

project

Naar het voorspellen van pijnaanvallen Sikkelcel-patiënten

Prof. dr. Karin Fijn van Draat, Hoogleraar Kinderhematologie,

Amsterdam UMC, locatie AMC

Rotary Classic Car Rally

Sikkelcelziekte

Kinderen met sikkelcelziekte lijden aan steeds terugkerende heftige pijnaanvallen. Niet alleen voor het kind zelf, maar ook voor ouders en familieleden is het verschrikkelijk om machteloos toe te zien wanneer hun kind zo'n verschrikkelijke pijn lijdt.

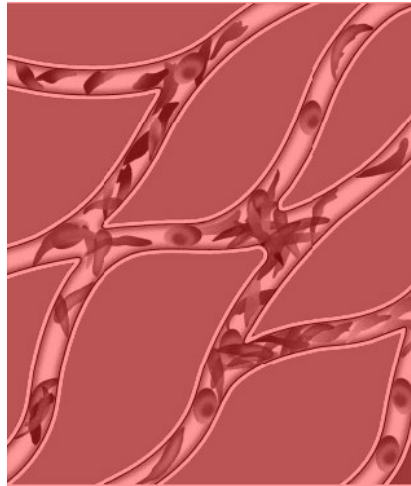
In dit project willen we met een FitBit de hartslag meten bij 10 kinderen die aan deze ziekte lijden. Door de verkregen data te analyseren verwachten we een pijnaanval te kunnen voorspellen voordat deze optreedt, waardoor we met interventies de pijnaanval kunnen voorkomen of de ernst kunnen beperken.



Wat is sikkelcelziekte en hoe wordt het veroorzaakt?

Sikkelcelziekte is een erfelijke vorm van bloedarmoede die veroorzaakt wordt door een verandering (mutatie) in het DNA dat codeert voor het hemoglobine dat in de rode bloedcel zit. Normaal gesproken zijn rode bloedcellen rond van vorm, maar bij kinderen met sikkelcel kan de vorm, zoals de naam van de ziekte al verradt, veranderen in een sikkel. Dit komt omdat het veranderde hemoglobine lange strengen gaat vormen in de rode bloedcellen, die vervolgens krom trekken in de vorm van een sikkel. Dit gebeurt als de rode bloedcellen door lichaamsdelen stromen die koud zijn of als er te weinig zuurstof is.

Er zijn in Nederland ongeveer 3.000-4.000 patiënten met sikkelcelziekte, waarvan ongeveer 800-1.000 kinderen. Elk jaar worden er wereldwijd 300.000 kinderen met deze ziekte geboren.



Welke problemen en symptomen ervaren kinderen met sikkelcelziekte?

De sikkelcellen verstoppen de kleine bloedvaatjes. Dit kan schade veroorzaken aan verschillende organen van het lichaam zoals longen, hersenen en nieren. Ook hebben de meeste kinderen regelmatig heftige pijnaanvallen, doordat de kleine bloedvaten van de botten verstoppen. Deze pijnaanvallen zijn zo heftig van aard dat ze vergeleken worden met barensood en kunnen wel een week lang duren. De kinderen moeten dan opgenomen worden in het ziekenhuis om behandeld te worden met morfine. Het is voor de ouders verschrikkelijk om machteloos toe te zien wanneer hun kind zo'n verschrikkelijke pijn lijdt.

Zijn er ook medicijnen voor sikkelcelziekte? Is het te genezen?

Momenteel zijn er slechts 2 middelen beschikbaar om de pijnaanvallen te voorkomen. Deze middelen werken niet bij iedereen en niet altijd.

Sikkelcelziekte kan genezen worden door een beenmergtransplantatie, mits er een geschikte donor aanwezig is. Dit is helaas niet altijd het geval. Daarnaast kent een beenmergtransplantatie ook veel mogelijke bijwerkingen en is er een kleine kans om te overlijden aan deze ingrijpende behandeling.

Hoe kan dit project kinderen met sikkelcelziekte helpen?

In dit project willen we met een FitBit continue de hartslag meten bij 10 kinderen die aan deze ziekte lijden. Door de verkregen data te analyseren verwachten we een pijnaanval te kunnen voorspellen voordat het optreedt. Hierdoor kunnen we vroegtijdiger ingrijpen in de kettingreactie van gebeurtenissen die uiteindelijk in zo'n heftige pijnaanval culmineert. We verwachten door vroege interventies de ernst van de pijnaanval te kunnen beperken of wellicht deze zelfs te kunnen voorkomen.

Waarom hebben we de hulp van de Rotary nodig om dit project sponsoren?

Het project is moeilijk op reguliere wijze te financieren omdat er voor sikkelcelziekte weinig fondsen zijn en omdat het een pilot project betreft. Als de pilot succesvol is kan met deze data een grotere subsidieaanvraag onderbouwd worden die een enorme impact kan hebben voor kinderen met sikkelcelziekte wereldwijd.

Waar vind ik meer informatie over sikkelcelziekte en onderzoek op dit gebied?

- **Artikel uit het Parool – 1 juli 2018:**
https://www.parool.nl/binnenland/sikkelcelpatienten-bij-een-beetje-pijn-word-ik-al-bang~a4600710/?utm_source=link&utm_medium=social&utm_campaign=share%20content&utm_content=paid&hash=cf1eb8c84d32be71b865524d56da12ae2e38845c
- **Oratie Karin Fijn van Draat – 29 september 2017, vanaf minuut 32:30**
<https://webcolleges.uva.nl/Mediasite/Play/b2389ac9588647d686897e3d8fe7e4aa1d>

Planning en werkwijze van het project

De looptijd van het project is een jaar.

Voor aanvang van het project wordt er toestemming gevraagd aan de medisch-ethische commissie van het AMC. Wanneer dit verkregen is zal het project van start gaan.

Vorbereidingsfase (2 maanden)

De arts-onderzoeker bereidt het project voor door geschikte patiënten te identificeren binnen de groep die in het AMC worden behandeld. Deze patiënten worden uitgenodigd voor een gesprek waarin het onderzoek wordt uitgelegd. Wanneer zij toestemming geven voor deelname krijgen ze een dagboekje waarin ze dagelijks moeten bijhouden of ze pijn hebben of andere symptomen. Zij krijgen instructies voor het dragen van de FitBit. In totaal worden er 10 patiënten geïnccludeerd.

Tevens stelt de arts onderzoeker een database op voor het vastleggen en later analyseren van de verzamelde gegevens.

Meetfase (8 maanden)

Tijdens de meetfase dragen de patiënten gedurende 6 maanden continue de FitBit en vullen ze dagelijks een dagboekje in om hun pijn te monitoren. Zij hebben elke 3-4 weken een afspraak met de arts-onderzoeker die symptomen van de afgelopen periode navraagt en hen motiveert om met het onderzoek door te gaan.

De arts-onderzoeker zorgt ervoor dat de data van de FitBit in de database terechtkomen en overlegt met de ontwikkelaar over de analyses. De data worden gekoppeld aan klinische symptomen en andere bijzonderheden die zich tijdens de observatieperiode voordoen.

Omdat niet alle 10 patiënten op hetzelfde moment beginnen, maar de instroom over 2 maanden verspreid is, duurt deze fase in totaal 8 maanden.

Analyse en afronding (2 maanden)

Alle data worden door de arts-onderzoeker met hulp van een statisticus geanalyseerd en statistisch getest, waarbij gekeken wordt welke parameters van de hartslag het beste voorspellen of er een pijnlijke crisis optreedt. De resultaten van het project worden in een wetenschappelijke publicatie beschreven die wordt aangeboden aan een internationaal medisch vakblad.