

Nieuwsbrief Nederlands-Belgisch Myasthenie Register

September 2022



In deze nieuwsbrief:

- ❖ 5-jaarlijks Myasthenia Gravis Foundation of America (MGFA) congres
- ❖ Nederlands-Belgisch myasthenie register
- ❖ Resultaten wetenschappelijk onderzoek
- ❖ Lopend wetenschappelijk onderzoek
- ❖ Conferentie Myasthenieën en LEMS

❖ Verslag van het 5-jaarlijkse internationale Myasthenia Gravis Foundation of America (MGFA) congres over myasthenia gravis en gerelateerde ziekten

Op 10 mei van dit jaar trok een groot aantal artsen, onderzoekers, farmaceuten en andere betrokkenen naar Miami in de VS voor het vijf jaarlijkse myasthenia gravis en gerelateerde ziekten congres. Als gevolg van de pandemie was een deel van de deelnemers online aanwezig naast het overgrote merendeel (> 400 personen) die aanwezig waren in persoon. Vanuit Nederland was een delegatie uit Leiden en Maastricht aanwezig.

Gedurende het 3-daagse congres was er veel aandacht voor nieuwe mechanistische inzichten bij zowel MG als LEMS, zowel op het niveau van de spier als wat er misgaat in het immuunsysteem. Het congres startte met een presentatie van Prof. Dr. Angela Vincent die een mooi overzicht gaf van de ontwikkelingen binnen het myasthenie onderzoeksveld over de laatste decennia. De ontwikkeling van verschillende soorten medicatie heeft een grote vlucht genomen. Zij gaf duidelijke inzichten over waar de ontwikkelingen in het veld zich plaatsvinden. Jan Verschuuren gaf daarnaast een overzichtsverhaal over LEMS. Mario Losen presenteerde data van experimenten met een nieuwe behandelstrategie gefocust op IgG4. Dana Vergoossen liet zien dat antistof levels in het bloed van MuSK myasthenie patiënten grotendeels normaal zijn en Kevin Keene heeft met MRI aangetoond dat de oogspieren van myasthenie patiënten soms kleiner en vervet zijn. Maartje Huijbers gaf een overzicht van wat we nu weten over het ziektemechanisme bij MuSK myasthenie. De meest recente inzichten laten bijvoorbeeld een belangrijke rol zien voor de een-armigheid van de IgG4 MuSK antistoffen. Daarnaast werden er resultaten getoond van een aantal klinische onderzoeken. Zo werd er bijvoorbeeld in Frankrijk gekeken naar de invloed van sportieve activiteit (in dit geval roeien op een roeimachine) op het verloop van de myasthenie. De studie liet zien dat patiënten er geen nadelige effecten van ervaren en prima kunnen sporten. Daarnaast voelden zij zich fitter, wat dus als positief werd ervaren. Ook was er aandacht voor de nieuwe medicijnen die op de markt komen of al zijn gekomen (Efgartigimod (Vyvgard) en Eculizumab (Soliris)). De komende jaren zullen uitwijzen

hoe de patiënten bij deze middelen gebaat zijn. Meerdere studies proberen nu ook uit te zoeken of we vooraf al kunnen voorspellen welk middel het beste zal werken bij een patiënt.

Naast deze wetenschappelijke hoogtepunten was het bovenal ook weer erg inspirerend om samen te komen met zo veel betrokkenen uit het veld. De organisatie lag in de handen van de Amerikaanse patiëntorganisatie MGFA die een erg dynamisch programma had gekozen met een breed aantal onderwerpen, en ook voldoende ruimte voor sociale interactie. Daarnaast werden er een aantal nieuwe belangrijke beslissingen gedeeld: Er is besloten 1x in de 2-3 jaar het congres te gaan houden omdat het huidige interval van 5 jaar als te lang ervaren wordt. Daarnaast zal het congres alternerend in Europa en in de USA georganiseerd gaan worden wat de toegankelijkheid hopelijk verhoogd.

We kijken erg uit naar de nieuwe editie in Europa!

Maartje Huijbers

❖ Nederlands-Belgisch myasthenie register

Het register is enkele jaren geleden van start gegaan met als doel informatie te verzamelen over het natuurlijk beloop van de ziekten. Nog steeds stijgt het aantal deelnemers. Op dit moment staan er 733 personen met auto-immuun Myasthenia Gravis, 48 personen met LEMS en 6 personen met een vorm van aangeboren/erfelijke Myasthenia Gravis ingeschreven in het register. Na aanmelding ontvangt u een vragenlijst over uw ziekte. Als u daar toestemming voor heeft gegeven, vragen wij uw medisch dossier op bij uw behandelend neuroloog. Daarnaast ontvangt u na het invullen van de vragenlijst een jaarlijkse opvolgvragenlijst om het beloop van de ziekte in kaart te brengen.

Wat is er nieuw?

- Recent is de omgeving van het myasthenie register veranderd naar CastorEDC (voorheen ProMiSE). Dit betekent dat u vanaf heden e-mails vanaf een ander e-mailadres ontvangt.
- Kinderen kunnen nu ook deelnemen aan het myasthenie register. Aanmelden kan via de website van het myasthenieën expertisecentrum (zie onderstaande link).

Wat wordt er gedaan met de gegevens?

Door middel van de vragenlijsten ontstaat er een goed beeld hoe het natuurlijk beloop is van de ziekte. U kunt zichzelf vergelijken met leeftijdsgenoten en het gemiddelde van de groep. Zie hiervoor de gegevens op de website die regelmatig worden bijgewerkt.

<https://mgexpertisecentrum.nl/research/nederlands-belgisch-myasthenie-register/>

Als u deelneemt aan het register is het mogelijk dat u benaderd wordt om eventueel deel te nemen aan het testen van een nieuw geneesmiddel in een klinische trial of om mee te doen aan wetenschappelijk onderzoek. U wordt altijd eerst uitgebreid geïnformeerd en beslist daarna of u wilt deelnemen. Deelname is uiteraard helemaal vrijwillig. Een voorbeeld van zo'n onderzoek is de studie naar vermoeidheid, die hieronder staat beschreven.

Recent is het register beschreven in een wetenschappelijke publicatie in een medisch-wetenschappelijk vakblad. U kunt deze publicatie terugvinden op: [https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966\(21\)00131-0/fulltext](https://www.nmd-journal.com/article/S0960-8966(21)00131-0/fulltext)

Aanmelden voor het register kan via: <https://mgexpertisecentrum.nl/research/nederlands-belgisch-myasthenie-register/>

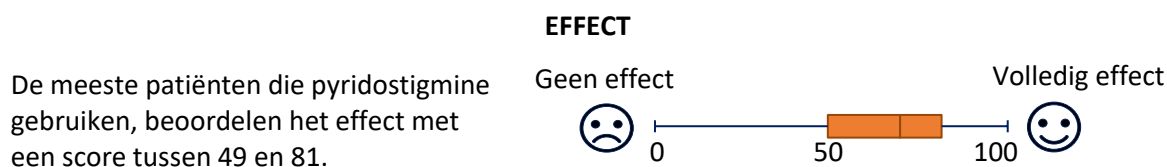
❖ Resultaten wetenschappelijk onderzoek

Onderzoek naar de bijwerkingen van pyridostigmine (Mestinon®)

In september 2021 hebben alle deelnemers aan het Nederlands-Belgisch Myasthenie register een uitnodiging ontvangen om mee te doen aan een onderzoek naar het effect en de bijwerkingen van pyridostigmine. In totaal hebben 410 patiënten de vragenlijst ingevuld. Wij willen iedereen die heeft meegedaan hartelijk bedanken voor de tijd die ze genomen hebben om de vragenlijst in te vullen.

Hieronder laten we alvast een aantal resultaten zien. Op de aankomende “Conferentie Myasthenieën en LEMS” op 10 september 2022 zullen we de resultaten uitgebreider bespreken.

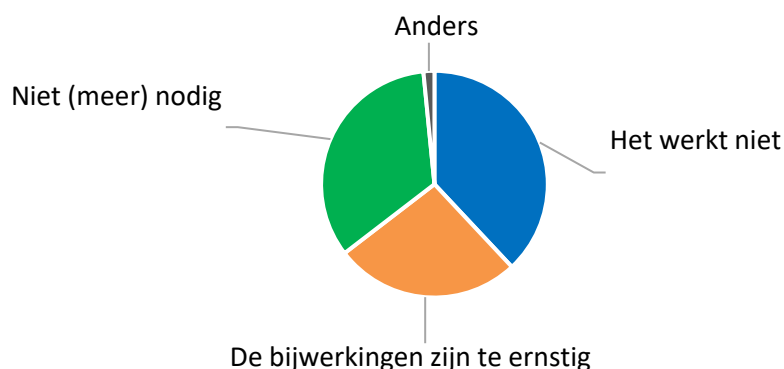
TWEE DERDE van alle patiënten  gebruikt pyridostigmine **EEN DERDE** van alle patiënten  stopt met pyridostigmine



MEEST VOORKOMENDE BIJWERKINGEN

- Winderigheid
 - Diarree
 - Buikkrampen
 - Vaker plassen
 - Spierkrampen
 - Wazig zien
 - Overmatig zweten
 - Speekselvloed
 - Licht gevoel in het hoofd
 - Griepachtig gevoel
- 

REDENEN OM TE STOPPEN



MRI-oogspieronderzoek

Een groot deel van de myasthenia gravis patiënten heeft hangende oogleden en dubbelzien gedurende het beloop van de ziekte. Om een beter beeld te krijgen van wat er met de oogspieren gebeurt bij myasthenie hebben we een MRI-studie van de oogspieren gedaan. Hierbij hebben we ook oogheelkundige metingen gedaan. Wij hebben bij 53 patiënten met MG, zes patiënten met een mitochondriale aandoening (CPEO), zes patiënten met oculo-pharyngeale spierdystrofie (OPMD), zes patiënten met Graves-oftalmopathie en zestien gezonde controles een MRI-scan gemaakt van de oogspieren. CPEO, OPMD en Graves zijn andere ziekten waarbij oogklachten ontstaan. Concluderend, kunnen we met MRI het volume en de vetfracties van oogspieren meten. Een beetje tegen onze verwachtingen in zagen we een kleine toename in het volume en de vetfractie van de oogspieren bij chronische MG. We hadden juist dunnere “atrofische” spieren verwacht. De afwezigheid van grote structurele veranderingen in de oogspieren biedt hoop dat chronische oogklachten bij MG wellicht toch beter te behandelen zijn dan we eerder dachten.

❖ Lopend wetenschappelijk onderzoek

Biomarkers

In 2019 hebben we vastgesteld onder 420 mensen met MS dat ruim 62% last heeft van ernstige vermoeidheid. Dit is fors meer dan in de gemiddelde populatie. Dit bleek o.a. samen te hangen met de ernst van de myasthenie, stemming, geslacht en de hoeveelheid lichamelijke activiteit. Op dit moment onderzoeken wij of wij de oorzaak beter kunnen begrijpen. We gaan bijvoorbeeld na of er in het bloed en de spier een stofje (biomarkers) aanwezig is welke die vermoeidheid kan veroorzaken. Op deze manier willen we nog meer duidelijkheid krijgen over het ontstaan van vermoeidheid bij MG. Tot eind augustus kunnen mensen met MG meedoen aan dit onderzoek. Deelname bestaat uit een eenmalig bezoek aan het LUMC voor o.a. bloedafname en eventueel een spierbiopt (het biopt is niet verplicht bij deelname).

Voor meer informatie en aanmelden: myasthenie@lumc.nl of

<https://mgexpertisecentrum.nl/research/deelnemers-gezocht-vervolgonderzoek-vermoeidheid-bij-patiënten-met-myasthenia-gravis/>

Onderzoek naar efgartigimod bij kinderen (Argenx)

Binnenkort start een internationaal onderzoek naar efgartigimod bij kinderen. Efgartigimod is de eerste van een nieuwe klasse medicijnen. Dit zijn de zogenaamde FcRn-blokkers. Deze medicijnen verlagen het totaal aan antistoffen in het bloed met ongeveer 70%. In eerder onderzoek met volwassen MG-patiënten liet efgartigimod een goed resultaat zien in vergelijking met een nepmiddel (placebo). Een deel van de patiënten had weinig of geen symptomen van MG na de behandeling. Efgartigimod was veilig en werd goed verdragen. Dit onderzoek bij kinderen heeft als doel antwoord te geven op meerdere vragen zoals wat de juiste dosis van efgartigimod is bij kinderen, hoe veilig efgartigimod is en hoe goed het werkt. Over de hele wereld zullen ongeveer 6 kinderen meedoen van 2 tot 12 jaar oud en 6 kinderen van 12 tot 18 jaar oud. We verwachten dat er in Nederland 2 kinderen meedoen.

Onderzoek naar satralizumab (Roche)

De firma Roche voert een internationaal onderzoek uit waarin het medicijn satralizumab (RO5333787) wordt getest als behandeling voor MG. Dit medicijn blokkeert interleukine-6 (IL-6) wat een centraal onderdeel is van het immuunsysteem. De hoop is dat door de behandeling weer een beter evenwicht in het immuunsysteem ontstaat en de productie van ziekmakende antistoffen sterk verminderd. Er kunnen wereldwijd ongeveer 240 patiënten met AChR, MuSK, of LRP4 antistoffen in hun bloed meedoen. Naar verwachting zullen dit maximaal 5 patiënten in Nederland zijn. Wilt u

meer informatie over deze studie dan kunt u mailen naar myasthenie@lumc.nl. Bespreek eventuele deelname vooraf met uw behandeld neuroloog.

❖ Conferentie Myasthenieën en LEMS

Op 10 september 2022 zal de jaarlijkse Conferentie Myasthenieën en LEMS van Spierziekten Nederland weer plaatsvinden in Veldhoven. De inschrijving is nog niet geopend. Op de website van Spierziekten Nederland kunt u zich aanmelden om een bericht te ontvangen zodra de inschrijving opent.

Website: <https://mgexpertisecentrum.nl> (informatie over myasthene syndromen, zoals MG en LEMS). Adreswijziging of nieuw emailadres? Geef de wijziging door via myasthenie@lumc.nl