

Richtlijnen voor DMD

Hoe goed volgen we ze en
hoe dat te optimaliseren?

Imelda JM de Groot

Eerste internationale richtlijn 2010

Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management



*Katharine Bushby, Richard Finkel, David J Birnkrant, Laura E Case, Paula R Clemens, Linda Cripe, Ajay Kaul, Kathi Kinnett, Craig McDonald, Shree Pandya, James Poysky, Frederic Shapiro, Jean Tomezsko, Carolyn Constantin, for the DMD Care Considerations Working Group**

Duchenne muscular dystrophy (DMD) is a severe, progressive disease that affects 1 in 3600–6000 live male births. Although guidelines are available for various aspects of DMD, comprehensive clinical care recommendations do not exist. The US Centers for Disease Control and Prevention selected 84 clinicians to develop care recommendations using the RAND Corporation–University of California Los Angeles Appropriateness Method. The DMD Care Considerations Working Group evaluated assessments and interventions used in the management of diagnostics, gastroenterology and nutrition, rehabilitation, and neuromuscular, psychosocial, cardiovascular, respiratory, orthopaedic, and surgical aspects of DMD. These recommendations, presented in two parts, are intended for the wide range of practitioners who care for individuals with DMD. They provide a framework for recognising the multisystem primary manifestations and secondary complications of DMD and for providing coordinated multidisciplinary care. In part 1 of this Review, we describe the methods used to generate the recommendations, and the overall perspective on care, pharmacological treatment, and psychosocial management.

Lancet Neurol 2010; 9: 77–93

Published Online
November 30, 2009
DOI:10.1016/S1474-4422(09)70271-6

See [In Context](#) page 37

See Online/Review
DOI:10.1016/S1474-4422(09)70272-8

*Members listed at end of paper

Institute of Human Genetics,
Newcastle University,
Newcastle upon Tyne, UK

Hoe goed opgevolgd?

Journal of Neuromuscular Diseases 2 (2015) 63–72
DOI 10.3233/JND-140053
IOS Press

63

Research Report

Compliance to Care Guidelines for Duchenne Muscular Dystrophy

Erik Landfeldt^{a,b}, Peter Lindgren^c, Christopher F. Bell^d, Claude Schmitt^e, Michela Guglieri^f, Volker Straub^f, Hanns Lochmüller^{f,1} and Katharine Bushby^{f,*1}

Results: A total of 770 patients (173 German, 122 Italian, 191 UK, and 284 US) completed the questionnaire. Poor compliance to guidelines of routine follow-up by neuromuscular, cardiac, and respiratory specialists, physiotherapy, and access to medical devices and aids were observed in all countries. Less than 27% (209 of 770) of patients met all absolute recommendations, ranging from 9% (11 of 122) in Italy to 37% (70 of 191) in the UK, and from 49% (76 of 155) in the early ambulatory class to 16% (33 of 205) in the late non-ambulatory class.

Conclusions: We show that the medical management of DMD varies substantially between Germany, Italy, the UK, and the US. Experience of real-world DMD care appears to be in poor agreement with the DMD clinical guidelines and increased compliance is urgently needed to improve treatment outcomes and enable patients to lead fulfilling, independent lives into adulthood.

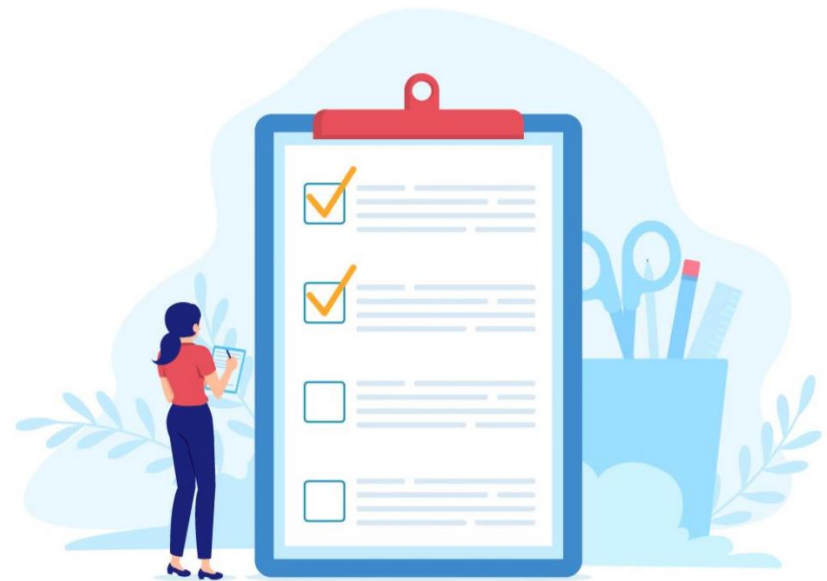
Topzorg voor topjongens

Careful care onderzoek

- Subsidie van Spieren voor Spieren 2017
 - Hoe goed wordt de richtlijn in Nederland gevolgd?
 - Waarom wordt de richtlijn wel of niet gevolgd?
 - Wat zouden de wensen zijn van de behandelaars?
 - Hoe denken de jongens/mannen/ouders er over?

Opzet van het onderzoek

- Interviews met academische spierziekte teams
- Vragenlijsten voor revalidatieteams
- Vragenlijst voor jongens/mannen/ouders



Nieuwe ontwikkelingen

- Nieuwe internationale richtlijnen in 2018 gepubliceerd

Review > [Lancet Neurol. 2018 Mar;17\(3\):251-267. doi: 10.1016/S1474-4422\(18\)30024-3.](#)
Epub 2018 Feb 3.

Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and neuromuscular, rehabilitation, endocrine, and gastrointestinal and nutritional management

David J Birnkrant¹, Katharine Bushby², Carla M Bann³, Susan D Apkon⁴, Angela Blackwell³, David Brumbaugh⁵, Laura E Case⁶, Paula R Clemens⁷, Stasia Hadjiyannakis⁸, Shree Pandya⁹, Natalie Street¹⁰, Jean Tomezsko¹¹, Kathryn R Wagner¹², Leanne M Ward⁸, David R Weber¹³,
DMD Care Considerations Working Group

- Subsidie SKMS gelden voor nationale richtlijn via Vereniging Revalidatie Artsen
- Werkgroepen via Duchenne Centrum Nederland m.b.t. 2018 richtlijn

Aantal onderwerpen oppervlakkig in internationale richtlijn

- Subsidie SKMS om aantal onderwerpen verder uit te diepen (max 10)
 - Revalidatie/fysiotherapie onderwerpen
 - Rug: zitvoorzieningen en chirurgie
 - Corticosteroiden



Richtlijndatabase

[RICHTLIJNEN](#) [Q ZOEK](#) [NIEUWS](#) [INSTRUCTIES](#) [OVER](#) [CONTACT](#)

[LOG IN](#) [COVID-19](#)

[← Terug naar zoekresultaten](#)

Duchenne spierdystrofie (DMD)

[+ VOLGEN](#)

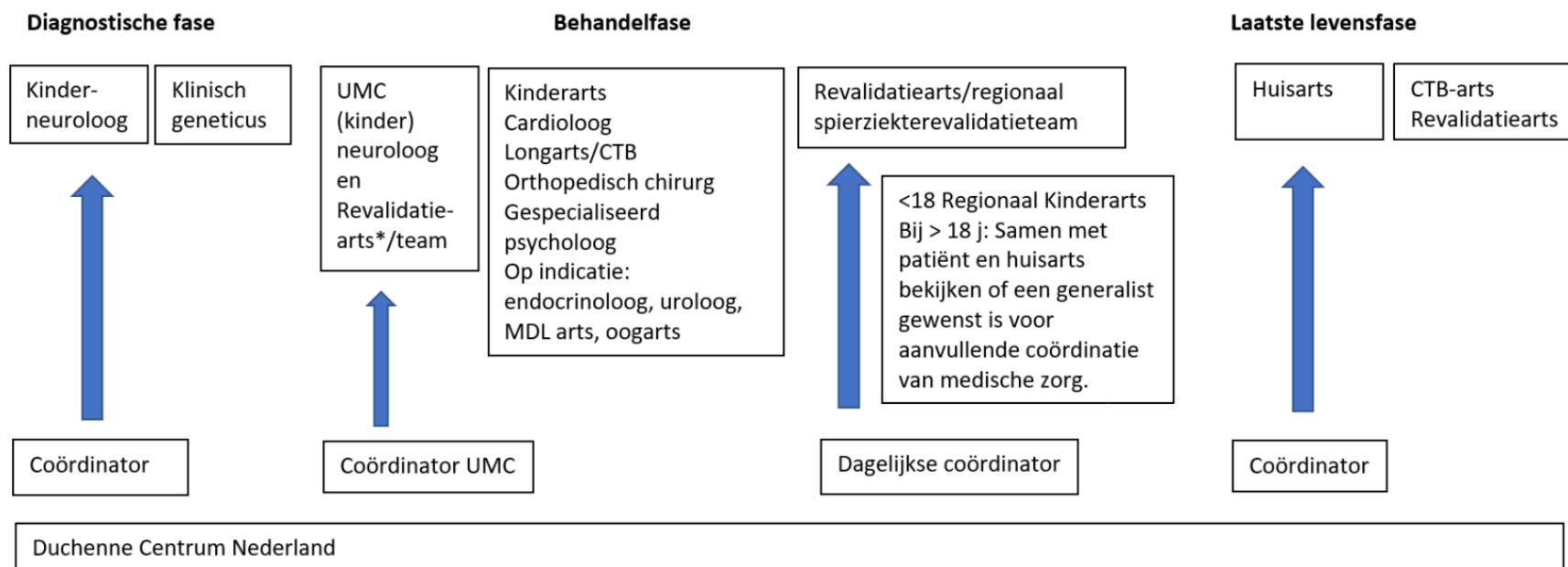
Hoe goed was NL in volgen van richtlijnen uit 2010?

- Gekozen voor richtlijn 2010 omdat 2018 maar net gepubliceerd werd toen het onderzoek voorbereid werd en implementatie niet snel gaat
- Redenen om dit te weten:
 - Kunnen we de professionals helpen om richtlijnen te volgen?
 - Waar moeten we op verbeteren als professionals?
 - Wat zijn de wensen van mensen met DMD?

Bijzondere zorgsysteem van NL: “shared care”

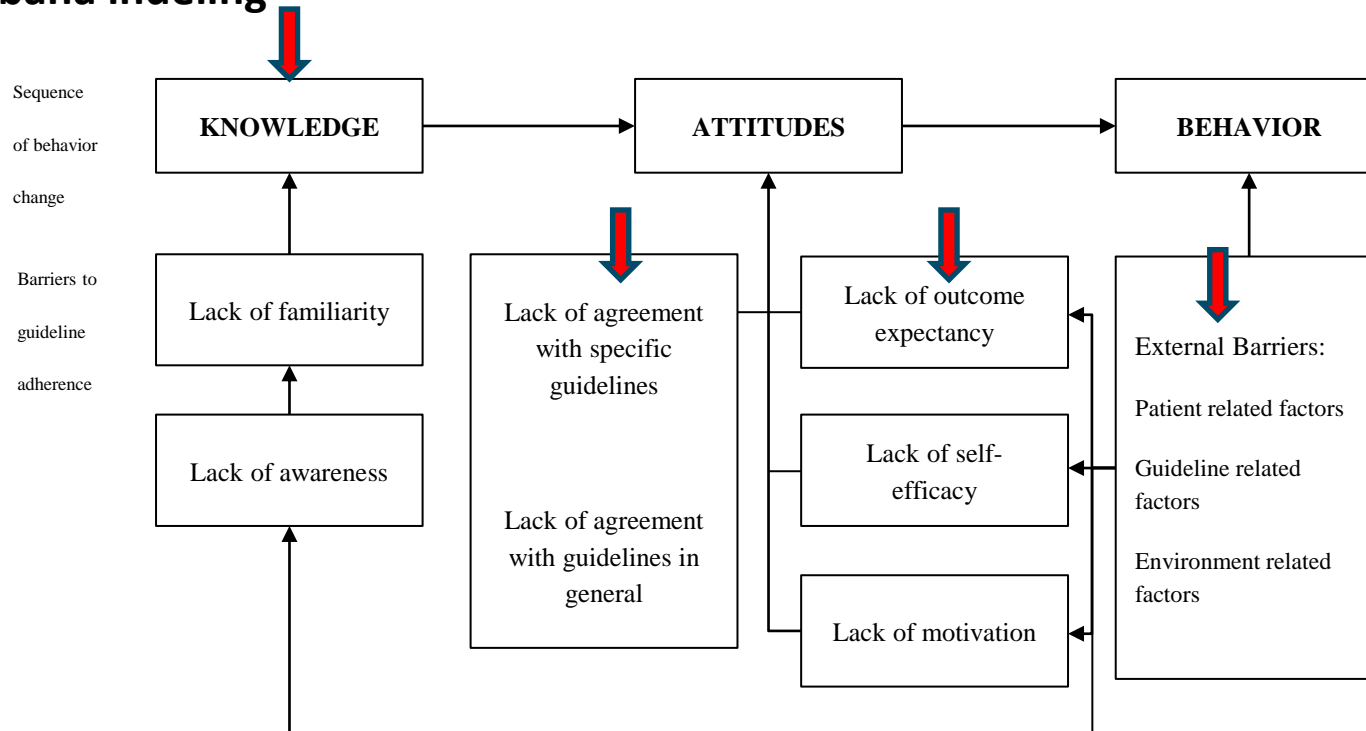
Schema organisatie van zorg (figuur 1)

Figuur 1 Schema organisatie van zorg



Interview en vragenlijsten professionals

Cabana indeling



Lotte Heutinck et al. J Neuromuscul Dis 2021 doi: 10.3233/JND-200586

Verbeterpunten:

- Bekendheid van richtlijn onder alle zorgprofessionals
- Consensus over uitkomstmaten
- Nut van uitkomstmaten over de tijd laten zien
- Externe barrières: financiering van zorgteam, menskracht, financiering van de gewenste onderzoeken
- Onderlinge afstemming tussen de coördinatoren van de zorgteams
- Heldere communicatie tussen de zorgteams

Vragenlijsten: jongens/mannen en ouders

- Doel van de vragenlijsten was:
 - per onderwerp beoordelen in hoeverre de contacten/onderzoeken bij mensen met DMD overeenkomen met adviezen (uitgedrukt in %)
- Mensen werden benaderd via
 - Duchenne database LUMC
 - Database Radboudumc
 - Patiëntenorganisaties: DPP en Spierziekten Nederland
- Uiteindelijk 84 bruikbare vragenlijsten: respons 21.3 %
- Gemiddelde leeftijd 22 jaar, range 5-50 jaar

Hoe goed doet NL het?

100 % = conform internationale richtlijn

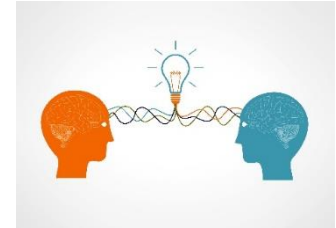
- Neuromusculair team (2x/j): 86.9 %
- Metingen van gewrichten in benen en armen (2x/j): 32.9% en 31.7% respectievelijk
 - Ambulante jongens hogere % dan rolstoelgebonden jongens/mannen
- Longfunctie: ambulante 84.6%, in rolstoelgebonden jongens/mannen 34.8%
- Hartfunctie: 95.2 % bezoek bij cardioloog, ECHO/ ECG onder 10 jaar 100%, 10 jaar of ouder ECHO 90.9/ ECG 96.1 %
- Rugfoto: rolstoelgebonden: 49.2 %
- Controle op bijwerkingen corticosteroiden: gewicht 83.1%, lengte groei 63.9%, bloeddruk 91.8 %, cataract 14.5 %, DEXA 29.5%

Tevredenheid met zorg en suggesties voor verbetering

- 88% was zeer tot redelijk tevreden met de geleverde zorg
- Suggesties voor verbetering:
 - Procedures voor verkrijgen van hulpmiddelen (bijv rolstoel) nemen teveel tijd
 - Efficiëntie van organisatie van zorg kan verbeteren
 - Communicatie tussen de verschillende hulpverleners kan verbeteren

Lotte Heutinck et al 2021 J Neuromuscular Diseases geaccepteerd

Voorstellen om te verbeteren



- Afspraken over wie neemt welke rol
- Heldere communicatie tussen professionals van 3^e en 2^e en 1^e lijn
- Verbeteren van zorg vooral voor non-ambulant jongens en volwassenen
- Aanpassen van de internationale richtlijn adviezen naar de nationale mogelijkheden
- Consensus werkgroepen over de verschillende onderwerpen

Werkgroepen Duchenne Centrum NL

- Alle onderwerpen uit internationale richtlijn van 2018
- Consensus over de gegeven adviezen of consensus wanneer hier vanaf geweken wordt (met argumenten)
- Goedkeuring door eigen beroepsvereniging
- Worden gepubliceerd op Duchenne Centrum NL site



**We doen het niet slecht maar kan
altijd beter!**

