



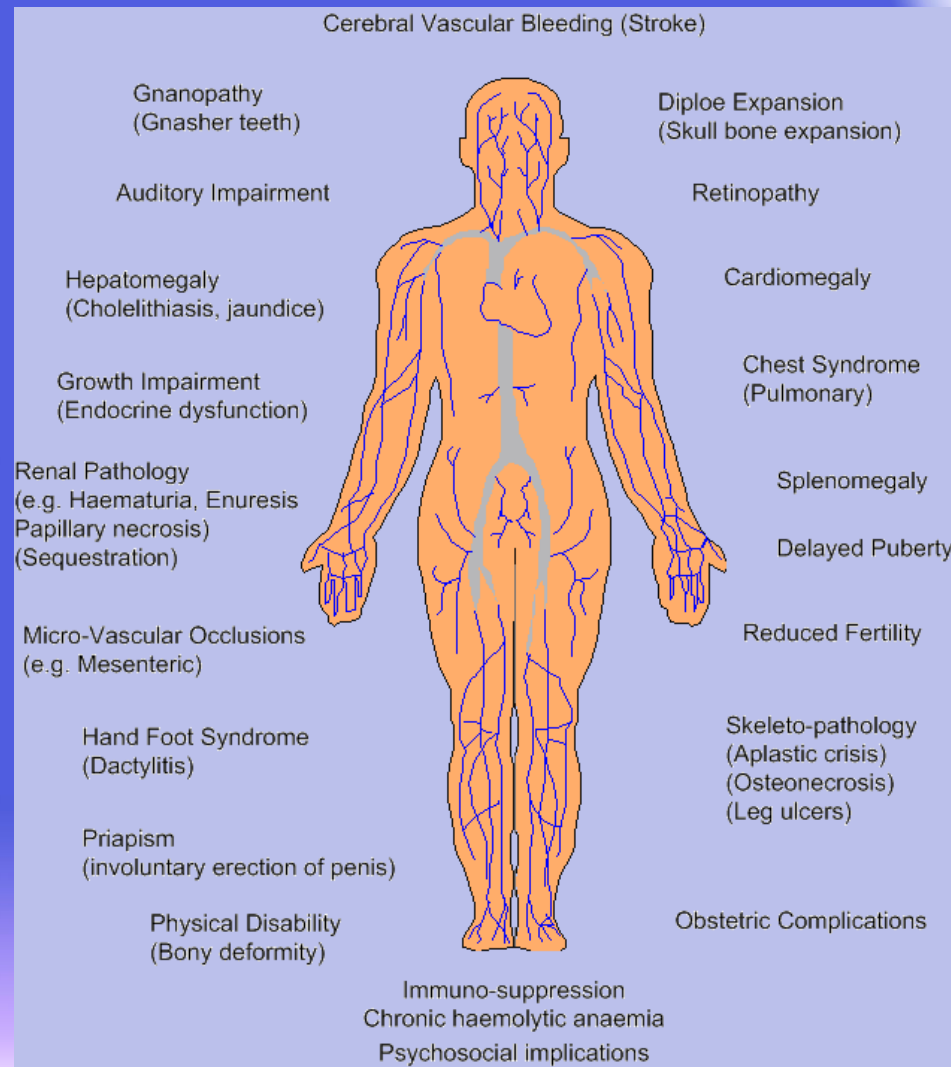
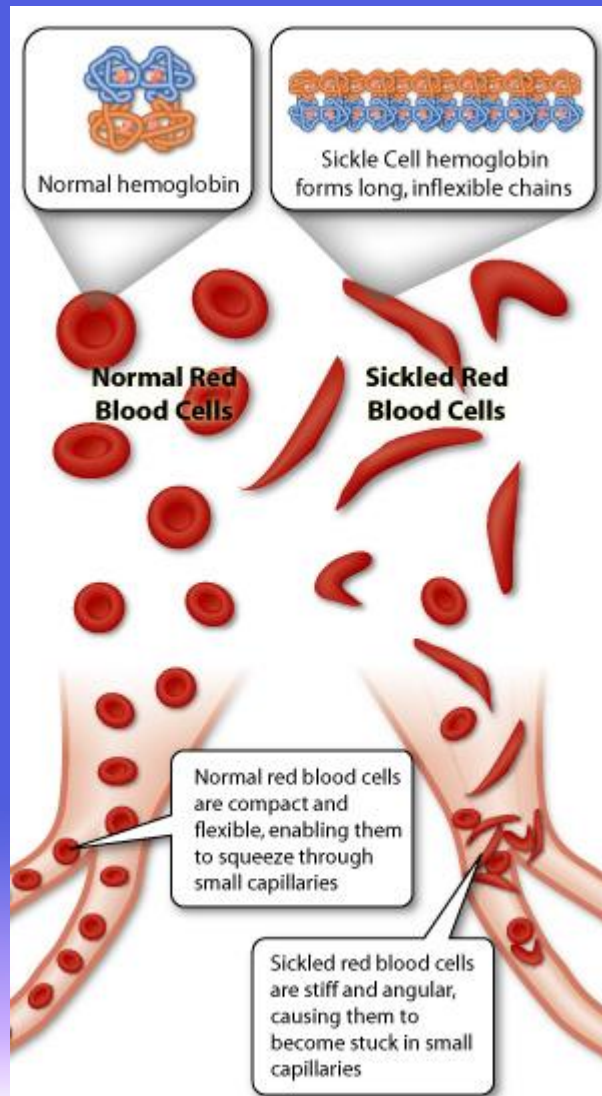
Sickle Cell Outcome REsearch SCORE

Voorstel landelijke registratie sikkelcelziekte

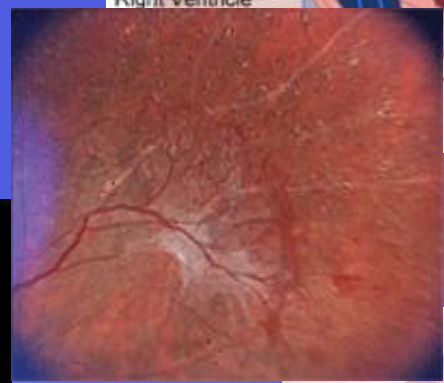
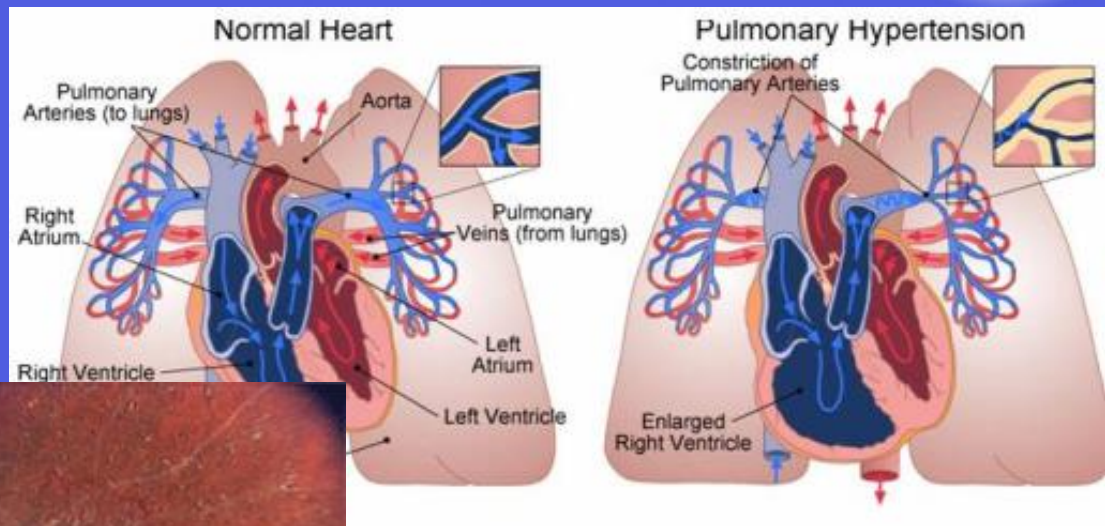
3 september 2018

Anne P.J. de Pagter, kinderhematoloog

Sikkelcelziekte



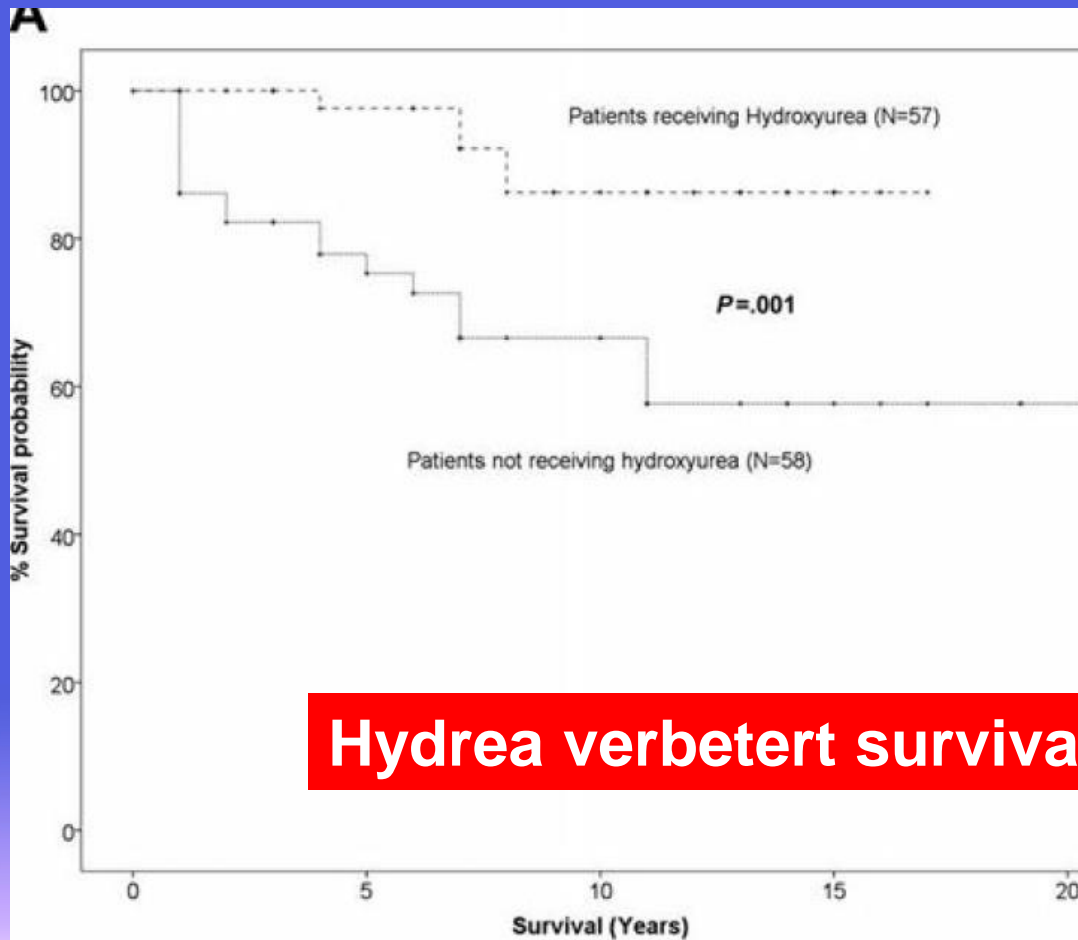
Multi Organ Failure



Levensverwachting



- Mediane overleving: vrouw 42 jaar man 38 jaar



Hydrea verbetert survival



SCORE consortium

- Kwetsbare groep
- Expertise centra
- Veelbelovende (curatieve...) toekomst

SCORE consortium



Collaboration SCD Coalition: Four Priorities



- Acces to care
- Training and Professional Education
- Research and Clinical trials
- Global Issues





SCORE Research Agenda

Overall:

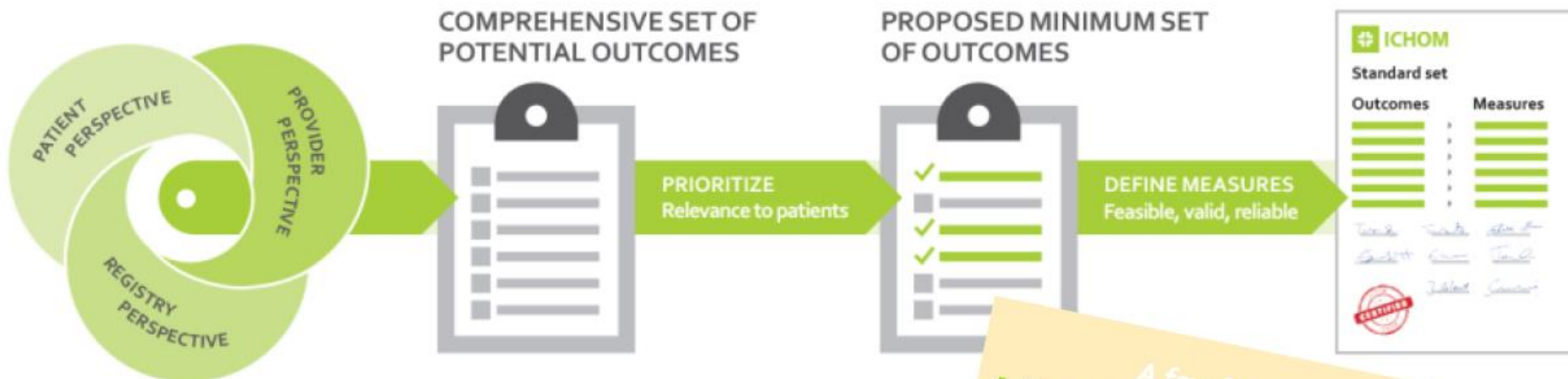
Improving morbidity and survival of patients with SCD
(International Sickle Cell Coalition)

- Develop clinical trial network
- Identification of predictors of organ-specific SCD disease complications
- Evaluation outcome of different treatment regimens
- Enhance participation of SCD patients

ICHOM : International Consortium of Health Outcome Measures

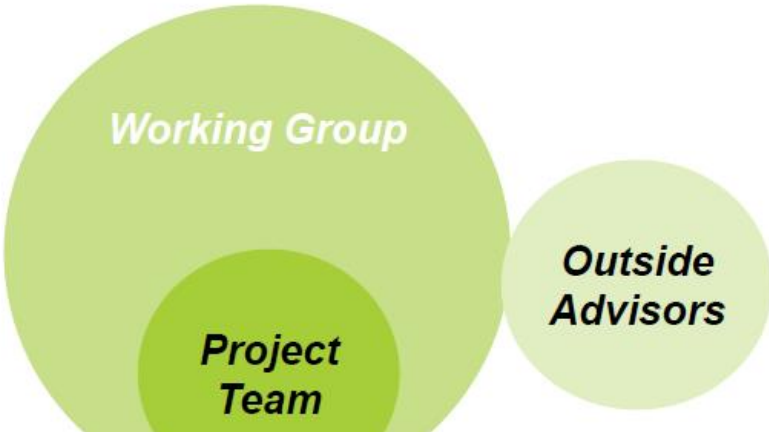


Kanker Instituut



A few facts

- 300 physicians, patient representatives and outcomes experts involved so far
- All participants volunteer their time, 2-3 hours per month
- 6-8 months to develop a Standard Set





Link met VHL

- Signalering van sikkelcelziekte patiënten
 - Hielprikscreening (RIVM)
 - HPLC diagnostiek

Definities hielprikscreening Hbpathie



HPLC-patroon	Fenotype; Voor kinderarts	classificatie	Actie *)	Voor huisarts Patroon passend bij:
FS	HbS/S of HbS/ β -thalassemie	afwijkend	zie 1	Sikkelcelziekte
FSa	HbS/ β^+ -thalassemie	afwijkend	zie 1	Sikkelcelziekte
FSC	HbS/C	afwijkend	zie 1	Sikkelcelziekte
FSD	HbS/DPunjab	afwijkend	zie 1	Sikkelcelziekte
FSE	HbS/E	afwijkend	zie 1	Sikkelcelziekte
F	β -thalassemie/ β -thalassemie	afwijkend	zie 1	β -thalassemie major
FE	β -thalassemie/HbE of HbE/E	afwijkend	zie 1	β -thalassemie major of β -thalassemie intermedia
FEa	β^+ -thalassemie/HbE	afwijkend	zie 1	β -thalassemie major of β -thalassemie intermedia
FAB	HbBart: α^0 -thalassemie/ α^+ -thalassemie	afwijkend	zie 1	HbH-ziekte
FACB	α^0 -thalassemie/ α^+ -thalassemie + drager HbC	afwijkend	zie 1	HbH-ziekte + drager HbC
FADB	α^0 -thalassemie/ α^+ -thalassemie + drager HbD	afwijkend	zie 1	HbH-ziekte + drager HbD
FAEB	α^0 -thalassemie/ α^+ -thalassemie + drager HbE	afwijkend	zie 1	HbH-ziekte + drager HbE
FASB	α^0 -thalassemie/ α^+ -thalassemie + drager HbS	afwijkend	zie 1	HbH-ziekte + drager HbS
FX		afwijkend	zie 1	Hemoglobinopathie nog nader te specificeren
FAS	HbAS	afwijkend	zie 2	Drager sikkelcelziekte
AF			zie 3	
FA en overige patronen		negatief	geen	