Koning Boudewijnstichting

BREDERODESTRAAT 21 B-1000 BRUSSEL
TEL +32-2-511 18 40
KBS-FRB.BE GOEDEDOELEN.BE INFO@KBS-FRB.BE

Mind the Gap!
Multistakeholderdialoog voor het bepalen van prioriteiten in de medische onderzoeksagenda
Pilootproject: Tubereuze Sclerose Complex
Koning Boudewijnstichting België

Waar gaat het over?

De Koning Boudewijnstichting België, be-TSC en het UZ Brussel – Vrije Universiteit Brussel willen mensen met tubereuze sclerose complex (TSC) en hun familie in dialoog laten gaan met professionele gezondheidswerkers (medici en paramedici), met onderzoekers en met mogelijke sponsors van onderzoek. Het doel is om onzekerheden over de aanpak en behandeling van TSC te identificeren en te rangschikken, om zo mee de prioriteiten te bepalen voor toekomstig TSC-onderzoek.

Tubereuze sclerose complex

Tubereuze sclerose complex (TSC) is een genetische aandoening die diverse organen kan treffen, zoals de huid, de hersenen, het hart, de nieren, de ogen en de longen. Het aantal klachten en de ernst ervan kan zeer sterk verschillen van persoon tot persoon. De meest voorkomende ziektesymptomen zijn de vorming van goedaardige tumoren in de organen, epileptische aanvallen en neuropsychiatrische problemen zoals autismespectrumstoornis, ontwikkelingsachterstand, angst en depressie.
TSC treft ongeveer 1 op 6000 tot 10.000 mensen en wordt veroorzaakt door mutaties in het TSC1- of TSC2-gen. TSC is een dominant erfelijke aandoening, maar bij twee derde van de patiënten ontstaat de ziekte als gevolg van een nieuwe mutatie (de novo). Deze patiënten hebben de ziekte dus niet van één van hun ouders geërfd.
Een aanpak op maat en een goede coördinatie van de gespecialiseerde zorg, zowel medisch als niet-medisch, is in het leven van kinderen en volwassenen met TSC van cruciaal belang om ernstige gezondheidsproblemen en vroegtijdig overlijden tegen te gaan.

Waarom prioriteiten stellen in de onderzoeksagenda voor TSC?

Er is in het TSC-onderzoek al aanzienlijke vooruitgang geboekt. Maar spelen de huidige onderzoekagenda's voldoende in op de noden van de patiënten en hun familieleden, en op de wensen van artsen en andere zorgverstrekkers? De specifieke kennis en ervaring van een aantal van deze groepen blijven dikwijls ondergewaardeerd en worden onvoldoende in aanmerking genomen bij het bepalen van prioriteiten voor het onderzoek.

Een dialoog tussen alle betrokkenen

Een multistakeholderdialoog is een manier om betrokken partijen te bevragen die vaak te weinig of niet aan het woord komen. De dialoog is een stapsgewijs en evolutief proces waarbij patiënten en familieleden samenwerken met onderzoekers, zorgverstrekkers en mogelijke sponsors van onderzoek. Het doel is om behandelingsonzekerheden te identificeren en prioritaire onderzoeksthema's te bepalen.
In een eerste gespreksronde zal elke betrokken groep afzonderlijk onzekerheden bepalen met betrekking tot de preventie, diagnose, behandeling en zorg bij TSC. De methodes om deze informatie te verzamelen zullen worden aangepast aan de aard van elke groep, waarbij transparantie, inclusie en representativiteit worden verzekerd. Bijkomend zullen bestaande informatiebronnen rond dergelijke onzekerheden en onderzoeksprioriteiten bij TSC worden gebruikt. In de tweede ronde zullen de deelnemende groepen samen een rangorde bepalen voor deze

onzekerheden en onderzoeksthema's. Dit gebeurt via een open dialoog tijdens een face-to-face consensusvergadering.

Groepen die in deze oefening tot priority setting voor TSC-onderzoek zeker niet mogen ontbreken zijn:

1. Individuele Belgische TSC-patiënten, ouders van patiënten, de Belgische patiëntenvereniging be-TSC
2. Nationale en internationale TSC-patiëntenorganisaties
3. Experten in TSC (clinici, paramedici, andere gezondheidswerkers, sociale werkers…)
4. TSC-onderzoekers en onderzoekers in verwante domeinen
5. Financierders en sponsors van onderzoek

Verwacht resultaat

Deze oefening zal uitmonden in een rangorde van behandelingsonzekerheden, die zal worden vertaald in prioritaire onderzoeksvragen, geïnspireerd door Belgische TSC-patiënten, familieleden, zorgverstrekkers en onderzoekers. De resultaten zullen worden bekrachtigd door hun internationale "peers" en op die manier in een internationale context worden ingebed.
De resultaten zullen worden beschreven in een rapport van de Koning Boudewijnstichting en in een wetenschappelijk artikel dat wordt gepubliceerd in een internationaal tijdschrift.

Who-is-who

Koning Boudewijnstichting - Samen werken aan een betere samenleving
De Koning Boudewijnstichting is een onafhankelijke en pluralistische stichting die actief is op zowel lokaal, regionaal, federaal, Europees als internationaal niveau. We willen de maatschappij ten goede veranderen en investeren daarom in inspirerende projecten en individuen. In 2015 gaven de Koning Boudewijnstichting en de Fondsen die ze beheert 34,8 miljoen euro steun aan 264 individuen en 1.813 organisaties voor projecten rond armoede, gezondheid, ontwikkeling, maatschappelijk engagement, erfgoed, …
Verantwoordelijken voor het project 'Research priority setting for TSC via multi-stakeholder dialogue' bij de KBS zijn
Annemie T'Seyen en **Bénédicte Gombault**
tseyen.a@kbs-frb.be en gombault.b@kbs-frb.be




be-TSC
be-TSC wil er zijn voor iedereen die op een of andere manier met TSC te maken heeft. We willen informeren, ondersteunen en verbinden. Dat doen we via een levendige Facebookgroep, via onze website en nieuwsbrieven, via direct contact. be-TSC werkt aan een bredere bekendheid van de ziekte in de samenleving. Want erkenning krijgen voor datgene wat je leven tekent, maakt mensen weerbaarder. En het komt het begrip en de zorg ten goede. De voorzitter van be-TSC en be-TSC aanspreekpunt voor dit project is **Eva Schoeters**.
www.betsc.be



UZ Brussel
In het Universitair Ziekenhuis Brussel worden elk jaar 400.000 patiënten ambulant behandeld. Daarnaast worden jaarlijks 25.000 patiënten uit binnen- en buitenland opgenomen in één van de 700 bedden. Via excellente klinische zorg, wetenschappelijke inzet en een mensgerichte benadering streeft het UZ Brussel naar een brede waaier aan gezondheidsdiensten van de hoogste kwaliteit. Het ziekenhuis is nauw verbonden met de Vrije Universiteit Brussel.
Prof. dr. Anna Jansen, kinderneurologe, coördineert de multidisciplinaire TSC-consultatie in het UZ Brussel. Zij doet ook wetenschappelijk onderzoek naar TSC en is de initiatiefneemster van dit multistakeholderoverleg voor priority setting in TSC.

