	Functioneren in verwachte 'rol' (RF)
	Sociale steun (SS)
	Stigmatisering (ST)
	Angst voor progressie (PAF)

Kwaliteit van leven onderzoek in LUMC

- QLQ-AA/PNH-54 vragenlijst vertaald naar Nederlands
- Iedereen met AA in LUMC na ATGAM + ciclosporine aangeschreven
- Lijst retour van 86% (36) van de 42
- Gemiddeld 10 minuten invultijd

	Gehele groep (n = 36)
Leeftijd	
Gemiddeld	50,2 ; (SD 14,1)
Range	(21 -71)
Geslacht	
Vrouw	17 (46,2%)
PNH kloon aanwezig	
Ja	15 (42%)
Aantal jaar na IST	
Gemiddeld	10,7 (SD 13,0)
Range	(0 – 41)

Resultaten

- 36 mensen met AA op willekeurig moment na ATGAM behandeling
- Invloed ziekte op QoL, ook jaren na behandeling
- Vermoeidheid bij meesten
- Vaak zorgen over toename ziekte



Last van vermoeidheid (%)

Wat weten we nu nog niet?

- Wat is de invloed van tijd op QoL?
(waar in behandeltraject meet je?)
- Hoe is de QoL na stamceltransplantatie?
- Hoe is de QoL van mensen met AA in heel NL
- Aanvullend onderzoek nodig, daarom:



Prospective Evaluation of Aplastic anemia: Real Life outcomes in the Netherlands

- Alle ziekenhuizen in Nederland waar behandeling voor aplastische anemie wordt gegeven
- Onderzoek naar uitkomsten van AA, óók kwaliteit van leven
- Vanaf vaststellen Aplastische anemie iedere 3 maanden follow up (ook vragenlijst)
- Na het eerste jaar - jaarlijks
- Óf als al iemand al langer bekend is met AA - twee metingen QoL (bij deelname en half jaar hierna)
- Kortom: iedereen met AA mag meedoen
- Meedoen? Vraag naar PEARL-NL bij je behandelend hematoloog
- Vragen? Mail naar aplastischeanemie@lumc.nl



Hoe is het met jullie kwaliteit van leven?

Doe mee en scan de QR-code

Oók voor meegekomen familie of vrienden!

Resultaten in volgende nieuwsbrief



<https://tinyurl.com/54Vragen>

Dank voor jullie aandacht!



aplastischeanemie@lumc.nl