

De Verklaring van Brussel over ADPKD

Autosomaal dominante polycysteuze nierziekte (ADPKD) is een chronische en progressieve erfelijke ziekte, waarbij er sprake is van cystegroei in de nieren en andere organen.¹ ADPKD is een van de meest voorkomende levensbedreigende erfelijke ziekten en de voornaamste oorzaak van nierfalen. Het is een complexe en ongeneeslijke ziekte, die een uiteenlopende en vaak diepgaande fysieke en psychische impact heeft op de getroffen patiënten en hun families. De behandeling van de ziekte is duur, met name omdat er vaak dialyse of een transplantatie nodig is. De impact van ADPKD wordt regelmatig onderschat door zorgverleners en andere betrokkenen.

ADPKD brengt een unieke combinatie van uitdagingen met zich mee, waar beleidsmakers en zorgverleners rekening mee moeten houden. Daarom heeft het European ADPKD Forum (EAF) de Verklaring van Brussel over ADPKD uitgegeven. Deze verklaring doet een aantal beleidsgerichte aanbevelingen om in de on vervulde behoeften van patiënten te kunnen voorzien en de toegang tot hoogwaardige zorg voor alle patiënten met ADPKD in Europa te verbeteren.

Aanbeveling 1: Overheden moeten de ontwikkeling van een landelijk gecoördineerde, trapsgewijze aanpak van ADPKD-zorg ondersteunen, en daarbij samenwerken met experts, patiëntenorganisaties en andere betrokken partijen.

Patiënten met ADPKD hebben gedurende hun hele leven gespecialiseerde diagnostische, therapeutische en preventieve gezondheidszorg nodig van verschillende zorgverleners. Alle patiënten zouden dan ook toegang moeten hebben tot een in ADPKD gespecialiseerd nefrologiecentrum, waar multidisciplinaire, patiëntgerichte zorg kan worden verstrekt op basis van klinische behoefte. Gecoördineerde gespecialiseerde zorg zal de efficiëntie van de zorgverlening waarschijnlijk verbeteren. Een duidelijk verwijzingsproces is hierbij belangrijk.

Aanbeveling 2: Een uitgebreid Europees netwerk van ADPKD-referentiecentra zou verder onderzoek ten goede komen en het opzetten van geharmoniseerde, geïntegreerde en patiëntgerichte zorgpaden faciliteren.

Hoewel we erkennen dat er al heel wat is bereikt², blijven we voorstander van een voortdurende dialoog tussen alle betrokken partijen. Zo kan er verder worden gewerkt aan een netwerk van Europese ADPKD-referentiecentra, om gecoördineerd onderzoek en de ontwikkeling en implementatie van beste praktijken te faciliteren.

Aanbeveling 3: De Europese Commissie en nationale regeringen zouden onderzoek moeten stimuleren naar behandelingen voor ADPKD die het ziekteverloop kunnen beïnvloeden, de kwaliteit van leven kunnen handhaven, de achteruitgang van de nieren kunnen vertragen, de levensverwachting van patiënten kunnen verbeteren en de economische impact op de gezondheidszorg kunnen verminderen.

Aanbeveling 4: Overheden en zorgverleners zouden de implementatie moeten ondersteunen van methoden waarmee de prognose van patiënten met ADPKD routinematig kan worden geëvalueerd. Zo komt deze informatie beschikbaar voor klinische besluitvorming, onderzoek en innovatie.

Aanbeveling 5: Alle betrokken partijen, met inbegrip van de Europese Commissie, nationale overheden en zorgverleners, zouden zich moeten inspannen om individuele patiënten met ADPKD en hun families beter te informeren. Daarnaast dienen ze patiëntenorganisaties te betrekken bij de beleidsvorming op het gebied van planning en verstrekking van ADPKD-gerelateerde zorg.

Aanbeveling 6: Instanties die zorgtechnologie beoordelen ('Health Technology Assessment (HTA) organisations'), zouden patiënten en patiëntenorganisaties meer moeten betrekken bij hun evaluaties. Op deze manier kunnen patiënten hun unieke kennis over de gevolgen van het leven met ADPKD en hun behoeften met betrekking tot nieuwe behandelingen delen, overeenkomstig de internationale HTA-kwaliteitsnormen voor de betrokkenheid van patiënten bij HTA.

Wat is ADPKD?

ADPKD is een complexe ziekte waarbij in de nieren en andere organen, met name de lever¹, met vloeistof gevulde blaasjes - cysten - groeien en zich vermenigvuldigen. Aangedane nieren kunnen vele malen groter worden dan bij gezonde mensen en patiënten ervaren verschillende symptomen, waaronder pijn, bloedingen en infecties in de cysten. Uiteindelijk treedt bij de meeste patiënten nierfalen op. Belangrijk is dat patiënten met ADPKD ook geneigd zijn om een hoge bloeddruk en hart-en vaatziekten te ontwikkelen.³ De ziekte kan zowel bij volwassenen als bij kinderen worden gediagnosticeerd.

Er bestaat geen goedgekeurde behandeling voor ADPKD zelf. Vaak worden er bepaalde maatregelen genomen om de groei van de cysten te vertragen, maar geen enkele methode is bewezen doeltreffend. Patiënten moeten vaak worden behandeld voor de pijn en andere ziekteverschijnselen en complicaties.¹ Ze krijgen ook medicijnen om cardiovasculaire aandoeningen te voorkomen.³ Op Europees niveau bestaan er echter geen wetenschappelijk onderbouwde richtlijnen. Uiteindelijk hebben de meeste patiënten een niertransplantatie of dialyse nodig, gemiddeld nog voor ze 60 worden.^{4,5}

Welke gevolgen heeft ADPKD voor patiënten?

ADPKD heeft levenslange fysieke en psychische gevolgen, die de kwaliteit van leven en het welzijn kunnen verminderen. Zelfs in de vroege stadia van de ziekte ervaren de meeste patiënten symptomen die hun werk, lichamelijke activiteiten of sportbeoefening beïnvloeden.⁶ ADPKD kan een diepgaande emotionele impact hebben en gevoelens van verlies, onzekerheid en angst⁶ met zich meebrengen, die gepaard kunnen gaan met angstaanvallen of depressie. ADPKD kan een nadelige invloed hebben op verschillende andere aspecten van het leven, zoals het afsluiten van ziektekosten- of levensverzekeringen of hypotheek, en gezinsplanning. De impact van ADPKD op patiënten en hun familieleden wordt door zorgverleners en andere betrokkenen vaak onderschat.

Wat kost ADPKD?

Patiënten met ADPKD maken gedurende hun hele leven zorgkosten, omdat ze vaak ambulante zorg en ziekenhuisopnamen nodig hebben. De kosten stijgen

"ADPKD is een ziekte die mijn werkgevers niet lijken te begrijpen. Het is heel frustrerend om de ziekte en de gevolgen ervan uit te leggen... duidelijk te maken hoe vermoeid ik ben en hoeveel pijn ik heb gehad. Zelfs met de artsen op de afdeling spoedeisende hulp kan het moeilijk zijn... velen van hen hebben sinds hun medische opleiding zelfs nooit meer iets gehoord over polycysteuze nierziekte."

Justin, UK

snel wanneer dialyse of transplantatie noodzakelijk wordt.⁷ ADPKD is verantwoordelijk voor één op de 10 patiënten in Europa die deze behandelingen moeten ondergaan. Dat zijn ongeveer 50.000 patiënten en een bedrag van 1,5 miljard euro per jaar.⁸

Onderzoek naar het voorkomen van ADPKD-gerelateerde complicaties zou enorm 'rendabel' kunnen zijn.² Transplantatie is zeer kosteneffectief in vergelijking met dialyse⁸ en investeringen om het aantal transplantaties te verhogen en de wachttijden te verkorten zullen naar verwachting kostenbesparend zijn.

Onvervulde behoeften - waarom hebben we de Verklaring van Brussel nodig?

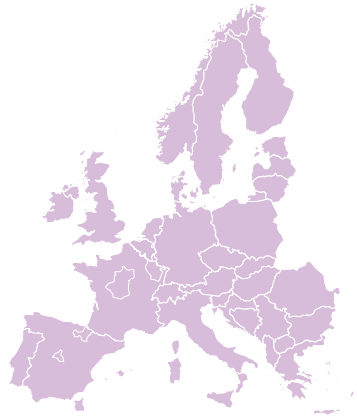
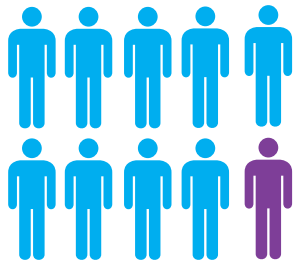
De stichting Kidney Disease: Improving Global Outcomes (KDIGO) publiceerde naar aanleiding van haar Controversies Conference onlangs een rapport⁹ over de onvervulde behoeften op het gebied van ADPKD-zorg. Daarbij rapporteerden KDIGO, en ook het EAF, onder meer de volgende behoeften:

- Alle patiënten met ADPKD zouden toegang moeten hebben tot een nefroloog die goed bekend is met de ziekte. De klinische behandeling van ADPKD kan variëren binnen en tussen de Europese landen. Daarom bestaat er behoefte aan een betere coördinatie van het zorgbeleid en zorgdiensten.
- De optimalisatie en standaardisatie van de behandeling van ADPKD in Europa wordt gehinderd door een gebrek aan wetenschappelijk onderbouwde consensusrichtlijnen en gestandaardiseerde zorgpaden.
- Er is nog geen consensus over de beste manier om de prognose te voorspellen. Lopend onderzoek heeft tot doel modellen te ontwikkelen waarmee patiënten kunnen worden geïdentificeerd bij wie de ziekte snel zal vorderen. Dat maakt de weg vrij voor geïndividualiseerde zorg.
- Er is dringend behoefte aan nieuwe geneesmiddelen die de achteruitgang van de nierfunctie als gevolg van ADPKD vertragen en zo de levenskwaliteit van patiënten op peil houden en hun levensverwachting verbeteren. Dat zal ook de impact op de Europese gezondheidszorg verminderen.
- Daarnaast zijn er verdere inspanningen nodig om niertransplantaties bij patiënten met nierfalen te stimuleren.

"Ik ben vooral bang voor het moment dat mijn dochter elke dag moet gaan dialyseren. Dialyse staat voor mij op een bepaalde manier voor de dood, omdat mijn vader stierf toen hij ging dialyseren. Iedereen die ADPKD heeft, is hier bang voor."

Corinne, Frankrijk

ADPKD is goed voor **1 op de 10** patiënten die nierdialyse of transplantatie nodig hebben



= 50.000 in Europa ➡ **of 1,5 miljard euro/jaar**

- Patiënten met ADPKD en hun families hebben behoefte aan specifieke, uitgebreide en toegankelijke informatie over hun ziekte, zodat ze een volwaardige gesprekspartner kunnen zijn in de besluitvorming rond hun ziekte. Bovendien kunnen patiënten bij voldoende ondersteuning een belangrijke rol spelen op het gebied van verbetering van de ADPKD-diagnose en -zorg, in samenwerking met professionals en managers in de gezondheidszorg, onderzoekers, en ministeries van Volksgezondheid.

Volgende stappen: de Verklaring van Brussel over ADPKD

De Verklaring van Brussel reikt strategieën aan om te voorzien in deze on vervulde behoeften. De implementatie van deze veranderingen vereist nationale en internationale samenwerking tussen alle partijen die betrokken zijn bij ADPKD-zorg, waaronder:

- patiënten en de organisaties die hen vertegenwoordigen;
- nefrologen en andere gespecialiseerde artsen en wetenschappers op het gebied van ADPKD-zorg;
- zorgmanagers;
- ministeries van Volksgezondheid;
- instanties die verantwoordelijk zijn voor de regelgeving op het gebied van geneesmiddelen en de beoordeling van zorgtechnologie.

Het EAF wil de dialoog en de samenwerking tussen deze partijen faciliteren en kijkt ernaar uit de handen ineen te slaan met alle instanties om het leven van patiënten met ADPKD te verbeteren en te verlengen.

Referenties

1. Torres V et al. Lancet 2007;369:1287–301
2. Petzold K, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv26–32
3. Ecder T. Curr Hypertens Rev 2013;9:2–11
4. Shaw C, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29:1910–8
5. Spithoven EM, et al. Kidney Int 2014;86:1244–52
6. Carr A, et al. 51st ERA-EDTA Congress, Amsterdam, 31 May–3 June 2014: Abstract SP020
7. Knight TG, et al. Am J Kidney Dis 2013;61(4):A55
8. Spithoven EM, et al. Nephrol Dial Transplant 2014;29 (Suppl 4):iv15–iv25
9. Chapman AB, et al. Kidney Int (in press)

"ADPKD is als leven aan de rand van de afgrond. Je loopt erlangs en je weet dat je er op een dag in zal vallen. Zorgverleners en het grote publiek zijn onvoldoende bekend met ADPKD. Daar moet dringend verandering in komen."

Tess, UK

Het EAF is een multidisciplinaire, internationale groep van experts die zich toelegt op het verbeteren van de gezondheid en de kwaliteit van leven van mensen met ADPKD.

Voor meer informatie kunt u het EAF-rapport "*Translating science into policy to improve ADPKD care in Europe (Wetenschap vertalen naar beleid om de ADPKD-zorg in Europa te verbeteren)*" raadplegen, dat online beschikbaar is via www.pkdinternational.org/EAF_ADPKD_Policy_Report_2015.

Voor gedrukte exemplaren van de Verklaring van Brussel over ADPKD en het EAF-rapport kunt u contact opnemen met Laure.Sonnier@interelgroup.com.

Het EAF is een initiatief van Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd en wordt uitsluitend financieel gesteund door deze onderneming. Groepsleden ontvangen geen vergoeding voor hun rol in het initiatief. De inhoud van het EAF-rapport en de Verklaring van Brussel over ADPKD vertegenwoordigen de mening van de EAF-groep, maar geven niet noodzakelijk die van Otsuka weer.

Co-voorzitters

Dr. Richard Sandford
en **Tess Harris**

Nefrologie

Prof. Olivier Devuyst,
Zurich, Zwitserland

Prof. Tefvik Ecder,
Istanboel, Turkije

Dr. Ron T. Gansevoort,
Groningen, Nederland

Dr. José Luis Górriz,
Valencia, Spanje

Prof. Albert Ong,
Sheffield, VK

Prof. Yves Pirson,
Brussel, België

Prof. Vicente E. Torres,
Rochester, MN, VS

Prof. Gerd Walz,
Freiburg, Duitsland

Hepatologie

Prof. Joost P.H. Drenth,
Nijmegen, Nederland

Genetica

Dr. Richard Sandford,
Cambridge, VK

Verdediging van patiënten

Brenda de Coninck,
Bussum, Nederland

Tess Harris,
Londen, VK

Alastair Kent,
Londen, VK

Het EAF-rapport "*Translating science into policy to improve ADPKD care in Europe*" (Wetenschap vertalen naar beleid om de ADPKD-zorg in Europa te verbeteren) is formeel bekrachtigd door



De Verklaring van Brussel over ADPKD wordt onderschreven door

