

Cystenieren

- Een update uit Groningen -

Ron Gansevoort

Expertise Centrum voor Cystenieren
Universitair Medisch Centrum Groningen

Nieuws uit Groningen

1. Erkend als Europees Expertise Centrum voor Cystenieren

Voordeel: Eventuele subsidies door de Europese Unie

2. Er komt een KDIGO Richtlijnen Conferentie

Voordeel: Standaardisatie van medisch beleid. Patiënten betrokken !

3. Een grote subsidie van de Nederlandse overheid (1.3 miljoen Euro)

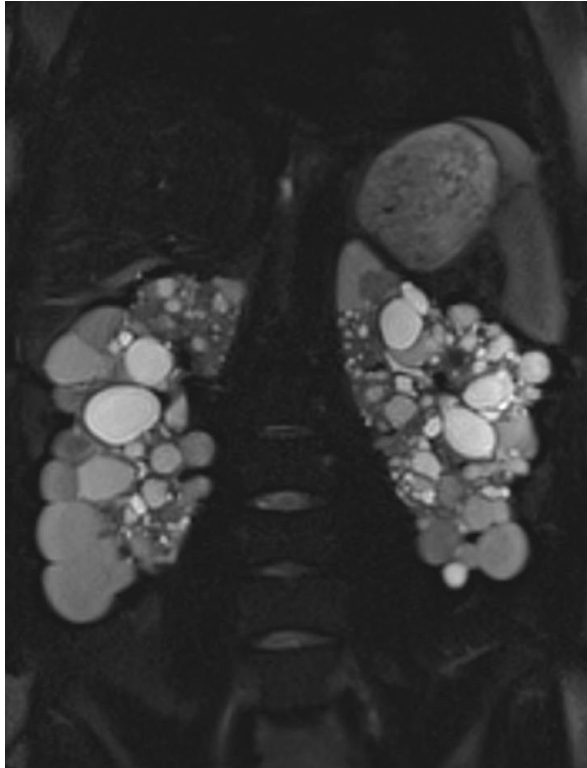
De HYDRO-PROTECT studie, start pas volgend jaar

Toevoegen plastablet aan tolvaptan om minder te gaan plassen en de nier beter te beschermen tegen achteruitgang

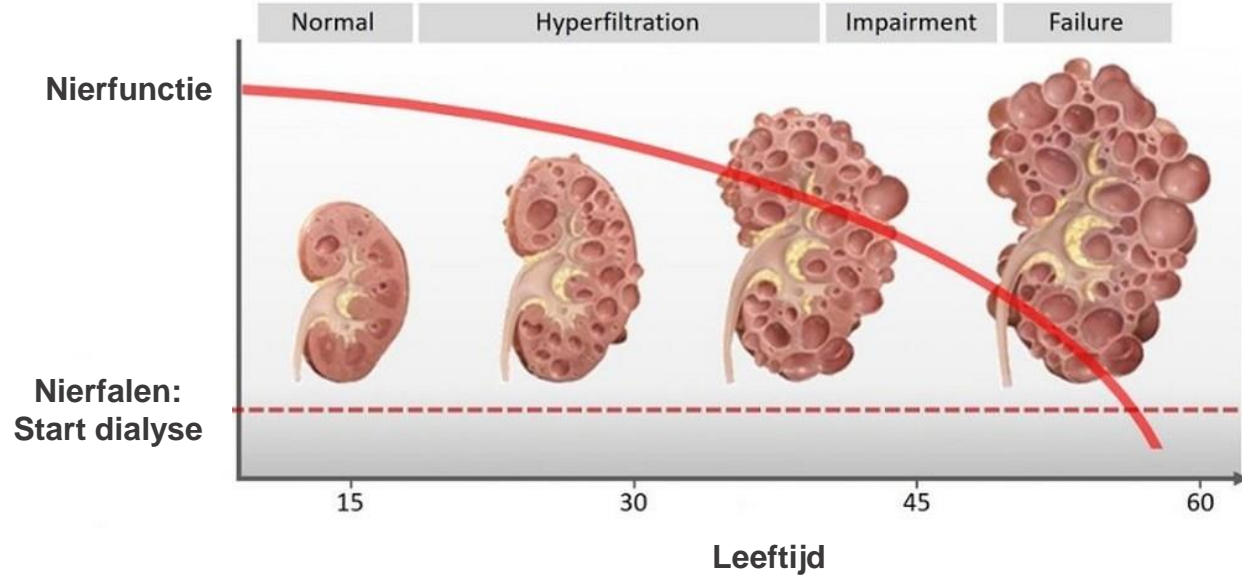
4. Een grote subsidie van de Nederlandse overheid (800,000 Euro)

De AGAINST-PLD studie, start later dit jaar

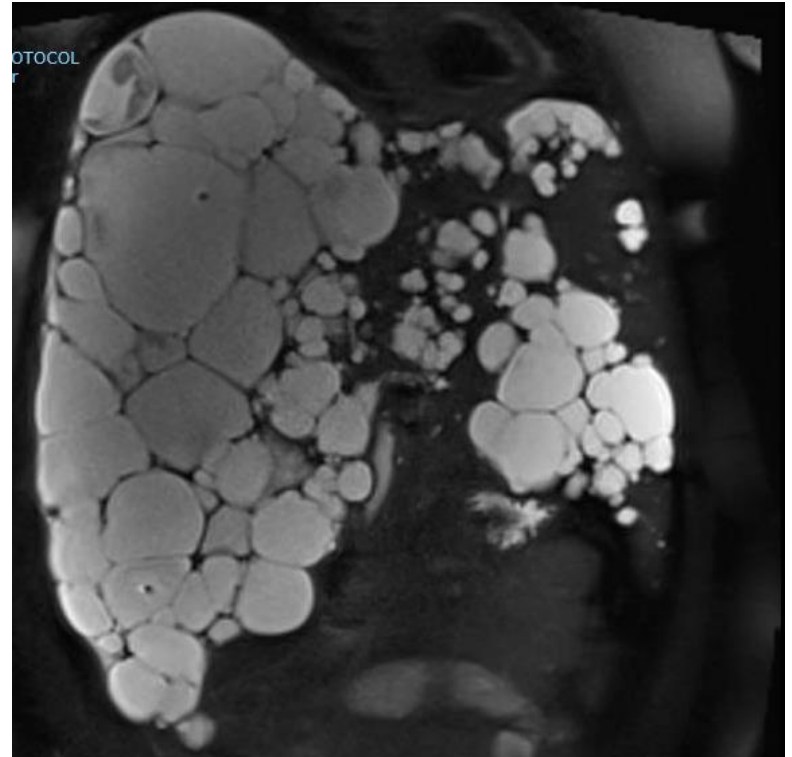
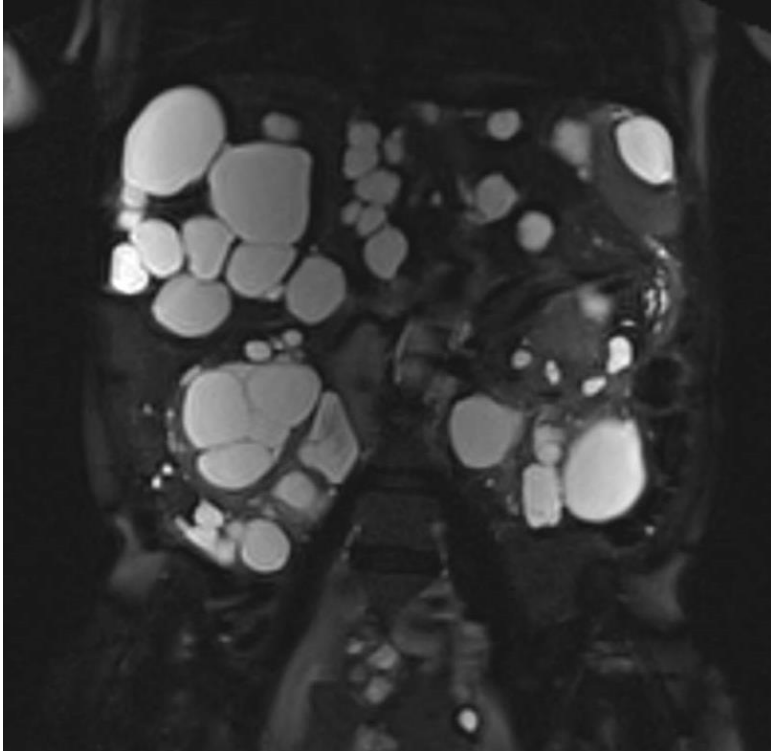
Cystenieren



Het beloop in de tijd



Maar het is een nier- en leverziekte



Maar het is een nier- en leverziekte

- Uiteindelijk 80% van de mensen met cystenieren ook cysten in de lever
- Meestal slechts een paar cysten. Bij een minderheid een (groot) probleem
- Kan ook alleen als cystelever voorkomen (zonder nierproblemen), ook erfelijk
 - 50% van de mensen met veel levercysten
 - ook erfelijk (“autosomaal dominant” ofwel 50% kans bij de kinderen)
- Aantal cysten neemt toe en cysten groeien.
 - Functie van de lever blijft goed
 - Grootte kan aanleiding zijn tot problemen

De problemen van een grote lever



- Volume klachten: obstipatie, verminderde eetlust, afvallen, zuurbranden, breuken
- Mechanische klachten, bijv. niet goed kunnen bukken, problemen met zitten, geen veters kunnen strikken
- Psychosociale problemen
- Pijn

Behandeling

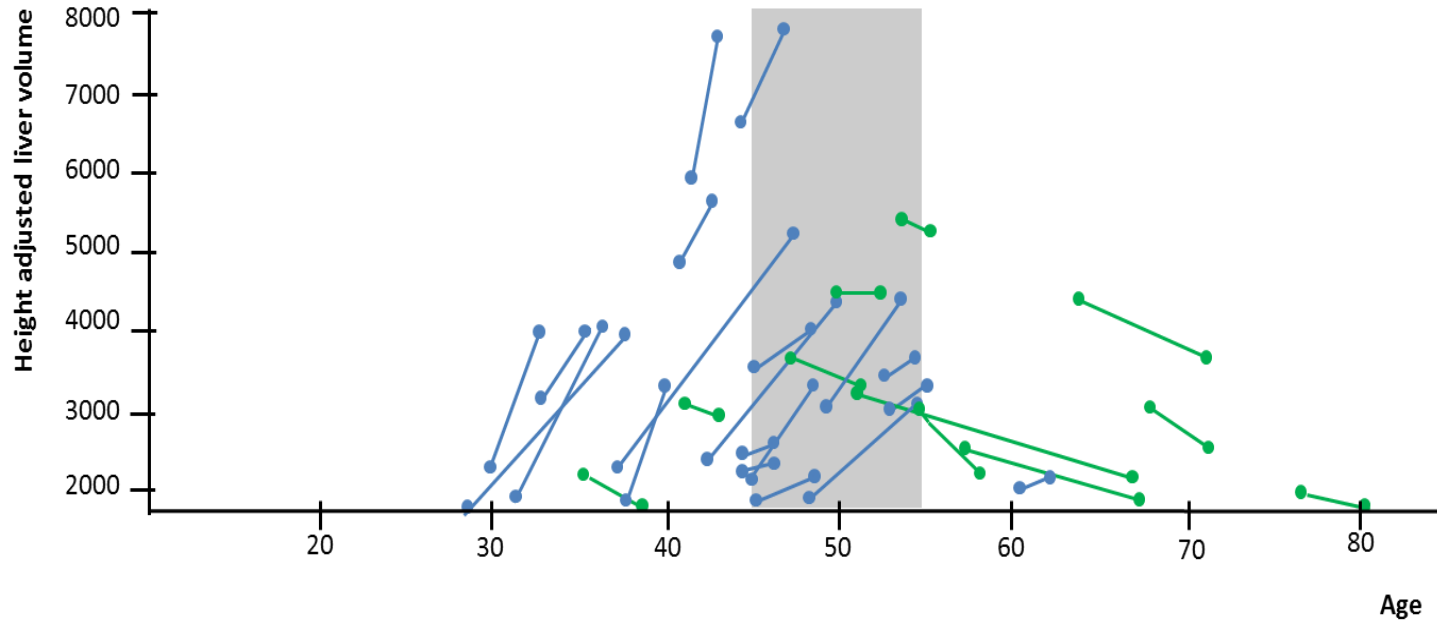
- Slechts 1 medicijn: “somatostatine analogen” (bijv. Lanreotide)
 - Werkzaam, maar beperkt.
 - Duur
 - Bijwerkingen (levercyste infecties en galstenen)
- Aanprikken en leegzuigen van cystes
 - Vaak slechts tijdelijk effect
- Stuk van de lever weghalen
 - Moeilijke ingreep, nadien levertransplantatie moeilijk (“plakken” / luikje)
- Afgelopen 15 jaar 1293 lever transplantaties in Europa (± 100 in Ndl)
 - Lever transplantatie kost €150.000 in de eerste drie jaar
 - Gaat gepaard met medische problemen en sterfte



De rol van oestrogenen

- Cystelevers komen met name bij vrouwen voor
- Gebruik van oestrogenen lijkt gerelateerd aan lever groei
 - Hormoon behandeling na de menopauze: groei +7% per jaar (afname -2% in controles)
 - Anticonceptie met oestrogenen: lever groei 1.5% extra
- In experimenten leidt toediening van oestrogenen tot groei, en blokkeren van oestrogenen doet groei afnemen (in diermodellen en menselijke cystecellen)
- Invloed van de menopauze ?

De rol van oestrogenen



De AGAINST-PLD studie

Doel

- Te bepalen of verlaging van oestrogenen en progesteron met Lucrin lever groei vermindert in jonge vrouwen met ernstig vergrootte levers tgv PLD
- Te bepalen wat het effect van Lucrin is op PLD gerelateerde klachten, levergroei, veiligheid en verdraagbaarheid

Lucrin

- Oud medicament, meerdere fabrikanten, van patent af, goedkoop
- Stopt de productie van oestrogeen, en leidt daarmee tot menopauze

De AGAINST-PLD studie

Opzet



- 36 vrouwelijke patiënten met ADPKD / ADPLD en grote levers
- Deelnemende centra: Groningen, Nijmegen, Keulen, Leuven, Barcelona
- Ziekenhuis bezoek: start, maand 1, 3, 6 en iedere 6 maanden nadien (3 jaar)
- Loting naar ofwel geen behandeling ofwel Lucrin:
 - Per injectie (maandelijks of 1x per 3 maanden)
 - Kunnen vrouwen zelf doen (of via verpleegkundige)

De AGAINST-PLD studie

Metingen



- MRI scans bij start en op maand 6, 18, 24 en 36 maanden
 - MRI scans worden gemeten in het UMCG door ons Cystenieren MRI team (geblindeerd voor deelnemer, behandeling en welk studie visite) allocation
- Uitgebreid bloedonderzoek
- Vragenlijsten
 - Lever gerelateerde klachten (PLD-Q)
 - Kwaliteit van leven (SF-36)
 - Menopauze gerelateerde klachten (BD-II, MENQOL)

De AGAINST-PLD studie

Mogelijk gemaakt door ...



- Subsidie Nederlandse overheid (ZonMW, “Goed Gebruik Geneesmiddelen”): 600,000 Euro
- Abbvie (medicatie + medicatie gerelateerde kosten): 200,000 Euro
- **Essentieel voor succes: inbreng van patiënten**
 - Twee focusgroepen onder leiding van onafhankelijk gespreksleider
 - Georganiseerd door ADPKD werkgroep NVN en de Ndl Leverpatiënten Vereniging
 - Rapport met aanbevelingen
 - Steunbrieven van ADPKD werkgroep, NVN en PKD International

Patient focusgroepen

Voorbeelden van aanbevelingen

“Sommige studie bezoeken kunnen telefoonconsulten worden”

“Zorg voor goede voorlichting voor de start van de studie over mogelijke bijwerkingen”

“Bied een coach aan voor patiënten met bijwerkingen”

“Ik zou graag vitamine D en calcium nemen om een eventueel effect op botmassa te verminderen”

*“De informatie brief is soms moeilijk te begrijpen en bevat soms moeilijke woorden.
Kunnen patiënten die lezen en van suggesties voorzien?”*

Even voorstellen



Radboud Universiteit



Prof. Joost Drenth
Maag-darm-leverarts
Gespecialiseerd in cystelevers



Nederlandse
Leverpatiënten
Vereniging



Jose Willemse
Directeur Ndl Leverpatiënten Vereniging



umcg

Prof. Ron Gansevoort
Nefroloog
Gespecialiseerd in cystenieren



umcg

Dr. Annemieke Visser
Socioloog
Onafhankelijk gespreksleider



umcg

Sophie Aapkes
Arts-onderzoeker

Patiënt leden van de focusgroepen
Overige leden studie team (gynaecologen, radiologen)
Andere centra: Nijmegen, Barcelona, Keulen, Leuven

Aanmelden voor studie kan: S.E.Aapkes@umcg.nl