

# ADEMPAUZE



NCFS MAGAZINE

JAARGANG 5 • NR. 1 VAN 3 • MAART 2024



Lang op reis  
met een kind  
met CF

*“Aan alle ouders die  
nu een kind krijgen  
met CF. Je leven  
wordt niet zo beperkt  
als je nu vreest.”*





# voorwoord

## Het voorjaar staat voor de deur! Misschien denk je al voorzichtig aan een vakantie?

Laat je inspireren door het verhaal van Amy, een moeder van een kindje met CF, die met haar gezin een onvergetelijke camperreis door Zuid-Europa maakte. Amy keek vooral naar de mogelijkheden. Ook interviewden we onze blogger Daphne, die tijdelijk woont en werkt op Bonaire en elke dag haar grenzen verlegt, zowel letterlijk als figuurlijk.

In 2024 starten klinische studies met genetische behandelingen, een ontwikkeling die hoop biedt. Een mooie stap naar behandeling voor iedereen met CF. Als NCFS volgen we alles op de voet. Ook goed nieuws is dat sinds 1 februari lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) wordt vergoed voor kinderen met CF vanaf één jaar.

Collega Renate (afdeling Onderzoek en Kwaliteit van Zorg) legt in deze editie uit waarom de ongelijkheid van toegang tot CFTR-modulatoren groot is. De NCFS blijft zich, als expertisecentrum, inzetten om ook voor de laatste groep mensen met CF, die geen toegang hebben, afspraken te maken met de overheid en Zorginstituut Nederland.

Op de winterpuzzel, in de editie van december, hebben we veel reacties ontvangen. Dank daarvoor! De winnaars zijn: B. Haket, M. Kimmenaede-Prins en B. van de Wagen. Gefeliciteerd en veel plezier met onze luiaard! Kijk snel op pagina zeven voor onze nieuwe winactie.

En wat dacht je van alle leuke acties die dit jaar alweer zijn gestart? We zijn ontzettend dankbaar voor iedereen die geld inzamelt voor onderzoek. Collega Trudy (afdeling Fondsenwerving) schrijft erover. Zo werken we met elkaar aan een betere toekomst voor iedereen met CF.

Veel leesplezier!

**Sandra Meijer** | hoofdredacteur Adempauze  
[Communicatie@ncfs.nl](mailto:Communicatie@ncfs.nl)

*PS Heb je ook een verhaal te delen? Laat het me weten en wie weet sta jij in een volgende editie van dit magazine.* ●



## CF-onderzoek: in uitvoering

# Ongelijkheid toegang tot CFTR-modulatoren blijft groot

**Wat betreft toegang tot CFTR-modulatoren is de ongelijkheid groot, zowel wereldwijd, als binnen de Europese Unie (EU). Hieronder lees je over de verschillen, waar ze vandaan komen en hoe het in Nederland is geregeld.**

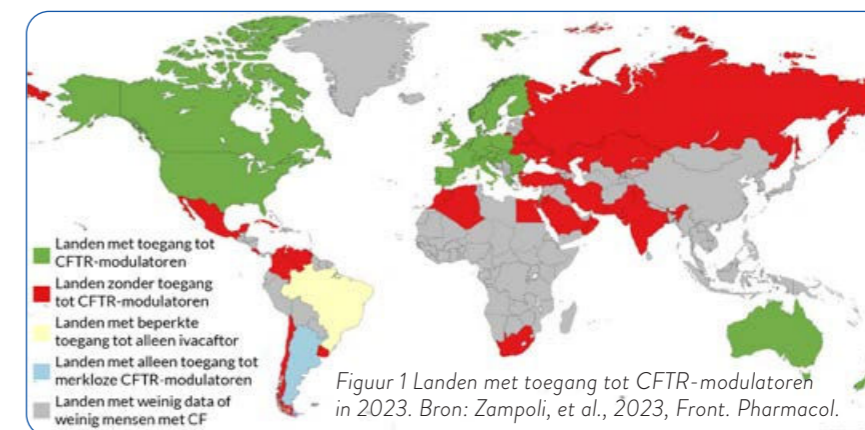
**Tekst:** Renate Okhuijsen-Kos

Een belangrijke factor in deze ongelijkheid is het feit dat meerdere agentschappen medicijnen beoordelen. In Nederland en de rest van de EU wordt de beoordeling gedaan via het EMA (Europees Medicijn Agentschap). In de Verenigde Staten is dat de FDA (Food and Drug Administration). In andere landen zijn er vaak nationale agentschappen, zoals in het Verenigd Koninkrijk.

Vorig jaar is onderzoek gedaan naar de verschillen in goedkeuring van CFTR-modulatoren tussen de FDA en het EMA. Hieruit bleek dat de FDA voor alle CFTR-modulatoren eerder goedkeuring gaf dan het EMA. Bij lumacaftor/ivacaftor (Orkambi) was dit verschil het kleinst: 4,7 maanden.

Bij elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) was dit verschil het grootst: het EMA was 10,2 maanden later dan de FDA. Naast de snelheid waarmee de CFTR-modulatoren worden goedgekeurd, zijn er ook verschillen voor wie het geneesmiddel werd goedgekeurd. Zo zijn door de FDA 127 extra mutaties voor tezacaftor/ivacaftor (Symkevi) en 177 extra mutaties voor elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio) goedgekeurd. Eind 2023 is bij het EMA een aanvraag ingediend om ook extra mutaties voor Kaftrio goed te keuren.

Toegang tot medicatie is in de praktijk meer dan alleen goedkeuring door een medicijnagentschap. Zo is het in Nederland belangrijk dat het geneesmiddel in het basispakket van de zorgverzekering wordt opgenomen. Ook in andere landen worden apart prijsafspraken gemaakt en zijn er soms beperkingen aan wie het middel mag krijgen. In landen waar de zorgverzekering niet op nationaal niveau is geregeld, kunnen de afspraken tot veel ongelijkheid binnen het land leiden. Vooral in Oost-Europa is, ondanks goedkeuring van het EMA, nog nauwelijks toegang tot CFTR-modulatoren. Verder zien we



*Figuur 1 Landen met toegang tot CFTR-modulatoren in 2023. Bron: Zampoli, et al., 2023, Front. Pharmacol.*

dat in Argentinië alleen een 'kopie' van CFTR-modulatoren op de markt is. Dit is een zogeheten generiek merkloos medicijn, met dezelfde werkzame stoffen. In de meeste landen is dit niet mogelijk vanwege het patent van de oorspronkelijke fabrikant. In figuur 1 zie je in welke landen mensen met CF toegang hebben tot CFTR-modulatoren.

Nederland loopt niet voorop wat betreft toegang: in zes landen in de EU kregen mensen met CF in 2020 al toegang tot elexacaftor/tezacaftor/ivacaftor (Kaftrio). In Nederland kwam de goedkeuring pas per januari 2022. Frankrijk is het land waar de meeste mensen met CF in aanmerking komen voor dit middel. Dat komt doordat in Frankrijk een programma is opgezet voor mensen met zeldzame mutaties. Op basis van de resultaten van een proefbehandeling komen zij in aanmerking voor vergoeding. Toch doen we het in Nederland niet slecht in vergelijking met andere landen. We werken er hard aan als NCFS. In Nederland heeft bijvoorbeeld iedereen, die volgens het EMA het middel mag gebruiken, toegang tot Kaftrio. Verder is Nederland ook één van de weinige landen waar Kaftrio kan worden voorgeschreven aan mensen die een orgaantransplantatie hebben ondergaan. De NCFS blijft zich inzetten om ook voor de laatste groep mensen met CF, die geen toegang hebben, afspraken te maken met de overheid en Zorginstituut Nederland. ●

## Colofon ADEMPAUZE is het magazine (3x per jaar) van de Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting | Jaargang 5 | Nummer 1 | ISSN 1877-7635

### Contact

Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting  
Dr. A. Schweitzerweg 3a | 3744 MG Baarn  
T 035 647 92 57 | E info@ncfs.nl | www.ncfs.nl  
IBAN NL41 ABNA 0472 4598 56

### Redactie

Sandra Meijer - hoofdredacteur  
Floor de Wilde - eindredacteur  
Renate Okhuijsen-Kos - redacteur  
Trudy van de Veen - redacteur

### Gastschrijver

Amy van den Broeck

### Fotografie

Amy van den Broeck  
Daphne Roubos

### Abonnees

Graag adreswijzigingen doorgeven via info@ncfs.nl of schriftelijk naar bovenstaand adres

### Vormgeving & druk

Practicum Print Management



## Op reis

Op vakantie met uw zuurstof- of vernevelapparaat? Wij helpen u graag met de voorbereidingen.

Belt u ons op 0570 85 84 50

Westfalen  
Medical





# Lang op reis met een kind met CF

Amy vertrok met haar man en twee kinderen, waaronder Linne met CF (tweënhalf), voor een half jaar naar Zuid-Europa in een camper. Het was een hele uitdaging om deze reis te maken, vooral op off-grid locaties, maar met de juiste voorbereiding bleek het toch goed mogelijk.

**Tekst en fotografie:** Amy Joanke (moeder) **Instagram:** amyjoanke.photo

We droomden er altijd al van om te reizen en helemaal om een lange wereldreis te maken met onze kinderen. We stelden dit uit tot na de geboorte van ons tweede kindje, die in maart 2021 ter wereld kwam. Kort daarna kregen we het schokkende nieuws dat zij CF heeft. Onze wereld stortte in. En vreemd genoeg kreeg ik al snel de beklemmende gedachte: nu kunnen we vast nooit meer reizen. Vergeet het maar. Vanaf nu ben je aan huis gebonden met een ernstig ziek kind.

## OBSTAKELS

Twee jaar gingen voorbij. En ondanks de diagnose leken we goed te kunnen leven met haar aandoening. We bleven echter dromen van die lange reis. Het begon steeds meer aan me

te knagen: op avontuur gaan, in een camper op de mooiste plekken verblijven, in de zuidelijke landen, werken op afstand. Zou het niet toch mogelijk zijn, ondanks CF in ons leven? Maar we zagen heel wat obstakels. Hoe voorzien we haar vernevelaar van stroom, als we geen elektra hebben? Hoeveel medicatie moeten we wel niet meenemen? Wordt haar medicatie niet te heet onder de Portugese zon? En hoe koelen we dit dan, mocht dat nodig zijn? Hoe waarborgen we de hygiëne? Het leek ons niet veilig om het ingebouwde watersysteem van de camper met al diens slangen en stilstaand water in het reservoir te gebruiken. Hoe wassen we dan onze handen? En wat als het niet goed met haar gaat en we naar een ziekenhuis moeten? Heel veel vragen en weinig antwoorden.

*“Aan alle ouders die nu een kind krijgen met CF. Je leven wordt niet zo beperkt als je nu vreest.”*

## OP ZOEK NAAR INFORMATIE

We gingen op zoek naar informatie. Ik belde het CF-team in het ziekenhuis, de NCFS, ik zocht ervaringen van andere CF-ouders, maar niemand kon mij voorlichten over waarop te letten bij een camperreis met een kind met CF. Het zou een experiment zijn. Dat voelde behoorlijk eng. Maar we wilden liever wegen zoeken om het wél te doen, dan om de reis vanuit angst maar af te stellen. Gaandeweg maakten de angsten en zorgen plaats voor moed en concrete plannen. We kochten een vintage camper. En het CF-team steunde ons en schreef een recept uit voor zes maanden medicatie, dat we in verschillende bakken meenamen inclusief medisch paspoort. Halverwege de reis zou ze mogen starten met lumacaftor/ivacaftor (Orkambi), maar we besloten dit enkele maanden uit te stellen.

## ZONNEPANEEL

Aangezien we op off-grid plekken wilden verblijven, zonder nutsvoorzieningen, installeerden we een zonnepaneel en omvormer met accu, zodat we een klein koelkastje met haar medicatie erin konden draaien en onze elektronische apparaten konden blijven gebruiken, waaronder de vernevelaar. Wat was het een magisch gevoel om de vernevelaar vanuit de camper te kunnen gebruiken met behulp van ons zonnepaneel! Het voelde als een overwinning.

## PSEUDOMONAS

De grootste zorg was het waarborgen van de hygiëne en de angst voor Pseudomonas. We brachten zoveel mogelijk situaties met stilstaand water vooraf in kaart. En toch werden we soms verrast door plekken met een poeltje of vijver, of tuinslangen met stilstaand water, of een groen uitgeslagen hondendrinkbak die we niet op tijd hadden opgemerkt. In het begin gaf dit ons veel stress, vooral gezien het feit dat Linne (inmiddels een nieuwsgierige peuter) overal naartoe liep en alles pakte en in haar mond stak. Meermaals gingen we weer op zoek naar een andere plek die hopelijk veilig zou zijn. Later

besloten we de grootste gevaren uit de weg te gaan, maar de rest wat los te laten. Immers, thuis in de tuin zijn er ook volop gevaren. Wel gebruikten we veel alcohol: voor de handen, voor het reinigen van materialen en steriliseerden we drinkbeker en flesjes in kokend water.

## GUNSTIGERE OMSTANDIGHEDEN

Tot onze verbazing bleek Linne in een warmer klimaat in veel betere conditie dan gedurende een Nederlandse winter. In plaats van een hand vol antibioticumkuren in de dure wintermaanden, hoefden we er slechts één te gebruiken. Ook leek ze veel energiever, vrolijker, en wij bovendien onbezorgder dan dat we thuis ooit waren geweest. Bij terugkomst, na een half jaar, vonden verschillende testen plaats, waaronder de keelweek. Hoewel ik veel zorgen had gehad om een aantal 'tricky' situaties en een mogelijke Pseudomonasbesmetting ten gevolge hiervan, bleek ze geen enkele bacterie of schimmel te hebben opgelopen! We slaakten een zucht van verlichting en onze reis voelde als een zeer geslaagd experiment. Aan alle ouders die nu een kind krijgen met CF en hun levensdromen in rook op zien gaan, zou ik volmondig willen zeggen: er is hoop! Je hoeft minder op te geven dan je nu denkt. Je leven wordt niet zo beperkt als je nu vreest. ●









# Tot Sloth

Taaistijmziekte  
(cystic fibrosis, CF) is  
een erfelijke en ongeneeslijke ziekte  
met meer dan

2000 verschillende mutaties.

In Nederland leven 1.750 mensen met deze levensverkortende ziekte. Vanwege al die mutaties beschikt nog niet iedereen over een goed werkend medicijn. Bovendien is er nog geen enkel medicijn dat genezing van CF mogelijk maakt. Daarom is het van groot belang dat onderzoek wordt gedaan naar het juiste medicijn voor iedereen. Samen met honderden vrijwilligers zet de NCFS zich hiervoor in. Help jij mee? Je kunt deelnemen aan grote acties, geld doneren of luiaards verkopen.



## LUIAARDS POPULAIR IN OUDEWATER

Jessica heeft een zontje met CF en Ger heeft een kleindochter met CF, zij begonnen het nieuwe jaar goed met een geweldige luiaardverkoop bij de PLUS in Oudewater. Jessica: "Ik woon in Oudewater, dus was het heel fijn dat de PLUS wilde meewerken. Ik benaderde de lokale krant voor publiciteit en dat hielp! Op de

zaterdag van verkoop was er meteen belangstelling, mensen kwamen speciaal om een luiaard te kopen. Sommigen kochten een luiaard en doneerden deze aan Tjonkie Food, een lokale voedselbank. Ook ontvingen we geweldige donaties en spraken we veel mensen, zo bijzonder. De betrokkenheid was overweldigend. De totale opbrengst was maar liefst ruim € 2.800!" •



Ook luiaards verkopen?  
Scan de QR-code voor  
meer informatie!

