

# Gepast gebruik eculizumab in atypische Hemolytisch Uremisch Syndroom (aHUS)

Nicole van de Kar  
19 april 2018



**European  
Reference  
Network**

for rare or low prevalence  
complex diseases

- **Network**  
Kidney Diseases (ERKNet)
- **Member**  
Radboud University  
Medical Center Nijmegen  
— The Netherlands

Amalia kinderziekenhuis  
**Radboudumc**

---

# Disclosure

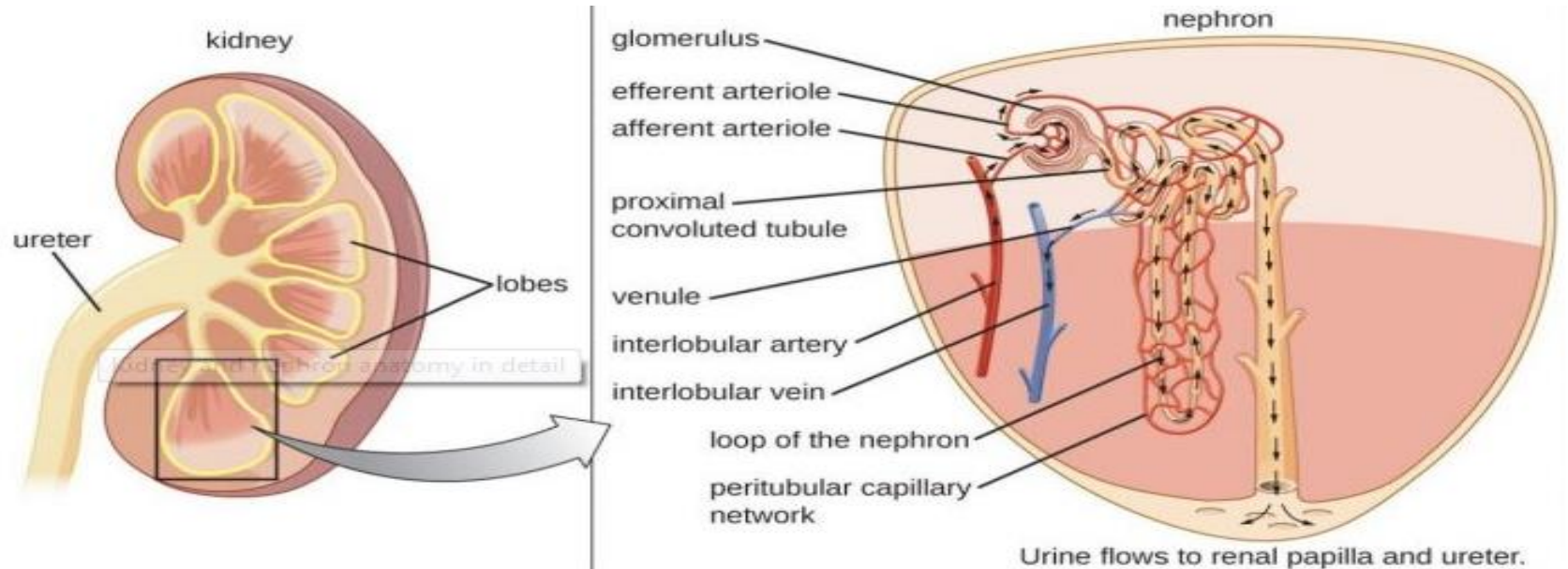
- Alexion Pharmaceuticals
  - Honorarium spreker educatieve symposia
  - Lid Internationale Advies Groep aHUS

---

# Zeldzame ziekte

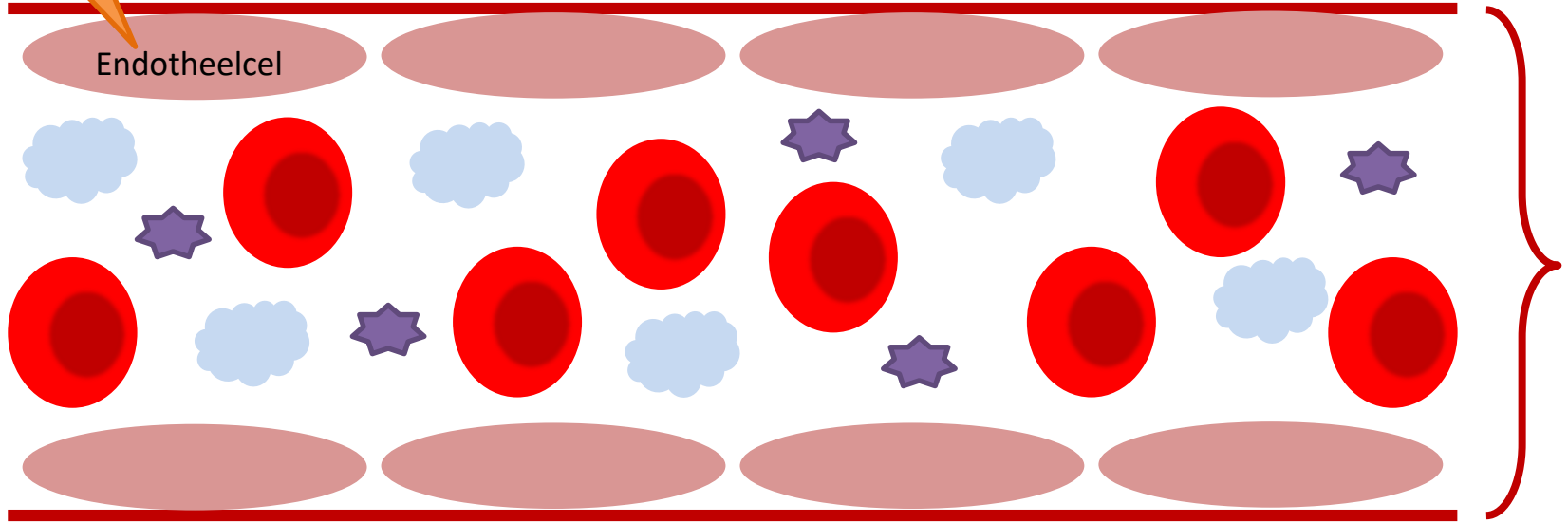


# Hemolytisch uremisch syndroom

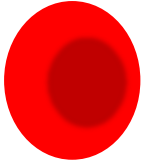


# Het mechanisme

*Vaatwandschade, bloedstolsels, orgaanschade*



**BLOEDVAT**



Rode bloedcel



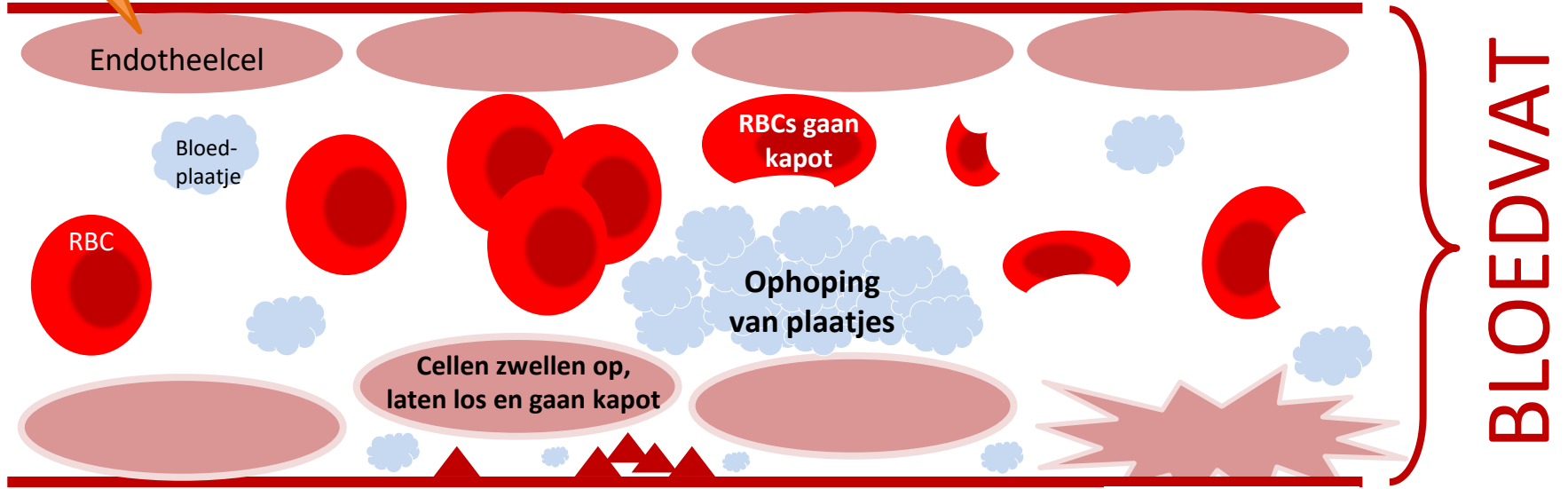
Witte bloedcel



bloedplaatje

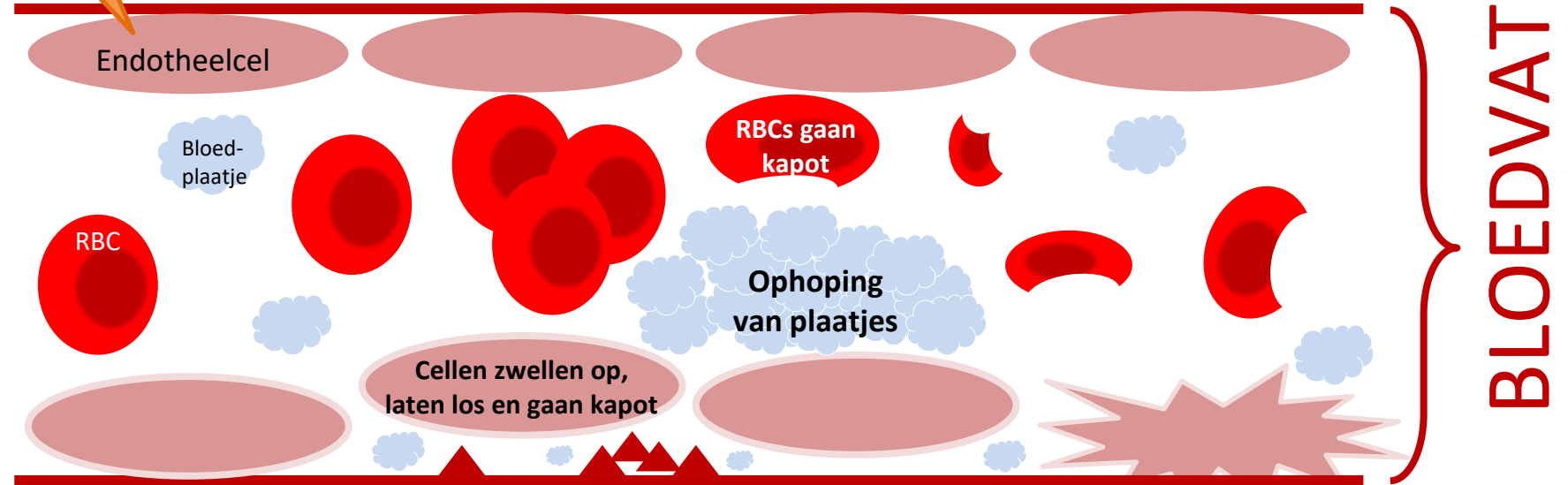
# Het mechanisme

*Vaatwandschade, bloedstolsels, orgaanschade*



# Overactief complement systeem

*Vaatwandschade, bloedstolsels, orgaanschade*



---

# Overactief complement systeem





---

# Behandeling sinds 2012

*Weesgeneesmiddel eculizumab*



---

# Optimaal behandelingschema?

1. Behandelduur?



2. Risico's



3. Hoeveelheid medicijn



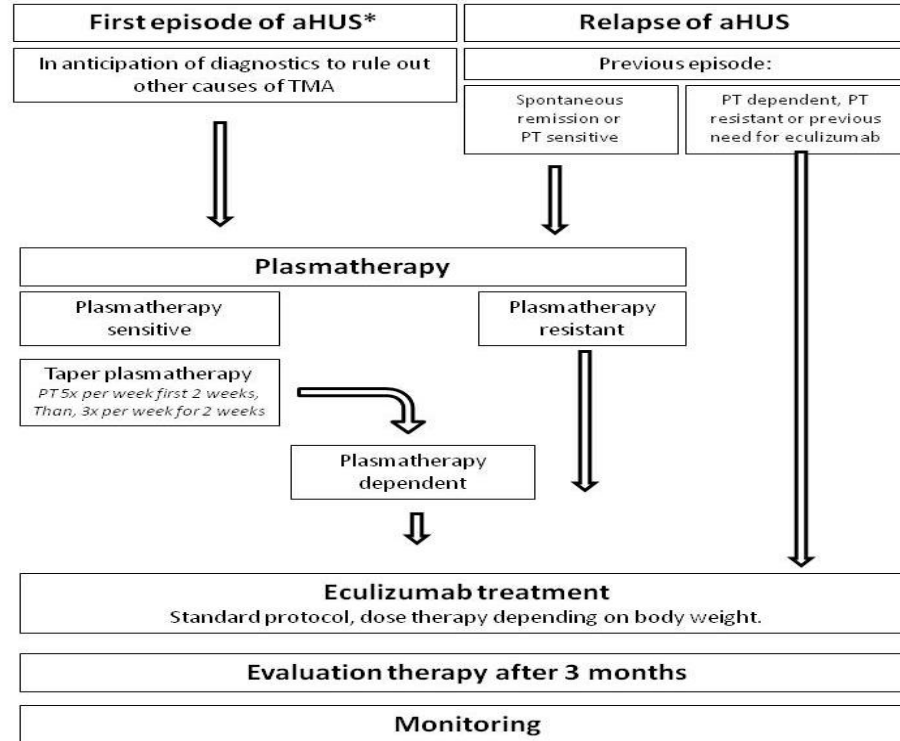
4. Kosten



# Landelijke werkgroep Atypische HUS

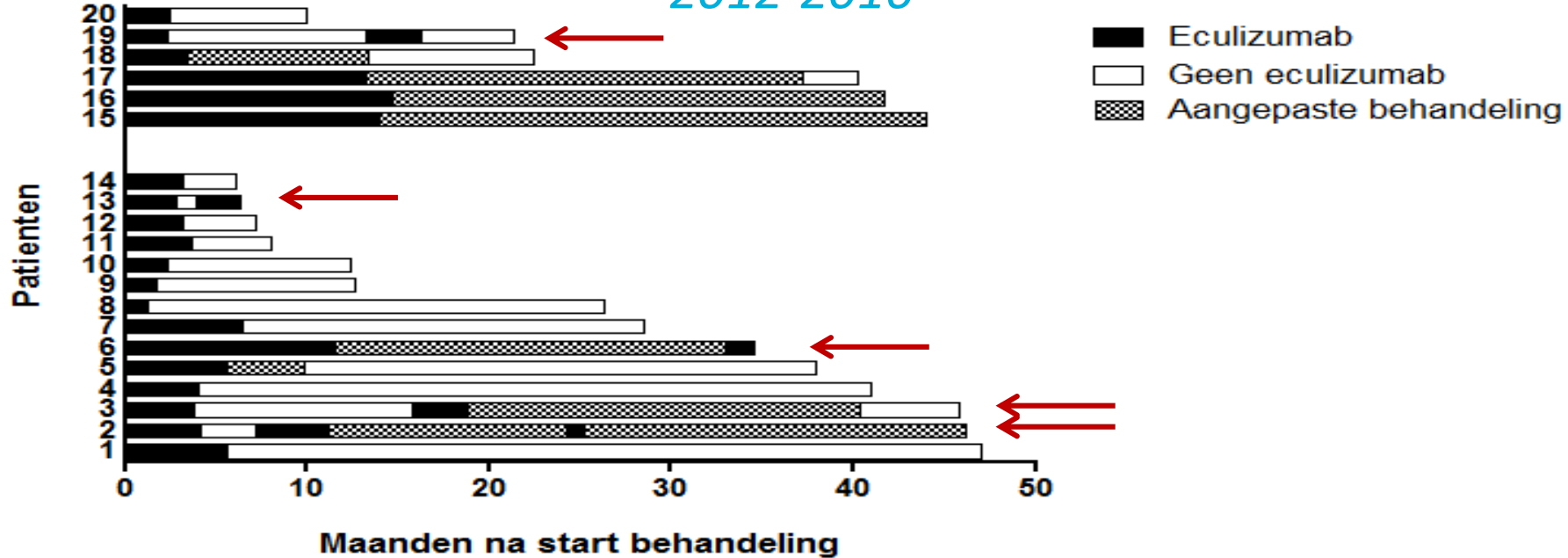


# aHUS richtlijn

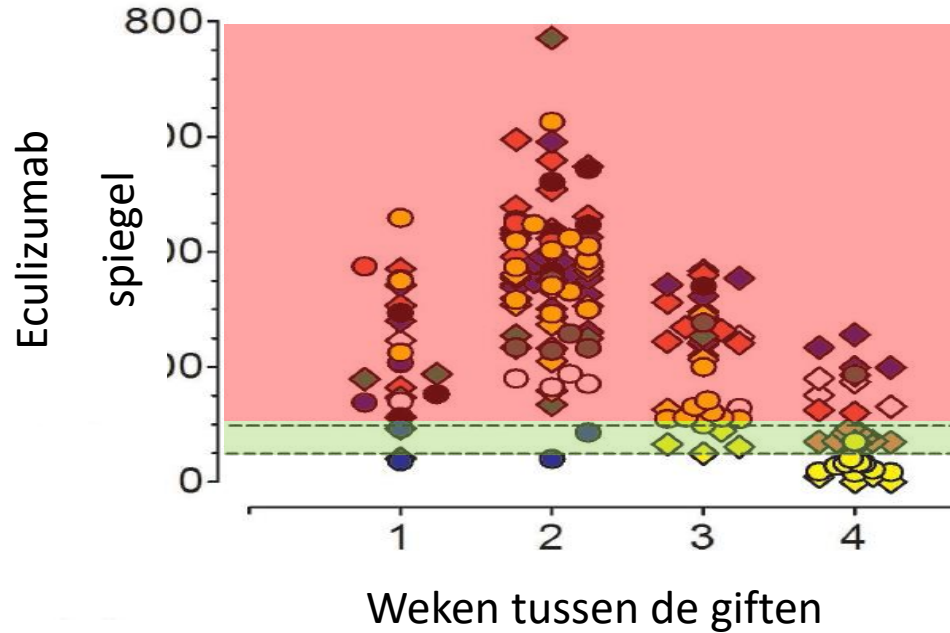


# Verkort behandelingschema Radboudumc

2012-2016



# Eculizumab concentratie bloed



# CORE I HUS

The word "CORE I HUS" is written in a blue, serif font. A white stethoscope is integrated into the text: its chest piece is positioned over the letter 'O' in "CORE", and its earpieces are positioned over the letter 'I' in "I HUS". The stethoscope's tubing forms a continuous line across the letters.



# Vergoeding weesgeneesmiddelen







## Add on 1:



## Add on 2:

PESaM questionnaire

*P*atient

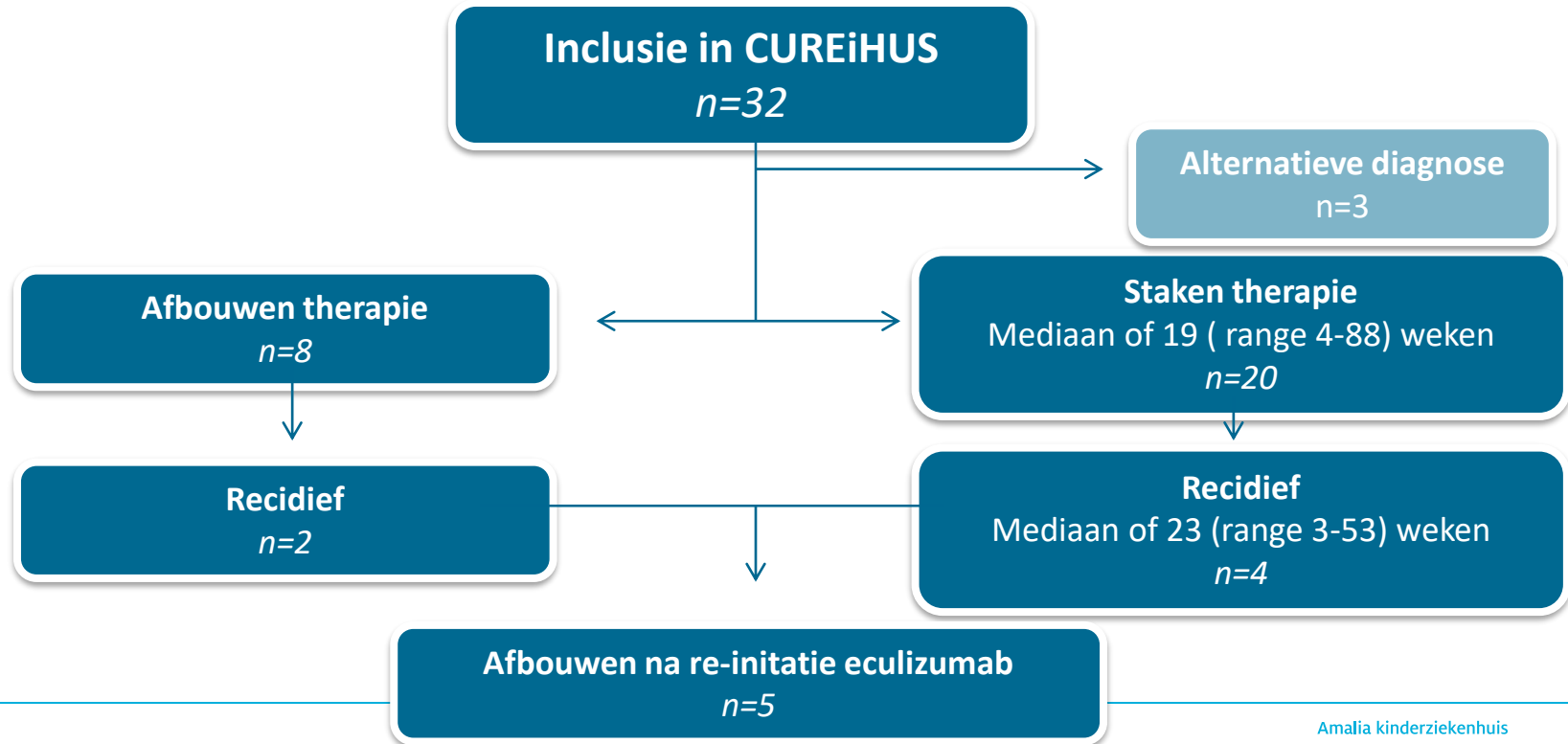
*E*xperience

*S*atisfaction

*M*edication



# Eerste landelijke data



**Kosten reductie**

**€ 9.300.00 (55%)**



# Take home message

- Landelijk protocol voor diagnose en behandeling zeldzame ziekte aHUS
- Afbouwen en stoppen eculizumab is mogelijk
- Relapse aHUS in 20-30% binnen 1 jaar
- Geen chronische schade na herstart eculizumab

2018

# Het Team dankt ZonMw !

## Landelijke werkgroep aHUS:

*Jacqueline van de Wetering, Eiske Dorresteyn, Joost van der Heijden,  
Ans van Wijk, Valentina Gracchi, Stefan Berger, Aiko de Vries, Tonny Bouts,  
Frederike Bemelman, Mandy Keijzer-Veen, Arjen van Zuilen, Flore Horuz,  
Pieter van Paassen*

## Project groep ZonMw

*Kioa Wijnsma, Caroline Duineveld  
Roger Brüggemann  
Marjolein Storm , Wim Altena  
Eddy Adang  
Elena Volokhina, Andrei Sarlea, Bert van den Heuvel  
Jack Wetzels, Nicole van de Kar*



[www.CUREiHUS.nl](http://www.CUREiHUS.nl)



[CUREiHUS@Radboudumc.nl](mailto:CUREiHUS@Radboudumc.nl)



[@CUREiHUS](https://twitter.com/CUREiHUS)



**ZonMw**

