

Jaarverslag 2023



Inhoud

Stichting Kind en Groei-LRG	3
Onze activiteiten in 2023	4
Beoordeling indicatiestelling en continuering groeihormoonbehandeling	4
Onderzoek	9
Bestuur en personeel	11
Colofon	12

Stichting Kind en Groei-LRG

Kinderen bij wie een groeistoornis is geconstateerd kunnen, wanneer aan bepaalde voorwaarden wordt voldaan, in aanmerking komen voor groeihormoonbehandeling. Stichting Kind en Groei - Landelijke Registratie Groeihormoonbehandeling (LRG) toetst de indicatiestelling voor groeihormoonbehandeling voor kinderen in Nederland.

Een groeihormoonbehandeling bij kinderen duurt vele jaren. De effectiviteit en veiligheid van de behandeling worden jaarlijks door Stichting Kind en Groei - LRG beoordeeld. De beoordeling vindt plaats op basis van voortgangsgegevens die verzameld worden via behandelend kinderarts-endocrinologen. De Stichting Kind en Groei - LRG adviseert zo nodig de behandelaars ten aanzien van aanvullende diagnostiek en behandeling.

Daarnaast beheert Stichting Kind en Groei - LRG als enige organisatie in Nederland, en als een van de weinige in de wereld, zorgdossiers met gegevens van kinderen die met groeihormoon behandeld worden. Gegevens uit het zorgdossier worden opgenomen in de database van de Stichting Kind en Groei - LRG. Op deze manier ontstaat er inzicht in de korte- en langetermijneffectiviteit en -veiligheid van groeihormoonbehandeling bij kinderen.



”

Op deze manier ontstaat er inzicht in de korte- en langetermijneffectiviteit van groeihormoonbehandeling bij kinderen.

Onze activiteiten

in 2023

Beoordeling indicatiestelling en continuering groeihormoon behandeling

Indicatiestelling

Groeihormoonbehandeling bij kinderen wordt toegestaan onder bepaalde voorwaarden. Voor een aantal aandoeningen geldt dat de behandeling wordt vergoed door de zorgverzekeraar, indien aan de voorwaarden wordt voldaan.

Deze aandoeningen zijn:

- Groeistoornissen door een tekort aan groeihormoon (groeihormoondeficiëntie, GHD)
- Groeistoornissen door slecht of niet-functionerende nieren (chronische nierinsufficiëntie, CNI)

- Groeistoornissen na een stamceltransplantatie (SCT)
- Te kleine lengte bij meisjes met Turner syndroom (TS)
- Noonan syndroom
- Prader-Willi syndroom (PWS)
- Te kleine lengte bij kinderen die te klein waren bij de geboorte (Small for Gestational Age, SGA)
- Te kleine lengte bij SHOX haploinsufficiëntie
- ACAN-deficiëntie
- Kabuki syndroom
- Te kleine lengte t.g.v. een zeldzame aandoening.

Onder deze laatste categorie vallen zeldzame aandoeningen waarvan de werkzaamheid van groeihormoon bij die aandoening wetenschappelijk is onderbouwd en er voor die aandoening geen behandeling mogelijk is met enig ander voor die aandoening geregistreerd geneesmiddel. Aanvragen voor groeihormoonbehandeling worden ingediend door de behandelend kinderarts-endocrinoloog of kinderarts-nefroloog.

De Nederlandse Zorgautoriteit (NZa) heeft goedkeuring gegeven voor een OZP tarief voor de beoordeling van groeihormoonbehandeling, voor zowel de indicatiestelling als de jaarlijkse beoordeling. Het is een bindende beslissing voor alle zorgverzekeraars. Met ingang van 1 januari 2020 worden als uitkomst hiervan adviezen voor het starten en voor het continueren van groeihormoonbehandeling uitgebracht aan de behandelend kinderarts-endocrinoloog.

In 2023 heeft Stichting Kind en Groei - LRG 429 aanvragen voor het starten van groeihormoon-behandeling bij kinderen beoordeeld.

In Tabel 1 wordt de onderverdeling naar de aandoening getoond waarvoor de behandeling werd aangevraagd. Er zijn in 2023 twee nieuwe indicaties voor groeihormoon-behandeling bijgekomen, namelijk ACAN-deficiëntie en Kabuki syndroom.

Tabel 1.

Aantal aanvragen voor start groeihormoonbehandeling, naar indicatie.

Indicatie	Aantal aanvragen
Groeihormoontekort (GHD)	116
Small for gestational age (SGA)	142
Turner syndroom (TS)	43
SHOX haploinsufficiëntie	22
Chronische nierinsufficiëntie (CNI)	8
Prader-Willi syndroom (PWS)	8
Groeistoornis na stamceltransplantatie (SCT)	7
Noonan syndroom	25
ACAN deficiëntie	6
Kabuki syndroom	4
Overig *	48
Totaal	429

* Dit zijn bijvoorbeeld zeldzame groeistoornissen die besproken zijn in het Forum. >

Beoordeling continuering GH-behandeling

Jaarlijks evalueert Stichting Kind en Groei - LRG of een kind voldoende is gegroeid, bijwerkingen heeft gehad en de juiste GH dosis krijgt. De LRG hanteert voor het beoordelen van het effect van de behandeling de groei-responscriteria die ontwikkeld zijn op basis van gegevens in de LRG. Deze beoordeling vindt plaats op basis van follow-up gegevens die Stichting Kind en Groei - LRG ontvangt van de behandelend arts. De arts hoeft voor de beoordeling niet zelf een aanvraag in te dienen. Soms wordt een advies gegeven om de behandeling voor een kortere periode dan 12 maanden te continueren, bijvoorbeeld omdat de groeirespons slechter is dan verwacht, of om het effect van aanpassingen in de behandeling, zoals een verhoging van de dosering, te kunnen evalueren.

In 2023 werden 2214 beoordelingen voor het continueren van de behandeling verricht.

In Tabel 2 wordt de onderverdeling naar indicatie getoond.

Tabel 2.

Aantal beoordelingen voor continueren van groeihormoonbehandeling, naar indicatie

Indicatie	Aantal adviezen
Groeihormoontekort (GHD)	809
Small for gestational age (SGA)	672
Turner syndroom (TS)	229
SHOX haploinsufficiëntie	127
Chronische nierinsufficiëntie (CNI)	6
Prader-Willi syndroom (PWS)	133
Groeistoornis na stamceltransplantatie (SCT)	30
Noonan syndroom	55
Overig *	153
Totaal	2.214

* Dit zijn bijvoorbeeld zeldzame groeistoornissen die besproken zijn in het Forum. >

Forum

Aanvragen worden door één van de deskundigen binnen Stichting Kind en Groei-LRG beoordeeld. Zeer moeilijke of complexe aanvragen kunnen worden voorgelegd aan een forum van drie ervaren kinderarts-endocrinologen, waarvan de leden regelmatig rouleren. Zo nodig krijgt de behandelaar adviezen ten aanzien van diagnostiek en behandeling.

In 2023 besprak het forum de gegevens van 82 patiënten voor wie een aanvraag voor starten van de behandeling was ingediend en 18 patiënten die al met groeihormoon werden behandeld.

Van de patiënten die in het forum werden besproken was kleine lengte na SGA geboorte en een kleine lengte t.g.v. een zeldzame aandoening de belangrijkste reden voor aanvragen groeihormoonbehandeling. Van de 82 aanvragen voor starten van de behandeling betrof

40% (33 patiënten) een aanvraag op basis van SGA (bij 15 van deze 33 aanvragen werd behandeling door het forum afgewezen) en 30% (25 patiënten) een aanvraag op basis van een zeldzame aandoening (bij 5 van deze 25 aanvragen werd behandeling door het forum afgewezen). In totaal werd 25% van de aanvragen tot start groeihormoonbehandeling door het forum afgewezen.

Adviesgroep Groeihormoon

De Adviesgroep Groeihormoon is een adviesgroep van de Sectie Endocrinologie van de Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK). Leden zijn de kinderarts-endocrinologen in Nederland. De Adviesgroep komt vier keer per jaar bijeen. Stichting Kind en Groei-LRG voert het secretariaat van de Adviesgroep.

Stichting Kind en Groei-LRG toetst groeihormoonaanvragen aan de richtlijnen van de Adviesgroep, zowel de indicatiestelling (de startadviezen) als de beoordeling van de behandeling (de continueringadviezen).

De richtlijnen van de Adviesgroep zijn gepubliceerd op <https://www.nvk.nl/themas/kwaliteit/richtlijnen> >

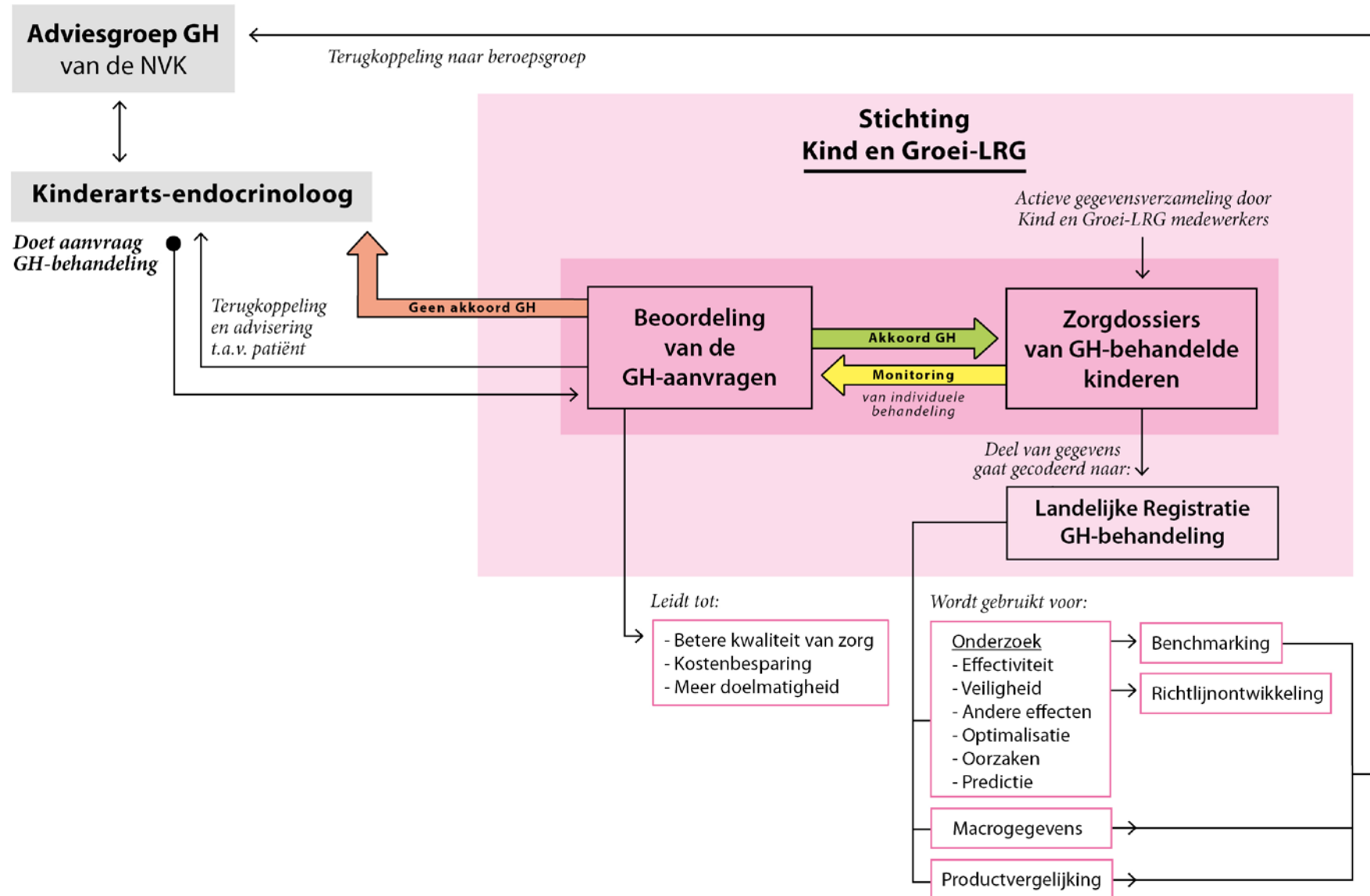
Zorgdossier

De gegevens van zowel de indicatiestelling als de behandeling vormen samen het zorgdossier van het kind. De gegevens uit het zorgdossier worden gebruikt om het effect en de veiligheid van de individuele behandeling bij een kind te evalueren en jaarlijks een advies uit te brengen ten aanzien van het al of niet continueren van de behandeling.

Landelijke Registratie Groeihormoon-behandeling bij kinderen

Een deel van de gegevens van kinderen met groeihormoonbehandeling wordt gecodeerd geregistreerd in de LRG. Deze gegevens worden gebruikt voor wetenschappelijk onderzoek op het gebied van groeihormoonbehandeling bij kinderen met als doel de kwaliteit en doelmatigheid van de behandeling verder te verbeteren

INDICATIESTELLING EN CONTROLE VAN GROEIHORMOONBEHANDELING (GH) BIJ KINDEREN



Medewerkers Stichting Kind en Groei-LRG

Mw. prof. dr. A.C.S. Hokken-Koelega,
kinderarts-endocrinoloog
directeur

Mw. dr. J.S. Renes, kinderarts-endocrinoloog,
coördinator LRG

Mw. dr. A.M.J. Reedijk, epidemioloog,
data-manager

Mw. M. Honingh, MSc,
registratie medewerker

Mw. H. Hüsken,
registratie medewerker

Mw. I. Poortvliet,
registratie medewerker

Mw. C. Ceelen,
registratie medewerker

Mw. S. Poeran,
secretaresse



Onderzoek

De LRG registreert als enige organisatie in Nederland, en één van de weinigen in de wereld, de gegevens van kinderen die worden behandeld met groeihormoon. Met de medische gegevens zoals groeimetingen en soorten of doseringen van medicijnen kan wetenschappelijk onderzoek uitgevoerd worden. Dit onderzoek doen we zelf, in samenwerking met kinderarts-endocrinologen in Nederland of zelfs in Europees verband. Persoonsgegevens (zoals naam en geboortedatum) worden nooit gebruikt voor onderzoek. Voorbeelden van onderzoek zijn:

- Onderzoek naar oorzaken van ernstige groeistoornissen
- Onderzoek naar effectiviteit en veiligheid van de behandeling op groepsniveau of naar een bepaalde behandelindicatie om bijvoorbeeld een behandelprotocol te optimaliseren
- Onderzoek naar de veiligheid van groeihormoon op de (zeer) lange termijn

Enkele onderzoeksresultaten

ACAN-deficiëntie

In een zeer klein deel van de kinderen met een kleine lengte kan er sprake van zijn een zeldzame groeistoornis (ook wel monogenetische groeistoornis genoemd). Kinderen met een monogenetische groeistoornis hebben een kleine lengte omdat er in één van de genen die belangrijk zijn voor de groei een verandering zit. Door deze verandering werkt dat gen niet meer goed. Een voorbeeld van zo'n monogenetische groeistoornis is ACAN-deficiëntie.

Het gen ACAN is een gen dat codeert voor aggrecan, een eiwit dat een belangrijke rol speelt in kraakbeen. Kinderen met een verandering (ook wel variant genoemd) in het ACAN gen kunnen last hebben van een kleine lengte met opvallend korte benen, een voorlopende skeletrijping en pijn in gewrichten. We onderzochten een groep kinderen en adolescenten met een variant in het ACAN gen die met groeihormoon behandeld waren. Het bleek dat kinderen met zo'n variant in het ACAN gen niet altijd makkelijk te herkennen waren.

Soms hadden kinderen inderdaad korte benen en een opvallend voorlopende rijping van het skelet, ook waren er kinderen met korte vingers en pijn in de gewrichten. Er waren echter ook best wat kinderen die geen specifieke kenmerken hadden. Het kan voor een dokter dus soms lastig zijn om deze kinderen te herkennen. Al deze 36 kinderen zijn behandeld met groeihormoon en we zagen dat de meeste van deze kinderen baat hadden van de behandeling. Na 3 jaar waren de kinderen die voor start van de puberteit gestart waren met groeihormoon gemiddeld 1 groeilijn (1 SDS) omhoog opgeschoven.

Gepubliceerd artikel

Judith S Renes, Ardine M J Reedijk, Monique Losekoot, Sarina G Kant, Manouk Van der Steen, Danielle C M Van der Kaay, **Anita C S Hokken-Koelega,** Hermine A Van Duyvenvoorde, Christiaan de Bruin.
Clinical Characteristics of Pathogenic ACAN Variants and 3-Year Response to Growth Hormone Treatment: Real-World Data. Horm Res Paediatr 2024 Jan 17:1-14.

SEENEZ

Evaluatie van de kosteneffectiviteit van het stoppen van groeihormoonbehandeling na de mid-puberteit in adolescenten met idiopathische geïsoleerde groeihormoondeficiëntie

Dit onderzoek heeft als onderwerp de evaluatie van de kosteneffectiviteit van het staken van groeihormoonbehandeling in mid-puberteit. Het doel is om na te gaan of het staken van de behandeling bij adolescenten die worden behandeld vanwege idiopathische groeihormoondeficiëntie (IGHD) en die in mid-puberteit een normale aanmaak van groeihormoon hebben, even effectief is als continueren van de behandeling tot eindlengte.

ZonMw financiert in het kader van doelmatigheidsonderzoek een aantal projecten onder de naam SEENEZ (Stimuleer Effectieve en Elimineer Niet-Effectieve Zorg). In de aanmeldingsfase in 2015 hebben zeven wetenschappelijke verenigingen onderzoeks-

voorstellen ingediend, waaronder ook de NVK. Het onderzoeksvoorstel van de Adviesgroep Groeihormoon is in 2016 door ZonMw en de Zorgverzekeraars gekozen.

Uit de LRG worden door medewerkers van Stichting Kind en Groei-LRG potentiële kandidaten voor deze studie geselecteerd. Volgens de Richtlijn Groeihormoondeficiëntie (GHD) wordt in mid-puberteit opnieuw een groeihormoon-stimulatietest verricht. Indien uit deze test blijkt dat er een normale groeihormoonsecretie is, komt de persoon in aanmerking voor deelname aan de studie. Hij/zij kan kiezen voor stoppen van groeihormoonbehandeling of doorgaan. Deelnemers moeten schriftelijk toestemming geven. Deelnemers en hun ouders krijgen een vragenlijst voor jongeren met kleine lengte. Eerder stoppen met de behandeling zal naar verwachting leiden tot minder medicatiekosten, minder ziekenhuisbezoeken en minder laboratoriumonderzoek. Deze factoren worden betrokken bij de economische evaluatie. Ook zal gekeken worden naar reiskosten en kosten met betrekking tot productiviteitsverlies

van de ouders. De inclusie voor deze studie is in 2022 gestopt. De eerste onderzoeksresultaten worden in 2024 verwacht.

Medewerkers van Kind en Groei-LRG zijn betrokken bij de opzet en uitvoering van de studie.

Medewerkers SEENEZ studie

Erasmus MC – Sophia Kinderziekenhuis

Mw. dr. D.C.M. van der Kaay, kinderarts-endocrinoloog
projectleider

Stichting Kind en Groei-LRG

Mw. dr. A.M.J. Reedijk, epidemioloog
mede-projectleider

Growth Analyser

Drs. S. Spaans
ICT

Bestuur en personeel

Bestuur

Voorzitter

Drs. G.J. van Tongeren

Penningmeester

Drs. M. Schut

Secretares

Mw. dr. J.P. Schermers

Personeel

Directeur

Mw. Prof. dr. A.C.S. Hokken-Koelega,
kinderarts-endocrinoloog

Financiën

Mw. I. Beukers

Coördinator LRG

Mw. dr. J.S. Renes, kinderarts-endocrinoloog

Data-manager

Mw. dr. A.M.J. Reedijk, epidemioloog

Medewerkers LRG

Mw. M. Honingh, MSc, registratie medewerker

Mw. H. Hüsken, registratie medewerker

Mw. I. Poortvliet, registratie medewerker

Mw. C. Ceelen, registratie medewerker

Mw. S. Poeran, secretaresse

Jaarrekening

De financiële balans van Stichting Kind en Groei-LRG over 2023 wordt gecontroleerd en goedgekeurd door de accountants van De Kruijff & de Waal Accountancy. Mocht u interesse hebben in een gedetailleerd financieel overzicht, dan kunt u contact opnemen met Stichting Kind en Groei-LRG.

Stichting Kind en Groei - LRG

Westzeedijk 106,
3016 AH Rotterdam
Nederland

Postbus 23068
3001 KB Rotterdam
Nederland

 +(31) 10 22 515 33

 lrg@kindengroei-lrg.nl

KvK 65356788

 kindengroei-lrg.nl