

## **Bepalen volgorde behandelplekken patiënten met SMA in het kader van VT traject Spinraza**

**23 januari 2020**

Vanaf januari 2020 is het onder voorwaardelijke toelating mogelijk om patiënten met SMA vanaf de leeftijd van 9,5 jaar met het medicijn Spinraza te behandelen. De medicatie wordt toegediend met een ruggenprik; dit is een handeling die zorgvuldig moet gebeuren en dus de nodige tijd kost. Hierdoor kan niet iedereen tegelijkertijd starten met de behandeling. Wat het effect van de behandeling is (onder andere verbetering van spierkracht en stabilisatie van de ziekte), is bij deze groep patiënten niet eerder onderzocht. Ook is onbekend welke patiënten met SMA beter op behandeling zullen reageren dan anderen. Dit betekent dat er niet op basis van wetenschappelijk bewijs bepaald kan worden wie als eerste behandeld wordt.

Daarom is in overleg met een medisch ethicus bepaald om de volgorde op de wachtlijst door het lot te laten bepalen. Het voorstel is daarna met de patiëntenvereniging Spierziekten Nederland besproken. In dit document is het systeem beschreven dat wij hiervoor aanhouden. Hierbij kan iedereen, met de huidige inzichten, zo snel mogelijk en met gelijke kansen starten met de behandeling.

### ***Onderscheid op leeftijd***

Om te beginnen is er onderscheid gemaakt op basis van leeftijd. Kinderen tot 12 jaar worden opgenomen en onder narcose (of roesje) behandeld. Volwassenen en oudere kinderen worden in dagbehandeling behandeld. Er zijn twee wachtlijsten: één tot 16 jaar en één vanaf 16 jaar. De patiënten tot 16 jaar starten de behandeling in het Spieren voor Spieren Kindercentrum (WKZ), volwassenen en oudere kinderen in het UMC Utrecht. Kinderen tussen 16 en 18 jaar blijven in zorg bij het Spieren voor Spieren Kindercentrum locatie WKZ, maar worden dus behandeld met Spinraza in het UMC Utrecht.

### ***Het lot bepaalt***

De volgorde waarin patiënten behandeld worden wordt bepaald door het lot. Dit is een juridische term en betekent dat iedereen gelijke kansen heeft. Met dit systeem krijgt iedereen die geregistreerd staat in de database van het SMA expertisecentrum UMC Utrecht een nummer. Onder toezicht van een notaris worden deze nummers dan volgordelijk getrokken. De volgorde van de trekking is bepalend voor de plek op de wachtlijst.

### ***Lege plekken***

Er worden onder het toezicht van de notaris ook 'lege plekken' getrokken. Dit betekent dat we nummers toevoegen waaraan nog geen patiënt is gekoppeld. Dit zijn lege plekken op de lijst. Op deze manier geldt ook voor nieuw aangemelde patiënten met SMA dat ze gelijke kansen hebben op een behandeling.

### **Lijst tot 16 jaar**

Voor deze leeftijdsgroep geldt dat zo goed als alle kinderen bekend zijn bij het Spieren voor Spieren Kindercentrum. Deze groep is qua aantal veel kleiner dan de groep volwassenen. Toch houden we rekening met een nieuwe aanmelding van een kind met SMA. Daarom is besloten dat er in deze groep een beperkt aantal lege plekken wordt getrokken.

### **Lijst vanaf 16 jaar en ouder**

Het is de verwachting dat er in de komende maanden nog nieuwe volwassen patiënten met SMA worden aangemeld voor behandeling met Spinraza. Sommige patiënten zijn nog niet doorverwezen door hun behandelaar of krijgen de diagnose SMA. Daarom worden onder het toezicht van de notaris wel 'lege plekken' getrokken.

Bij de eerste 50 plekken op de wachtlijst is er geen sprake van een 'lege plek': iedereen moet zo snel mogelijk met de behandeling kunnen starten en dus ingepland worden.

Ook zijn er patiënten aangemeld voor het VT traject waarbij nog onderzoek nodig is om de diagnose SMA officieel te bevestigen. Ook deze patiënten komen niet in aanmerking voor de eerste 50 plekken op de wachtlijst.

### ***Instroom op lege plekken***

Een nieuwe patiënt met SMA krijgt de plek toegewezen die vooraf door het lot is bepaald. Dit doen we door de lege plekken die getrokken zijn nogmaals met hetzelfde systeem te trekken. Hierdoor ontstaat een volgorde met nummers. De eerste nieuwe aanmelding krijgt dan de plek die als eerste getrokken is. Voorbeeld: de volgorde op de lijst van nieuwe plekken is volgens de trekking 68, 154 en 56. De eerstvolgende nieuwe patiënt krijgt dan plek 68 toegewezen, de volgende patiënt nummer 154. De uitslag van deze trekking is geheim en alleen bekend bij de notaris. Wanneer een nieuwe patiënt is aangemeld, wordt met het BSN nummer de plek op de wachtlijst verstrekt.

### ***Lege plek zonder patiënt***

Het kan voorkomen dat er een 'lege plek' aan de beurt is en er nog geen patiënt aan gekoppeld is. In deze gevallen schuift de betreffende 'lege plek' steeds door naar de eerstvolgende patiënt op de lijst. Voorbeeld: plek 68 is vrij. De patiënt met nummer 69 op de lijst komt als eerstvolgende in aanmerking voor behandeling. De plek blijft echter beschikbaar voor de eerstvolgende nieuw aangemelde patiënt. Met dit systeem heeft iedereen gelijke kansen en wordt niemand benadeeld.

### ***Patiënt kan niet op voorgestelde afspraak***

Het kan voorkomen dat een afspraak voor iemand heel slecht uitkomt. Denk aan een examen of een lang geplande reis, maar ook bijvoorbeeld griep of een andere medische reden. In dit geval schuift een patiënt net zover naar achteren op de lijst tot het voor hem/haar wel mogelijk is om te starten met de behandeling. De betreffende patiënt schuift dus naar achter en elke volgende patiënt schuift een plek naar voren op de lijst, tot aan het moment dat de patiënt wel kan starten. Met dit systeem wordt niemand op de lijst benadeeld.

### ***Verschillende wijze van toediening***

Er zijn twee methoden voor de toediening van Spinraza. We schatten daarbij in of een behandeling volgens de gebruikelijke procedure kan verlopen, of dat de toediening van medicatie lastiger kan zijn. Sommige patiënten zijn namelijk door scoliose (operatie) moeilijk te prikken in de rug. Deze patiënten worden onder zogenaamde 'doorlichting' geprikt. De prikplek wordt dan bepaald met behulp van röntgenbeelden. De behandeling duurt dan langer en de betrokkenheid van een interventieradioloog is noodzakelijk. De wachttijd voor deze groep patiënten zal hierdoor helaas langer zijn.

Op de twee wachtlijsten (kinderen en volwassenen) is er hierdoor sprake van een verdere onderverdeling: gebruikelijke procedure óf behandeling onder doorlichting. Het lot bepaalt zoals hierboven uitgelegd de volgorde op de wachtlijst. De medische noodzaak om onder doorlichting de behandeling uit te voeren kan betekenen dat iemand bijvoorbeeld op plek 15 staat, maar toch moet wachten tot er een plek vrij is voor behandeling onder doorlichting. Hierdoor kan voor deze patiënt de wachtlijst dus langer zijn.