

## **Internationale standaard voor CIDP registratie en biobank.**

**Datum:** 12-14 mei 2017

**Nummer:** 231

**Stad:** Naarden, Nederland

### **Organisatoren:**

Dr. Filip Eftimov (Amsterdam, Nederlands, Prof. Dr. Yusuf Rajabally (Birmingham, Verenigd Koninkrijk), dr. Luis Querol (Barcelona, Spanje).

### **Beschrijving van de workshop:**

De 231e ENMC workshop getiteld "International Standards for CIDP Registry and Biobank" vond plaats van 12 – 14 mei 2017 in Naarden, Nederland. Een multidisciplinaire groep van 24 mensen uit 13 landen (Nederland, Verenigd Koninkrijk, Verenigde Staten, Frankrijk, Italië, Spanje, België, Denemarken, Maleisië, Servië, Duitsland, Curaçao en Australië) woonden deze workshop bij. Deze groep bestond uit (jonge) onderzoekers en klinische experts op het gebied van inflammatoire polyneuropathieën en een patiënten vertegenwoordiger van patiëntenorganisatie "Spierziekten Nederland" en de "GBS/CIDP foundation International".

### **Achtergrond:**

Chronische Inflammatoire Demyeliniserende Polyneuropathie (CIDP) is een immuun gemedieerde polyneuropathie die kan lijden tot ernstige beperkingen. CIDP is een zeer heterogene aandoening met verschillende atypische klinische fenotypes. Ondanks het bestaan van meerdere diagnostische criteria, worden nog niet alle CIDP patiënten gediagnosticeerd. Er zijn bewezen effectieve behandelingen maar op dit moment zijn er geen klinische of biologische markers beschikbaar voor het voorspellen van de behandelrespons, ziekteactiviteit of uitkomst. Verder onderzoek is essentieel om de klinische, diagnostische en elektrofysiologische kenmerken en grenzen van CIDP en zijn subtypes te identificeren en om de rol van biomarkers (b.v. zenuwecho, bloed) te definiëren in de ondersteuning van de diagnose, het monitoren van ziekteactiviteit en het voorspellen van therapieresponse en de lange termijn uitkomst. Om deze onderzoeksvragen te beantwoorden is het noodzakelijk om een prospectieve studie te verrichten met een grote groep goed omschreven CIDP patiënten met een lange follow-up waarbij gestandaardiseerde klinische data, elektrofysiologische data en biomaterialen verzameld worden.

In de afgelopen jaren zijn er meerdere nationale CIDP registraties opgezet om systematisch data te kunnen verzamelen. Echter, zelfs in grote landen zullen deze registraties niet in staat zijn voldoende patiënten te verzamelen om bovengenoemde onderzoeksvragen te kunnen beantwoorden. Een internationale registratie met een groot aantal patiënten is noodzakelijk om gevalideerde prognostische modellen te ontwikkelen die de uitkomst van individuele CIDP patiënten kunnen gaan voorspellen.

**Doel van deze workshop:**

Het bereiken van internationale consensus over de inclusie van CIDP patienten en de verzameling van klinische en diagnostische gegevens en biomaterialen.

**Uitkomst:**

Acht huidig lopende internationale CIDP registraties werden vergeleken op het gebied van infrastructuur, de verzameling van klinische en diagnostische data en de verzameling van biomaterialen.

Consensus werd bereikt over:

- Inclusie criteria: klinische verdenking op CIDP; exclusie criteria: andere diagnoses.
- Uitgebreide verzameling van patiëntgegevens bij inclusie, dit is noodzakelijk voor het definiëren van de klinische en diagnostische karakteristieken van de patienten. Een minimale set van deze te verzamelen karakteristieken moet nog worden vastgesteld.
- Flexibele follow-up visits met voorkeur voor tenminste 2 jaar follow-up. Tenminste omvat de follow-up van alle patiënten de volgende uitkomsten: a) Knijpkracht, vermoeidheid, beperkingen (INCAT en R-ODS), kwaliteit van leven (EuroQol) en b) aanvullende uitkomstmaten naar eigen inzicht van de behandelend arts.
- Een minimaal protocol voor zenuwgeleidingsonderzoek werd voorgesteld.
- De verzameling van biomaterialen (hersenvocht, bloed, zenuwbipten) dient volgens een gestandaardiseerd protocol verricht te worden, met tenminste verzameling van bloed bij inclusie. Biomaterialen worden lokaal opgeslagen of in een coördinerend centrum.
- Infrastructuur: een centrale database (INCbase) wordt ontwikkeld waaraan huidige databases worden toegevoegd. Vereisten voor de INCbase werden vastgelegd. Huidige CIDP registraties blijven bestaan.
- Alle centra blijven eigenaar van de eigen data en kunnen deze uit de INCbase gebruiken voor eigen onderzoek.

**Voorgestelde plannen:**

- Een werkgroep om: A) de huidig bestaande CIDP databases samen te voegen, B) combineren van de huidige protocollen van de CIDP registraties, C) opzetten van de nieuwe centrale INCbase.
- De werkgroep heeft een tijdlijn opgesteld voor het ontwikkelen en afronden van deze registratie met als planning de eerste nieuwe CIDP patiënt in maart 2018 te includeren.
- Informatie over de bereikte consensus en het protocol voor de nieuwe CIDP registratie zal worden gepresenteerd en bediscussieerd tijdens de komende Peripheral Nerve society meeting.

**Deelnemers:**

Dr. S. Reddel (Sydney, Australië), Prof. dr. J. Vallat (Limoges, Frankrijk), Prof. dr. J. Antoine (Saint-Etienne, Frankrijk), Dr. J. Allen (Minnesota, VS), Dr. I. Basta (Belgrado, Servië), Prof. dr. A. Uncini (Chieti, Italië), Dr. K. Doppler (Wurzburg, Duitsland), Dr. R. Hadden (Londen, Verenigd Koninkrijk), Dr. T. Harbo (Aarhus, Denemarken), Dr. H. Lehmann (Cologne, Duitsland), Prof. dr. P. Van den Bergh (Brussel, België), Prof. dr. D. Cornblath (Baltimore, VS), Dr. S. Goedee (Utrecht, Nederland), Dr. M. Lunn (Londen, Verenigd Koninkrijk), Dr. I. Merkies (Maastricht, Nederland), Prof. dr. E. Nobile-Orazio (Milaan, Italië), Prof. dr. B. Jacobs (Rotterdam, Nederland), Mrs. P. Blomkwist-Markens (GBS/CIDP Foundation International, patient representative), Drs. FL. Hiew (Kuala Lumpur, Maleisië), Drs. M. Adrichem (PhD-student Amsterdam, Nederland), Drs. C. Bunschoten (PhD-student Rotterdam, Nederland), Prof. dr. Y. Rajabally (Birmingham, Verenigd Koninkrijk), Dr. L. Querol (Barcelona, Spanje) en Dr. F. Eftimov (Amsterdam, Nederland).

Een uitgebreid verslag van deze ENMC workshop zal worden gepubliceerd in Neuromuscular Disorders.