

SPAEN 2021

De Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN) is een organisatie waar (Europese) patiëntenverenigingen voor sarcoom- en wekedelentumor patiënten zich kunnen aansluiten.

Ook het Patiëntenplatform sarcomen (waar Contactgroep Desmoïd onder valt) is aangesloten waardoor ook wij Europees vertegenwoordigd zijn.

Jaarlijks vindt er een "SPAEN" bijeenkomst plaats waar artsen en patiëntvertegenwoordigers contact leggen en kennis kunnen delen. Dit jaar werd het congres virtueel gehouden waardoor er nog meer mensen aanwezig konden zijn (200+ deelnemers).

Sinds enkele jaren wordt er ook een speciaal programma over Desmoïd tumoren georganiseerd. Dit keer een middagprogramma op 23 april. Hierbij waren 30 artsen- en patiëntvertegenwoordigers aanwezig vanuit Europa, maar ook uit de VS en zelfs Brazilië!

Prof. Dr. Bernd Kasper (Duitsland)

Challenges in exploiting medical therapies for desmoid tumors

De wens tot een duidelijke richtlijn voor behandeling van Desmoïd tumoren bestaat al jaren. Hiervoor is destijds een "Desmoid tumor working group" opgesteld waarin medisch specialisten, maar ook patiënt vertegenwoordigers (waaronder de contactgroep Desmoïd) deelnemen. Vergaderingen van deze werkgroep hebben geleid tot de publicatie van enkele consensus papers en een uitgebreide richtlijn (2020) "The management of desmoid tumors: a joint global consensus-based guideline approach for adult and paediatric patients".

Dr. Kasper heeft deze richtlijn kort samengevat; wait-and-see (afwachtend) beleid is nog steeds de aangewezen eerste keuze. Op het moment dat een actieve behandeling wel degelijk aan de orde is kan er onder andere worden gekozen voor medicijnen.

Het is nog steeds niet mogelijk om vooraf het resultaat van een behandeling te voorspellen. Daarom wordt aanbevolen om met de minst-schadelijke behandeling te beginnen, tenzij er sprake is van heel snelle groei of een levensbedreigende situatie.

De volgende medicijn behandelingen worden onderscheiden:

1. Antihormonale therapie (oa. Tamoxifen) en NSAID's (oa. Celecoxib en sulindac); eigenlijk zijn hier maar weinig onderzoeken naar gedaan en zijn de resultaten teleurstellend met maar 50% kans op een therapie response. Toch wordt er vaak voor gekozen hiermee te behandelen omdat het weinig bijwerkingen kent en overall beschikbaar is. Een studie werd uitgelicht waarbij 59 kinderen (!) werden behandeld met tamoxifen + sulindac (combinatie). Maar 5 van deze kinderen hadden een duidelijk positief effect van de behandeling.
2. Chemotherapie. Hierin zijn vele verschillende opties;
 - Methotrexaat + vinblastine
 - Methotrexaat + vinorelbine OF vinorelbine alleen

- Anthracyclines
- Gepegyleerde liposomale doxorubicine (caelyx/doxil)

Chemotherapie wordt gezien als een heftige behandeling met veel bijwerkingen zowel op korte- als langetermijn. Redenen om hier toch voor te kiezen zijn; niet-opereerbaar, snel groeiend, klachten en met name bij levensbedreigende situaties. Voor kinderen en adolescenten is de voorkeur van chemotherapie de laatste optie (gepegyleerde liposomale doxorubicine) omdat deze minder slecht is voor het hart.

3. Targeted therapie (doelgerichte therapie) met tyrosine kinase inhibitors

- Imatinib: een studie uit de Verenigde Staten liet een redelijk effect zien van deze behandeling met 800mg/dag. Van de 19 patiënten die dit kregen hadden er 7 een stabiliteit of verkleining van de tumor. Een Franse studie waarin 37 patiënten 400mg/dag kregen had vergelijkbare getallen en 55% van de patiënten had na 2 jaar nog een stabiele ziekte.
- Sorafenib: een grote studie in de Verenigde Staten liet goede resultaten zien. Een heel belangrijke conclusie van deze studie is geweest, dat patiënten die geen medicijn kregen (placebo), ook een 'reactie' lieten zien van de tumor. Van de patiënten in deze placebo groep had 20% een stabilisatie of krimp van de tumor! Deze studie toonde aan dat een afwachtend beleid, de wait-and-see inderdaad een goede behandeloptie kan zijn.
- Pazopanib; in een Franse studie (DESMOPAZ) werd pazopanib vergeleken met methotrexaat-vinblastine. Pazopanib had bij deze patiënten een vergelijkbaar effect als de patiënten die een chemo kregen, wel hadden de pazopanib patiënten minder bijwerkingen.

4. Gamma-secretase inhibitor behandeling

- Nirogacestat: in de DEFI studie wordt momenteel nirogacestat als behandeling getest. De eerste onderzoeken die werden gedaan lieten goede resultaten zien en hebben aangetoond dat er relatief weinig bijwerkingen zijn. 140 patiënten wereldwijd (waaronder ook Nederland) worden momenteel behandeld in studieverband. De resultaten worden eind 2021 verwacht.
- AL102: in de RINGSIDE studie wordt binnenkort een heel nieuw middel getest op patiënten met een desmoïd tumor. Er zullen 156 patiënten in de VS en mogelijk ook in Europa worden behandeld. Onbekend is of deze studie ook naar Nederland gaat komen!

In een volgende update van de richtlijn voor behandeling van Desmoïd tumoren wordt aandacht gegeven aan het volgende onderdeel: beschikbaar maken van medicatie in alle landen zodat alle patiënten dezelfde behandelopties hebben.

Marianna Coppola (Italië), Directeur van Desmoid foundation Italy www.desmoidfoundation.it
Updates on Italian studies pregnancy and desmoid + other opportunities

In Italië wordt er veel aandacht gegeven aan het vraagstuk “zwangerschap en Desmoïd tumor”. Een eerdere studie (2014) heeft al de volgende conclusies kunnen geven:

- De kans dat een desmoïd tumor gaat groeien tijdens zwangerschap is groot, maar de zwangerschap kan veilig worden volbracht
- Een desmoïd tumor geeft geen verhoogd risico op zwangerschaps-gerelateerde problemen
- Een desmoïd tumor is contra-indicatie voor een zwangerschap

Komend jaar zal er een nieuwe studie worden opgestart waarin Italië, Frankrijk, de VS en Canada zullen samenwerken. Zij gaan patiënten volgen die zwanger zijn geweest of zwanger worden en die bekend zijn met een desmoïd tumor. In deze studie hopen ze de effecten van de zwangerschap op de tumor en effecten van de tumor op de zwangerschap te onderzoeken.

Het onderzoek zal bestaan uit 2 onderdelen:

- Patiënten registratie in de deelnemende ziekenhuizen (niet in Nederland) vanaf mei-juni 2021. Wil je toch deelnemen? Neem dan contact op met onze Italiaanse collega's (www.desmoidfoudnation.it)
- Kwaliteit van leven onderzoek op vrouwen met een desmoïd tumor in vruchtbare leeftijd. Informatie over mogelijke deelname hieraan zal later volgen, verwachting is dat patiënten wereldwijd hieraan mee kunnen doen.

Onderzoeken voor in de toekomst:

1. Kwaliteit van leven bij FAP patiënten door dr. Vitellara in milaan
2. Patiënten registratie in Italië

Anne-Rose schut, arts-onderzoeker ErasmusMC (nederland)
Quality of life in desmoid patients (QUALIFIED study)

Anne-rose heeft samen met de vorige arts-onderzoeker, Milea Timbergen, een Vragenlijst ontwikkeld specifiek voor Desmoïd patiënten. Inmiddels is de vragenlijst getest op 236 patiënten en zijn er 95 vragen geselecteerd in 14 verschillende categorieën.

Een goede “kwaliteit van leven” vragenlijst, specifiek voor Desmoïd, is nodig omdat de reguliere vragenlijsten voor kankerpatiënten vaak niet van toepassing zijn op patiënten met een desmoïd tumor. De vragenlijst zal naar verwachting daarom ook extra inzicht geven in problemen van “kwaliteit van leven” bij deze Desmoïd patiënten. Daarnaast kan met behulp van deze vragenlijsten ook goed worden vergeleken wat het verschil is in kwaliteit van leven van een desmoïd patiënt ten opzichte van een kankerpatiënt.

Wil je meer weten over de vragenlijst? Neem dan contact met ons op: info@desmoid.nl

Dr. Emmanuel Kurtz
Cyroablation in desmoid tumors

Bij cryoablatie wordt koude gebruikt voor destructie van de tumorcellen. Dit gebeurt middels een ingreep waarbij er meerdere probes (een soort naalden) in de tumor worden ingebracht waarna er een ijsregio van -40 wordt gecreëerd. Door de computer wordt er berekend waar de probes precies moeten komen te staan. Het nadeel van deze therapie is dat de locatie van de tumor bepaalt of de therapie mogelijk is. Zenuwen die in de buurt van een tumor liggen kunnen bijvoorbeeld niet tegen een temperatuur lager dan -10.

De studie die is verricht wordt "CRYODESMO" genoemd. Van 2014-2017 werden 50 patiënten geïnccludeerd in de CRYODESMO-01. Deze patiënten hadden tenminste 2 andere (medische) therapieën ondergaan en er was sprake van progressieve ziekte. De resultaten van deze studie zullen komend jaar bekend worden gemaakt.

Inmiddels is de CRYODESMO-02 studie gestart. Er zullen 150 patiënten (vanaf 12 jaar) worden geïnccludeerd. Patiënten komen niet in aanmerking als ze een tumor in de buikholte hebben. Er zijn zo'n 6 centra in Frankrijk die aan deze studie deelnemen.