

# Kwaliteitsstandaard voor Primaire Scleroserende Cholangitis (PSC)

Concept juni 2019



Nederlandse  
Leverpatiënten  
Vereniging



## Samenstelling werk- en adviesgroep

### Werkgroep kwaliteitsstandaard PSC

- Prof. dr. U. Beuers; Maag-, darm- en leverarts/ internist, hoofd Leverziekten van het Amsterdam UMC, locatie AMC – expertisecentrum Immuungemedieerde en genetische cholestatische en leverziekten
- Dr. H. R. van Buuren; Maag-, darm- en leverarts Erasmus MC
- Prof. Dr. B. van Hoek; Maag-, darm- en leverarts LUMC
- Dr. R. C. Verdonk, Maag-, darm- en leverarts St. Antonius ziekenhuis
- Mevrouw M. Kaatee, PSC Patients Europe
- Dr. L. de Lannoy, PSC Patients Europe
- Drs. R. van Tuyll, MD, beleidsmedewerker VSOP, projectleider

### Adviesgroep kwaliteitsstandaard PSC:

- Wouden, dr. E.J. van der; MDL-arts, Isala Zwolle
- Nederlandse Internisten Vereniging (NIV); de heer dr. J.A. Otte, internist, ZorgSaam Terneuzen
- Nederlandse Vereniging voor radiologie (NVvR); de heer F.E.J.A. Willemsen, radioloog Erasmus MC
- Nederlandse Vereniging voor Heelkunde (NVvH); de heer Prof. Dr. J.M. Klaase, Hepatobiliair chirurg, UMCG
- Nederlandse Vereniging voor Verzekeringsgeneeskunde (NVVG); de heer drs. T.B.M. Hoofs.
- Nederlandse Vereniging voor Arbeids- en bedrijfsartsen (nvab); drs. M. van Sliedrecht, bedrijfsarts
- Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK); mevrouw dr. B.A.E. de Koning, kinder-MDL-arts, Erasmus MC
- Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK); de heer dr. P.F. van Rheenen, kinder-MDL-arts, UMCG
- Mevrouw J.T. Helder, verpleegkundig specialist Hepatologie, Amsterdam UMC, locatie AMC

#### Patiëntenperspectief:

- Nederlandse Leverpatiënten Vereniging (NLV); mevrouw J. Willemse
- PSC patients Europe: mevrouw A. Broersen
- PSC patients Europe: mevrouw M. Kaatee
- PSC patients Europe: mevrouw L. de Lannoy
- PSC patients Europe: de heer M. de Waal

## INHOUDSOPGAVE

<b>1. VOORWOORD EN SAMENVATTING .....</b>	<b>4</b>
1.1. VOORWOORD .....	4
1.2. SAMENVATTING.....	5
1.3. DOEL EN DOELGROEP KWALITEITSSTANDAARD.....	6
<b>2. PRIMAIRE SCLEROSERENDE CHOLANGITIS (PSC).....</b>	<b>7</b>
2.1 INLEIDING.....	7
2.2 PREVALENTIE EN INCIDENTIE.....	8
2.3 KINDEREN MET PSC .....	8
2.4 ETIOLOGIE EN ERFELIJKHEID.....	9
2.5. BELOOP .....	11
2.6 COMORBIDITEIT .....	11
2.7 SYMPTOMEN.....	12
2.8 KERNPUNTEN .....	13
2.9. ZORGPAD PSC .....	14
<b>3. MODULE DIAGNOSTIEK, BEHANDELING EN FOLLOW-UP BIJ PSC .....</b>	<b>15</b>
3.1 DIAGNOSTIEK .....	15
3.2 BEHANDELING .....	30
3.3 FOLLOW-UP .....	50
<b>4. MODULE ORGANISATIE VAN ZORG .....</b>	<b>59</b>
4.1 REGIEVOERING – HOOFDBEHANDELAAR EN COÖRDINATIE VAN ZORG .....	59
4.2 COMMUNICATIE EN INFORMATIE UITWISSELING .....	66
4.3 SAMENWERKING, VERWIJZING EN NETWERK .....	74
<b>5. MODULE TRANSITIE.....</b>	<b>82</b>
<b>LITERATUURLIJST .....</b>	<b>87</b>
<b>BIJLAGEN.....</b>	<b>97</b>
BIJLAGE 1. AFKORTINGEN EN BEGRIPPENLIJST .....	97
BIJLAGE 2: KWALITEITSCRITERIA T.B.V. DE NATIONALE TOETSING VAN EXPERTISECENTRA VOOR ZELDZAME AANDOENINGEN .....	99
BIJLAGE 3: VERANTWOORDING .....	100
BIJLAGE 4: INDIVIDUEEL ZORGPLAN PSC .....	107
<b>COLOFON .....</b>	<b>116</b>

# 1. VOORWOORD EN SAMENVATTING

## 1.1. Voorwoord

Primaire Scleroserende Cholangitis (PSC) is een zeldzame aandoening. Er is grote behoefte aan meer bekendheid en kennis bij alle zorgverleners betrokken bij de zorg voor patiënten met PSC teneinde:

- diagnostische vertraging te verminderen,
- de diagnostiek en behandeling te verbeteren,
- complicaties en comorbiditeit op de korte en lange termijn zoveel mogelijk te voorkomen
- en de kwaliteit van leven voor patiënten te verbeteren.

Wanneer na diagnostiek vermoed wordt dat er mogelijk sprake zou kunnen zijn van PSC (maar er is geen zekerheid) kan bij het vaststellen van een definitieve diagnose het volgende voor de patiënt van belang zijn:

- Er is voor PSC geen bewezen genezende medicamenteuze behandeling.
- De diagnose PSC kan nadelige consequenties voor de patiënt kan hebben, bijvoorbeeld ten aanzien van verzekeringen en hypotheek.
- Een patiënt zonder diagnose kan onzeker zijn en kan zich ten aanzien van zijn/haar klachten niet serieus genomen voelen.
- Bij ernstige invaliderende vermoeidheidsklachten als symptoom met arbeidsongeschiktheid tot gevolg kan de patiënt gebaat zijn met een diagnose.
- Er kan sprake zijn van een erfelijke component, alhoewel tot nu toe geen bewezen erfelijke component is vastgesteld. Een diagnose kan dus ook van belang zijn ten aanzien van kindwens en voor verwanten.
- Bij een gestelde diagnose biedt dit handvatten om de patiënt goed te monitoren (bv ten aanzien van maligniteiten).

De zorg voor patiënten met PSC is complex waarbij zorg op maat door zorgverleners met expertise belangrijk is. De hoofdbehandelaar is een (kinder)MDL-arts/internist met expertise op het gebied van leveraandoeningen. Complexe PSC-patiënten worden (mede) gezien in een door VWS aangewezen expertisecentrum. Afhankelijk van de klachten en het stadium van de aandoening zijn verschillende disciplines/zorgverleners betrokken. In een laat stadium van de ziekte zullen meer zorgverleners betrokken zijn. Wanneer meerdere zorgverleners zijn betrokken is multidisciplinair overleg tussen de verschillende disciplines belangrijk.

De stichting PSC Patients Europe is van mening dat iedere patiënt in Nederland met PSC moet kunnen rekenen op zorg van hoge kwaliteit. Hierbij spelen kwaliteitsstandaarden een belangrijke rol. Derhalve heeft PSC Patients Europe het initiatief genomen om een kwaliteitsstandaard te ontwikkelen voor PSC in samenwerking met de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP).

## Leeswijzer

Voor de leesbaarheid van deze kwaliteitsstandaard is ervoor gekozen om het document te schrijven in enkelvoudige vorm.

Dit betekent dat:

- a) overal waar staat “ouders”, hiermee “ouders of verzorgers” wordt bedoeld.
- b) waar de mannelijke vorm wordt gebruikt, wordt de mannelijke of vrouwelijke vorm bedoeld.
- c) waar “patiënt” wordt genoemd, wordt ook “patiënte” bedoeld.
- d) “primaire scleroserende cholangitis” wordt afgekort met “PSC”

In Nederland wordt op dit moment bij leveraandoeningen gebruik gemaakt van de EASL guidelines. Deze richtlijn ondersteunt zorgverleners bij het maken van beslissingen ten aanzien van diagnose, behandeling en preventie van specifieke leverziekten.

Er bestaat geen Nederlandse richtlijn voor PSC, maar op besluit van de NVMDL wordt de EASL CP (Clinical Practice) guide als behandelstandaard aangezien. Bij het maken van deze kwaliteitsstandaard is deze EASL-guideline ondersteunend geweest.

Een brede vertegenwoordiging van zorgverleners en patiënten was nauw betrokken bij de ontwikkeling van deze kwaliteitsstandaard, waarbij gezocht is naar consensus over kennis en inzichten.

## 1.2. Samenvatting

In de Kwaliteitsstandaard PSC worden de knelpunten, die zijn voortgekomen uit een uitgebreide knelpuntenanalyse onder zorgvragers en zorgverleners, in verschillende modules uitgewerkt.

Een module bestaat uit een uitgangsvraag met eventuele deelvragen (submodules), met bij iedere vraag een aantal aanbevelingen die vervolgens onderbouwd zijn met het beste beschikbare wetenschappelijke bewijs of expert opinion.

In deze kwaliteitsstandaard wordt op basis van een aantal uitgangsvragen met deelvragen beschreven hoe zorgverleners, patiënten en hun naaste(n) de optimaal goede zorg zien voor patiënten met PSC. Deze kwaliteitsstandaard beschrijft niet alleen inhoud van de zorg, maar ook de multidisciplinaire organisatie van de ketenzorg.

De aanbevelingen in deze kwaliteitsstandaard zijn gebaseerd op de EASL guidelines<sup>11</sup>, de AASLD<sup>24</sup>, wetenschappelijke literatuur (literatuurlijst), de praktijkkennis van zorgverleners en de voorkeuren en waarden van patiënten.

Omdat PSC een zeldzame aandoening is, is de evidentie op wetenschappelijke basis beperkt. Daarom is het oordeel van (ervarings-) deskundigen op het gebied van PSC zwaar meegewogen.

Zorgprofessionals hebben expertise en positieve ervaringen gedeeld op de specifieke onderwerpen, de zogenoemde ‘best practices’. Het delen van deze positieve resultaten en de zorgprocessen die hiertoe leiden, kunnen grote kwaliteitsimpulsen geven aan de gehele gezondheidszorg. Juist door gezamenlijk en vanuit verschillende perspectieven te kijken naar de zorg, kunnen zorgverleners en patiënten bepalen wat goede zorg is, wat er beter kan en wat de beste keuze is voor een individuele patiënt.

### 1.3. Doel en doelgroep kwaliteitsstandaard

De Kwaliteitsstandaard PSC beschrijft de zorg voor kinderen en voor volwassenen met PSC en beoogt een bijdrage te leveren aan verbetering en borging van de kwaliteit van zorg. In deze kwaliteitsstandaard worden, naast een beschrijving van de aandoening, een aantal belangrijke onderdelen van goede zorg beschreven.

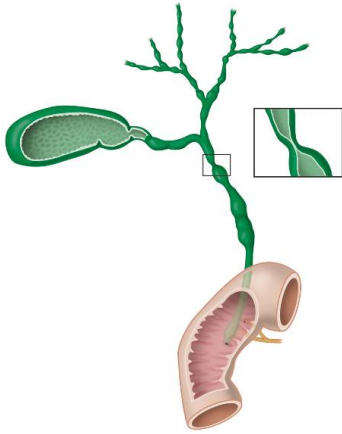
De kwaliteitsstandaard PSC is geschreven voor alle zorgverleners die met regelmaat betrokken zijn bij diagnostiek, behandeling en verzorging van patiënten met PSC. Te denken valt aan met name (kinder-)MDL-artsen, huisartsen, radiologen, chirurgen, internisten, kinderartsen, (klinisch) psychologen, diëtisten en (specialistisch) verpleegkundigen. Tevens is deze kwaliteitsstandaard van belang voor:

- Gynaecologen en klinisch genetici indien er een zwangerschapswens is,
- Reumatologen indien er gewrichtsklachten geassocieerd met PSC aanwezig zijn,
- Anesthesiologen bij eventuele sedatie,
- Pathologen indien er bijvoorbeeld ook tekenen zijn van AIH en er gebiopteerd wordt.

## 2. PRIMAIRE SCLEROSERENDE CHOLANGITIS (PSC)

### 2.1 Inleiding

Primaire scleroserende cholangitis (PSC) is een zeldzame, chronische, progressieve cholestatische leverziekte die gekenmerkt wordt door ontsteking van de intra- en /of extrahepatische galwegen, vaak leidend tot (multipele) galwegstenosen<sup>53</sup>.



Illustratie met stricturen en verwijding in de galwegen <sup>107</sup>

PSC is een langzaam progressieve aandoening die kan leiden tot levercirrose, leverfalen en noodzaak tot levertransplantatie. Door het hebben van de aandoening PSC kunnen patiënten ook psychosociale problemen ontwikkelen.

De criteria voor het stellen van de diagnose PSC zijn:

- leverenzymwaarden wijzend op cholestase (concentraties  $\gamma$ -glutamyltransferase en alkalische fosfatase verhoogd)
- cholangiografische afwijkingen passend bij PSC
- uitsluiten van overige oorzaken.

PSC komt vaker voor bij mannen dan bij vrouwen (2:1) en kan op elke leeftijd voorkomen, met een piekincidentie rond de 40 jaar. Ook kinderen kunnen PSC ontwikkelen. De ziekte heeft vaak een grillig en niet goed te voorspellen beloop en kan gepaard gaan met een verminderde kwaliteit van leven en levensverwachting.

Veel voorkomende symptomen zijn vermoeidheid, geelzucht en jeuk. Ongeveer 40-50% van de patiënten is asymptomatisch op het moment van diagnose.

Comorbiditeit met andere immuungemedieerde aandoeningen komt veel voor bij PSC-patiënten. De etiologie van PSC is niet bekend, maar er zijn aanwijzingen dat er genetische factoren bij zijn betrokken<sup>41</sup>.

Het beloop van de ziekte is zeer variabel en er is geen effectieve medicamenteuze behandeling beschikbaar waarbij een levensverlengend effect bewezen is. Toch is er ook een gebrek aan studies die qua duur van de studie, aantal gevolgde patiënten en adequate dosering van de medicatie tijdens de studie een dergelijk effect zouden kunnen aantonen.

PSC-patiënten hebben een verhoogd risico op het ontwikkelen van colorectale, galweg- en levermaligniteiten.

## 2.2 Prevalentie en incidentie

De prevalentie van PSC varieert van 0 tot 13,6 per 100.000 inwoners. Deze schatting is gebaseerd op epidemiologische studies van sterk wisselende kwaliteit, waarin de laagste en hoogste prevalentie in verschillende delen van de Verenigde Staten werd gerapporteerd<sup>21,6</sup>. Op basis van beschikbare data lijkt PSC vooral een westerse ziekte. Dat komt mogelijk door genetische verschillen, maar waarschijnlijk ook deels door de kwaliteit en frequentie van diagnostiek in welvarende landen.

Een grootschalig cohortonderzoek in Nederland, gecoördineerd vanuit het Academisch Medisch Centrum (AMC) ([www.epipscpbcc.nl](http://www.epipscpbcc.nl)) in zes noordelijke provincies met 43 ziekenhuizen toonde een incidentie van PSC van 0,5 patiënten per 100.000 inwoners per jaar en een prevalentie van 6,0 patiënten per 100.000 inwoners. De prevalentie is de laatste jaren gestegen, met name door een stijgende incidentie en niet ten gevolge van een afname van het aantal sterfgevallen. Bij ongeveer 9% van de patiënten beperkt de ziekte zich tot de kleine galgangen ('small duct' PSC).

## 2.3 Kinderen met PSC

- PSC komt bij kinderen voor met een prevalentie 1,5 op 100.000. Al vanaf zeer jonge leeftijd (1-2 jaar) kan PSC voorkomen.
- De soms gebruikte term "juvenile scleroserende cholangitis" is kunstmatig, aangezien PSC op de kinderleeftijd wordt gezien als een vroege start van PSC en niet als een geïsoleerde entiteit.

Er zijn belangrijke verschillen tussen PSC bij volwassenen en PSC bij kinderen.<sup>58,59</sup>

- Bij kinderen komen frequenter dan bij volwassenen met PSC tekenen van een auto-immuunhepatitis (AIH) voor. Bij deze kinderen wordt dan gesproken over auto-immuun scleroserende cholangitis (ASC). Bij kinderen die geen tekenen van AIH hebben, wordt gesproken van "gewone" PSC.
- De prevalentie van IBD bij kinderen met PSC is hoger dan bij volwassenen, namelijk circa 90%. Als IBD ten tijde van de diagnose PSC nog niet is vastgesteld, is het aanbevolen hierop te blijven monitoren. Zie follow-up.
- Kinderen hebben meestal nog geen ernstige galwegstricturen of maligniteiten als de diagnose PSC wordt gesteld, terwijl deze bij de diagnosestelling PSC bij volwassenen al wel aanwezig kunnen zijn.
- CCA (cholangiocarcinoom) is zeldzaam bij kinderen met PSC, maar komt voor bij 1% van de kinderen vergeleken met 7% -9% bij volwassenen. CCA wordt bij kinderen boven de leeftijd van 15 jaar gezien; de kinderen waarbij een CCA werd gevonden hadden in de voorgeschiedenis een strictuur van de galwegen waarvoor interventie nodig was.<sup>105,106</sup>
- Kinderen met PSC zijn meestal minder ernstig aangedaan dan volwassenen, maar als zij ouder worden kan hun ziekte en de complicaties ervan meer gaan lijken op PSC bij volwassenen.
- PSC is meestal een langzaam progressieve chronische aandoening, waarbij bij kinderen ernstige symptomen meestal nog niet direct worden gezien als de diagnose net is gesteld. Bij de helft van de kinderen komen binnen 10 jaar na de diagnose PSC (ernstige) complicaties voor (30 % heeft



een levertransplantatie nodig), terwijl volwassenen met PSC vaak binnen 5 jaar complicaties ondervinden.<sup>105,108</sup>

- Algemeen voorkomende comorbiditeit zoals obesitas, NAFLD (non alcohol fatty liver disease), alcohol hepatitis, roken, cardiovasculaire ziekte en diabetes zijn veel vaker aanwezig bij volwassenen en kunnen een slechtere uitkomst veroorzaken in vergelijking met kinderen.
- Bij kinderen moet extra aandacht zijn voor goede voeding (vooral als zij ook IBD hebben), omdat zij in de groei zijn en zich goed moeten ontwikkelen.

Verder wordt bij kinderen gezien:

- De hoogte van Bilirubine, GGT en APRI (aspartate aminotransferase-to-platelet ratio index) bij het stellen van de diagnose correleren met de lange termijn prognose bij kinderen.
- Presentatie en uitkomst verschillen bij kinderen met PSC, kinderen met PSC met tekenen van AIH, kinderen met PSC en IBD en kinderen die small duct PSC hebben. (Men spreekt van small duct PSC als de leverenzymwaarden wijzen op cholestase en het histologische beeld concentrische fibrosering rond de galwegen vertoont, passend bij PSC, maar dan zonder cholangiografische aanwijzingen voor PSC.)

## 2.4 Etiologie en erfelijkheid

### Etiologie

De precieze oorzaak van PSC is niet bekend. De etiologie is complex en omvat zowel genetische als omgevingsfactoren. Vele mogelijke aanwijzingen zijn bekeken in het maag-darm-leverstelsel zoals de immunoregulatie, hepatobiliaire beschermingsmechanismen, het galzuurmetabolisme, het microbiom en permeabiliteit van de darmen.

Hypothetische pathogene mechanismen waaraan gedacht wordt als mogelijke (gedeeltelijke) oorzaak van PSC in het maag-darm-leverstelsel zijn onder andere<sup>108</sup>:

- Een inadequate en ontregelde immunorespons bij hiervoor genetisch gevoelige personen.
- Defecten in de normale beschermingsmechanismen die de lever beschermen tegen de toxiciteit van galzuren.
- Een pathogene verstoring van het fecale microbiom, leidend tot accumulatie van toxische galzuursoorten en een vervolgens niet adequate inflammatoire reactie.
- Migratie van door de darmen geactiveerde lymfocyten naar de lever.
- Beschadiging van het darmepitheel door inflammatie.
- Een niet adequate inflammatoire respons op bacteriële producten en toxische galzuren die via de ontstoken darm naar de lever gaan via de vena portae.

Bij PSC is sprake van ontsteking van de intra- en /of extrahepatische galwegen, vaak leidend tot (multipel) galwegstenosen.

De afwijkingen in de galgangen kenmerken zich door infiltratie van lymfocyten, oedeemvorming en proliferatie van de ductuli. In een latere fase ontstaat periductale fibrosering. Door de fibrosering ontstaan stricturen in de galwegen. Tussen deze stricturen kunnen verwijdingen ontstaan. Dit geeft het typische beeld van een parel- of kralensnoer van de galwegen<sup>11,20</sup>.

Epidemiologische studies<sup>20,71</sup> hebben uitgewezen dat van alle PSC-patiënten ongeveer 70% ook Colitis Ulcerosa (CU) of de ziekte van Crohn heeft, terwijl slechts 4% van de patiënten met CU of de ziekte van Crohn ook PSC heeft<sup>52</sup>. Geactiveerde intestinale T-cellen lijken mogelijk een rol te spelen bij het ontstaan van PSC; dit zou kunnen wijzen op een auto-immuunziekte. Deze T-cellen migreren naar de portale velden van de lever en zouden daar schade toebrengen aan de cholangiocyten. Deze schade resulteert in fibrosevorming.

## Erfelijkheid

PSC wordt beschouwd als een complexe erfelijke ziekte. Dit wil zeggen dat de ziekte niet Mendeliaans overerft, maar dat polymorfismen in verschillende genen in combinatie met omgevingsfactoren bijdragen aan het ontstaan van de ziekte.

- Het eerste genoombrede associatieonderzoek toonde een sterke associatie van PSC met inflammatoire darmziekten en Humane Leukocyten Antigenen-systeem (HLA)-polymorfismen. Dit heeft tot de hypothese geleid dat PSC een extra-intestinale manifestatie zou kunnen zijn van IBD.
- Een andere hypothese veronderstelt dat PSC met IBD een derde fenotype is van inflammatoire darmziekten (naast de ziekte van Crohn en colitis ulcerosa). Redenen voor deze hypothese zijn onder andere de specifieke bevindingen bij endoscopisch onderzoek (zoals rectal sparing, pancolitis with right-sided predominance en backwash ileitis), als ook een specifieke genetisch patroon.<sup>109</sup>

Familieleden van PSC-patiënten hebben een 10 maal zo grote kans om ook PSC te ontwikkelen dan de normale bevolking<sup>11,20</sup>. Hiermee blijft het absolute risico overigens nog erg klein.

## Omgevingsfactoren

Bij de pathogenese van PSC lijken ook omgevingsfactoren van belang te zijn, als ook (nog onduidelijke) interacties tussen genetische- en omgevingsrisicofactoren.

Verschiedende studies<sup>100,101,102</sup> suggereren een beschermend effect van roken.

In een studie van Eaton (2015)<sup>103</sup> naar de associatie van omgevingsfactoren bij PSC met en zonder IBD werd gevonden:

- dat roken een beschermende factor lijkt te zijn voor het krijgen van PSC, maar niet significant voor PSC zonder IBD.
- dat er bij het ontstaan van PSC geen associatie lijkt te zijn met een tonsillectomie, en dat een associatie met een appendectomie beperkt lijkt tot PSC met IBD.<sup>103</sup>
- dat er een positieve associatie lijkt te zijn tussen een voorgeschiedenis met urineweginfecties en het ontstaan van PSC met en zonder IBD.
- dat er een negatieve associatie met hormoonsuppletie therapie lijkt te zijn bij vrouwen met PSC, met en zonder IBD.
- dat er zowel positieve als negatieve associaties werden gevonden ten aanzien van verschillende voedingspatronen en voedselbereidingswijzen met PSC met of zonder IBD.
- dat er mogelijk associaties zijn met de microbiom bij het ontstaan van PSC.

Deze studie heeft plaatsgevonden in 1 centrum waarbij de meeste patiënten van het Kaukasische ras. Vervolgstudies zijn nodig om meer inzicht te krijgen in de rol van de omgevingsrisicofactoren.

## 2.5. Beloop

PSC is een chronische, doorgaans progressieve, cholestatische hepatobiliaire aandoening. Het beloop is sterk wisselend en niet goed voorspelbaar. Veel voorkomende klachten zijn vermoeidheid en jeuk. Er is een verhoogde kans op vorming van galstenen in de galwegen. Het beloop kan gecompliceerd worden door cholangitis, vaak samenhangend met de ontwikkeling van uitgesproken lokale galwegstenosen, de zogenaamde dominante stenosen.

Andere aandoeningen, zoals inflammatoire darmziekte en auto-immuun hepatitis, kunnen mede het ziektebeloop beïnvloeden evenals complicaties van cirrose en portale hypertensie zoals ascites, varicesbloedingen en hepatische encefalopathie.

De kans op ontwikkeling van maligniteiten van galwegen, galblaas, lever, en bij patiënten met IBD ook van rectum en colon, is verhoogd.

De mediane overleving zonder levertransplantatie was ruim 21 jaar in een groot Nederlandse cohort van bijna 600 PSC patiënten die in 92% met ursodeoxycholzuur behandeld werden<sup>21</sup>.

## 2.6 Comorbiditeit

### Inflammatoire darmziekten:

PSC is sterk geassocieerd met inflammatoire darmziekten (IBD: inflammatory bowel disease), zoals colitis ulcerosa (CU) en de ziekte van Crohn, en kan vooral bij jonge patiënten ook tekenen van een auto-immuun hepatitis tonen.

De prevalentie van IBD bij PSC is ongeveer 70% (grote variatie van 46,5 % tot 98,7% , waarbij colitis ulcerosa het meest voorkomende type is (75%))<sup>21,88,11</sup>. Bij kinderen ligt de prevalentie van IBD bij PSC nog hoger (circa 90%).

### Risico op colorectale, galweg- en levermaligniteiten:

- PSC-patiënten hebben een sterk verhoogde kans op het ontwikkelen van hepatobiliaire (HPB) maligniteiten, met name op cholangiocarcinomen (CCA). Daarnaast heeft een patiënt met PSC meer kans op het ontwikkelen van colorectale maligniteiten (CRC). Deze maligniteiten worden voornamelijk gezien bij 'large duct' PSC. Bij PSC-patiënten die ook een inflammatoire darmziekte hebben is de kans op maligniteiten licht verhoogd ten opzichte van PSC-patiënten zonder IBD<sup>21</sup>.
- PSC in combinatie met IBD verhoogt het 20-jaarsrisico op het krijgen van een colorectaalcarcinoom tot meer dan 30%<sup>97</sup> ;
- Hepatobiliaire maligniteiten komen vaker voor bij patiënten met PSC, vooral cholangiocarcinoom, maar in mindere mate ook galblaascarcinoom en hepatocellulair carcinoom.<sup>98,77</sup> De kans op een HPB-maligniteit loopt op tot ongeveer 20% 20 jaar na stellen van de diagnose PSC<sup>94</sup> ;
- Cholangiocarcinoom compliceert het beloop van PSC bij circa 10% van de patiënten.<sup>99</sup>

### PSC met tekenen van AIH

- PSC met tekenen van auto-immuun hepatitis komt bij ongeveer 6% van de PSC-patiënten voor.

## Auto-immuun ziekten

- Uit recent onderzoek<sup>46</sup> bij 241 PSC-patiënten kwam naar voren dat bij 71,4 % van de onderzochte PSC-patiënten gelijktijdig een andere immuungemedieerde ziekte voor kwam, waaronder IBD (61,8%), auto-immuun hepatitis (6,2%) en andere immuun gemedieerde ziekten (19,5 %). 22,7 % van de PSC-patiënten had naast PSC meer dan één immuungemedieerde ziekte, waaronder:
  - sarcoïdose;
  - auto-immuun schildklierandoeningen;
  - diabetes mellitus type 1;
  - psoriasis;
  - lichen planus;
  - reumatoïde artritis;
  - erythema nodosum;
  - coeliakie;
  - pyoderma gangrenosum;
  - vitiligo;
  - ziekte van Wegener;
  - ziekte van Bechterew (spondylitis ankylopoetica);
  - episcleritis.

## 2.7 Symptomen

Klachten bij PSC verschillen van persoon tot persoon en kunnen qua aard en ernst sterk fluctueren in de loop van de tijd. In veel gevallen verloopt de ziekte aanvankelijk asymptomatisch.

Symptomen<sup>11,20,71</sup> die bij PSC kunnen voorkomen:

- *Vermoeidheid*  
Veel patiënten hebben last van vermoeidheid. Vermoeidheid is niet gerelateerd aan de ernst van de ziekte.
- *Jeuk*  
Jeuk komt veel voor bij PSC, met name – doch zeker niet uitsluitend – jeuk aan de ledematen en dan vooral aan handpalmen en voetzolen. De jeuk kan gedurende de dag of het gehele ziekteproces sterk fluctueren treedt vaak 's nachts op. De jeuk kan invaliderend zijn en de kwaliteit van leven ernstig beperken.
- *Koliekpijn/cholangitis*  
In het beloop van de ziekte kunnen episoden voorkomen met koorts, vaak met koude rillingen, berustend op bacteriële cholangitis. Verondersteld wordt dat belemmering van de galafvoer, leidend tot indikking van gal met vorming van "galsludge" of galstenen, vaak op basis van ontwikkeling van uitgesproken lokale stenosen in de galboom, hieraan doorgaans ten grondslag liggen.
- *Hepato- en splenomegalie*  
Bij eerste presentatie kunnen een vergrote lever en milt geconstateerd worden (bevinding bij beeldvormend onderzoek, meestal niet een symptoom waar de patiënt mee komt)
- *Icterus*
- *Pijn in de bovenbuik*
- *Verminderde eetlust* (gewichtsverlies)

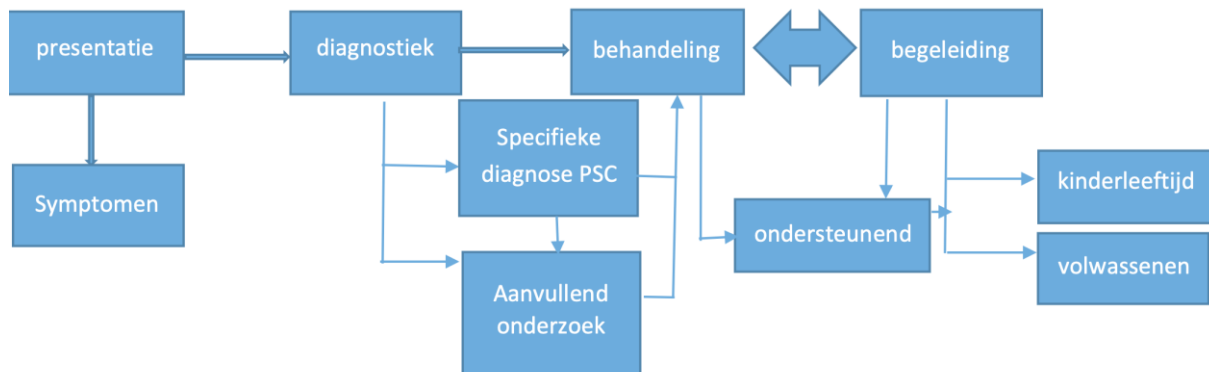
Als de ziekte verder gevorderd is, kunnen onder meer de volgende symptomen optreden:

- *Steatorrhoe*  
Door verminderde galsecretie kan vetmalabsorptie ontstaan, leidend tot steatorrhoe en mogelijke deficiënties van de vetoplosbare vitaminen A, D, E en K <sup>11,24</sup>.
- *Hepatische encefalopathie*  
Veelvoorkomende symptomen zijn verstoring van het dag-nachtritme, verminderde concentratie, slaperigheid, dysarthrie, gedragsveranderingen en inadequaat gedrag. De ernst kan variëren van zeer subtiele cognitieve veranderingen tot coma.
- *Ascites*
- *Slokdarm- en maagvaricesbloedingen*  
Bij patiënten met een colo- of ileostoma kunnen zich ook stomavaricesbloedingen ontwikkelen<sup>11,24</sup>.
- *Botontkalking/ osteoporose*  
Botontkalking zelf geeft geen klachten maar wel een verhoogd risico op botbreuken.

## 2.8 Kernpunten

- Primaire scleroserende cholangitis (PSC) is een cholestatische leverziekte van onbekende oorsprong, waarbij een combinatie van genetische predispositie en omgevingsfactoren mogelijk een rol speelt.
- De diagnose wordt gesteld op basis van leverenzymwaarden die wijzen op cholestase en karakteristieke galwegafwijkingen bij cholangiografie of in het leverbiopt, na het uitsluiten van andere oorzaken.
- Circa 80% van de PSC-patiënten heeft tevens een inflammatoire darmziekte (IBD), bij de meesten colitis ulcerosa.
- PSC predisponeert voor hepatobiliaire maligniteiten, zoals cholangiocarcinoom, galblaascarcinoom en hepatocellulair carcinoom, en voor colorectaalcarcinoom bij patiënten die tevens IBD hebben.
- Ursodeoxycholzuur (UDCA) en endoscopische galwegdilatatie verlichten de klachten en leiden tot verbetering van leverenzymwaarden.
- Orthotope levertransplantatie is de enige potentieel curatieve therapie.

## 2.9. Zorgpad PSC



In de medische en organisatorische modules van deze kwaliteitsstandaard worden bovenstaande stappen uit het zorgplan beschreven, waarbij:

- Patiënten en zorgverleners beter inzicht krijgen in de stappen van het zorgtraject.
- Meer uniformering van de onderzoeks-, behandel- en ondersteuningsprotocollen tot stand komt.

## 3. MODULE DIAGNOSTIEK, BEHANDELING EN FOLLOW-UP BIJ PSC

### 3.1 Diagnostiek

**Uitgangsvraag 1: Hoe kan de awareness en de diagnostiek voor patiënten met PSC verbeterd worden en waaruit bestaat de diagnostiek?**

#### **Subvragen:**

- a) Welke maatregelen worden getroffen om te bereiken dat de diagnose PSC snel(ler) wordt gesteld, door internisten, MDL-artsen en andere zorgverleners?  
Wat zijn de “red flags” die kunnen leiden tot het vroeger signaleren van PSC?
- b) Welke diagnostische onderzoeken kunnen worden ingezet? Hoe accuraat zijn laboratoriumonderzoek, histologisch onderzoek, beeldvormende technieken in het onderscheiden van de aandoening PSC en andere leveraandoeningen?
- c) Welk protocol wordt gevolgd ten aanzien van indicatie voor MRCP of ERCP bij PSC patiënten?
- d) Wat zijn de alarmsymptomen bij PSC?

**Deelvraag 1a: Welke maatregelen worden getroffen om te bereiken dat de diagnose PSC snel(ler) wordt gesteld, door internisten, MDL-artsen en andere zorgverleners? Wat zijn de “red flags” die kunnen leiden tot het vroeger signaleren van PSC?**

#### Aanbevelingen

- Om PSC in de eerste- en tweedelijns gezondheidszorg eerder te signaleren is van belang dat er meer aandacht is voor deskundigheid bevorderende activiteiten op het gebied van leverziekten en PSC, bijdragend aan het tijdiger herkennen van symptomen.
- Ook al is er geen genezende medicamenteuze behandeling, het sneller stellen van de diagnose heeft als voordeel:
  - dat de patiënt met diagnose zich meer serieus genomen voelt en meer serieus genomen wordt, bijvoorbeeld bij arbeidsongeschiktheid door bijvoorbeeld invaliderende vermoeidheidsklachten.
  - de patiënt beter gemonitord kan worden, bijvoorbeeld ten aanzien van maligniteiten.
  - de patiënt (tijdiger) verwezen kan worden naar een internist/mdl-arts met expertise op het gebied van leveraandoeningen/PSC.
  - er bij een kinderwens goed gekeken kan worden naar de mogelijkheden en eventuele problemen ten aanzien van zwangerschap, als ook naar mogelijke erfelijke oorzaken.
- Huisartsen, internisten, mdl-artsen en kinder(md)-artsen moeten bij aandoeningen waarbij geen diagnose gesteld kan worden ook denken aan zeldzame aandoeningen; bij

hepatobiliaire aandoeningen waarbij onduidelijkheid of twijfel bestaat met betrekking tot diagnostische bevindingen en/of beleid dient aan een zeldzame hepatobiliaire aandoening te worden gedacht en dient laagdrempelig te worden verwezen naar een gespecialiseerd arts ((kinder)mdl-arts/(kinder)hepatoloog).

- Een zorgverlener verwijst in elk geval patiënten met de volgende kenmerken (“red flags”) voor diagnostiek naar PSC naar een internist/MDL-arts/kinderhepatoloog/kinder-mdl-arts verbonden aan een expertisecentrum voor PSC of een internist/MDL-arts/kinderhepatoloog/kinder-mdl-arts in een behandelcentrum/regionaal ziekenhuis met speciale expertise op het gebied van hepatobiliaire aandoeningen:
  - Symptomen waarbij moet worden gedacht aan PSC (dit zijn onder andere pijn rechts in de bovenbuik in combinatie met koorts, jeuk, verminderde eetlust, gewichtsverlies, vermoeidheid, geelzien, hepatomegalie, splenomegalie, leverstigmata).  
Bekend moet zijn dat vermoeidheid als enige klacht een symptoom van PSC kan zijn.
  - Bij laboratoriumonderzoek aanwezige (niet verklaarde) cholestatische levertestafwijkingen (vooral bij verhoogde waarden van alkalische fosfatase).  
Met name wanneer er ook sprake is van en inflammatoire darmziekte of een andere auto-immuun aandoening.

#### Toelichting/onderbouwing

Er moet meer awareness komen ten aanzien van de diagnose PSC. PSC wordt relatief vaak pas laat gediagnosticeerd.

De redenen hiervoor zijn onder andere:

- Doordat PSC relatief weinig voorkomt, zijn niet veel artsen vertrouwd met de diagnostiek en behandeling ervan.
- Slechts grofweg 50% van de PSC-patiënten presenteert zich met bijpassende klachten, zoals pruritus, vermoeidheid, pijn in de rechter bovenbuik of episodes met koorts en koude rillingen.
- Bij lichamelijk onderzoek zijn hepatomegalie en splenomegalie de voornaamste bevindingen, maar deze worden bij een minderheid van de patiënten gevonden.
- Leverstigmata treden in een latere fase op en worden zelden gezien als de patiënt voor het eerst met klachten komt.

Een vermoeden van PSC bij patiënten zonder klachten ontstaat vaak naar aanleiding van routine bloedonderzoek, bijvoorbeeld in het kader van jaarlijks bloedonderzoek bij patiënten met een inflammatoire darmziekte.

Hierbij wordt dan bijvoorbeeld een verhoogd alkalisch fosfatase (AF), gamma-glutamyltransferase ( $\gamma$ -GT) of bilirubine gevonden. Aansluitend volgt dan nader onderzoek naar de oorzaak van de leverenzymstijging.

Soms kan ook door ander onderzoek PSC (per toeval) aan het licht komen. Bij MRI- onderzoek van de darmen wordt dan bijvoorbeeld een verwijding van een galgang gezien.

De symptomen bij eerste presentatie zijn vooral afhankelijk van de ziektelocalisatie en ernst van de ziekte.



De diagnosestelling berust op een combinatie van klinische bevindingen en uitkomsten van biochemisch, radiologisch, endoscopisch en histologisch onderzoek.

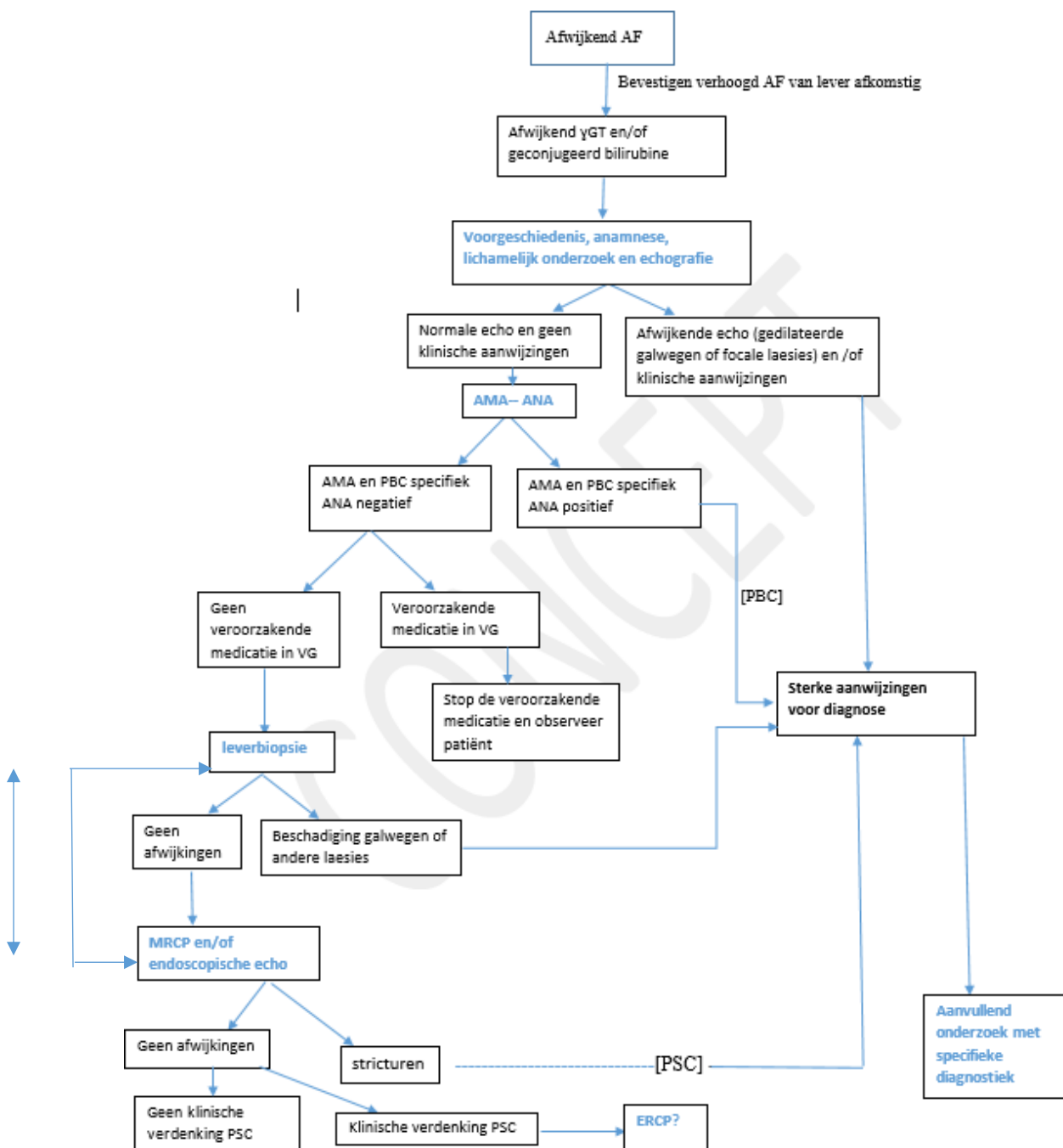
Symptomen waarbij moet worden gedacht aan PSC zijn <sup>11,20</sup>:

- Vermoeidheid;
- Jeukklachten;
- Pijn in de rechter bovenbuik;
- Koorts;
- Icterus (geel zien);
- Hepatomegalie;
- Splenomegalie.
- Leverstigmata (uitingen van portale hypertensie met spider naevi, erythema palmare, gynaecomastie, testisatrofie en ascites).

Deelvraag 1b: Welke diagnostische onderzoeken kunnen worden ingezet? Hoe accuraat zijn laboratoriumonderzoek, histologisch onderzoek, beeldvormende technieken in het onderscheiden van de aandoening PSC en andere leveraandoeningen?

Aanbevelingen in stroomdiagram<sup>11</sup>

Schema diagnostiek bij cholestase bij volwassenen [gebaseerd op aanbevelingen [EASL]<sup>11</sup>:



Bij sterke verdenking op PSC na de echografie, wordt eerst een MRCP gemaakt, en daarna eventueel op indicatie een leverbiopt. De volgorde in bovenstaand stroomdiagram is dan dus anders. Histologische bevindingen kunnen de diagnose PSC ondersteunen, maar zij zijn niet-specifiek en laten aanzienlijke variabiliteit zien.

Zie voor aanvullend onderzoek met specifieke diagnostiek: toelichting en onderbouwing.

#### Aanbevelingen

- Een diagnostisch traject om PSC te diagnosticeren moet worden overwogen bij:
  - alle patiënten met IBD en levertestafwijkingen, met name bij verhoogde waarden van alkalische fosfatase en gamma glutamyl transferase.
  - alle patiënten zonder IBD met anderszins niet verklaarde cholestatische levertestafwijkingen.
- De diagnose PSC wordt gesteld op basis van een combinatie van klinische bevindingen, laboratoriumonderzoek, beeldvormend onderzoek en (op indicatie) histologisch onderzoek.
- De diagnose PSC wordt gesteld bij patiënten met verhoogde serum markers voor cholestase (AF,  $\gamma$ GT) die niet op andere wijze kunnen worden verklaard, en waarbij magnetische resonantie cholangiopancreatographie (MRCP) of endoscopische retrograde cholangiopancreatographie (ERCP) karakteristieke galgangveranderingen laten zien met multifocale stricturen en segmentale dilataties, en waarbij oorzaken van secundaire cholangitis en andere cholestatische aandoeningen onwaarschijnlijk zijn <sup>2,11</sup>. (zie ook "Schema diagnostiek bij cholestase bij volwassenen").
- **MRCP** wordt aanbevolen als eerste keuze voor diagnostiek bij verdenking op PSC. De MRCP is de "reference standard". (ERCP is de gouden standaard qua sensitiviteit en specificiteit, maar als diagnosticum gecontraïndiceerd).  
Op een MRCP wordt "small duct PSC" gemist. Bij een patiënt met een cholestatische biochemie en een negatieve MRCP dient een leverbiopt verricht te worden om "small duct PSC" uit te sluiten.  
Andere onderzoeken kunnen overwogen worden in specifieke situaties.
- **Histologisch leveronderzoek** (leverbiopsie):
  - heeft beperkte diagnostische waarde maar verschaft nadere informatie over stadium en activiteit van de ziekte .
  - is noodzakelijk voor het stellen van de diagnose "small duct" PSC
  - kan essentieel zijn om een overlapsyndroom met auto-immuun hepatitis te diagnosticeren. Hieraan moet vooral gedacht worden wanneer de serum transaminasen en/of het serum IgG disproportioneel verhoogd zijn.
  - moet worden overwogen bij patiënten met onverklaarde intrahepatische cholestase en een negatieve AMA-test.
- **Fibroscan** (elastografie met een 'fibrosan')  
Is niet zozeer een onderzoek om de diagnose te stellen, maar kan worden gebruikt voor het bepalen van het stadium van chronische cholestatische leverziekten. Deze techniek, waarbij de elasticiteit van leverweefsel gemeten wordt aan de hand van de voortplantingssnelheid van een

schokgolf, kan grofweg onderscheid maken tussen gevorderde fibrose (de hoeveelheid littekenweefsel in de lever) of cirrose en niet-gevorderde leverschade. De literatuur over de waarde van fibroscan bij PSC is nog beperkt. De techniek lijkt veelbelovend.

- Patiënten die zich presenteren met klinische, biochemische en histologische kenmerken die passen bij PSC, maar die een normaal cholangiogram hebben, worden geclassificeerd als “small duct PSC”<sup>11</sup>.
- Met **echografie** kan niet-invasief beeldvormend onderzoek worden verricht om te differentiëren tussen intra- en extrahepatische cholestase. Echografie staat aan het begin van diagnostiek van cholestatische leverwaarden. Jaarlijks echo wordt aanbevolen bij volwassenen in de follow-up vooral ter beoordeling van de galblaas (poliepen?), maar ook de galwegen (o.a. galwegdilatatie?).
- **Endoscopische echografie** kan als alternatief voor MRCP overwogen worden om distale galwegobstructie te evalueren.
- **Genetisch onderzoek**  
Het wordt aanbevolen om genetisch onderzoek te doen naar ABCB<sup>4</sup> (dat codeert voor de fosfolipide export pomp) bij patiënten met een negatieve AMA-test en histologische bevindingen die kunnen wijzen op PBC of (small duct) PSC<sup>64</sup>.
- Bij het vaststellen van morfologische biliaire afwijkingen die compatibel met PSC zijn dient altijd **differentiaal diagnostisch** ook aan de mogelijkheid van andere aandoeningen gedacht te worden, zoals primair cholangiocarcinoom, IgG-4 gemedieerde ziekte, primaire cholelithiasis, ABCB4-deficiëntie (‘multidrug resistance protein 3’), of portale biliopathie.
- **Laboratoriumonderzoek**  
Aanbevolen wordt om antimitochondriale antilichamen (AMA), antinucleaire antistoffen (ANA) in het serum te bepalen bij kinderen en volwassenen met chronische intrahepatische cholestase. Bij kinderen wordt ook anti-smooth muscle antistoffen en anti-liver-kidney microsome antilichamen (anti-LKM-1) bepaald.  
Bij volwassenen wordt LKM-1 alleen bepaald bij verdenking op AIH.

#### Toelichting en onderbouwing

De diagnose PSC moet worden gesteld middels een combinatie van uitgebreide anamnese, klinische bevindingen, laboratoriumonderzoek, beeldvormend onderzoek en histologisch onderzoek.

#### Anamnese/klinische bevindingen

0-50% van de PSC-patiënten is symptoomloos bij diagnose.

Ongeveer 50% van de PSC-patiënten presenteert zich met klachten zoals:

- vermoeidheid;
- jeuk;
- pijn in de rechter bovenbuik;
- koorts;

- geelzucht.

Sommige patiënten laten symptomen zien van gevorderde leverziekte zoals:

- hepatomegalie;
- splenomegalie.
- leverstigmata (uitingen van portale hypertensie met spider naevi, erythema palmare, gynaecomastie, testisatrofie en ascites) treden in een latere fase op en worden zelden gezien als de patiënt voor het eerst met klachten bij de arts komt <sup>11,20</sup>.

### **Laboratoriumonderzoek**

Bij oriënterend laboratoriumonderzoek zullen de leverenzymwaarden op cholestase wijzen.

De volgende afwijkingen kunnen worden gezien<sup>11,20</sup>:

- lichte verhoging van de alkalische fosfatase (AF) en gamma-glutamyl transferase ( $\gamma$ -GT);
- verhoogd bilirubine;
- verhoogd alanine-amino-transferase (ALAT) en verhoogd aspartaat-amino-transferase (ASAT);
- afwijkend INR (een maat voor de stollingstijd van bloed, het staat voor International Normalized Ratio). Een verlengde stollingstijd kan betekenen dat de lever te weinig stollingsfactoren aanmaakt.
- verlaagd albumine door slecht functionerende lever;
- bij iets meer dan de helft van de patiënten is tevens de IgG-concentratie verhoogd.
- IgM kan verhoogd zijn;
- verhoogde IgG4 waarden kunnen duiden op PSC, maar ook op IgG4 geassocieerde cholangitis, wat een andere aandoening is;
- bij 70% van de patiënten is de serumconcentratie bilirubine niet afwijkend op het moment dat de diagnose wordt gesteld;
- atypische perinucleaire antineutrofiële cytoplasmatische antilichamen (pANCA), antinucleaire antilichamen (ANA), AMA en anti-gladdespier-antilichamen (geassocieerd met PSC, maar zijn niet specifiek voor de aandoening), anti-LKM-1 (bij kinderen en bij volwassenen met verdenking AIH).

- Suggestie voor laboratoriumonderzoek:

Bepaling Bloed	Referentie waarde
Glucose/PL	4.0 - 6.1
Ureum	2.5 - 7.5
CKD-EPI eGFR	>60
Kreatinine	65 - 115
Natrium	136 - 145
Kalium	3.5 - 5.1
Albumine	35 - 50
ASAT (GOT)	< 35
ALAT (GPT)	< 45
Gamma-GT	< 55
Alk.fosf.	< 115
Tot. bilirub	< 17
Hemoglobine	8.6 - 10.5
MCV	80 - 100
RDW	12.0 - 16.0
Trombocyten	150 - 370
Eo's_10tot9	0.04 - 0.60
Leukocyten	3.5 - 10.0
25-OH Vit. D	50 - 120
Tacrolimus	
<b>Bepaling Virologie</b>	
cytomegalovirus DNA	
Epstein-Barr virus DNA	

### Beeldvormend onderzoek

- *Echografie van de buik:*

weinig invasief en weinig kosten. Met echografie kan:

- een verwijd galsysteem worden gediagnosticeerd.
- de diameter van de galwegen worden gemeten.
- Een abnormale zwelling/massa in de lever worden opgespoord.

Echografie mist specificiteit ten aanzien van een eventuele verwijding van het galsysteem, en laat geen stricturen zien.

- *Standaard CT-scan:*

Met de CT-scan kunnen afwijkingen in lever en pancreas worden gezien, met name abnormale zwellingen/massa's. Uitgezette galwegen kunnen worden gezien, maar met lage specificiteit. Ook de verwijding van kleine galwegen wordt niet gezien. De diagnose PSC is veelal niet goed te stellen met een CT-scan.

- *MRCP/ERCP:*

Met beeldvormende technieken, zoals Magnetic Resonance CholangioPancreaticography (MRCP) en Endoscopische Retrograde CholangioPancreaticografie (ERCP) kunnen:

- de grotere galwegen (intrahepatisch en extrahepatisch) in beeld worden gebracht.

- de multifocale stricturen van de galwegen en de dilataties daartussen in beeld worden gebracht (kralensnoeraspect).

De diagnose PSC wordt gesteld als er karakteristieke multifocale stricturen en dilatatie van de intrahepatische en/of extrahepatische galwegen gezien worden bij cholangiografie.

MRCP wordt beschouwd als bijna even nauwkeurig als ERCP bij het stellen van de diagnose, maar deze vergelijkbare nauwkeurigheid geldt vooral voor de vroege stadia van PSC.

Zie voor de scanprotocollen van de NVvR:

<https://www.radiologen.nl/kwaliteit-nvvr/scanprotocollen-abdominale-radiologie>.

“Karakterisatie van leverlaesies’ middels MRI is een veel voorkomende aanvraag in de klinische praktijk. Dit protocol heeft als insteek een praktisch en optimaal MRI onderzoek te verrichten.

- **Histologisch onderzoek:**

Het leverbiopt heeft beperkte waarde voor het stellen van de diagnose of het bepalen van het stadium van de ziekte, omdat men vaak alleen niet-specifieke veranderingen van de microscopische galwegen ziet en er een grote kans op ‘sampling error’ is.

Een biopt draagt bij aan de diagnose als er aanwijzingen zijn voor ‘small duct PSC’ of een PSC met tekenen van auto-immuunhepatitis (AIH) (Voorheen PSC-AIH overlapsyndroom genoemd).

Men spreekt van ‘small duct’ PSC als de leverenzymwaarden wijzen op cholestase en het histologische beeld concentrische fibrosering rond de galwegen vertoont, passend bij PSC, maar dan zonder de typisch cholangiografische aanwijzingen voor PSC<sup>11,20</sup>.

### Differentiële diagnose

Bij de differentiële diagnose is het van belang onderscheid te maken tussen de verschillende oorzaken van:

- verhoogde leverenzymen
- intrahepatische cholestase

#### Oorzaken hyperbilirubinemie:

##### *Indirecte Hyperbilirubinemie*

- Hemolyse
- Resorptie groot hematoom
- Gestoorde hematopoëse
- UGT1A1-Defekt (*UGT1A1* Uridindiphosphat-Glukuronyltransferase 1A1) (Morbus Gilbert-Meulengracht, Crigler-Najjar-Syndrom, Lucey-Driscoll-Syndrom)
- Shunt-Hyperbilirubinemie (aangeboren overproductie van bilirubine in het ruggenmerg)

##### *Directe hyperbilirubinemie*

- Intrahepatische Cholestase (zie tabel)
- Extrahepatische Cholestase (bijvoorbeeld ruimte innemende processen met obstructie van de extrahepatische galgangen, galstenen, duodenumdivertikel)
- Dubin-Johnson-Syndroom
- Rotor-Syndroom

### Oorzaken verhoogde leverenzymen door andere oorzaken dan PSC:

- Primaire biliare cholangitis (PBC)
- Auto-immuun hepatitis (AIH)
- Auto-immuun cholangiopathie
- PSC met tekenen van AIH of met tekenen van PBC
- Bacteriële cholangitis
- Virale hepatitis
- Toxische hepatitis
- Niet-alcoholische leververvetting /non-alcoholic fatty liver disease (NAFLD)
- Cholelithiasis
- Secundaire scleroserende cholangitis
- Granulomateuze leverziekte
- IgG4-geassocieerde cholangitis
- Levercyste/adenoom
- Congenitale leverziekten
- BRIC/MDR3
- ABCB4 deficiëntie
- Cryptogene lever cirrose
- Maligniteiten (primair cholangiocarcinoom, pancreas carcinoom, levermetastasen, galblaascarcinoom, andere maligniteiten)

### Oorzaken van intrahepatische cholestase:

#### *Aandoeningen in de intrahepatische galwegen:*

- Primary biliare cholangitis (PBC)
- PSC
- PSC met tekenen van PBC, PSC met tekenen van AIH
- Graft vs. host disease
- Para neoplastische syndromen zoals Hodgkin, niertumor,
- Idiopathisch verminderen van de galwegen bij volwassenen (idiopathic vanishing bile duct syndrome)
- Benigne infiltrerende aandoeningen zoals amyloïdose, sarcoïdose in de lever en andere granulomatosen, stapelingsziekten.
- IgG4-associated cholangitis

#### *Geneesmiddelen en hormonen:*

- Door geneesmiddelen of door parenterale voeding geïnduceerde cholestase
- Door geneesmiddelen geïnduceerde cholangiopathie
- Cholestase door zwangerschap

#### *Systemische infectie:*

- Sepsis-, door endotoxinen veroorzaakte cholestase
- Infectieuze cholangitis gerelateerd aan AIDS en andere vormen van immunodeficiëntie.

#### *Hepatitis:*

- Cholestatisch aandoening bij virale hepatitis (A, B, C, VEB, CMV)
- Alcoholische or non-alcoholische steatohepatitis
- Autoimmuun

#### *Idiopathisch*

- Benigne terugkerende intrahepatische cholestase



*Lever infiltratie/stapelingsziekten:*

- Lymfoom
- Benigne infiltrerende aandoeningen zoals amyloïdose, sarcoïdose in de lever en andere granulomatosen, stapelingsziekten
- Protoporphyrinurie
- Wilson's disease/haemochromatose
- Systemische mastocytose

*Hereditair:*

- Genetische aandoeningen zoals: BRIC (benigne recidiverende intrahepatische cholestase), PFIC (Progressieve familiale intrahepatische cholestase), ABCB4 deficiëntie, erythropoietic protoporphyria

*Aangeboren afwijkingen:*

- Vasculaire aandoeningen zoals Budd–Chiari syndroom, veno-occlusive disease, congestieve hepatopathie
- Ductale plaat malformaties, congenitale hepatische fibrose, bilair hamartoma, Caroli syndroom

*Secundair aan:*

- Secundaire scleroserende cholangitis, bijvoorbeeld door cholangiolithiasis, ischemische cholangiopathieën (erfelijke hemorragisch teleangiectasie, polyarteritis nodosa en andere vormen van vasculitis)
- Cirrose (verschillende oorzaken)

*Maligniteiten:*

- Maligniteiten zoals hematologische ziekten en metastasen bij maligniteiten
- Para neoplastische syndromen zoals Hodgkin, niertumor

*Cholestatische syndromen bij kinderen:*

- Infecties zoals CMV, rubella, herpes, syfilis, toxoplasmose
- Metabole aandoeningen zoals cystic fibrose, 1-antitrypsine deficiëntie, galzuursynthese defecten, hypothyreoïdie, hypopituitarisme.
- Chromosoomafwijkingen zoals Down syndroom, Turner syndroom, trisomie 17, trisomie 18
- Idiopathisch, zoals familiale chronische intrahepatische cholestase, Alagille's syndroom, Byler's Disease.

**Medicijnen die hepatocellulaire of ductale cholestase kunnen veroorzaken zijn onder andere:**

<b>hepatocellulaire cholestase</b>	<b>ductale cholestase</b>
Geslachtshormonen	Allopurinol
Carbamazepine	Amoxicillin-clavulaan zuur
Chloorpromazine	Azathioprine
Amoxicilline-clavulaan zuur	Barbituraten
Trimethoprim-sulfamethoxazol	Captopril
Erytromicine, Clarithromycine	Carbamazepine
Nitrofurantoinen	Chlorpropamide
Chlorpropamide	Clindamycine
Azathioprine	Phenytoïne
Cyclosporine	Sulpiride
Propafenon	Trimethoprim-sulfamethoxazol
Nifedipine	Medicinale kruiden
Medicinale kruiden	
NSAIDS, nimesulide	

## Deelvraag 1c: Welk protocol wordt gevolgd ten aanzien van indicatie voor MRCP of ERCP bij PSC- patiënten?

### Aanbevelingen

#### Protocol bij MRCP versus ERCP

- MRCP (magnetic resonance cholangiopancreatography) wordt aanbevolen als eerste keuze voor diagnostiek bij verdenking op PSC.
- PSC kan met grote accuraatheid en geringe interobservervariabiliteit worden gediagnosticeerd met een MRCP en/of een ERCP<sup>10</sup>.
- Een ERCP (endoscopic retrograde cholangiopancreatography) wordt zelden gebruikt als onderzoeksmethode. Aanbevolen wordt om diagnostische ERCP te reserveren/overwegen voor een zeer selecte groep patiënten:
  - Patiënten met persisterende klinische verdenking op PSC waarbij MRCP en leverbiopsie een onzekere uitslag bieden of als een MRI gecontraïndiceerd is (bijvoorbeeld bij het dragen van een pacemaker). De risico's van een ERCP hierbij afwegen tegen het belang van het stellen van de diagnose (in verband met de juiste behandeling en de prognose).
  - Voor therapeutische interventie.
  - Als bij een PSC patiënt een acute interventie gewenst is in verband met aanwezigheid van forse icterus, hoge koorts of sepsis, wordt een ERCP verricht om per direct de drainage te verbeteren.

Soms wordt eerst een MRCP verricht om de endoscopist informatie te verschaffen hoe te endoscopiëren.

De MRCP kan dan vooraf aangeven:

- of de aandoening uni- of bilateraal aanwezig is,
  - waar de stricturen zich bevinden.
- Therapeutische ERCP: Endoscopische behandeling met brush cytologie en endobiliaire biopsieën van verdachte significante stricturen (gediagnosticeerd met MRCP) wordt aanbevolen bij PSC patiënten die zich presenteren met klinisch (snel) toenemende (ernstige) symptomen (zoals icterus, cholangitis en jeuk), bij snelle verhoging van de cholestatische enzymwaarden en bij nieuwe stricturen of progressie in de stricturen in de hoofd galwegen.  
Het doel is:
    - aanwezigheid van een cholangiocarcinoom te onderzoeken,
    - eventuele stricturen in de galwegen te identificeren die geschikt zijn voor interventie,
    - ingrepen uit te voeren zoals verwijderen van een galsteen of dilatatie of stentplaatsing indien er vernauwingen zijn.
  - Ten aanzien van ERCP:
    - Biliaire papillotomie moet overwogen worden na moeilijke cannulatie.
    - Het is aanbevolen om bij PSC patiënten routinematig profylactisch antibiotica toe te dienen voor en na het verrichten van een ERCP.

- Een ERCP en/of MRCP moeten worden uitgevoerd in een expertisecentrum/ centrum met expertise op het gebied van hepatobiliaire aandoeningen, waar geavanceerde endoscopische technieken en ondersteunende chirurgische en radiologische faciliteiten aanwezig zijn.
- De behandelend arts moet eerst een hoge mate van verdenking hebben op PSC voordat invasieve diagnostiek wordt uitgevoerd.

#### Toelichting en onderbouwing

##### **Therapeutische ERCP**

PSC-patiënten met symptomen als gevolg van dominante stricturen (cholangitis, icterus, jeuk of verslechterende biochemische waardes) zijn kandidaten voor endoscopische therapie. Endoscopie heeft hier als doel het vertragen van de progressie van het ziekteproces.

Alhoewel de beste therapeutische endoscopische benadering van patiënten met PSC nog steeds niet duidelijk is, zijn er een aantal rapportages van PSC-patiënten met duidelijke klinische en radiografische verbetering na endoscopische dilatatie (met of zonder plaatsen van een stent in de galwegen).

##### **Diagnostische ERCP/MRCP**

Alhoewel ERCP werd gezien als de standaard bij het stellen van de diagnose PSC, is MRC(P) nu aanbevolen als het eerst aangewezen niet-invasief beeldvormend onderzoek.

Dit in verband met de eventuele complicaties die een ERCP kan meebrengen <sup>1,11,20</sup>.

ERCP kan bij patiënten met persisterende klinische verdenking op PSC overwogen worden als MRCP en leverbiopsie een onzekere uitslag bieden of gecontra-indiceerd zijn. De risico's van een ERCP moeten afgewogen worden tegen het voordeel en de impact van de diagnose op de behandeling en de prognose.

De mogelijke complicaties bij ERCP treden op als gevolg van het retrograad opspuiten van de galwegen en de ductus pancreaticus en bestaan uit:

- cholangitis,
- pancreatitis,
- bloeding (als tevens sphincterotomie),
- perforatie.

De ERCP heeft voordelen zoals:

- iets hogere sensitiviteit bij het stellen van de diagnose,
- mogelijkheid om weefselbiopten te nemen, met name uitstrijkjes van de galgangen.
- het met contrast beter zichtbaar maken van de galgangen; dit biedt de mogelijkheid om de stricturen beter zichtbaar te maken, vooral in de kleinere intrahepatische ducti <sup>29,32</sup>.
- de optie om tijdens het onderzoek ook te interveniëren. Het endoscopisch plaatsen van een stent of het dilateren van een galwegstrictuur kan zorgen voor verbeterde galwegafvoer en daardoor vermindering van de symptomen en biochemische afwijkingen.

Belangrijkste voordeel ERCP: mogelijkheid tot therapeutische interventie.

Belangrijkste voordeel MRCP: non-invasief, minimaal risico op complicaties.

## Deelvraag 1d: Wat zijn alarmsymptomen bij patiënten met PSC in het verloop van de aandoening?

### Aanbevelingen

Het is aanbevolen om aandacht te hebben voor de volgende alarmsymptomen:

- Alarmsymptomen die wijzen op **acuut verergerd leverfalen** (patiënten hebben vaak al chronisch leverfalen) bij patiënten met PSC :
  - Een acute verslechtering van de functie van de lever kan optreden: acuut (op al aanwezig chronisch) leverfalen.
  - Bij tekenen van acute verslechtering van de lever (acuut verergerd leverfalen) wordt onderzoek verricht naar de oorzakelijke factor, en deze oorzaak wordt indien mogelijk behandeld. Preventieve maatregelen worden gestart.
  - Overleg met een transplantatiecentrum over een patiënt met acute verslechtering van de functie van de lever dient kort na opname plaats te vinden om vroegtijdig de mogelijkheden tot verwijzing te bespreken, mede afhankelijk van lokale expertise en mogelijkheden tot opvang (ICU).
- Alarmsymptomen die wijzen op **stenose van de galwegen** bij patiënten met PSC:
  - Bij herhaaldelijk ernstige pijn aanvallen in de bovenbuik, gepaard gaand met icterus, bewegingsdrang, koude rillingen al of niet met koorts, moet gedacht worden aan een stenose van de galwegen.
- Alarmsymptomen die wijzen op **afstoting na levertransplantatie** bij patiënten met PSC :
  - Na levertransplantatie moeten de zorgverleners alert zijn op tekenen van afstoting. De arts moet bij deze klachten direct contact opnemen met het transplantatiecentrum.
- Verwijsindicaties voor volwassenen met PSC naar een levertransplantatie zijn:
  - in een ver gevorderd stadium van PSC,
  - levensbedreigende portale hypertensie,
  - als de kwaliteit van leven erg laag is door invaliderende vermoeidheid, onbehandelbare jeuk,
  - als de levensverwachting of de verwachte kwaliteit van leven na 1 jaar zonder levertransplantatie slechter is dan met levertransplantatie,
  - met bewezen dysplasie van de cholangiocyten (galwegepitheel),
  - bij steeds terugkerende bacteriële cholangitis,
  - met chronisch of acuut verergerd leverfalen,
  - bij ernstige cirrose.
- Verwijsindicaties voor kinderen met PSC naar een levertransplantatiecentrum zijn:
  - levensbedreigende portale hypertensie
  - chronisch leverfalen, die acuut verergerd.
  - onbehandelbare jeuk
  - progressieve invaliderende vermoeidheid
  - ernstige cirrose
  - recidiverende cholangitis
  - gestoorde eiwitsynthese
  - gestoorde detoxificatie

- slechte groei (of pubertas tarda)
- kinderen moeten uiterlijk rond het 15e levensjaar voor een evaluatie naar een levertransplantatiecentrum verwezen worden om genoeg tijd te hebben voor een screening. Als patiënten voor hun 16e verjaardag op de eurotransplantwachtlijst worden geplaatst komen ze in aanmerking voor (extra) kinderpunten.

### Toelichting en onderbouwing

#### **Acuut verergerd leverfalen**

Bij tekenen van acute verslechtering van de lever (acuut verergerd leverfalen bij patiënt met al bestaande cirrose) wordt onderzoek verricht naar de oorzakelijke factor, en deze oorzaak wordt indien mogelijk behandeld. Preventieve maatregelen worden gestart.

Door de leverschade kan bij verder gevorderde PSC sprake zijn van episoden met hepatische encefalopathie, als uiting van acuut verergerd leverfalen. Dit gaat gepaard met bewegingsproblemen, zoals tremoren en asterixis (onvermogen om een vaste positie te houden, bijvoorbeeld van handen of armen), verwardheid en verlies van bewustzijn. Het kan lastig zijn om in beginstadia de diagnose te stellen, doordat de symptomen kunnen fluctueren en aspecifiek kunnen zijn.

#### **Stenose van de galwegen**

Bij herhaaldelijke ernstige pijn aanvallen in de bovenbuik, gepaard gaand met icterus, bewegingsdrang, koude rillingen al of niet met koorts, moet gedacht worden aan een stenose van de galwegen<sup>11,20</sup>.

#### **Afstoting na levertransplantatie**

Een afstoting na levertransplantatie kan aanvankelijk symptomeloos verlopen. Daarom is periodieke controle van de leverbiochemie en tacrolimusdalspiegel noodzakelijk voor vroege herkenning van een rejectie.

## 3.2 Behandeling

**Uitgangsvraag 2: Welke (evidence based en eminence based) behandelmogelijkheden zijn er en wanneer zijn deze van toepassing?**

### Subvragen:

- a) Welke protocollen/richtlijnen worden gevolgd/zijn geschikt om te volgen bij de behandeling van PSC? Zijn deze protocollen/richtlijnen geïmplementeerd?
- b) Welke behandelingen zijn geschikt voor patiënten met PSC?  
Wat is een optimale behandeling voor patiënten met PSC?  
Welke medicamenten zijn geschikt voor behandeling van patiënten met PSC?  
Welke alternatieve behandelingen zijn er?
- c) Is er een landelijk gestandaardiseerd protocol voor het plaatsen van stents bij PSC-patiënten?
- d) Hoe is de begeleiding ten aanzien vermoeidheid, verminderde kwaliteit van leven en van de psychosociale effecten van het hebben van PSC?
- e) Welke maatregelen worden getroffen zodat er begeleiding/ondersteuning op het sociaal-maatschappelijk vlak is (zoals werk, verzekering, uitkering aanvragen)?

**Deelvraag 2a: Welke protocollen/richtlijnen worden gevolgd/zijn geschikt om te volgen bij de behandeling van PSC? Zijn deze protocollen/richtlijnen geïmplementeerd?**

### Aanbevelingen

- De richtlijn die tot op heden gebruikt wordt voor het management van cholestatische leverziekten (2009) is de EASL Clinical Practice Guidelines: Management of cholestatic liver diseases van de European Society of Gastrointestinal Endoscopy (ESGE)<sup>11</sup>.
- De richtlijnen die gebruikt wordt bij endoscopische behandeling bij PSC (2017) zijn de EASL Clinical Practice Guidelines van de ESGE<sup>1</sup>.
- Naast de EASL en de kwaliteitsstandaard PSC kan de AASLD richtlijn<sup>24</sup> geraadpleegd worden.
- In Nederland wordt de kwaliteitsstandaard PSC aanbevolen. Hierin zijn de aanbevelingen van de EASL CPG on the management of cholestatic liver diseases ten aanzien van de diagnostiek, behandeling en follow-up bij PSC overgenomen, daar waar zij toepasbaar zijn in de Nederlandse situatie. Voor de Nederlandse situatie zijn in deze kwaliteitsstandaard nog aanvullingen hierop gegeven, deels gebaseerd op literatuur en deels op expert opinion.
- Er moet aandacht zijn voor het implementeren van de EASL en de kwaliteitsstandaard PSC bij alle zorgverleners die zorg verlenen aan patiënten met PSC.

## Toelichting

Nederlandse toepasbaarheid van de **EASL Clinical Practice Guidelines (EASL CPG) on the management of cholestatic liver diseases**: In deze richtlijn van de EASL (European Association for the Study of the Liver) wordt het gebruik van diagnostische, therapeutische en preventieve mogelijkheden (non-invasieve en invasieve procedures) bij het begeleiden van patiënten met cholestatische leverziekten beschreven. De richtlijn is bedoeld als ondersteuning van artsen, andere zorgverleners en (naasten van) patiënten bij het klinische proces van decision-making door middel van het omschrijven van een reeks van algemeen geaccepteerde benaderingen voor het stellen van de diagnose, het behandelen van en de preventie van specifieke cholestatische leverziekten.

The **EASL CPG on the management of cholestatic liver diseases**<sup>11</sup> doet over de volgende onderwerpen aanbevelingen:

- Diagnostische benadering van de patiënt met cholestatische leverziekte.
- Diagnose en behandeling van primary biliary cirrhosis (PBC).
- Diagnose en behandeling van PBC-AIH overlap syndroom. (AIH: auto-immuun hepatitis).
- Diagnose en behandeling van primary sclerosing cholangitis (PSC).
- Diagnose en behandeling van PSC-AIH overlap syndroom.
- Diagnose en behandeling van immunoglobulin G4-associated cholangitis (IAC).
- Diagnose en behandeling van door medicatie geïndiceerde cholestatische leverziekten.
- Diagnose en behandeling van genetische cholestatische leverziekten.
- Diagnose en behandeling van cholestatische leverziekten tijdens de zwangerschap.
- Behandeling van extrahepatische manifestaties van cholestatische leverziekten.

### **Welke aanbevelingen worden gedaan in de EASL richtlijn en in hoeverre zijn ze toepasbaar in de Nederlandse situatie?**

In deze kwaliteitsstandaard zijn de aanbevelingen van de **EASL CPG on the management of cholestatic liver diseases** ten aanzien van de diagnostiek, behandeling en follow-up bij PSC overgenomen, daar waar zij toepasbaar zijn in de Nederlandse situatie.

Voor de Nederlandse situatie zijn in deze kwaliteitsstandaard nog aanvullingen hierop gegeven, deels gebaseerd op literatuur en deels op expert opinion. Tevens wordt in de kwaliteitsstandaard ingegaan op de organisatie van de zorg voor mensen met PSC in Nederland.

## Deelvraag 2b: Welke behandelingen zijn geschikt voor patiënten met PSC? Wat is een optimale behandeling voor patiënten met PSC? Welke medicamenten zijn geschikt voor behandeling van patiënten met PSC?

### Aanbevelingen

(mede op basis van de EASL-guideline<sup>11</sup>):

- Er is (nog) geen curatieve behandeling voor PSC.  
De behandeling is gericht op:
  - Het verminderen van de klachten
  - Het verbeteren van de kwaliteit van leven.
  - Het zo goed mogelijk omgaan met de beperkingen die als gevolg van PSC zijn ontstaan.
  - Het alert zijn op infecties en zo veel mogelijk preventieve maatregelen nemen ter voorkomen van infecties.
- Door het beperkte aantal data kan nog geen specifieke aanbeveling gedaan worden voor het algemeen gebruik van UDCA bij PSC.  
*Voor UDCA is tot dusver moeilijk aan te tonen dat het een disease modifying medicament is. Desondanks zal UDCA regelmatig voorgeschreven worden.*
- Als behandeling met ursodeoxycholzuur (UDCA) wordt gegeven, wordt een dosering van 15-20 mg/kg/d ursodeoxycholzuur (UDCA) aanbevolen. Hogere doseringen van 30 mg/kg/d worden momenteel afgeraden, omdat er geen voordeel en mogelijk zelfs een averechts effect te verwachten valt.
- Tegenwoordig is er suggestief maar beperkt bewijs dat UDCA preventieve effecten heeft ten aanzien van colorectaal kanker bij PSC. Om die reden kan UDCA overwogen worden bij hoog-risicogroepen (zoals positieve familieanamnese voor colorectaal kanker, in voorgeschiedenis colorectale neoplasieën of lang bestaande uitgebreide colitis)<sup>85,95,66</sup>.
- Corticosteroiden en andere immunosuppressiva zijn niet geïndiceerd voor de behandeling van PSC bij volwassenen, tenzij er bewijs is voor PSC met bijvoorbeeld tekenen van AIH<sup>11,96,12,33,17</sup>.
- Patiënten die immunosuppressiva gebruiken voor hun IBD kunnen daardoor gevoeliger zijn voor infecties; zij hebben soms vaker antibiotica nodig hebben. Niet alle antibiotica zijn goed voor de lever. Zie <https://www.geneesmiddelenbijlevercirrose.nl/zorgverleners>
- Matige tot ernstige leverinsufficiëntie, levercirrose, maar ook een complicatie zoals portale hypertensie, kan de farmacokinetiek (veranderde absorptie, distributie, metabolisme en excretie) en farmacodynamiek van een geneesmiddel beïnvloeden. Voor bijvoorbeeld diuretica is er een verminderd effect waargenomen bij patiënten met levercirrose. Ook kunnen patiënten met levercirrose gevoeliger zijn voor bepaalde bijwerkingen, zoals nefrotoxiciteit en effecten op de stolling. NSAID's zijn bijvoorbeeld gecontra-indiceerd bij patiënten met levercirrose. Zie <https://www.geneesmiddelenbijlevercirrose.nl/zorgverleners>



- Naast medicatie kunnen een dieet en lifestyle adviezen helpen om klachten te verminderen en de kwaliteit van leven zo goed mogelijk te houden. Zie toelichting en onderbouwing.
- Bij het ontstaan van dominante galwegstricturen ((plotseling) optreden of verergeren van klachten met pruritus, icterus, vermoeidheid, koorts met koude rillingen en pijn in de rechterbovenbuik waarbij de klachten niet binnen enkele dagen verdwijnen) met significante cholestase kan dilatatie van de galwegen worden verricht. Een benadering van de stenose door middel van endoscopische retrograde cholangiopancreatografie (ERCP) als acute interventie kan de drainage verbeteren. Soms wordt van te voren een MRCP verricht om te zien waar en hoe te endoscopiëren. De MRCP kan bijvoorbeeld aangeven of de aandoening bilateraal aanwezig is, en waar de stricturen zich bevinden.
- Wanneer bij een dominante galwegstrictuur met significante cholestase dilateren en biliare drainage niet succesvol zijn, kan een stent geplaatst worden. Bij het plaatsen van een stent is antibiotica profylaxe aanbevolen <sup>11,30,36,14,35,80,7,40,81,60</sup>.
- Preventieve maatregelen ter voorkoming van infecties zijn aanbevolen.
  - patiënten met PSC krijgen preventief vaccinatie tegen hepatitis A en hepatitis B aangeboden. Deze vaccinatie kan door de huisarts gegeven worden.
  - Patiënten met PSC krijgen voorlichting over voorzorgsmaatregelen, zoals het zorgvuldig/terughoudend zijn in wisselende intieme contacten (seksueel contact). Dit om extra secuur te zijn in het voorkomen van eventuele besmetting met hepatitis b of c of BRMO's (bijzonder resistente micro-organismen) en bepaalde SOA's.
  - Zorgverleners zijn verder alert op het vroeg signaleren van infecties en het deskundig behandelen ervan. Zeker bij patiënten met immunosuppressieve therapie is preventie en vroegsignaleren van infecties van belang.
- Het is belangrijk om het zelfmanagement van de patiënt te versterken. De stichting PSC Patients Europe en de NLV spelen een belangrijke rol bij de empowerment van patiënten. Een patiënt kan zelf vragen aan de behandelend arts of deze de zeldzame aandoening PSC kent en of de arts zichzelf voldoende toegerust vindt om de patiënt te behandelen. Verder is het principe van "samen beslissen" van belang.
- De maag-darm-leverarts/internist met aandachtsgebied leverziekten en expertise op het gebied van PSC is de aangewezen persoon voor de behandeling en begeleiding van de PSC-patiënt. Het is aanbevolen dat een PSC-patiënt behandeld wordt door een door VWS erkend expertisecentrum voor PSC of bij een ander behandelcentrum met expertise, waarbij dit behandelcentrum bij voorkeur nauw samenwerkt met het expertisecentrum. Het door VWS erkende expertisecentrum voor PSC is het Amsterdam UMC locatie [AMC- Center for immune-mediated and genetic cholestasis syndromes](#).
- PSC lijkt sterk gerelateerd aan andere inflammatoire darmziekten en lijkt een auto-immuun karakter te hebben. Immunosuppressiva en anti-inflammatoire middelen worden echter niet

aanbevolen voor de behandeling van PSC. Deze middelen hebben geen aangetoond effect op het beloop of de klachten bij de klassieke PSC<sup>11,20,24</sup>.

Indien er comorbiditeit is, kan het zijn dat immunosuppressiva en anti-inflammatoire middelen daarvoor worden voorgeschreven.

- *Ten aanzien van reumatologen:* Gewrichtsklachten die geassocieerd zijn met PSC kunnen behandeld worden met sulfasalazine; de behandeling moet minimaal 8 tot 12 weken worden doorgezet totdat de medicatie werkt.
- *Ten aanzien van anesthesiologen:* PSC-patiënten hebben meer sedativa nodig bij sedatie dan gezonde personen.
- Endoscopische procedures moeten worden uitgevoerd in centra met expertise die geavanceerde endoscopische technieken en ondersteunende chirurgische en radiologische faciliteiten in huis hebben.
- Levertransplantatie is aanbevolen/wordt overwogen bij PSC-patiënten:
  - in een ver gevorderd stadium van PSC,
  - als de levensverwachting of de verwachte kwaliteit van leven na 1 jaar zonder levertransplantatie slechter is dan met levertransplantatie,
  - met bewezen dysplasie van de cholangiocyten (galwegepitheel),
  - bij steeds terugkerende bacteriële cholangitis,
  - ernstige progressieve invaliderende vermoeidheid en niet behandelbare jeuk,
  - met chronisch of acuut verergerd leverfalen,
  - bij ernstige cirrose.

### **Kinderen met PSC**

- Kinderen met PSC of PSC met tekenen van AIH staan onder begeleiding van een kinder-MDL-arts/hepatoloog. Zij worden minimaal 1 keer per jaar door de hepatoloog of kinder-mdl-arts gezien.
- Over het gebruik van UDCA bij kinderen zijn onvoldoende gegevens beschikbaar om uitspraken te doen over dosering en gebruik.  
Medisch specialisten schrijven UDCA ook bij kinderen voor. Bij kinderen mag de dosering UDCA van 20 mg/kg/dag niet worden overschreden.
- Kinderen met chronische cholestase hebben een verhoogde kans op hepatische osteodystrofie. Er kan een suppletie met vitamine A, D, E en K in combinatie met calcium ingesteld worden, op geleide van regelmatige bloedanalyses.
- Bij kinderen die PSC met tekenen van AIH worden corticosteroiden (in afbouw) en immuunmodulatoren aanbevolen en anti-inflammatoire middelen worden overwogen.
- Bij ernstige leverschade biedt levertransplantatie de enige oplossing.

- Bij meisjes met PSC kan soms de menstruatie uitblijven; als er menstruatiestoornissen zijn, is het aanbevolen te verwijzen naar de gynaecoloog.
- Verwijsindicaties voor kinderen met PSC naar een levertransplantatiecentrum zijn:
  - levensbedreigende portale hypertensie
  - chronisch leverfalen, die acuut verergert.
  - onbehandelbare jeuk
  - progressieve invaliderende vermoeidheid
  - ernstige cirrose
  - recidiverende cholangitis
  - gestoorde eiwitsynthese
  - gestoorde detoxificatie
  - slechte groei (of pubertas tarda)
  - kinderen moeten uiterlijk rond het 15e levensjaar voor een evaluatie naar een levertransplantatiecentrum verwezen worden om genoeg tijd te hebben voor een screening. Als patiënten voor hun 16e verjaardag op de eurotransplantwachtlijst worden geplaatst komen ze in aanmerking voor (extra) kinderpunten.

#### Toelichting/onderbouwing

Er is geen curatieve behandeling voor PSC. De behandeling is gericht op:

- het verminderen van de klachten,
- het verbeteren van de kwaliteit van leven
- het zo goed mogelijk om gaan met de beperkingen die als gevolg van PSC zijn ontstaan.

Iedere klacht of symptoom vergt een individuele aanpak en samenwerking met verschillende medische specialisten uit verschillende disciplines is van belang.

#### Zorgcoördinatie

De maag-darm-leverarts/internist met aandachtsgebied leverziekten en met expertise op het gebied van PSC is de aangewezen persoon voor de behandeling en begeleiding van de PSC-patiënt. Het 'Amsterdam UMC locatie AMC-Centre for cholestatic liver diseases' is door het ministerie van VWS aangewezen als expertisecentrum voor PSC. In de toekomst zullen er meer expertisecentra zijn. Hier worden kennis en deskundigheid gebundeld, worden behandeling en onderzoek gecoördineerd en protocollen en standaarden opgesteld. Dat wil niet zeggen dat de behandeling van PSC alleen daar zal plaatsvinden. Een PSC-patiënt kan bij een ander behandelcentrum met expertise terecht voor de behandeling, waarbij dit behandelcentrum bij voorkeur nauw samenwerkt met het expertisecentrum. Zie module 'organisatie van zorg'.

#### Medicamenteuze behandeling bij PSC

##### • Ursodeoxycholzuur (UDCA)

Uit beschikbare data<sup>63,13,79</sup> blijkt dat ursodeoxycholic acid (UDCA) (15-20 mg/kg/dag) de serum leverwaardes bij PSC verbetert, maar niet de symptomen en de histologische bevindingen. UDCA heeft geen bewezen voordeel ten aanzien van de overlevingstijd. Bij een dosering van 15-20 mg/kg/d verbeteren wel de leverwaarden en het histopathologisch beeld en verminderen meestal ook de klachten, doch niet altijd. Hogere doseringen van 30 mg/kg/d worden momenteel afgeraden, omdat er geen voordeel en mogelijk zelfs een averechts effect te

verwachten valt. Een placebogecontroleerde studie heeft aangetoond dat PSC-patiënten die hoge dosering UDCA (30 mg/kg/dag) kregen na 5 jaar een klinisch ongunstiger eindpunt hadden bereikt dan de controlegroep<sup>11,20,24</sup>. Een belangrijke bijwerking bij het gebruik van UDCA is diarree.

*UDCA (ursodeoxycholzuur):*

- *is een fysiologische, niet giftig, tertiair galzuur.*
- *vermindert de concentratie van voor de lever toxische primaire en secundaire galzuren, die zich ophopen bij cholestase.*
- *beïnvloedt de samenstelling van de geproduceerde gal.*
- *stimuleert het de waterstofcarbonaatsecretie.*
- *verhoogt de galproductie.*
- *heeft een immunomodulerend effect op de levercelmembranen.*

*Er zijn aanwijzingen dat UDCA bij kinderen met hepatobiliaire aandoeningen ten gevolge van cystische fibrose, in een vroeg stadium de proliferatie van galwegen kan verminderen, de progressie van histologische schade kan stoppen en zelfs hepatobiliaire veranderingen kan omkeren.*

- **Immunosuppressiva en anti-inflammatoire middelen**

Ondanks het feit dat PSC sterk gerelateerd is aan andere inflammatoire darmziekten en een auto-immuun karakter heeft, lijken behandelingen met immunosuppressiva en andere anti-inflammatoire middelen alleen een positief effect te hebben bij het PSC-AIH overlapsyndroom. Deze middelen hebben geen aangetoond effect op het beloop of de klachten bij de klassieke PSC<sup>11,20,24</sup>.

- **Anti pruritus-medicatie**

Medicatie bij jeuk door cholestase (zie ook stroomdiagram):

- Cholestyramine
- Rifampicine.
- Naltrexon.
- Sertraline
- Vancomycine (beperkte evidence); wordt in Nederland niet voorgeschreven, omdat dit een antibioticum is dat zeer restrictief en selectief wordt ingezet tegen multiresistente bacteriën.
- Naloxon: opium-antagonist; zou ook gunstig effect hebben bij cholestase en jeuk door onbekende oorzaak. De lange termijn effectiviteit van naloxon is nog onvoldoende aangetoond.

- **Pijnstillers**

PSC patiënten ervaren vaak “pijn in de rechterbovenbuik”, hiervoor kan eventueel een pijnstiller (paracetamol) worden voorgeschreven.

- **Calcium tabletten** (eventueel met Vitamine D)

Omdat PSC vaak gepaard gaat met osteoporose kunnen Calcium tabletten (evt met Vit. D) worden voorgeschreven.

- **NorUDCA**

zorgt voor een veel sterkere toename van de bicarbonaatrijke galvloed dan UDCA in een diermodel voor scleroserende cholangitis en biliare fibrose. Mogelijk verdunt het toxische componenten in de gal of maakt het deze onschadelijk. Dat zou het anti-inflammatoire en antifibrotische effect van norUDCA in het diermodel kunnen verklaren. NorUDCA wordt goed getolereerd, ook door de mens. Publicatie van de onderzoeksresultaten naar het gebruik van norUDCA bij PSC-patiënten volgt binnenkort<sup>20</sup>.

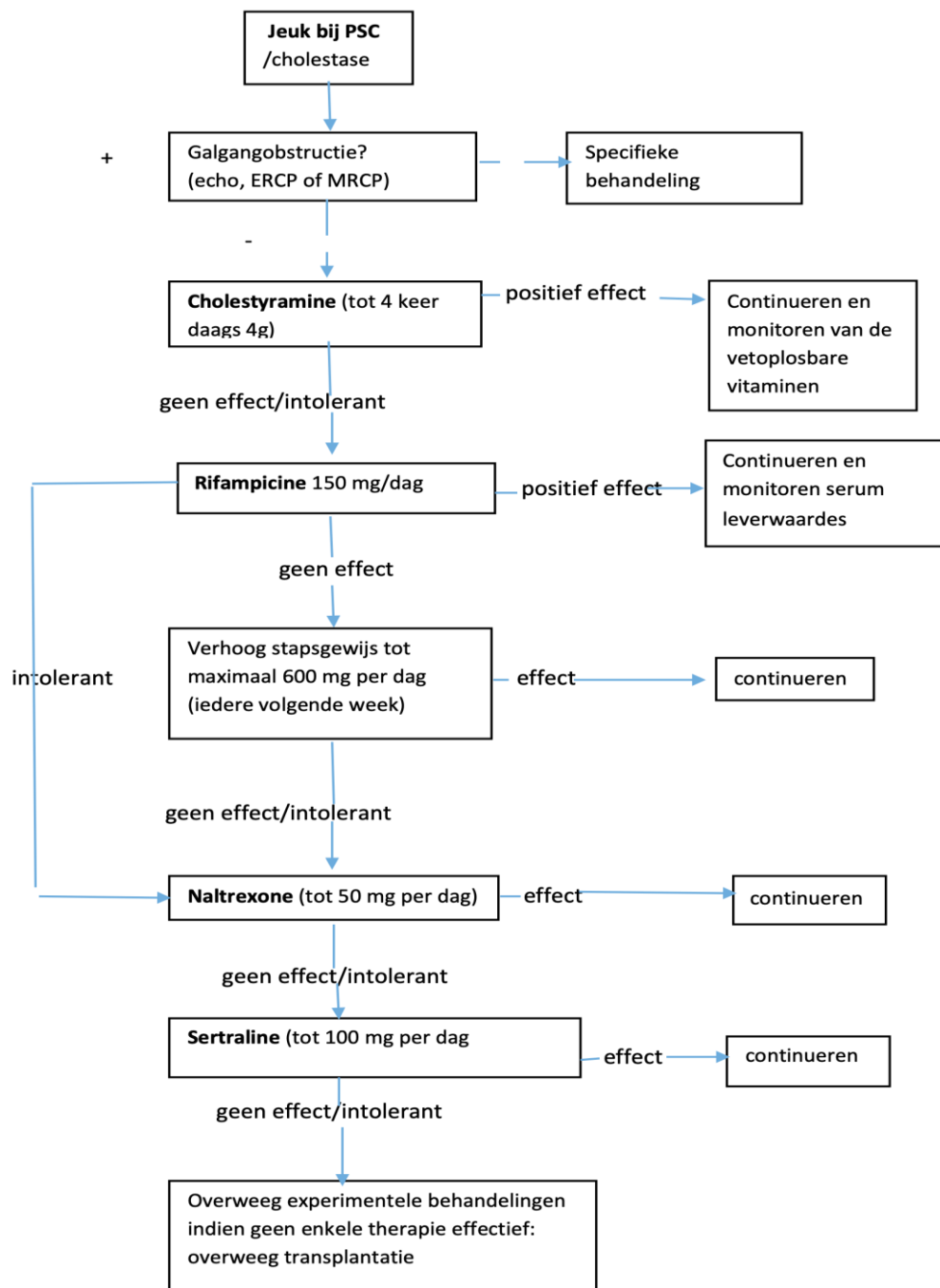
- **6-ethyl-chenodeoxycholzuur (6E-CDCA)**

heeft mogelijk een gunstig effect op galsecretie en levercelintegriteit bij sommige cholestatische leverziekten. Het middel wordt onderzocht bij patiënten met primaire biliare cholangitis, maar er bestaat zorg dat het effect van 6E-CDCA nadelig zou kunnen zijn bij galwegobstructie zoals optreedt bij PSC in een vergevorderd stadium. Dit wordt nog verder onderzocht<sup>20</sup>.

CONCEPT

*Stroomdiagram (medicamenteuze) behandeling van jeuk bij cholestase<sup>11</sup>*

De chronische jeuk (pruritus) die bij een groot aantal patiënten met leverziekten aanwezig is, kan een dramatisch effect hebben op de kwaliteit van leven. De behandelmogelijkheden zijn beperkt, soms invasief, en brengen een hoog risico op complicaties met zich mee. Naast medicatie zijn er behandelmogelijkheden met UVB en met plasmaferese over actieve kool (verminderen van galzouten of andere pruritogene factoren in het bloed)<sup>56</sup>



## Niet-medicamenteuze behandelingen bij PSC

### *Endoscopische behandeling van een stenose*<sup>20</sup>

Wanneer klachten met pruritus, icterus, vermoeidheid, koorts met koude rillingen en pijn in de rechterbovenbuik plotseling optreden of verergeren en niet binnen enkele dagen verdwijnen, duidt dit op een zogenaamde 'dominante stenose'. De stenose kan behandeld worden door middel van endoscopische retrograde cholangiopancreatografie (ERCP). Hierbij worden galgangen vrij gemaakt met een ballon of het plaatsen van een stent. Dit geeft verlichting van de klachten en verbetering van de leverwaarden.

### *Levertransplantatie*

Levertransplantatie is aanbevolen/wordt overwogen bij PSC-patiënten:

- in een ver gevorderd stadium van PSC,
- als de levensverwachting of de verwachte kwaliteit van leven na 1 jaar zonder levertransplantatie slechter is dan met levertransplantatie,
- met bewezen dysplasie van de cholangiocyten (galwegepitheel),
- bij steeds terugkerende bacteriële cholangitis,
- met chronisch of acuut verergerd leverfalen,
- bij ernstige cirrose<sup>70,72</sup>.

Patiënten moeten op tijd worden verwezen naar een transplantatiecentrum. Bij galwegcomplicaties zoals cholangitiden of bij (verdenking op) een cholangiocarcinoom, galblaascarcinoom of hepatocellulair carcinoom (HCC) moet ruggespraak gehouden worden met het transplantatiecentrum.

Aan de hand van de MELD (Model of End-stage Liver Disease)-score wordt de plaats op de wachtlijst voor transplantatie bepaald. Ernstige invaliderende vermoeidheid of jeuk, hepatische encefalopathie, refractaire ascites of andere complicaties en chronisch leverfalen kunnen aanleiding zijn om eerder naar een transplantatie te streven. Daarnaast kunnen recidiverende episodes van cholangitis bij PSC aanleiding zijn voor een hogere positie op de wachtlijst. De MELD-score alleen is dan niet toereikend.

### Na een levertransplantatie

- Patiënten voelen zich vaak 1 à 2 weken na de operatie al stukken beter, als gevolg van een herstellende leverfunctie. Wel kan het verdere herstel zeer wisselend verlopen en enkele weken tot enkele maanden duren. Het duurt vaak een jaar voor de meeste patiënten weer helemaal zijn opgeknapt.
- De patiënt blijft het eerste jaar na transplantatie onder controle bij het transplantatiecentrum en daarna zowel bij de MDL-arts van het transplantatiecentrum en de MDL-arts regionaal of in het expertisecentrum. Kinderen die een levertransplantatie hebben ondergaan blijven tot hun 18e levensjaar onder controle bij het kinderlevertransplantatiecentrum (dit is het UMCG).
- 80% van de getransplanteerden leeft 10 jaar na de transplantatie nog. In 20-25 % van de getransplanteerde levers keert PSC terug.
- Symptomen van PSC zijn soms lastig te onderscheiden van die van trombose in de arteria hepatica, chronische afstoting en infectie.

- Afwezigheid van colitis ulcerosa en het ondergaan van colectomie voorafgaand aan transplantatie lijken beschermende factoren te zijn ten aanzien van het opnieuw ontwikkelen van PSC<sup>20</sup>.

#### *Adviezen ten aanzien van lifestyle bij PSC*

- **Dieetadviezen:**

Bij levercirrose kunnen onder andere de volgende symptomen voorkomen: energie- en eiwitondervoeding, gestoorde glucosetolerantie, steatorrhoe, voedingsdeficiënties en osteoporose.

Met een dieet wordt geprobeerd de voedingstoestand niet te laten verslechteren. Aanbevelingen ten aanzien van een dieet bij leveraandoeningen zijn:

- Een alcoholverbod: door het gebruik van alcohol gaat de leverfunctie verder achteruit.
- Bij gewichtsverlies of ondervoeding wordt er een energieverrijkt dieet aanbevolen.
- Bij een te hoog gewicht of gewichtstoename wordt juist een energiebeperkt dieet aanbevolen.
- Bij mensen met een leveraandoening is de eiwitbehoefte ongeveer met vijftig procent verhoogd ten opzichte van een gezond persoon. Daarom is het belangrijk extra eiwitten te nemen goed verspreid over de dag.
- Regelmatig eten, met in ieder geval één maaltijd kort voor het slapen en één maaltijd direct na het opstaan. Door verminderde werking van de lever is er al snel sprake van een energietekort, doordat er minder glucose in het bloed beschikbaar is. Daarom wordt aangeraden niet langer dan acht tot tien uur niets te eten.
- Voldoende vitamines en mineralen. Als er sprake is van deficiënties kunnen die eventueel worden aangevuld met voedingssupplementen.
  - Bij complicaties zoals ascites: natriumbepert, soms vocht beperkt
  - Bij hepatorenaal syndroom: geen eiwitbeperking
  - Bij chronische encefalopathie: matige hoeveelheid eiwit
  - Bij steatorrhoe: vet volgens regels goede voeding, eventueel toevoegen vitamines ADEK

- **Overige aanbevelingen ten aanzien van leefstijl:**

- Ten aanzien van stoppen met roken is geen goede aanbeveling te doen; NB uit sommige onderzoeken lijkt roken een beschermend effect te hebben.
- Voldoende lichaamsbeweging: om spierweefsel te behouden en de opbouw ervan te stimuleren.
- Ten aanzien van sport worden zelfverdedigingssporten niet aanbevolen; ook duiken wordt niet aanbevolen in verband met druk op lever en vaten.
- Voldoende rust en ontspanningsmomenten.



## Deelvraag 2c: Is er een landelijk gestandaardiseerd protocol voor het plaatsen van stents bij PSC-patiënten?

### Aanbevelingen

- Preoperatieve biliaire drainage met stentplaatsing is niet routinematig geïndiceerd bij operabele maligne stricturen.
- Behandeling (dilateren en/of stentplaatsing) van dominante stricturen bij PSC is aanbevolen, omdat dominante stricturen geassocieerd zijn met een verhoogd risico op cholangitis, steenvorming en leverfalen<sup>24</sup>.
- Bij de behandeling van dominante stricturen bij PSC patiënten is ballondilatatie aanbevolen boven tijdelijke stentplaatsing, omdat de ballondilatatie minder ernstige bijwerkingen geeft, en de resultaten van ballondilatatie niet minder zijn dan de resultaten bij tijdelijke stentplaatsing. Dit kan bij de individuele patiënt verschillen.
- Het plaatsen van een stent bij dominante stricturen kan noodzakelijk zijn bij slechte drainage van contrast na dilatatie of bij een risico op collaberen van de galgang met mogelijke verstoring van de galafvoer<sup>67,68</sup>.
- Biliaire drainage middels een stent kan worden toegepast bij acute cholangitis, bij patiënten met ernstige symptomen en bij patiënten met uitgestelde chirurgie.

### Toelichting en onderbouwing

PSC is een chronisch progressieve ziekte die zowel de intrahepatische als de extrahepatische galgangen kan aandoen.

Uit epidemiologische studies blijkt dat:

- intra- en extrahepatische galgangen meedoen bij ongeveer 69% van de PSC-patiënten,
- alleen intrahepatische of alleen extrahepatische galgangen zijn aangedaan bij respectievelijk 25% en 4% van de PSC-patiënten<sup>24,82</sup>.

Biliaire drainage kan middels stentplaatsing nodig zijn bij:

- **Dominante stricturen**  
Een dominante strictuur wordt omschreven als een stenose in de ductus choledochus die kleiner is dan 1,5 mm of een stenose die kleiner is dan 1 mm in de hepatische galgangen. Tussen de 45% en de 58% van de PSC-patiënten ontwikkelt dominante galgangstricturen tijdens het verloop van de ziekte<sup>24,49</sup>.

Behandeling van dominante stricturen bij PSC is aanbevolen, omdat dominante stricturen geassocieerd zijn met een verhoogd risico op cholangitis, steenvorming en leverfalen<sup>24</sup>.

### ***Endoscopische therapie bij dominante stricturen***

- Endoscopische therapie middels ERCP is effectief bij patiënten met stricturen gelokaliseerd in de extrahepatische galgangen en grote intrahepatische galgangen, omschreven als dominante stricturen.
- Endoscopische therapie kan bestaan uit ballondilatatie of het plaatsen van een tijdelijke stent zodat de ernstig vernauwde galwegen openblijven.
- Wanneer met ballondilatatie een goed resultaat wordt behaald, dan heeft deze behandeling boven tijdelijke stentplaatsing het voordeel dat niet een tweede endoscopie uitgevoerd hoeft te worden. Belangrijk is om vast te stellen welke van de 2 behandelingen het langst effect heeft voordat de vernauwing terugkomt.

De DILSTENT trial is een internationale klinische studie die vanuit het AMC is opgezet om korte duur stenting met ballondilatatie te vergelijken. In totaal hebben 9 centra verspreid door Europa (waarvan 2 in Nederland) met deze studie meegedaan <sup>68</sup>.

Het resultaat van deze prospectieve multicenter studie (waarbij naast de effectiviteit ook de veiligheid van behandeling met ballondilatatie versus behandeling met een tijdelijke stent is onderzocht bij niet terminale PSC-patiënten), is dat het plaatsen van een tijdelijke stent geen betere resultaten gaf ten opzichte van ballondilatatie en wel werd geassocieerd met een vaker optreden van behandeling gerelateerde ernstige bijwerkingen (zoals post-ERCP pancreatitis en/of bacteriële cholangitis).

De aanbeveling uit dit onderzoek is dat de behandeling van eerste keuze bij dominante structuren bij PSC patiënten ballondilatatie is. Dit is met name relevant voor patiënten met een intacte papil <sup>68</sup>.

- **Acute cholangitis**

Hieronder staan de Tokyo criteria bij acute cholangitis. Opgemerkt dient hierbij te worden dat bij patiënten met PSC (die bijvoorbeeld een focale cholangitis van bijvoorbeeld de linker leverkwab hebben) deze criteria kunnen afwijken. Icterus kan bijvoorbeeld ontbreken.

Acute cholangitis<sup>73</sup> wordt meestal gekenmerkt door:

- Systemische inflammatie
  - Koorts en/of koude rillingen ( $T > 38^{\circ}\text{C}$ )
  - Laboratorium uitslagen: bewijs van een inflammatoire respons (leukocyten  $< 4$  of  $> 10 \times 10^3/\mu\text{L}$ , CRP  $\geq 10$  mg/l)
- Cholestase
  - Icterus ( $\text{T-Bil} \geq 34 \mu\text{mol/L}$ )
  - Abnormale leverfunctie uitslagen (Af  $> 1,5\text{x}$  de bovenlimiet van normaalwaarde,  $\gamma\text{GT} > 1,5\text{x}$  de bovenlimiet van normaalwaarde, ASAT  $> 1,5\text{x}$  bovenlimiet van normaalwaarde, ALAT  $> 1,5\text{x}$  de bovenlimiet van normaalwaarde)
- Beeldvorming
  - Biliaire dilatatie
  - Bewijs van de etiologie op beeldvorming (strictuur, steen, stent, etc.)

Niet alle factoren zijn altijd even duidelijk aanwezig. Andere factoren, die nuttig zijn voor de diagnose acute cholangitis, zijn:

- buikpijn (rechter bovenkwadrant of bovenbuik)
- de voorgeschiedenis van de patiënt

### **Therapie bij acute cholangitis middels galwegdrainage:**

Er zijn bij acute cholangitis drie verschillende manieren van galwegdrainage:

- ERCP (met papillotomie en/of stent plaatsing),
- Percutane transhepatische drainage (PTCD)
- (Chirurgische galwegdrainage).

Endoscopische decompressie heeft bij patiënten met ernstige acute cholangitis een lagere morbiditeit (34% vs 66%) en lagere mortaliteit (10% vs 32%) dan chirurgische decompressie<sup>45</sup>.

De therapie bij een acute cholangitis bij PSC is ERCP of PTCD; Behandeling middels chirurgische galwegdrainage is niet (meer) aan de orde.

### **Stentplaatsing**

Bij (tijdelijke) stentplaatsing worden plastic of metalen stents gebruikt.

- De belangrijkste indicatie voor een plastic stent zijn (postoperatieve) stricturen in de galgangen.
- Metalen stents worden geplaatst in palliatieve situaties zoals een stenoserend cholangiocarcinoom.

Een terugkerend nog onopgelost probleem bij beide types stent is de afsluiting door afbraakproducten en debris van onder andere bacteriën. Deze stentaafsluiting kan 3 tot 6 maanden na de implantatie plaatsvinden en maakt endoscopische reïnterventie dan noodzakelijk.

## **Deelvraag 2d: Hoe is de begeleiding ten aanzien van vermoeidheid, verminderde kwaliteit van leven en van de psychosociale effecten van het hebben van PSC?**

### **Aanbevelingen**

- Het is aanbevolen om bijkomende aandoeningen die vermoeidheid kunnen geven zo veel mogelijk uit te sluiten (en indien aanwezig zo goed mogelijk te behandelen) en/of medicatie die vermoeidheid kan veroorzaken zo veel mogelijk te vermijden.
- Bij het vermijden van zoveel mogelijk factoren die de vermoeidheid erger maken moet ook gedacht worden aan het zo laag mogelijk houden van factoren die de autonome dysfunctie kunnen verergeren, zoals te hoge antihypertensieve medicatie en factoren die slaapverstoringen geven (coffeïne in de avond).
- Een aangepast dieet en begeleiding hierbij door een diëtiste kan helpen om de kwaliteit van leven te verbeteren. Zie Adviezen ten aanzien van lifestyle bij PSC
- Psychologische ondersteuning moet worden overwogen, ook om te helpen met de ontwikkeling van coping strategieën bij vermoeidheid.  
De psychosociale ondersteuning wordt verleend door huisartsen, medisch specialisten en verpleegkundigen, of door zorgverleners gespecialiseerd in psychosociale hulpverlening zoals maatschappelijk werkers, psychiaters en psychologen, of een coach die ervaring heeft met ondersteunen bij chronische aandoeningen.

- De behandelend arts moet alert zijn op psychosociale effecten die het hebben van PSC kunnen meebrengen, en hier *actief* naar informeren.  
Indien er sprake is van depressie, angst of andere factoren die de patiënt ervaart op het psychosociale vlak, moet de arts adequate ondersteuning bieden en verwijzen naar een psychosociale zorgverlener/gespecialiseerd coach en/of verwijzen naar cursussen en/of lotgenotencontact. Tevens kan verwezen worden naar instanties die helpen bij voorzieningen en aanpassingen. Ook is er aandacht voor de ouders, de partner en het gezin. De diagnose PSC heeft ook voor hen een grote impact.
- De behandelend arts kan zo nodig pijnmedicatie voorschrijven, en de patiënt stimuleren om, waar mogelijk, actief te blijven. Eventueel kan naar de sportgeneeskundige verwezen worden of naar een psycholoog voor cognitieve gedragstherapie.

#### Toelichting en onderbouwing

De kwaliteit van leven is bij patiënten met PSC (meestal) lager dan bij mensen zonder de aandoening. De ziekte verloopt vaak onvoorspelbaar en grillig, vaak gepaard met vermoeidheid, pijn en jeuk. Dit kan (periodiek) invaliderend werken.

De kwaliteit van leven lijkt vooral verlaagd bij patiënten met PSC die ouder zijn, bij patiënten met large-duct PSC en bij patiënten die meer systemische symptomen hebben<sup>8</sup>.

#### Psychosociale aandachtspunten

##### Onbegrip

Mensen met PSC vertonen in het algemeen geen uiterlijke kenmerken van hun ziekte. De ziekte verloopt onvoorspelbaar en grillig, vaak gepaard met vermoeidheid, pijn en jeuk. Dit kan periodiek invaliderend werken wat betekent dat mensen sterk wisselend en vaak progressief minder belastbaar zijn. Hierdoor kan onbegrip ontstaan bij familie en vrienden, maar ook bij werkgever, bedrijfsartsen en verzekeringsartsen<sup>38</sup>.

Omdat PSC een zeldzame aandoening is, kan bij het onbegrip ook de onbekendheid van de aandoening een rol spelen.

##### Pijn en vermoeidheid

waardoor terugtrekken uit sociale contacten, werk, school etcetera. Patiënten met PSC ervaren tijdens actieve periodes van de ziekte vaak chronische pijn in de rechter bovenbuik en vermoeidheid. Tevens hebben veel PSC-patiënten IBD met bijbehorende klachten. Vaak zijn er periodes van ernstige vermoeidheid.

De behandelend arts kan:

- zo nodig pijnmedicatie voorschrijven,
- de patiënt stimuleren om, waar mogelijk, actief te blijven,
- een dagelijkse routine, hobby's en contacten met anderen aanmoedigen; deze bieden afleiding waardoor de pijn een minder prominente rol in het leven van de patiënt zal spelen.

- De patiënt ondersteuning bieden of verwijzen voor ondersteuning. Zie *Welke maatregelen worden getroffen zodat er begeleiding/ondersteuning op het sociaal-maatschappelijk vlak is (zoals werk, verzekering, uitkering aanvragen)?*

#### *Depressie en angst*

Een diagnose als PSC kan gevoelens van angst, boosheid en depressie aanwakkeren, zeker wanneer de ziekte verergert en levertransplantatie in zicht komt. Boosheid vanwege een tekort aan donororganen kan een rol spelen. Ook de angst voor het beloop of het ontstaan van maligniteiten kan een sterk effect hebben op de gemoedstoestand van de PSC-patiënt en eventuele naasten. Veel patiënten geven aan na de diagnose door een rouwproces te gaan. Na levertransplantatie kunnen gevoelens van angst voor afstoting en voor terugkeer van de ziekte een rol spelen. Het is belangrijk om hier als behandelend arts alert op te zijn, er over te praten met de patiënt en zo nodig te verwijzen <sup>38</sup>.

#### *Gezinssituatie*

Patiënten geven aan dat zij in de relatie met de partner soms gevoelens van ongelijkwaardigheid ervaren. Ook voelen ze zich schuldig omdat ze zich de remmende factor voelen in de gezinsdynamiek. Er is vaak sprake van een gezin met een chronisch ziek gezinslid. De behandelend arts kan ondersteunen bij problemen die hierdoor ontstaan <sup>38</sup>.

#### *Dag-en-nachtritme*

Veel PSC-patiënten ontwikkelen een omgekeerd dag-en-nachtritme. Dit heeft te maken met de jeuk die ernstiger kan worden in de nacht. Dit leidt tot slapeloosheid waardoor de patiënt slaapgebrek kan krijgen en de slaap overdag gaat inhalen.

#### *Cursussen*

Mensen met een chronische leveraandoening kunnen vaak wel wat hulp gebruiken met hoe zij hun ziekte een plaats kunnen geven in hun leven. De behandelend arts kan hen wijzen op verschillende cursussen die georganiseerd worden door patiëntenorganisaties en ziekenhuizen.

Bijvoorbeeld een cursus 'Werken met een leveraandoening', 'Leverziekte en studie' of 'Kind met chronische ziekte'.

Tevens kan een persoonlijke coach worden aangeraden, met name een coach gespecialiseerd in "leven met een chronische aandoening".

#### *Lotgenotencontact*

Contact met medepatiënten kan worden gelegd via:

- PSC Patients Europe,
- de besloten facebookgroepen 'PSC en AIH (overlap) Nederlandstalig' en 'Ouders van kinderen met PSC/AIH'
- de Nederlandse Leverpatiënten Vereniging

- Stichting Sport en Transplantatie.

#### *Voorzieningen en aanpassingen*

Voorzieningen en aanpassingen kunnen nodig zijn, afhankelijk van de beperking. De behandelend arts kan patiënten wijzen op de mogelijke vergoedingen zoals via Wet maatschappelijke ondersteuning (WMO), Tegemoetkoming Onderhoudsbudget thuiswonende Gehandicapte kinderen (TOG) en het persoonsgebonden budget (PGB) en verwijzen naar instanties zoals MEE.

### **Deelvraag 2e: Welke maatregelen worden getroffen zodat er begeleiding/ondersteuning op het sociaal-maatschappelijk vlak is (zoals werk, verzekering, uitkering aanvragen)?**

#### *Aanbevelingen*

Voor begeleiding en ondersteuning op het sociaal-maatschappelijk vlak verwijst de regievoerend arts/andere zorgverlener naar de volgende zorgverleners en/of organisaties:

- **Huisarts**
- **Psycholoog**
- **Maatschappelijk werker**
- **Gespecialiseerd coach**
- **Patiëntenorganisatie PSC Patients Europe** is een platform voor mensen met PSC en hun naasten. Er zijn twee besloten Facebook groepen waar mensen met PSC en PSC-AIH overlapsyndroom en ouders van kinderen met deze aandoeningen onderling informatie kunnen uitwisselen en elkaar vragen kunnen stellen.
- **Nederlandse Leverpatiënten Vereniging (NLV)**. Deze organisatie houdt zich bezig met informatievoorziening, lotgenotencontact en belangenbehartiging.
- **NPCF Nederlandse Patiënten Consumenten Federatie** maakt zich sterk voor alle mensen die zorg nodig hebben, nu of in de toekomst. Zij geven patiënten een stem: in de spreekkamer, in de politiek, bij de zorgverzekeraar en in het nieuws.
- **MEE** geeft voorlichting, advies en praktische ondersteuning aan mensen met een verstandelijke, lichamelijke handicap en/of een chronische ziekte. De ondersteuning is voor ouders met kinderen, maar ook voor volwassenen.
- **Stichting Welder**: De Wijzer met Welder is een dienst van kenniscentrum Welder. Kenniscentrum Welder kan worden ingeschakeld voor advies over werk, uitkeringen en verzekeringen. Welder is een landelijk kenniscentrum (stichting zonder winstoogmerk) dat mensen wegwijs maakt op het terrein van gezondheid, arbeid en participatie. Zij hebben als missie om mensen met een gezondheidsprobleem, chronische ziekte of handicap te empoweren, zodat zij beter voorbereid kunnen omgaan met hun werkgever, bedrijfsarts, (uitkerings)instantie, arbeidsdeskundige, re-integratiebedrijf of verzekeraar.
- **Loket gezond leven**: [www.loketgezondleven.nl](http://www.loketgezondleven.nl)
- **WMO** Een aantal tegemoetkomingen voor chronisch zieken en gehandicapten is afgeschaft. In plaats daarvan biedt de gemeente ondersteuning op maat. De gemeente kan ondersteunen via de Wet Maatschappelijke ondersteuning (Wmo 2015) of de bijzondere bijstand.
- **TOG** Tegemoetkoming Onderhoudsbudget thuiswonende Gehandicapte kinderen

- **PGB** Persoonsgebonden budget
- Juridisch Steunpunt **Iederin**

Zorgverleners hebben een belangrijke rol bij het verbeteren van de maatschappelijke participatie van patiënten met PSC; hun rol bestaat uit:

- Ondersteuning bieden
- Problemen bespreekbaar te maken,
- De participatie faciliteren. Bijvoorbeeld door gerichte adviezen over ondersteuning door gemeenten (huishoudelijke hulp, woningaanpassingen, speciale sportfaciliteiten),
- Verwijzing naar maatschappelijk werk of de psycholoog. Zie toelichting en onderbouwing.

#### Toelichting en onderbouwing

##### **Maatschappelijke participatie verwijst naar:**

- sociale contacten,
- vrijetijdsbesteding,
- het hebben van werk,
- het naar school gaan,
- volgen van een (vervolg)opleiding,
- allerlei positieve aspecten van ons menszijn, zoals zelfbeschikking, productiviteit, zelfontplooiing, het vermogen tot betrokkenheid, sociaal contact (het vermijden van isolement), of zelfacting.
- maatschappelijk nut, bijvoorbeeld door het verrichten van betaalde arbeid, vrijwilligerswerk of het verlenen van informele hulp.

Het is bekend dat veel mensen met een chronische ziekte of lichamelijke beperking minder participeren dan mensen zonder ziekte of beperking. Zij hebben te maken met de impact van hun ziekte of beperking op hun dagelijks functioneren thuis, dagelijkse frustraties, onmacht of onzekerheid. Veel chronisch zieken ervaren problemen op het werk. Werkgevers weten vaak niets over hun aandoening. Collega's en leidinggevenden zijn vaak niet goed op de hoogte waardoor misverstanden en problemen kunnen ontstaan.

Zorgverleners hebben hier een rol:

- Ondersteuning bieden,
- Problemen bespreekbaar te maken,
- De participatie faciliteren. Bijvoorbeeld door gerichte adviezen over ondersteuning door gemeenten (huishoudelijke hulp, woningaanpassingen, speciale sportfaciliteiten),
- Verwijzing naar maatschappelijk werk of de psycholoog.

##### **Schoolverzuim**

Ieder kind en iedere jongere heeft recht op goed onderwijs. Voor leerlingen langdurig of chronisch ziek zijn is het soms lastig dit recht te verzilveren. Deze kinderen krijgen door schoolverzuim en het uitblijven van extra aandacht en ondersteuning niet altijd het onderwijs dat bij hen past.

### *School verantwoordelijk voor onderwijs aan zieke leerling*

De school waar de zieke leerling staat ingeschreven blijft in alle gevallen verantwoordelijk voor het onderwijsaanbod. Dit is vastgelegd in de Wet Ondersteuning Onderwijs Zieke Leerlingen (WOOZ). Ook in het kader van passend onderwijs valt de opvang van zieke leerlingen onder de zorgplicht van het schoolbestuur. Het schoolbestuur heeft de taak na te gaan wat de ondersteuningsmogelijkheden van de school zijn.

### *Onderwijsondersteuning zieke leerlingen (OZL)*

Consulenten van het OZL zijn gespecialiseerde onderwijsadviseurs die kennis hebben van ziektebeelden en de gevolgen van de ziekte voor het onderwijs van het kind. Daarnaast beschikken zij over de nodige ervaring in het omgaan met zieke leerlingen en het aanpassen van leerprogramma's voor deze leerlingen. Ook kan een kind gebruik maken van de vele contacten die een consulent OZL heeft en de aanwezige kennis omtrent regels en voorschriften. Dankzij OZL en digitale middelen die vaak worden ingezet kunnen zieke leerlingen vanuit huis toch in de klas 'aanwezig' zijn. De ondersteuning geldt voor zieke leerlingen in het PO en het VO.

Ook kan in sommige gevallen de KPN Klasgenoot ingezet worden. De zieke leerling kan dan op afstand lessen volgen. Door dit contact raken leerlingen minder snel achterop met de lesstof en -minstens zo belangrijk - blijven ze in contact met hun leraren en klasgenoten.

### **Arbeidsparticipatie**

Dat de arbeidsparticipatie in veel gevallen niet optimaal is heeft meerdere oorzaken.

- In ieder geval speelt als oorzaak in heel veel gevallen de grote onbekendheid met de aandoening mee van werkgevers, leidinggevend en collega's. Dit kan tot problemen leiden op de werkplek.
- Daarnaast speelt onbekendheid met het ziektebeeld en de gevolgen ook bij professionals die hierbij betrokken zijn (te denken valt aan medewerkers van het UWV, arbo/verzekeringsartsen, WMO-ambtenaren, maar ook bij huisartsen).
- Maar ook de mensen met PSC zijn zelf niet altijd op de hoogte van de invloed van de aandoening op werk, de oplossingen die hiervoor gevonden kunnen worden en de regels en wetten die er zijn, als het mis gaat.

Door deze onbekendheid en mogelijke vooroordelen komt het gesprek tussen de medewerker en de werkgever (en anderen die hierboven genoemd zijn) in veel gevallen niet of niet goed op gang en worden er geen oplossingen gevonden voor problemen die zich op de werkplek voordoen.

Medewerkers met een vraag over arbeid in relatie tot hun aandoening of handicap, arbeidsongeschiktheid, die ondersteuning nodig hebben bij een situatie op het werk, de mogelijkheden tot arbeidsparticipatie willen verbeteren, of tips willen hebben voor solliciteren, kunnen voor informatie terecht op een speciale website: [www.arbeidsparticipatietool.nl](http://www.arbeidsparticipatietool.nl).

### **UWV en WIA**

Veel leverpatiënten krijgen te maken met (tijdelijk) verlies van arbeid en vallen vervolgens onder de WIA, de Wet werk en inkomen naar arbeidsvermogen. Wanneer patiënten met PSC in de ziektewet terecht komen of hun baan dreigen te verliezen vanwege hun leverziekte, kunnen zij ook voor meer informatie en lichte ondersteuning terecht bij het Juridisch Steunpunt van Ieder(in).



CONCEPT

### 3.3 Follow-up

#### Uitgangsvraag 3: Wat zijn aandachtspunten bij de follow-up bij PSC?

##### Subvragen:

- a) Wat zijn de aandachtspunten bij de follow-up bij PSC?
- b) Is er een landelijk gestandaardiseerd protocol voor het monitoren van de bot-status bij PSC-patiënten?
- c) Wat zegt de waarde van de leverenzymen over het stadium van de ziekte of de conditie van de patiënt?
- d) Is er een gevalideerde methode om de fase van de ziekte bij PSC te bepalen?

#### Deelvraag 3a: Wat zijn aandachtspunten bij de follow-up bij PSC?

##### Aanbevelingen

- Het is aanbevolen dat een PSC-patiënt minstens 1 keer per 1-2 jaar wordt gezien door een internist of MDL-arts met specifieke expertise op het gebied van leverziekten.
- Het wordt aanbevolen om kinderen met PSC minstens 1x/jaar te laten controleren door een kinderhepatoloog.
- Indien de controles niet plaatsvinden in een door VWS erkend expertisecentrum of een centrum met speciale expertise, is (op indicatie) overleg met of verwijzing naar een MDL-arts met speciale expertise in een door VWS erkend expertisecentrum/centrum met expertise 1 keer per 1-2 jaar aanbevolen.
- Bij controles van de PSC-patiënt zijn aanbevolen:
  - Laboratoriumonderzoek met bepaling van de leverwaarden.
  - Bepaling van IgG4.
  - Bij kinderen 1 keer per jaar een fecaal calprotectine test.
  - De prevalentie van IBD bij PSC is bij kinderen wel hoger dan bij volwassenen: circa 90%. En als IBD ten tijde van de diagnose van PSC nog niet is vastgesteld, is het aan te bevelen hierop 1x/jaar te blijven monitoren middels een fecaal calprotectine test. Bij een waarde >250 ug/g is gastro- en coloscopie geïndiceerd om IBD te evalueren. Bij volwassenen wordt dit niet gedaan.
  - Beoordeling van het klinisch beloop.
  - Een MRI/MRCP op indicatie. Bij stabiele laboratoriumwaarden overwegen om 1 keer per 3 jaar een MRI te verrichten. Terughoudendheid hierbij is wel aanbevolen, namelijk een uitslag bij bijvoorbeeld hypertrofieering kan ook (onterechte) onrust geven ten aanzien van angst voor cholangiocarcinoom. Er zijn ook patiënten die jaarlijkse MRI/MRCP-screening op prijs stellen. Het valt te overwegen hierover met de patiënt in gesprek te gaan. Dit ook mede gezien het feit dat er een orthotopie levertransplantatie mogelijk is bij een klein cholangiocarcinoom.

- Tot nu toe wordt in de richtlijnen gesuggereerd om PSC patiënten ouder dan 18 jaar te screenen op CCA, maar in verband met het voorkomen van CCA bij kinderen vanaf 15 jaar die interventies in de voorgeschiedenis hebben voor galwegstricturen, is het aanbevolen ook deze groep kinderen te screenen. Zie PSC bij kinderen.
- Histologisch onderzoek op indicatie om het stadium van de ziekte PSC vast te stellen.
- Fibroscan op indicatie. Hiermee kan de hoeveelheid fibrose (littekenweefsel) gemonitord worden.
- Coloscopie met bipten bij patiënten die geen vastgestelde IBD hebben (eenmaal per 5 jaar of op indicatie eerder).

Bij patiënten met een vastgestelde IBD vindt jaarlijks of eenmaal per 1-2 jaar (individueel bepaald) een coloscopie plaats <sup>11,22</sup>. Dit geldt ook voor kinderen, met name voor kinderen vanaf 15 jaar die al meerder jaren actieve IBD hebben. Ook al is CCA bij hen zeldzaam, het wordt bij kinderen vanaf 15 jaar sporadisch gezien. <sup>108</sup>

- ERCP met brush cytologie en endobiliaire bipten bij verdenking op een cholangiocarcinoom (CCA). Een verdenking op CCA is er bij elke patiënt met toenemende cholestase, gewichtsverlies, verhoogd serum CA19-9 en/of nieuwe progressieve belangrijke stricturen<sup>11</sup>. Er zijn tot op heden geen andere beeldvormende technieken of biochemische markers die voor vroegdiagnostiek van CCA in aanmerking komen.
- Jaarlijks echografisch onderzoek van de galblaas en galgangen om afwijkingen aan de galblaas op te sporen.
- Dual X-ray-absorptiometrie (DEXA) een keer per twee jaar in verband met een verhoogd risico op osteoporose. Afhankelijk van leeftijd, het stadium van PSC en de botmassa kan individueel bepaald de frequentie lager zijn.
- Aandacht voor het emotionele aspect bij PSC actief aanbieden van begeleiding/ondersteuning/behandeling bij eventuele psychosociale, psychiatrische en seksuele problemen.
- Aandacht voor begeleiding/ondersteuning op het sociaal-maatschappelijk vlak (zoals werk, school, verzekering, uitkering aanvragen).
- Voldoende aandacht voor ondersteuning bij voeding en zo nodig verwijzing naar een diëtiste.
- Aandacht voor deficiëntie vetoplosbare vitamines (ADEK). Bij PSC is sprake van een secundaire deficiëntie, namelijk als gevolg van tekort aan gal in de darm kunnen problemen ontstaan met de vertering. Hierdoor kan vetdiarree ontstaan en een tekort van de vetoplosbare vitamines.

Bij een tekort aan vitamines kunnen 2 fases worden aangegeven:

1. Latente deficiëntie: de voorraden in het lichaam nemen af; na verloop van tijd zijn ook biochemische en metabole veranderingen in lichaamsvloeistoffen en weefsels aantoonbaar (bijv. een te lage concentratie in het bloed of een te lage enzymactiviteit).
  2. Manifeste deficiëntie: het ontstaan van klinisch waarneembare morfologische en functionele veranderingen.
- Het is aanbevolen om vrouwen met PSC in de zwangerschap goed te monitoren met regelmatig bloedonderzoek en klinische evaluaties. In het eerste trimester wordt een MRI afgeraden.

- Tijdens de follow-up kan bij patiënten met PSC (ouder dan 18 jaar) gebruik gemaakt worden van de Amsterdam-Oxford PSC score calculator: het Amsterdam-Oxford prognose model kan bij PSC gebruikt worden om een schatting te maken van de lange termijn transplantatievrije overlevingsmogelijkheden van de PSC patiënt. De ontwikkelaars van de Amsterdam-Oxford PSC score hebben deze calculator ontwikkeld met de medische kennis gebaseerd op de Nederlandse en Oxford PSC cohorten van juli 2016. Het model wordt steeds aangepast met nieuwe beschikbare informatie<sup>4</sup>.
- Tijdens de consulten is aandacht voor het stadium van de PSC: bij verder gevorderde PSC komt de patiënt eventueel in aanmerking voor een levertransplantatie. De MELD (Model of End-stage Liver Disease) score helpt om de prognose voor patiënten met een vergevorderde leverziekte te bepalen en wordt gebruikt om patiënten te prioriteren voor levertransplantatie. Verwijs voor levertransplantatie als de MELD-score hoger is dan 14/15.

#### Toelichting/onderbouwing

Doordat PSC relatief weinig voorkomt, zijn niet veel artsen vertrouwd met de diagnostiek en behandeling ervan. Wanneer de diagnose gesteld wordt gaan patiënten een traject in van jarenlange behandeling met medicatie, endoscopische dilatatie, regelmatig contact met specialist, beeldvormend onderzoek, bloedonderzoek en in veel gevallen jaarlijks een coloscopie ter controle. In die zin is de ziektelast voor patiënten maar ook de belasting voor hulpverleners aanzienlijk.

Follow-up vindt plaats door een internist/MDL-arts/kinderhepatoloog/kinder (mdl)-arts met expertise op het gebied van leverziekten. Een één tot tweejaarlijks contact met een door VWS erkend expertisecentrum/centrum met expertise is aanbevolen. Dit contact kan ook een telefonisch overleg zijn van de behandelend arts met een in PSC gespecialiseerd MDL-arts in een door VWS erkend expertisecentrum/centrum met expertise.

Criteria/voorwaarden die aanwezig moeten zijn in een expertisecentrum/centrum met expertise (dit kan een behandelcentrum, een topreferent ziekenhuis of een regionaal ziekenhuis zijn) op het gebied van PSC zijn:

- (Meerdere) (kinder)MDL-arts(en) /hepatologen met aantoonbare interesse (kennis en expertise) in leveraandoeningen en met name PSC (aantoonbaar is bijvoorbeeld bezoeken van gespecialiseerde scholing, aantoonbaar werken volgens protocollen). Bij voorkeur *meerdere* (kinder)MDL-artsen in verband met *laagdrempelig collegiaal overleg* en in verband met continuïteit in een centrum)
- Abdominaal radioloog met expertise op gebied van leverschieding.
- Academisch ziekenhuis of STZ ziekenhuis (samenwerkende topklinische ziekenhuizen).
- Aanwezige HD (high definition) coloscopie.
- Aanwezigheid gespecialiseerd verpleegkundig specialist.
- IBD centrum of ervaring met complexe IBD.
- Hepato-pancreatico-biliair MDO beschikbaar.
- Mogelijkheden voor verrichten complexe ERCP in ziekenhuis of duidelijke afspraken met een ziekenhuis die mogelijkheden heeft om dit onderzoek te verrichten.

- Ondergrens aantal patiënten met PSC in behandeling (10 – 25 voor een expertisecentrum (EC); voor een behandelcentrum/regionaal ziekenhuis kan het aantal patiënten lager liggen, mits er aan de andere voorwaarden wordt voldaan en er contact is met het EC).
- Opleidingsziekenhuis (in verband met continuïteit).
- Het volgen van de protocollen van EASL en de kwaliteitsstandaard PSC.
- Aanwezigheid in het centrum van gespecialiseerde psychologische ondersteuning, maatschappelijk werk, diëtiste.
- Contact met patiëntenverenigingen.

Het zal per patiënt verschillen in welk centrum zij het beste kunnen worden behandeld.

Patiënten met PSC zijn afhankelijk van de ernst en het stadium van de aandoening te verdelen in groepen welke in aanmerking komen de verschillende centra:

- Patiënten die in aanmerking komen voor behandeling door de algemeen (kinder)MDL arts/internist/hepatoloog.
- Patiënten die in aanmerking komen voor behandeling door een (kinder)MDL arts/internist/hepatoloog in een centrum met expertise.
- Patiënten die in aanmerking komen voor behandeling door een (kinder)MDL arts/internist/hepatoloog in het door VWS erkend expertisecentrum of het transplantatiecentrum.

Het is ook mogelijk om patiënten te zien volgens het principe van “shared care”: dichtbij als het kan, en ver weg als het moet. Zo kan een patiënt worden gezien door een algemeen (kinder)MDL-arts in de buurt, waarbij deze (kinder)MDL-arts contact onderhoudt met het expertisecentrum, en de patiënt minimaal 1 maal per 1-2 jaar ook het expertisecentrum bezoekt.

Momenteel is er 1 door VWS erkend expertisecentrum voor PSC; er zijn meerdere centra die hiervoor in de toekomst in aanmerking komen. Ook zijn er behandelcentra met mdl-artsen met veel expertise op het gebied van leveraandoeningen.

#### **Onderzoeken tijdens follow-up**

- *Histologisch onderzoek*  
Met histologisch onderzoek kan het stadium van de aandoening vastgesteld worden. Een leverbiopt wordt zelden verricht om de diagnose te stellen. Er is wel een indicatie voor een leverbiopt bij onverklaarde cholestatische leveruitslagen en een normaal cholangiogram, wanneer er verdenking is op small duct PSC. Small duct PSC beslaat ongeveer 5% van het gehele spectrum van PSC-patiënten.
- *Fibroscan*  
Een nieuwe methode voor het bepalen van het stadium van chronische cholestatische leverziekten is elastografie met een ‘fibrosan’. Deze techniek, waarbij de elasticiteit van leverweefsel gemeten wordt aan de hand van de voortplantingssnelheid van een schokgolf, kan grofweg onderscheid maken tussen gevorderde fibrose (de hoeveelheid littekenweefsel in de lever) of cirrose en niet-gevorderde leverschade. De literatuur over de waarde van fibrosan bij PSC is nog beperkt. De techniek lijkt veelbelovend.
- *Laboratoriumonderzoek*

Een PSC-patiënt krijgt regelmatig onderzoek naar de leverwaarden om de progressie van de leveraantasting te monitoren.

Aanbevolen wordt:

- bij icterus: laboratoriumonderzoek naar bilirubine.
- bij tekenen van toxiciteit (zoals spierpijn, griepachtige verschijnselen, lichte koorts, pijn in de rechterzijde van de borst, vermoeidheid, hoofdpijn of oedeem) Tevens laboratoriumonderzoek naar andere leverwaarden zoals alkalische fosfatase (AF) en  $\gamma$ -glutamyltransferase ( $\gamma$ -GT))<sup>11,20,24</sup>.

- *Coloscopie*

Omdat PSC-patiënten een verhoogde kans op inflammatoire darmziekten en colorectale of hepatobiliaire maligniteiten hebben, is het protocol:

- om actief op zoek te gaan naar inflammatoire darmziekten
- en indien hier aanwijzingen (diarree, buikpijn, bloed/pus/slijm bij ontlasting, pijnlijke defecatie, afvallen, koorts en een verminderde algehele gezondheid) voor zijn, jaarlijks of iedere twee jaar een volledige colonoscopie te doen<sup>22</sup>. Bij patiënten met al bekende IBD wordt sowieso om de 1 tot 2 jaar een colonoscopie verricht.
- Indien geen IBD gevonden wordt, na 5 jaar een controle scopie verrichten.

- *Onderzoek om tijdig hepatobiliaire maligniteiten te signaleren*

PSC predisponeert voor hepatobiliaire maligniteiten, zoals cholangiocarcinoom (CCA), galblaascarcinoom en hepatocellulair carcinoom, en voor colorectaalcarcinoom bij patiënten die tevens IBD hebben.

Diagnosticeren van CCA: Belangrijke risicofactoren bij het ontstaan van een galgangcarcinoom zijn een verhoogd bilirubine, spataderbloedingen, darmresectie, een chronische colitis ulcerosa met een darmcarcinoom of onrustige cellen. Ook de duur van de colitis en een specifieke erfelijke aanleg spelen een rol.

- Er bestaat geen waterdichte methode om een dergelijk carcinoom in een vroeg stadium te ontdekken. De klinische kenmerken en cholangiografische bevindingen bij CCA zijn nonspecifiek en moeilijk te differentiëren van benigne galwegstricturen.
- Niet-invasieve diagnostische mogelijkheden zoals MRCP, echografie en MRI en/of bepalen van tumor markers zoals carbohydraat antigen 19-9 (CA19-9) zijn niet geschikt gebleken voor het (vroeg-)diagnosticeren van CCA bij patiënten met PSC.
- Toch wordt wel aangeraden om met enige regelmaat het Ca 19.9 te bepalen. Als deze factor stijgt in combinatie met stijging van het bilirubine moet ernstig gekeken worden of er aanwijzingen zijn voor een carcinoom.
- Brush cytologie en het nemen van bipten van verdachte plekken tijdens een ERCP kunnen wel bijdragen aan het stellen van een nauwkeuriger diagnose van CCA<sup>47,25,18</sup>. Naast de nadelen en bijwerkingen van de ERCP, is door bij PSC aanwezige chronische inflammatie de diagnostische sensitiviteit van brushes/uitstrijkjes/cytologie echter laag, namelijk 45%<sup>62,15,24,25,75,84</sup>.
- Bij PSC -patiënten met een meer gevorderde ziekte, is elk jaar twee jaar een controle colonoscopie en een echo van de galblaas aanbevolen om afwijkingen daarin tijdig te kunnen vaststellen.

Het zo vroeg mogelijk diagnosticeren van CCA is belangrijk omdat chirurgische resectie of levertransplantatie in een vroeg stadium de enige mogelijkheid op genezing is. CCA blijft een van de hoofdoorzaken van levergerelateerde mortaliteit bij PSC-patiënten.

Vóórkomen van hepatobiliaire maligniteiten:

- PSC-patiënten hebben een verhoogd risico op de ontwikkeling van een galgangcarcinoom. Elke 10 jaar dat iemand PSC heeft, heeft hij ongeveer 7% tot 9% kans op een galgangcarcinoom.
- In een grote Zweedse cohort studie met 604 PSC patiënten werden tijdens een follow-up van 5,7 jaar bij 13,3% hepatobiliaire maligniteiten gevonden, een 161 keer zo groot risico als dat van de normale populatie <sup>9</sup>.

- *Echografie galblaas en galgangen*

Jaarlijks wordt een echo van de galblaas en galgangen gemaakt.

De echo kan normaal zijn, maar verdikkingen van de galgangwand en plaatselijke galgangdilataties kunnen worden gezien door ervaren experts <sup>54,77</sup>. Dit onderzoek wordt ook met name verricht voor de detectie van galblaaspoliepen.

- *DEXA*

Omdat patiënten met cholestatische leveraandoeningen en inflammatoire darmziekten een verhoogd risico hebben op osteoporose is het protocol om eens in de twee jaar een 'dual X-ray'-absorptiometrie (DEXA) te verrichten. Deze frequentie kan individueel afwijken (afhankelijk van leeftijd, botmassa, ernst en stadium ziekte)<sup>11</sup>.

- *Diagnostiek bij zwangere PSC-patiënten*

Vrouwen die PSC hebben en zwanger zijn, worden goed gemonitord met regelmatig bloedonderzoek en klinische evaluaties. In het eerste trimester wordt een MRI afgeraden, en ook met een ERCP zijn specialisten terughoudend.

- *Bepalen eventuele noodzaak voor levertransplantatie*

Bij verder gevorderde PSC komt de PSC-patiënt eventueel in aanmerking voor een levertransplantatie.

- Aan de hand van de MELD (Model of End-stage Liver Disease)-score wordt de plaats op de wachtlijst voor transplantatie bepaald.
- Ernstige invaliderende vermoeidheid of jeuk, hepatische encefalopathie, refractaire ascites of andere complicaties en chronisch leverfalen kunnen aanleiding zijn om eerder naar een transplantatie te streven.
- Daarnaast kunnen recidiverende cholangitiden bij PSC aanleiding zijn voor een hogere positie op de wachtlijst. De MELD-score alleen is dan niet toereikend.

Zie voor de MELD-score:

<https://www.mdcalc.com/meld-score-model-end-stage-liver-disease-12-older#next-steps>

### Deelvraag 3b: Is er een landelijk gestandaardiseerd protocol voor het monitoren van de botstatus bij PSC-patiënten?

#### Aanbeveling

- Het is aanbevolen om patiënten met cholestatische leveraandoeningen en inflammatoire darmziekten (zij hebben een verhoogd risico op osteoporose) eens in de één of twee jaar een 'dual X-ray'-absorptiometrie (DEXA) te verrichten. Soms is minder vaak nodig. Dit is afhankelijk van het stadium van de ziekte en de botmassa van de patiënt.

#### Toelichting en onderbouwing

Bij een onderzoek onder 30 geselecteerde laboratoria is de botdichtheid van 133 patiënten met chronische leverziekten (waaronder 21 patiënten met PSC) vergeleken met een controlegroep. Uit dit onderzoek bleek dat patiënten met chronische leverziekten een significant verminderde botdichtheid hebben (botdichtheid meer dan 2 standaarddeviaties onder die van de controle groep). De vermindering van de botdichtheid werd vooral gezien (24%-42%) bij de Wardse driehoek (radiolucent gebied in de femur hals, en sensitieve indicator voor osteoporose), het gedeelte van de femurhals dat gevoelig is voor fracturen. De prevalentie van verminderde botdichtheid bij chronische leverziekten varieert van 10 tot 56 %, afhankelijk van de leverziekte <sup>19</sup>.

### Deelvraag 3c: Wat zegt de waarde van de leverenzymen over het stadium van de ziekte of de conditie van de patiënt?

### Deelvraag 3d: Is er een gevalideerde methode om de fase van de ziekte bij PSC te bepalen?

#### Aanbevelingen

- Een PSC-patiënt krijgt tijdens de follow-up regelmatig onderzoek naar de leverwaarden om de progressie van de leveraantasting te monitoren. De leverwaarden zijn niet bruikbaar om stadium en prognose van PSC te bepalen.
- De leverwaarden worden wel meegenomen bij de MELD-score <sup>57</sup>, CTP Child-Turcotte-Pugh-score<sup>39</sup> en de Amsterdam-Oxford PSC calculator<sup>4</sup>.

#### Toelichting/onderbouwing

Een PSC-patiënt krijgt regelmatig onderzoek naar de leverwaarden om de progressie van de leveraantasting te monitoren.

Wanneer de patiënt icterus ontwikkelt kan bilirubine onderzocht worden en bij tekenen van toxiciteit (zoals spierpijn, griepachtige verschijnselen, lichte koorts, pijn in de rechterzijde van de borst, vermoeidheid, hoofdpijn of oedeem) kunnen ook andere leverwaarden (alkalische fosfatase (AF) en  $\gamma$ -glutamyltransferase ( $\gamma$ -GT)) worden onderzocht <sup>11,20,24</sup>.

De leverwaarden zijn niet direct bruikbaar om stadium of prognose van PSC te bepalen, maar worden wel meegenomen bij de MELD-score <sup>57</sup>, CTP Child-Turcotte-Pugh-score<sup>39</sup> en de Amsterdam-Oxford PSC calculator<sup>4</sup>.



**De MELD-score** (model for end-stage liver disease) (12 jaar en ouder)

Indeling naar ernst leverziekten in de eindfase, voor het plannen van transplantatie.

Bepalingen:

- Dialyse minstens 2 keer in de afgelopen week  
ja/nee
- Of CVVHD (continuous veno-venous hemodialyse)  $\geq 24$  uur in de afgelopen week
- Kreatinine
- Bilirubine
- INR
- Natrium

Er zijn een aantal exclusiecriteria. Voor de te volgen stappen en invullen van de MELD-score, zie <https://www.mdcalc.com/meld-score-model-end-stage-liver-disease-12-older>

De uitslagen bepalen de MELD-score. Hoe hoger de score, hoe hoger de patiënt op de wachtlijst staat. Een MELD-score kan variëren van 6 tot 40. Dat getal geeft aan hoe groot de kans is dat de patiënt binnen 3 maanden overlijdt. Bij een score van 20 is die kans 10%. Per punt komt er 5% bij, dus bij een score van 40 is de kans 100% dat de patiënt binnen 3 maanden overlijdt.

De **child-pughscore** is een systeem ter beoordeling van de ernst van levercirrose. Op basis van een aantal objectieve klinische factoren kan een score berekend worden die een voorspelling geeft van de levensverwachting bij patiënten met ernstige cirrose. De score werd oorspronkelijk opgesteld om het overlijdensrisico te voorspellen tijdens een operatie, maar wordt inmiddels gebruikt voor prognose, medicatie en beoordeling van noodzaak tot levertransplantatie.

<b>factor</b>	<b>1 punt</b>	<b>2 punten</b>	<b>3 punten</b>
<u>Bilirubine</u> ( $\mu\text{mol/l}$ )	< 34	34 - 50	> 50
<u>Albumine</u> (g/l)	> 35	28 - 35	< 28
<u>INR</u>	< 1,7	1,71 - 2,3	> 2,30
<u>Ascites</u>	geen	weinig	ernstig
<u>Hepatische encefalopathie</u>	geen	graad I - II	graad III - IV

De child-pughscore voor patiënten met cirrose wordt uitgedrukt in klasse A, B of C met daaraan gekoppeld een één- en tweejaarsoverleving.

<b>Punten</b>	<b>Klasse</b>	<b>1 jaar overleving</b>	<b>2 jaar overleving</b>
5 - 6	A	100%	85%
7 - 9	B	81%	57%
10 - 15	C	45%	35%

#### **Amsterdam – Oxford PSC calculator**

De Amsterdam-Oxford PSC calculator kan gebruikt worden om een schatting te geven over de lange termijn transplantatievrije geschatte overleving bij PSC patienten. De calculator is niet aanbevolen bij patiënten onder de 18 jaar.

Input parameters:

- PSC subtype (large duct, small duct),
- Leeftijd waarop PSC diagnose is gesteld,
- Aantal jaren dat iemand PSC heeft,
- Albumine,
- Alkaline fosfatase,
- Aspartate amino transferase,
- Bilirubine,
- Bloedplaatjes.

Output parameters:

- 5 jaar transplantatievrije geschatte overlevingspercentage
- 10 jaar transplantatievrije geschatte overlevingspercentage

## 4. MODULE ORGANISATIE VAN ZORG

### 4.1 Regievoering – hoofdbehandelaar en coördinatie van zorg

**Uitgangsvraag 4: Welke zorgverlener(s) draagt / dragen zorg voor goede zorg, coördinatie en afstemming van medisch, psychische en sociaal maatschappelijke zorg voor patiënten met PSC in de verschillende fasen van de zorg, inclusief shared-care en follow-up?**

#### **Subvragen:**

- a) Wie is de regievoerend arts en wat zijn de taken van de regievoerend arts?
- b) Wat verstaan we onder shared care?
- c) Welke zorgverleners dienen bij de zorg voor een patiënt met PSC betrokken te zijn? wat is de samenstelling van het multidisciplinair team?

#### **Deelvraag 4a: Wie is de regievoerend arts en wat zijn de taken van de regievoerend arts (RA)?**

#### **Aanbevelingen**

- Voor de totale levenslange multidisciplinaire zorg aan de patiënt met PSC wordt een regievoerend arts (RA) en een zorgcoördinator vastgesteld. De regievoerend kan zelf ook de zorgcoördinator zijn, maar hij kan deze taak ook delegeren.
- Bij kinderen met PSC zal tijdens de transitiefase zal een goede overdracht plaatsvinden naar een nieuwe RA in de volwassenenzorg. Tijdens de transitie zal hieraan uitgebreid aandacht worden besteed. De RA in de kindertijd voert de regie tijdens de kindertijd en de transitiefase.
- De RA is een medisch (kinder)specialist/ (kinder)MDL-arts, die op de hoogte is van de recente wetenschappelijke ontwikkelingen en behandelmethoden van PSC, de regie heeft over de totale (levenslange) multidisciplinaire zorg (inclusief follow-up en shared-care\*) en het aanspreekpunt is voor de patiënt en diens naasten betreffende zorginhoudelijke vragen en voor zorgverleners binnen het (multidisciplinaire) PSC-team.
- De zorgcoördinator is het eerste aanspreekpunt voor de patiënt en diens naasten, en zorgverleners van buiten het multidisciplinaire PSC team en/of buiten het team.
- De patiënt met PSC wordt geïnformeerd over wie de RA en zorgcoördinator zijn en hoe zij hen kunnen bereiken.

\* *Shared care*: zie toelichting en onderbouwing

### Toelichting en onderbouwing

Voor de totale levenslange multidisciplinaire zorg aan de patiënt met PSC worden een regievoerend arts (RA) en een zorgcoördinator vastgesteld. De RA kan zelf de zorgcoördinator zijn of hij heeft een zorgcoördinator aangesteld. De RA in de kindertijd voert de regie tijdens de kindertijd en de transitiefase. Tijdens de transitiefase zal een overdracht plaatsvinden naar een nieuwe RA in de volwassenenzorg.

#### **De (kinder)maag-darm-leverarts/(kinder)hepatoloog**

met expertise op het gebied van leverziekten, is de aangewezen persoon voor de behandeling en begeleiding van de PSC-patiënt. Hij is in de meeste gevallen de RA. In vrijwel alle academische ziekenhuizen en een aantal STZ-ziekenhuizen (Samenwerkende Topklinische Ziekenhuizen) en SAZ-ziekenhuizen (Samenwerkende Algemene Ziekenhuizen (bundelen krachten van circa 30 regionale ziekenhuizen)) bevinden zich gespecialiseerde centra voor diagnostiek en behandeling. Een PSC-patiënt kan hier terecht voor de behandeling, waarbij het behandelcentrum bij voorkeur nauw samenwerkt met het expertisecentrum.

Het 'Amsterdam UMC, locatie AMC- for cholestatic and immuungemedieerde liver diseases' is in 2015 door de minister van VWS aangewezen als expertisecentrum voor PSC. Andere ziekenhuizen volgen mogelijk in de toekomst.

#### **De regievoerend arts (RA)**

is een medisch specialist die op de hoogte is van de recente wetenschappelijke ontwikkelingen en behandelmethoden van PSC, die de regie heeft over de totale (levenslange) multidisciplinaire zorg (inclusief follow-up en 'shared care') en die het aanspreekpunt is voor de patiënt betreffende zorginhoudelijke vragen binnen het multidisciplinaire PSC team. (Roos 2013, VSOP 2015a).

De RA:

- heeft het medisch inhoudelijk overzicht en coördineert het (eventuele) mono/multidisciplinaire overleg (MDO).
- geeft sturing, zodat op het juiste moment de juiste zorg wordt geboden, en bewaakt het zorgproces.
- bespreekt aan het begin van en tijdens het totale zorgtraject het individueel zorgplan (IZP) met de patiënt en ziet toe op de uitvoering ervan.
- heeft als taak de patiënt te ondersteunen bij zijn zelfmanagement.
- draagt zorg voor goede zorg, coördinatie en afstemming van medische, psychische en sociaal-maatschappelijke zorg voor patiënten met PSC (en diens naasten) in de opeenvolgende fasen van zorg.
- draagt zorg voor tijdige verwijzing van patiënten met PSC naar andere zorgverleners (naar andere disciplines indien nodig, naar een EC indien dat nodig is tijdens het ziekteverloop en de RA zelf niet werkzaam is in een EC, naar een transplantatiecentrum indien patiënt in aanmerking komt voor transplantatie). Hij heeft verantwoordelijkheid voor de verwijzing, maar de uitvoering door de zorgverlener waarnaar is verwezen, is de verantwoordelijkheid van de desbetreffende zorgverlener zelf.
- is bij kinderen met PSC verantwoordelijk voor het verloop van de transitie van kinder- naar volwassenenzorg.

In de praktijk kan de RA bepaalde taken delegeren aan de zorgcoördinator, zoals de coördinatie, voorlichting en individueel zorgplan, maar hij blijft eindverantwoordelijk.

De (ouders van) de patiënt met PSC worden geïnformeerd over wie de regievoerend arts(RA) en zorgcoördinator zijn en hoe zij hen kunnen bereiken. Bij alle betrokkenen (de zorgvrager, vertegenwoordigers van de zorgvrager en zorgverleners) is bekend wie de RA resp. zorgcoördinator zijn en wie op dat moment de hoofdbehandelaar is (dit kan per individu of zorgfase variëren). Deze informatie wordt door de RA vastgelegd in het individueel zorgplan.

### **Multidisciplinair overleg (MDO)**

De meeste ziekenhuizen hebben geen multidisciplinaire teams voor patiënten met PSC. Wel zijn er in vrijwel alle (grotere) ziekenhuizen vormen van formeel multidisciplinair overleg – zoals het MDO hepato-biliair, het MDO levertransplantatie en het MDO Lever- en galwegtumoren.

### **Zorgcoördinator**

De zorgcoördinator is het eerste aanspreekpunt voor de (ouders van de) patiënt en zorgverleners. De patiënt kan laagdrempelig contact leggen met de zorgcoördinator. De zorgcoördinator draagt zorg voor de beantwoording van vragen van de patiënt, door deze eventueel voor te leggen aan andere betrokken zorgverleners. De zorgcoördinator heeft het overzicht over het behandeltraject en een belangrijke taak in de logistieke afstemming en coördinatie van afspraken en de communicatie<sup>89</sup>. De rol van zorgcoördinator kan worden ingevuld door de regievoerend arts, door een verpleegkundige of verpleegkundig specialist of door een andere zorgverlener.

### **Hoofdbehandelaar**

De hoofdbehandelaar is verantwoordelijk voor de tijdens het behandeltraject uitgevoerde verrichtingen die binnen het terrein zijn gelegen waarop de hoofdbehandelaar als specialist werkzaam is<sup>43,89</sup>. Een behandeltraject is een afgebakende periode, in tegenstelling tot de totale (levenslange) multidisciplinaire zorg. Het hoofdbehandelaarschap – zoals juridisch bepaald – kan in de verschillende zorgfasen bij verschillende specialisten liggen.

### **Expertisecentra/centra met expertise op het gebied van leverziekten en PSC**

De definitie van een door VWS erkend expertisecentrum wordt gegeven door de (toetsings-)criteria waaraan het expertisecentrum moet voldoen (zie tabel 1). Een expertisecentrum levert hooggespecialiseerde (topreferente) zorg en is belast met de aansturing en de algemene coördinatie van de integrale zorgketen.

Shared care wil zeggen dat naast de hooggespecialiseerde zorg vanuit het expertisecentrum ook specialistische zorg en basiszorg wordt verleend op lokaal of regionaal niveau, door een behandelteam<sup>86</sup>.

### **Het behandelteam in het behandelcentrum (BC)/regionaal ziekenhuis (RZ)**

is het lokale of regionale team rond de persoon met PSC die belast is met de directe zorg en begeleiding in afstemming met het expertisecentrum. Naast het rapporteren en periodiek toesturen van medische gegevens/bevindingen voert het behandelteam op indicatie regelmatig inhoudelijk overleg met het expertisecentrum over de breedte van haar zorgaanbod (wanneer wordt een patiënt

doorverwezen naar het expertisecentrum) en bijzondere gevallen. Of een patiënt voornamelijk in een expertisecentrum behandeld en/of gecontroleerd wordt of door een lokaal/regionaal behandelteam, hangt van meerdere factoren af. Het uitgangspunt hierbij is 'dichtbij wat kan en ver weg wat moet'<sup>86</sup>. Zie shared care.

### **Expertisecentra voor zeldzame aandoeningen**

Voor een actueel overzicht van de door VWS erkende nationale expertisecentra voor zeldzame aandoeningen in Nederland, zie de website [www.zichtopzeldzaam.nl](http://www.zichtopzeldzaam.nl).

Voor de kwaliteitscriteria t.b.v. de nationale toetsing van expertisecentra voor zeldzame aandoeningen zie bijlage

De expertise centra nemen ook deel als Health Care Provider (HCP) in de European Reference Network Program of the European Commission (ERN).

Met name in de ERN eUROGEN; [www.eurogen-ern.eu](http://www.eurogen-ern.eu).

Internationale consultaties zijn mogelijk met andere experts via het ERN Clinical Patient Management System (ERN CPMS) als expliciet toestemming is ontvangen van de patiënt (ERN Informed Consent, Patienttoestemmingsformulier voor gegevensdeling in Europese Referentienetwerken voor zeldzame ziekten met het oog op patiëntenzorg en registerinformatie voor zeldzame ziekten). Guest accounts zijn hiervoor ook ter beschikking.

### **Deelvraag 4b: Wat verstaan we onder shared care?**

#### **Aanbevelingen**

Shared care voor PSC-patiënten is de samenwerking tussen expertisecentra (EC) en regionale ziekenhuizen(RZ)/Behandelcentra (BC) met betrekking tot de zorg voor patiënten met PSC. Minder complexe onderdelen van de begeleiding en behandeling van patiënten met PSC kunnen (deels) ook plaatsvinden op andere locaties dan het EC, zoals met name een RZ of BC.

Het motto bij een "shared care" verdeling van taken bij de behandeling van patiënten met PSC is: "dichtbij wat kan en centraal wat moet".

#### **Toelichting en onderbouwing**

Veel patiënten met PSC zullen in het Expertisecentrum voor PSC of een centrum met expertise voor PSC onder behandeling zijn.

Shared care voor PSC-patiënten is de samenwerking tussen expertisecentra (EC) en regionale ziekenhuizen(RZ)/behandelcentra (BC) met betrekking tot de zorg voor patiënten met PSC. Wanneer patiënten onder behandeling zijn in het EC/centrum met expertise kunnen minder complexe onderdelen van de behandeling (deels) ook plaatsvinden op andere locaties dan het EC, zoals met name een RZ of BC. De RZ/BC dienen bekend te zijn met de diensten en producten van het EC zodat ze patiënten en naasten daarop kunnen wijzen.

Het motto bij een dergelijke verdeling van taken bij de behandeling van patiënten met PSC is: "dichtbij wat kan en centraal wat moet".

De belangrijkste redenen om shared care te willen aanwenden voor de patiënt met PSC zijn:

- Gemak voor de patiënt om voor minder complexe onderdelen van de behandeling in de eigen regio behandeld te worden.
- De korte reisafstand is een voordeel bv. bij:
  - complicaties die een spoedevaluatie behoeven en eventuele interventie,
  - in de palliatieve fase,
  - wanneer reizen praktische bezwaren heeft (fysieke belasting, financieel, werk, inzet van familie en/of vrienden).
- Het is motiverend voor de regionale zorgverleners om bij de zorg betrokken te zijn, en het is voor patiënt en naasten goed dat een regionale mdl-arts/kinderarts/internist en verpleegkundige bij de zorg betrokken zijn. Daarmee wordt ook kennis van en ervaring met PSC-patiënten in de regio gewaarborgd.

*Randvoorwaarden bij “shared care” zijn onder andere:*

- Waarborgen kwaliteit en continuïteit
- Commitment aan afspraken
- Bereidheid van zorgverleners in BC/RZ om te investeren in kennis en opleiding op het terrein van leveraandoeningen i.c. PSC (faciliteiten, menskracht, kennis/scholing, vaardigheden)
- Goede multidisciplinaire én ketensamenwerking
- Kwaliteit dient te worden getoetst, afspraken zijn niet vrijblijvend (incidentmelding, evaluatiesysteem)
- Een minimum aan patiëntenstroom met als richtgetal gemiddeld minimaal 5 PSC patiënten per BC/RZ

*Bij shared care kan verschil worden gemaakt tussen:*

- Een BC/RZ dat eenvoudige poliklinische zorg kan bieden, naast eenvoudige onderzoeken en behandelingen, daarnaast klinische opvang en behandeling van niet ernstige complicaties, waarbij de patiënt niet ernstig ziek is en het beloop naar verwachting ongecompliceerd is.
- Een BC/RZ dat: zorg als hierboven kan bieden, alsmede uitgebreidere poliklinische zorg, inclusief uitgebreidere diagnostiek, meer complexe poliklinische en/of klinische behandelingen kan verzorgen, daarnaast uitgebreidere klinische zorg (medium/high care).

*Voorwaarden waaraan moet worden voldaan door een RZ/BC:*

- Ten minste één (kinder)mdl-arts/internist/hepatoloog dient over voldoende aantoonbare basiskennis van en affiniteit met de leveraandoeningen/PSC te beschikken. Deze (kinder)mdl-arts/internist/hepatoloog woont minimaal 1 keer per 2 jaar een cursus of congres leveraandoeningen bij, en minimaal 1 keer per 2 jaar de multidisciplinaire patiëntenbespreking in het EC of leest de verslagen van hiervan.
- Tenminste 2 verpleegkundigen dienen extra scholing gevolgd te hebben op het gebied van leveraandoeningen of er zijn gespecialiseerd mdl-verpleegkundigen/IBD-verpleegkundigen aanwezig.
- Het is wenselijk/vereist dat er een maatschappelijk werker en/of (kinder)psycholoog beschikbaar is die bekend is met de problemen bij ernstig zieke patiënten.
- De zorgverleners zijn bekend met de behandelprotocollen (kwaliteitsstandaard PSC/ EASL-guidelines) en er is een goede multidisciplinaire en ketensamenwerking met o.a. nakomen van (schriftelijk vastgelegde) afspraken over communicatie en controle.

- Het laboratorium van het RZ/BC moet in staat moet zijn tot het benodigde bloedonderzoek.

#### *Samenwerking bij "shared care":*

- De samenwerking tussen EC en BC/RZ dient duidelijk omschreven te zijn.
- Tevens is goede communicatie en uitwisseling van informatie essentieel voor de kwaliteit en continuïteit van de zorg.
- Patiënt en ouders worden geïnformeerd over het feit dat shared care met BC/RZ een standaardaspect van de behandeling is, en hoe deze zorg is opgezet.
- Communicatie kan middels beveiligde e-mail en/of toegang tot het EPD van de patiënt.
- De afspraken en de uitwerking kunnen per EC/RZ/BC variëren maar zijn in ieder geval schriftelijk vastgelegd.
- De samenwerking tussen (kinder)MDL-arts in het EC en andere zorgverleners is gericht op de kwaliteit en continuïteit van de behandeling van de individuele patiënt. De regie van de diagnostiek, behandeling en ketenzorg ligt bij het EC.
- Hiervoor vigerende richtlijnen:
  - o Het EC informeert het RZ/BC over diagnose en behandelplan (in ieder geval schriftelijk); er is een duidelijke taakverdeling.
  - o Het is bij iedere patiënt ten allen tijde duidelijk wie de hoofdbehandelaar is in het EC en wie de medebehandelaar is in het RZ/BC; de communicatie over de patiënt wordt bij voorkeur tussen deze professionals (laagdrempelig) gevoerd.
  - o Bij belangrijke problemen rond de patiënt of bij ernstig zieke patiënten of op verzoek van de regionale internist/MDL-arts neemt het EC de patiënt altijd direct over voor verdere diagnostiek en/of behandeling.
  - o Er is structureel overleg tussen algemeen ziekenhuis en EC door vaste contactpersonen.

#### *Communicatie bij "shared care"*

- Overdracht van informatie, zowel door artsen als verpleegkundigen, geschiedt tenminste mondeling.
- Overdracht van relevante informatie zoals m.b.t. anamnese en lichamelijk onderzoek, actuele medicatie, relevante uitslagen van aanvullend onderzoek en bijwerkingen, wordt schriftelijk gedaan, bijvoorbeeld middels beveiligde e-mail of in het EPD van de patiënt.
- Er is een duidelijke afspraak met patiënten en naasten over het primaire contactadres in beide ziekenhuizen voor overleg vanuit de thuissituatie. Zie ook het IZP.
- Er zijn afspraken over contact tussen RZ/BC en EC bij de verschillende complicaties.
- Het EC is 24 uur/dag bereikbaar voor ad hoc overleg.

#### *Patiëntenstroom bij "shared care"*

Afhankelijk van de mate van shared care dienen bepaalde faciliteiten aanwezig te zijn. Tenminste dient voldaan te worden aan:

- De mogelijkheid tot gespecialiseerde verpleging.
- de mogelijkheid om (continue) sondevoeding toe te dienen;
- de mogelijkheid tot benodigde bloedafnames en daarbij passende bepalingen;
- de mogelijkheid tot klinische opvang in een infectie-arme omgeving;



### *Kwaliteit bij “shared care”*

De kwaliteit van de shared care is sterk afhankelijk van de ervaring van de internist/(kinder)mdl-arts en de overige teamleden. Het RZ/BC moet derhalve een gegarandeerde instroom van patiënten met een leveraandoening/PSC hebben, met als richtgetal gemiddeld vijf tot tien of meer PSC-patiënten per jaar in actieve shared care (berekend over een driejaarsperiode) om te kunnen participeren in de zorg voor PSC-patiënten. In dunbevolkte gebieden kan overwogen worden om de kwaliteit van zorg in zeldzame situaties zwaarder te laten wegen dan het getalscriterium, ter beoordeling aan het EC.

### *Uitgangspunt bij “shared care”*

Uitgangspunt bij het bovenstaande is dat op het moment van de behandeling van een individuele patiënt de vereiste kennis en ervaring beschikbaar is, in een geschikte omgeving.

Daadwerkelijke implementatie van bovenstaande aandachtspunten zal tijd kosten, waarbij ook regionale verschillen kunnen optreden.

## Deelvraag 4c: Welke zorgverleners dienen bij de zorg voor een patiënt met PSC betrokken te zijn? Wat is de samenstelling van het (multidisciplinair) team?

### Aanbevelingen

Het (multidisciplinair) team voor patiënten met PSC in gespecialiseerd centrum (expertisecentrum/centrum met expertise) kan bestaan uit de volgende zorgverleners:

- (Kinder-) MDL-arts/hepatoloog
- Kinderarts of internist
- Verpleegkundig specialist
- Eventueel IBD-verpleegkundige
- (Huisarts)

Vaak zal het MDO bestaan uit een groep (kinder)MDL-artsen, met in ieder geval ondersteuning van de verpleegkundig specialist en daarnaast de betrokken disciplines die per patiënt en tijdens het verloop van de aandoening kunnen verschillen.

Daarnaast zijn de volgende disciplines beschikbaar voor consultatie:

- Anesthesioloog
- Diëtist
- (Kinder)fysiotherapeut
- Klinisch geneticus
- Maatschappelijk werker
- Neonatoloog
- Psycholoog
- Abdominaal- en interventieradioloog
- Transplantatie-arts
- (Kinder)chirurg
- Psycholoog
- Gespecialiseerd coach
- (Kinder)gynaecoloog (bij zwangerschapswens, menstruatiestoornissen (uitblijvende menstruatie bij kinderen met PSC))

- Reumatoloog (bij gewrichtsklachten geassocieerd met PSC)

## 4.2 Communicatie en informatie uitwisseling

**Uitgangsvraag 5: Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede informatie uitwisseling / verstrekking te komen tussen: patiënt (naasten) en zorgverleners, zorgverleners binnen een instelling, respectievelijk zorgverleners van verschillende instellingen, ten einde de patiënt en naasten goed te informeren en goede kwaliteit van zorg te verlenen?**

### **Subvragen:**

- a) Welke zorgverlener informeert de patiënt (naasten) wanneer (op welk moment en met welke frequentie) en op welke manier, zodat de patiënt (naasten) goed geïnformeerd is over de aandoening, de mogelijke gevolgen van de aandoening, de mogelijkheden voor zorg, hulpmiddelen en begeleiding, de (mogelijkheden en resultaten van) behandeling, eventuele alarmsignalen, comorbiditeit en overlapsyndromen, voeding, sport en lichamelijke inspanning, patiëntenvereniging en lotgenotencontact, effect van PSC op het gezins- en sociaal leven, het beloop en de levensverwachting, eventuele kinderwens en levertransplantatie?
- b) Welke maatregelen dienen te worden getroffen om de patiënt (en diens naasten) te faciliteren in de informatieoverdracht naar (andere) zorgverleners?
- c) Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede informatie uitwisseling te komen binnen dezelfde instelling en met de betrokken zorgverleners buiten de instelling?
- d) Welke maatregelen worden getroffen bij shared care voor de patiënt (naasten) om tot een goede informatie uitwisseling te komen tussen de betrokken zorgverleners?

**Deelvraag 5a: Welke zorgverlener informeert de patiënt (naasten) wanneer (op welk moment en met welke frequentie) en op welke manier, zodat de patiënt (naaste) goed geïnformeerd is over:**

- de aandoening,
- de mogelijke gevolgen van de aandoening,
- de mogelijkheden voor zorg, hulpmiddelen en begeleiding,
- de (mogelijkheden en resultaten van) behandeling,
- eventuele alarmsignalen, comorbiditeit en overlapsyndromen,
- voeding,
- sport en lichamelijke inspanning,
- participatie
- patiëntenvereniging en lotgenotencontact,
- effect van PSC op het gezins- en sociaal leven,
- het beloop en de levensverwachting,

- eventuele kinderwens
- en levertransplantatie?

## Aanbevelingen

- De RA start met het geven van voorlichting als de diagnose is gesteld en hij is aangesteld als RA, en blijft dit doen gedurende het hele zorgtraject.
- De RA geeft gerichte gezondheidsinformatie op maat over de aandoening, de mogelijke gevolgen van de aandoening, de behandelingsmogelijkheden, de mogelijke voordelen en risico's daarvan, de vooruitzichten op de korte en lange termijn, de mogelijkheden voor zorg, hulpmiddelen en begeleiding, de (mogelijkheden en resultaten van) behandeling, eventuele alarmsignalen, comorbiditeit en overlapsyndromen, voeding, sport en lichamelijke inspanning, patiëntenvereniging en lotgenotencontact, effect van PSC op het gezins- en sociaal leven, het beloop en de levensverwachting, eventuele kinderwens en levertransplantatie.
- De patiënt krijgt voorlichting over voorzorgsmaatregelen, zoals het zorgvuldig/terughoudend zijn in wisselende en onbeschermdede intieme contacten (seksuele contacten). Dit om extra secuur te zijn in het voorkomen van eventuele besmetting met hepatitis b of c of BRMO's (bijzondere resistente micro-organismen) en bepaalde SOA's. Tevens wordt vaccinatie tegen hepatitis A en B (bij de huisarts) aanbevolen.
- De voorlichting/informatie wordt zowel mondeling als schriftelijk aangeboden. Denk aan brochures, websites, filmpjes en social media.
- De RA attendeert de patiënt met PSC op de stichting PSC Patients Europe, de Nederlandse Leverpatiënten Vereniging en eventuele (besloten) facebookgroepen voor betrouwbare informatie en lotgenotencontact.
- De stichting PSC Patients Europe en de Nederlandse Leverpatiënten Vereniging zorgen voor aanvullende betrouwbare, eenduidige en onafhankelijke informatie, bijvoorbeeld door middel van basis- en achtergrondartikelen. Via de NLV worden ook patiëntendagen en bijeenkomsten aangeboden.
- De RA communiceert in voor patiënt en diens naasten begrijpelijke taal, houdt er rekening mee dat de (naasten van) patiënt mogelijk moeite hebben met het opnemen van informatie.
- De RA vraagt na of de gegeven informatie is begrepen en herhaalt de informatie indien nodig. Ook kan hij de (naasten van) de patiënt adviseren een gesprek op te nemen zodat de patiënt en/of naasten het besprokene thuis nog een keer opnieuw kunnen beluisteren.
- Er is aandacht voor de partner, kinderen, ouders, familieleden, bekenden, als ook voor de werkgever. Betrekken kan door informeren en communiceren, lotgenotendagen, gesprekken, voorlichting door lotgenoten, media, terugkomstdagen, etc.

- De RA is laagdrempelig bereikbaar voor vragen.

#### Toelichting en onderbouwing

In de diagnostische fase ontvangt de patiënt met (verdenking) PSC (en diens naasten) informatie van de internist/MDL-arts over:

- welk diagnostisch onderzoek verricht gaat worden;
- hoe het onderzoek wordt uitgevoerd;
- door wie het wordt uitgevoerd.

De diagnose PSC wordt altijd gesteld door een internist/MDL-arts (met kennis en expertise op het gebied van leverziekten).

Na het stellen van de diagnose ontvangt de (naasten en) patiënt informatie van de internist/MDL-arts (met expertise op het gebied van leverziekten) over:

- de diagnose en wat het hebben van PSC inhoudt;
- wie de regievoerend arts (RA) zal zijn en hoe deze kan worden bereikt.

De (naasten en) de patiënt met PSC ontvangen van de RA informatie over:

- de aandoening PSC;
- korte- en lange termijn prognose;
- gevolgen van PSC op fysiek, psychisch en sociaal vlak; emotionele, sociale en cognitieve problemen en de impact die PSC kan hebben op patiënt, partner en het gezin;
- behandelplan, doel van de behandeling, behandelopties;
- doseringsschema van eventuele medicatie;
- adviezen ten aanzien van voeding;
- te verwachten resultaten van behandeling;
- mogelijke bijwerkingen en interacties van eventuele medicatie;
- herkenning van symptomen die bij PSC kunnen optreden, en wanneer daarop actie moet worden ondernomen;
- hoe bij vragen of zorgen altijd direct contact met de RA en/of de zorgcoördinator kan worden opgenomen;
- wat de rol van de RA is; wat zijn rol is voor (ouders en) patiënt en hoe hij kan worden bereikt;
- mogelijke emotionele, sociale en cognitieve problemen en de impact die PSC kan hebben op patiënt, partner en het gezin;
- de patiëntenorganisaties stichting PSC Patients Europe en de Nederlandse Leverpatiënten Vereniging voor verstrekking van betrouwbare informatie (website, folders) en lotgenotencontact;
- informatie verstrekt door het expertisecentrum/ behandelcentrum.

Bij controleafspraken en follow-up ontvangen de ouders informatie over:

- gevolgen van PSC op fysiek, psychisch en sociaal vlak;
- doel van eventuele behandelingen;
- resultaten en voortgang van behandelingen;

- herkenning van symptomen die kunnen voorkomen en wanneer daarop actie moet worden ondernomen;
- bij bijwerkingen of interacties van medicijnen: aard van de bijwerking of interactie, doel van eventuele behandeling, behandelopties, doseringsschema, te verwachten resultaten;
- bij complicaties: aard van de complicatie, doel van eventuele verwijzingen/of behandeling;
- leefstijl;
- voeding;
- mogelijkheden van “shared care” indien daarvoor een indicatie is.

Bij het gesprek van zorgverlener en patiënt (naasten) kan onderstaand schema behulpzaam zijn bij de communicatie. In dit schema is aandacht voor de vele aspecten die het hebben van PSC met zich mee kan brengen.



Wanneer patiënten te horen krijgen dat zij PSC hebben, kunnen zij schrikken en onzeker en angstig worden. Zij weten meestal nog weinig tot niets over de aandoening en kunnen veel vragen hebben. Betrouwbare informatie is belangrijk voor patiënten met PSC. Psychoeducatie kan bijdragen aan meer begrip. Wanneer de patiënten kennis en inzicht hebben in alle aspecten van de aandoening, kunnen zij beter omgaan met de gevolgen van de aandoening voor het dagelijks leven en mee beslissen over de behandeling en begeleiding.

Als patiënten tijdig en goed geïnformeerd zijn, kunnen zij beter symptomen herkennen en kunnen zij deze melden aan de zorgverlener, zodat deze tijdig kunnen worden behandeld.

Het is een algemeen geaccepteerd principe in de gezondheidszorg dat patiënten die kennis en begrip hebben over hun aandoening betere uitkomsten hebben.

Onbegrip en gebrek aan kennis kunnen een goede samenwerking tussen patiënt en hulpverlener in de besluitvorming in het zorgproces in de weg staan. Het ondermijnt de autonomie van (de ouders van) de patiënt en belemmert het zelfmanagement van de aandoening in het dagelijkse leven.

Het vergroten van kennis bij (ouders van) patiënten en hun directe omgeving kan bijdragen aan:

- het vergroten van het zelfmanagement;
- het verminderen van de ziektelast;
- het stimuleren van eigen deelname aan besluitvorming;
- het verbeteren van de kwaliteit van leven van de patiënt;
- het verbeteren van de kwaliteit van leven van de mantelzorger, omdat het leidt tot meer begrip en grip op de situatie;
- mogelijk minder poliklinische bezoeken en opnames.

Gerichte gezondheidsinformatie op maat over diagnose, behandelmogelijkheden, de mogelijke voordelen en risico's daarvan en de vooruitzichten op de korte en lange termijn, wordt in eerste instantie verzorgd door de internist/ (kinder)MDL-arts/RA tijdens het spreekuur en via de website van het Expertisecentrum/centrum met expertise en/of het ziekenhuis waar de patiënt met PSC wordt behandeld.

Maar vaak gaan mensen vervolgens op zoek naar aanvullende informatie. Het is voor (ouders van) patiënten vaak moeilijk om te beoordelen of informatie via het internet en sociale media betrouwbaar is. Professionele richtlijnen van de beroepsgroep zijn niet goed vindbaar en moeilijk te begrijpen voor patiënten.

Psychoeducatie voor patiënt en ouders richt zich op waar (de ouders van) het kind met PSC op moet letten wat betreft (medische) problemen, zodat tijdig hulp kan worden ingeroepen. Psychoeducatie leert (de ouders van) de patiënt ook wat het leven met PSC inhoudt en wat patiënt wel kan ondanks zijn of haar beperkingen. Door deze educatie leert (de naasten en) de patiënt beter omgaan met de symptomen en de gevolgen van de aandoening, én beter omgaan met eventuele activiteitsbeperkingen, sociaal isolement en stress. Bij deze educatie is lotgenotencontact zeer waardevol.

## Deelvraag 5b: Welke maatregelen dienen te worden getroffen om (de naasten van) patiënt te faciliteren in de informatieoverdracht naar (andere) zorgverleners?

### Aanbevelingen

- De regievoerend arts (RA) zorgt voor goede (digitale) informatie over de aandachtspunten en problemen van de patiënt met PSC.
- De RA stuurt 1 keer per jaar een samenvatting over de patiënt naar de huisarts met een kopie naar de patiënt. In veel ziekenhuizen hebben patiënten nu al digitale inzage in alle correspondentie over hen.
- De RA maakt gebruik van een patiëntenportaal. In het patiëntenportaal kan de patiënt informatie vinden. Tevens kan deze informatie worden uitgeprint en worden mee genomen naar een andere zorgverlener.
- Er is een individueel zorgplan (IZP) dat de (naasten van) patiënt gebruikt om andere zorg- en hulpverleners te informeren bijvoorbeeld bij doorverwijzing of spoed.

### Toelichting en onderbouwing

De RA wijst na de diagnosestelling de (ouders van) patiënt op het Individuele Zorgplan (IZP). Het IZP geeft specifiek aan welke problemen de individuele patiënt met PSC ondervindt. De RA, de verpleegkundig specialist of de huisarts ondersteunen bij het invullen van het IZP. Het IZP wordt bekeken tijdens de contactmomenten met de RA en met andere zorgverleners. Eventuele veranderingen in klachten en/of behandeling worden in het IZP bijgehouden.

Met een ingevuld IZP wordt bewerkstelligd dat zorgverleners over de juiste en recente informatie van de patiënt beschikken.

Met het IZP wordt voorkomen dat patiënt, naasten en/of ouders steeds hetzelfde verhaal aan zorgverleners uit moeten leggen. Het zorgvuldig ingevulde en bijgehouden IZP is van grote waarde tijdens reguliere consulten bij bezoek aan de verschillende zorgverleners.

Deelvraag 5c: Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede informatie uitwisseling te komen binnen dezelfde instelling en met de betrokken zorgverleners buiten de instelling?

Deelvraag 5d: Welke maatregelen worden getroffen bij shared care voor de patiënt (naasten) om tot een goede informatie uitwisseling te komen tussen de betrokken zorgverleners?

#### Aanbevelingen

- De RA zorgt voor informatie-uitwisseling tussen zorgverleners binnen een zorginstelling en met zorgverleners buiten de zorginstelling (eerste, tweede en derde lijn) bij shared care.
- De RA heeft contact en overlegt met alle betrokken zorgverleners over onderzoek en/of behandeling. De betrokken zorgverleners rapporteren periodiek aan de RA.
- Het IZP geeft empowerment van patiënten en het IZP maakt het mogelijk dat de medische gegevens bij bezoeken aan zorgverleners kunnen worden ingezien en aangevuld. Het document voorziet in een behoefte van patiënten, ouders/mantelzorgers en zorgverleners.
- De verantwoordelijkheid voor het IZP ligt bij de (ouders van) patiënt, en niet bij de arts. De RA, de huisarts of een andere zorgverlener (denk aan verpleegkundig specialist) ondersteunen ouders bij het invullen van het IZP.
- De behandelend internist/MDL-arts in een lokaal ziekenhuis werkt bij voorkeur samen met het door VWS erkend expertisecentrum (EC)/centrum met expertise. De zorg wordt dichtbij de patiënt gegeven als het kan en ver weg als het moet. Zorgverleners die onderdeel zijn van 'shared care', rapporteren en sturen periodiek medische gegevens/bevindingen (bij voorkeur elektronisch) naar de RA, die de informatie doorstuurt naar het EC. Zie ook "shared care".
- De RA en zorgverleners die onderdeel zijn van "shared care" maken afspraken over de periodiciteit waarmee gerapporteerd wordt en over de inhoud ervan. De wijze van rapportage is bij voorkeur digitaal.
- Het EC is goed bereikbaar voor eventueel overleg met de RA. Het initiatief voor overleg met het EC ligt bij de RA of bij de patiënt.
- De RA stuurt bij elke periodieke controle of spoedconsult een bericht naar de huisarts zodat de gegevens actueel zijn.

#### Toelichting en onderbouwing

Indien er een monodisciplinaire of een multidisciplinaire overleg (MDO) is, zorgt de RA dat alle primair betrokken specialisten binnen het MDO hierbij aanwezig zijn en dat de secundair betrokken specialisten binnen dezelfde afdeling ofwel aanwezig zijn bij het MDO ofwel de RA voorafgaand geïnformeerd hebben over onderzoek- en/of behandelingsinformatie.

De RA rapporteert over belangrijke veranderingen in de lichamelijke en psychische gesteldheid van de patiënt en over eventuele veranderingen in het beleid. De RA (wanneer niet zelf werkzaam in het



EC) stuurt met toestemming van (de ouders van) de patiënt periodiek medische gegevens en/of bevindingen naar een expertisecentrum (EC)/centrum met expertise (bij voorkeur elektronisch).

Bij patiënten met PSC zal vaak sprake zijn van 'shared care'. Dit betekent dat een patiënt (mede) bij een EC/centrum met expertise onder behandeling is, maar ook in een ziekenhuis of ander behandelcentrum (BC) dichtbij huis. Het lokale ziekenhuis/lokale zorgverlener werkt samen met het EC/ centrum met expertise. Zorgverleners die onderdeel zijn van 'shared care', rapporteren en sturen periodiek medische gegevens / bevindingen (bij voorkeur elektronisch) naar de RA, die de informatie doorstuurt naar het EC.

De belangrijkste reden om informatie met een EC/centrum met expertise uit te wisselen, is om goede zorg voor de patiënt te waarborgen. Als de patiënt voor controles het EC/centrum met expertise bezoekt, zijn de gegevens van de patiënt daar aanwezig en actueel. Ook wanneer de RA of behandelaar buiten het EC vragen heeft over een patiënt met PSC heeft het EC/centrum met expertise de gegevens van de patiënt en kan het EC/centrum met expertise dus beter adviseren. Daarnaast kan het sturen van informatie over patiënten met PSC naar een EC/centrum met expertise, zorgen voor bevordering van kennis over PSC en voor verzameling van patiëntgegevens (patiëntenregister). Als er meer overzicht is in de EC/centrum met expertise over de aandoening PSC, zal uiteindelijk de zorg voor alle patiënten met PSC daardoor verbeteren. In Nederland is er momenteel een cohortstudie in Noord Nederland (Ponsioen, Amsterdam UMC, locatie AMC) die beter inzicht zal geven in het aantal patiënten met PSC op de verschillende locaties in Noord Nederland.

## 4.3 Samenwerking, verwijzing en netwerk

**Uitgangsvraag 6: Welke maatregelen dienen getroffen te worden om te komen tot een goede samenwerking tussen zorgverleners en verwijzing naar zorgverleners (uit de eerste, tweede en derdelijn) die betrokken zijn bij de zorg voor de patiënt met PSC, met als doel goede kwaliteit van zorg te verlenen?**

### **Subvragen:**

- a) Wanneer patiënten met PSC door te verwijzen naar (specialist in) het expertisecentrum/centrum met expertise?
- b) Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede samenwerking te komen tussen de betrokken zorgverleners binnen dezelfde instelling?
- c) Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede samenwerking te komen tussen de betrokken zorgverleners binnen een instelling en betrokken zorgverleners buiten de instelling?
- d) Welke maatregelen worden getroffen zodat de zorgverlener de patiënt met PSC op het juiste moment verwijst naar de juiste zorgverlener?
- e) Zijn onderzoeksuitkomsten (laboratoriumuitslagen/ beeldvormende onderzoeken) uitwisselbaar tussen de verschillende instanties?

**Deelvraag 6a: Wanneer patiënten met PSC door te verwijzen naar (specialist in) het expertisecentrum/centrum met expertise?**

### **Aanbevelingen**

- De (dagelijkse) behandeling van PSC-patiënten kan in een door VWS erkend expertisecentrum (EC) en/of in centra met expertise plaats vinden. Centra met expertise moeten aan bepaalde voorwaarden voldoen. Het zijn de academische ziekenhuizen en Samenwerkende Topklinische Ziekenhuizen (STZ-ziekenhuizen) en de Samenwerkende Algemene Ziekenhuizen (SAZ-ziekenhuizen) die expertise hebben met de diagnostiek en behandeling van patiënten met PSC. De behandelend arts is een kinderarts/internist/(kinder-)mdl-arts, (kinder)hepatoloog met aandachtsgebied leverziekten en expertise op het gebied van PSC.
- Alle patiënten met PSC moeten minimaal 1 keer per 1-2 jaar in een EC/centrum met expertise worden gezien of de RA heeft contact met het EC/centrum met expertise.
- Verwijzing naar een expertisecentrum vindt verder plaats als er complicaties zijn. Er kan sprake zijn van “shared care”, zorg dichtbij als het kan (regionaal ziekenhuis in de buurt van woonplaats patiënt), en ver weg als het moet (expertisecentrum/centrum met expertise).

- Het door VWS erkende expertisecentrum alsmede de drie transplantatiecentra in Nederland fungeren als tertiair verwijscentrum voor andere behandelcentra.
- Om in aanmerking te komen voor een transplantatie wordt een patiënt verwezen naar een van de drie levertransplantatiecentra in Nederland. Dit zijn het Erasmus Medisch Centrum in Rotterdam, het LUMC en het UMC Groningen. In Groningen worden naast volwassenen ook kinderen getransplanteerd.

#### Toelichting en onderbouwing

##### **Expertisecentrum (EC)**

In 2015 heeft de minister van VWS het 'AMC-Centre for cholestatic liver diseases' aangewezen als expertisecentrum voor onder andere PSC en AIH. Hier vindt coördinatie van de behandeling en begeleiding van patiënten met PSC, AIH en PSC met tekenen van AIH, plaats en worden gegevens verzameld voor onderzoek. Behandeling van patiënten kan ook in andere ziekenhuizen plaatsvinden. De kennis in het door VWS erkend EC/centrum met expertise leidt tot een hoge kwaliteit van multidisciplinaire (keten)zorg conform de laatste medische inzichten.

Alle patiënten met PSC worden op indicatie 1 keer per 1-2 jaar in het EC/centrum met expertise gezien of de regievoerend arts heeft contact met het EC/centrum met expertise .

De reden/motivatie om alle patiënten in ieder geval 1 keer per 1-2 jaar te zien in een EC of om in ieder geval contact te hebben met het EC is dat het EC:

- (relatief) veel mensen ziet met PSC. Dit maakt dat de behandelaars deskundig zijn, veel inhoudelijke kennis en veel ervaring hebben ten aanzien van deze aandoening.
- mogelijkheden heeft de laatste (internationale) wetenschappelijke ontwikkelingen en informatie over nieuwe behandeling bij te houden. De behandeling vindt plaats op basis van wetenschappelijke kennis, 'evidence based' richtlijnen of 'best practices'.
- (hierboven genoemde) kennis en expertise bundelt, waardoor behandelaars goed geïnformeerd zijn en tevens is het EC daarom meer op de hoogte als een patiënt zelf ergens nieuwe informatie heeft gelezen (bijvoorbeeld via buitenlandse facebookgroepen).
- afspraken, onderzoeken en behandelingen coördineert bij deskundige zorgverleners binnen één team. Eén team waarin de verschillende zorgverleners samenwerken maakt ketenzorg mogelijk. Hierdoor is het niet nodig dat de patiënt met PSC of diens naasten zelf op zoek gaat naar verschillende specialisten met kennis en kunde van PSC en hiermee alle afspraken maakt.
- door concentratie van kennis en gegevens wetenschappelijk onderzoek kan uitvoeren. Afzonderlijke specialisten of behandelteams hebben hiervoor niet altijd tijd en financiën. Onderzoek is van essentieel belang voor het ontwikkelen van medicijnen of behandelingen. Onderzoek kan tevens meer zicht geven op de gevolgen van de aandoening, op het lichamelijk functioneren, de activiteiten in het dagelijks leven en sociaal maatschappelijke participatie.
- vaak qua apparatuur beter ingericht zijn.
- onderdeel kan uitmaken van een Europees Referentie Netwerk (ERN), zodat wetenschappelijk onderzoek (internationaal) op grotere schaal kan plaatsvinden.
- in samenwerking met relevante patiëntenorganisatie(s) de bekendheid van de zeldzame aandoening PSC kan vergroten, ten einde het bewustzijn van het bestaan en de kennis van

PSC in de eerste lijn en tweede lijn te vergroten. Hierdoor kan (meer) vroegtijdige signalering van PSC plaatsvinden, evenals correcte en snelle doorverwijzing.

### Transplantatiecentrum

- Overleg met een transplantatiecentrum over een patiënt met acuut verergerd leverfalen dient kort na opname plaats te vinden om vroegtijdig de mogelijkheden tot verwijzing te bespreken, mede afhankelijk van lokale expertise en mogelijkheden tot opvang (ICU).
- Op het moment dat de levensverwachting of de verwachte kwaliteit van leven na 1 jaar zonder levertransplantatie slechter is dan met levertransplantatie, is een levertransplantatie geïndiceerd.
- De belangrijkste redenen voor een levertransplantatie zijn: leverfalen, galwegcomplicaties (zoals (recidiverende) cholangitiden of bij (verdenking op) een cholangiocarcinoom, galblaascarcinoom of hepatocellulair carcinoom) en ernstige cirrose. Patiënten moeten op tijd worden verwezen naar een transplantatiecentrum.

### Deelvraag 6b: Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede samenwerking te komen tussen de betrokken zorgverleners binnen dezelfde instelling?

#### Aanbevelingen

- De RA ziet er op toe dat iedere betrokken zorgverlener afstemt en samenwerkt met de andere betrokken zorgverleners.
- Binnen een instelling moeten zorgverleners de zorg goed op elkaar afstemmen, elkaar informeren over geleverde zorg en behandelingen, en veranderingen aangeven in het IZP. De patiënt en diens naasten zijn samen met de RA en eventueel andere daarvoor aangewezen zorgverleners verantwoordelijk voor het IZP en het bijhouden daarvan.
- Waar nodig voor een goede zorgverlening wordt in situaties van samenwerking in de zorg voorzien in controlemomenten (overleg, evaluatie).
- Afspraken die door samenwerkingspartners worden gemaakt over de aard en inrichting van de samenwerking en over ieders betrokkenheid bij de patiënt met PSC worden door hen schriftelijk vastgelegd. (zie ook shared care)
- In het geval dat een zorgverlener verwijst naar een andere zorgverlener, geeft de verwijzende zorgverlener voldoende informatie met betrekking tot de zorgverlening.
- Overdracht van taken en verantwoordelijkheden vindt expliciet plaats. Bij de inrichting van overdrachtmomenten is van belang om rekening te houden met veel voorkomende risico's (bij overdracht) en eventuele specifieke kenmerken van de situatie van de patiënt.

#### Toelichting en onderbouwing

Een patiënt met PSC heeft vaak te maken met meerdere zorgverleners. Organisatie van zorg, dat wil zeggen regie en adequate afstemming van de complexe, multidisciplinaire zorg, is noodzakelijk om de kwaliteit van zorg en leven van patiënten met PSC te kunnen waarborgen. De RA heeft de regie. Zorgverleners van het multidisciplinair overleg werken nauw samen en verlenen gezamenlijk de zorg aan patiënt met PSC, zodat een samenhangend zorgaanbod kan worden gerealiseerd. Voor handvatten voor goede organisatie van en samenwerking in de zorg en voor inzicht in wat de patiënt hierin mag verwachten, wordt verwezen naar de 'Handreiking Verantwoordelijkheidsverdeling bij samenwerking in de zorg' <sup>43</sup>. In het VSOP-visiedocument 'Organisatie en concentratie van zorg bij zeldzame aandoeningen' <sup>89</sup> is de concentratie- en organisatiestructuur van de zorg voor zeldzame aandoeningen beschreven zoals door de VSOP en haar leden als optimaal wordt gezien.

Belangrijk is dat samenwerkingsafspraken expliciet worden gemaakt, waarbij het voor het individu met een zeldzame aandoening altijd duidelijk is welke zorgverlener voor welk onderdeel in de zorg verantwoordelijk is. Ten alle tijden kan het individu terecht bij de RA. In deze kwaliteitsstandaard wordt beschreven met welke zorgverleners de patiënt in de diverse zorgfasen te maken kan krijgen en hoe de samenwerking tussen deze zorgverleners (al dan niet werkzaam in één instelling) verloopt.

De praktijk van de zorg is complex en gevarieerd en impliceert de betrokkenheid van veel verschillende zorgverleners. Het is van belang om te specificeren welke risico's de betrokkenheid van verschillende zorgverleners kan opleveren voor verantwoorde zorgverlening en om aandachtspunten te formuleren die gericht zijn op het voorkomen van dergelijke risico's.

### Deelvraag 6c: Welke maatregelen worden getroffen om tot een goede samenwerking te komen tussen de betrokken zorgverleners binnen een instelling en betrokken zorgverleners buiten de instelling?

#### Aanbevelingen

- De RA heeft een coördinerende rol om tot een goede samenwerking te komen tussen de zorgverleners binnen een instelling en betrokken zorgverleners buiten de instelling.
- Daar waar de RA niet zelf deze rol vervult, wijst hij een zorgcoördinator aan als aanspreekpunt voor zorgverleners buiten de instelling. Denk hierbij aan een verpleegkundig specialist. Ten alle tijden ligt de verantwoordelijkheid bij de RA.
- Waar nodig voor een goede zorgverlening wordt in situaties van samenwerking in de zorg voorzien in controlemomenten (overleg, evaluatie).
- Zorgverleners die deelnemen aan een samenwerkingsverband maken duidelijke afspraken over de verdeling van taken en verantwoordelijkheden met betrekking tot de zorgverlening aan de cliënt. De regie hiervoor ligt bij de RA.
- Afspraken die door samenwerkingspartners worden gemaakt over de aard en inrichting van de samenwerking en over ieders betrokkenheid worden schriftelijk vastgelegd.

- In het geval dat een zorgverlener verwijst naar een andere zorgverlener, geeft de verwijzende zorgverlener voldoende informatie met betrekking tot de zorgverlening.
- Overdracht van taken en verantwoordelijkheden vindt expliciet plaats. Bij de inrichting van overdrachtmomenten is het van belang om rekening te houden met veel voorkomende risico's (bij overdracht) en eventuele specifieke kenmerken van de situatie van de patiënt.
- Er wordt gewerkt conform het beleid voor follow-up en doorverwijzen in elke zorgfase zoals beschreven in de module behandeling en follow-up.
- Het is aanbevolen om te komen tot een netwerk van zorgverleners met expertise op het gebied van PSC.
- Elke patiënt met PSC heeft een IZP omdat dit de langdurige behandeling en begeleiding ondersteunt. In het IZP is alle zorg (integrale zorg) voor de patiënt opgenomen. De samenwerking tussen individuele zorgverleners wordt gefaciliteerd door het IZP. Het IZP is hét instrument dat het mogelijk maakt de zorg van veel verschillende zorgverleners goed op elkaar af te stemmen.

#### Toelichting en onderbouwing

Als de RA niet zelf de rol van aanspreekpunt heeft, wijst hij een zorgcoördinator aan. Dit kan bijvoorbeeld de verpleegkundig specialist zijn. Hij behoudt hier echter zelf de verantwoordelijkheid. De 'Handreiking verantwoordelijkheidsverdeling bij samenwerking in de zorg'<sup>43</sup>, ontwikkeld door de KNMG, in samenspraak met negen andere beroeps- en brancheorganisaties en koepels in de zorg, focust op zowel simultane als op volgtijdelijke samenwerking tussen zorgverleners.

De volgende punten dienen nader gespecificeerd te worden tussen het expertisecentrum (EC)/centrum met expertise, een behandelcentrum (BC) (ziekenhuis in de regio) en de huisarts:

- taken en verantwoordelijkheden van de huisarts als spin in het web in de eerstelijnszorg (behandeling/begeleiding/controle);
- doorverwijsbeleid in elke zorgfase;
- vorm en periodiciteit van informatievoorziening over het ziektebeeld door het EC/centrum met expertise richting eerstelijnszorg-behandelaren (bijv. alarmsignalen/symptomen, voor de beroepsgroep relevante nieuwe medische inzichten over het ziektebeeld);
- richting, vorm en periodiciteit van gegevens- en informatie-uitwisseling m.b.t. de patiënt (evt. per zorgfase / complexiteit van het ziektebeeld) tussen het EC/centrum met expertise en eerstelijnszorg-behandelaar;
- expliciteren welke zorgverleners welke verantwoordelijkheden taken en rollen hebben in het samenwerkingsverband.

Het is aanbevolen dat iedere patiënt met PSC een Individueel Zorgplan (IZP) heeft, waarin alle zorg (integrale zorg) voor de patiënt is opgenomen.

- Door middel van het IZP stellen zorgverleners samen met de patiënt, de zorgbehoeften vanuit patiëntenperspectief vast, worden afspraken en zorgbehoeften uitgevoerd, gemonitord en zo nodig bijgesteld.
- In het IZP ziet een (nieuwe) zorgverlener de concrete zorgbehoeften van de individuele patiënt.
- Het IZP helpt bij de concretisering van het behandelplan en de afstemming van de samenwerking tussen de betrokken zorgverleners en zorginstellingen.
- Tevens faciliteert het IZP de samenwerking tussen individuele zorgverleners.
- Door middel van het IZP wordt het zelfmanagement vergroot.

Van samenwerking is sprake als meer dan één zorgverlener bij de cliënt betrokken is. Samenwerking kan intern zijn (zorgverleners die binnen dezelfde instelling werken), extern (zorgverleners uit verschillende instellingen), of een mengvorm.

Hieronder worden de aandachtspunten genoemd die kunnen worden gezien als de kernaspecten van een regeling van verantwoordelijkheden bij samenwerking in het zorgproces. Deze standpunten moeten goed omschreven worden voor een goede organisatie van zorgverlening, en om de patiënt duidelijk te maken wat zij ter zake mogen verwachten:

- Voor de patiënt moet altijd duidelijk zijn wie van de betrokken zorgverleners:
  - het aanspreekpunt is voor vragen van de patiënt of diens vertegenwoordiger;
  - de inhoudelijke (eind)verantwoordelijkheid heeft voor de zorgverlening aan de patiënt;
  - belast is met de coördinatie van de zorgverlening aan de patiënt .

Deze taken zijn ondergebracht bij de RA.

- Alle bij de samenwerking betrokken zorgverleners beschikken zo nodig over een gezamenlijk en up-to-date zorg- of behandelplan betreffende de patiënt (de patiënt heeft het IZP wat up-to-date is; de RA geeft veranderingen in het behandelplan of in de situatie van de patiënt door aan het expertisecentrum (EC) en andere behandelaars).
- Een zorgverlener die deelneemt in een samenwerkingstraject vergewist zich ervan dat hij/zij beschikt over relevante gegevens van collega's en informeert collega's over gegevens en bevindingen die zij nodig hebben om verantwoorde zorg te kunnen verlenen.
- Relevante gegevens worden aangetekend in een dossier betreffende de patiënt. Bij voorkeur is dit een geïntegreerd dossier, dat door alle bij de samenwerking betrokken zorgverleners kan worden geraadpleegd en aangevuld (IZP van de patiënt/ digitaal dossier).
- Zorgverleners die deelnemen aan een samenwerkingsverband maken duidelijke afspraken over de verdeling van taken en verantwoordelijkheden met betrekking tot de zorgverlening aan de patiënt. De regie hiervoor ligt bij de RA.
- Zorgverleners die deelnemen aan een samenwerkingsverband zijn alert op de grenzen van de eigen mogelijkheden en deskundigheid en verwijzen zo nodig tijdig door naar een andere zorgverlener. Zij zijn op de hoogte van de kerncompetenties van de andere betrokken zorgverleners. De regie hiervoor ligt bij de RA.
- In gevallen waarin zorgverleners naar elkaar verwijzen, geeft de verwijzende zorgverlener voldoende instructies over de patiënt met PSC. Hij informeert per brief of digitaal.

- Overdracht van taken en verantwoordelijkheden vindt expliciet plaats.
- Waar nodig voor een goede zorgverlening wordt in situaties van samenwerking in de zorg voorzien in controlemomenten (overleg, evaluatie).
- De patiënt of diens vertegenwoordiger wordt intensief betrokken bij de ontwikkeling en uitvoering van het zorg- of behandelplan. De eigen verantwoordelijkheid van de patiënt in relatie tot het zorgproces wordt zoveel mogelijk gestimuleerd. Elke zorgverlener bespreekt met de patiënt ook diens ervaringen met het samenwerkingsverband.
- Afspraken die door samenwerkingspartners worden gemaakt over de aard en inrichting van de samenwerking en over ieders betrokkenheid worden schriftelijk vastgelegd.
- Met betrekking tot incidenten (waaronder begrepen fouten) geldt het volgende:
  - naar de cliënt wordt over incidenten openheid betracht;
  - incidenten worden gemeld op een binnen het samenwerkingsverband afgesproken centraal punt;
  - een aan het samenwerkingsverband deelnemende zorgverlener die in de ogen van een of meer collega's niet voldoet aan de normen voor verantwoorde zorg, wordt door hen daarop aangesproken.

De praktijk van de zorg is complex en gevarieerd en impliceert de betrokkenheid van veel verschillende zorgverleners. Het is van belang om te specificeren welke risico's de betrokkenheid van verschillende zorgverleners kan opleveren voor verantwoorde zorgverlening en om aandachtspunten te formuleren die gericht zijn op het voorkomen van dergelijke risico's.

#### Deelvraag 6d: Zijn onderzoeksuitslagen (laboratoriumuitslagen/ beeldvormende onderzoeken) uitwisselbaar tussen de verschillende instanties?

##### Aanbevelingen

- Het is aanbevolen dat onderzoeksuitslagen (laboratoriumuitslagen/ beeldvormende onderzoeken) uitwisselbaar zijn tussen de verschillende instanties.
- In een medisch dossier staan alle gegevens rondom de behandeling van de PSC-patiënt, zoals onderzoeksuitslagen, uitslagen van beeldvormend onderzoek, of (verwijs)brieven aan een specialist of huisarts. De zorgverleners zijn verplicht om dit in het medisch dossier bij te houden.
- Het is aanbevolen dat behandelaars in de toekomst het medisch dossier vastleggen in een elektronisch patiëntendossier (EPD). De inhoud van zo'n elektronisch opgeslagen dossier heeft als voordeel dat het elektronisch dossier sneller en gemakkelijker in te zien is en op termijn uitwisselbaar.
- Het is aanbevolen om ook een digitale PGO (een persoonlijke gezondheidsomgeving) voor de patiënt met PSC te hanteren. Hiermee wordt bedoeld het geheel aan apps en websites die door patiënten en (zorg)consumenten gebruikt worden om allerlei gezondheidsgegevens te



verzamelen, beheren en delen. De digitale PGO is in diverse centra reeds aanwezig en moet in andere centra nog worden gerealiseerd

- De PSC-patiënt heeft het recht op inzage in zijn/haar medisch dossier, met uitzondering van de gegevens die niet over de patiënt zelf gaan. De bij de behandeling betrokken zorgverleners hebben ook het recht om gegevens uit het dossier in te zien. Het medisch dossier is de verantwoordelijkheid van de behandelaar of de instelling waar de behandelaar werkt. Vanaf 2019 moeten zorgverleners medische gegevens digitaal beschikbaar stellen.
- Laboratoria wordt aanbevolen om intercollegiale toetsing toe te passen zodat laboratoriumuitslagen uniform, herleid- en herhaalbaar zijn. Dit kan d.m.v. rondzendmonsters (zie ISO 15189). De RvA (raad voor accreditatie) accrediteert medische laboratoria op basis van de norm ISO 15189. Geaccrediteerde laboratoria zijn verplicht om deel te nemen aan ringonderzoeken: onderzoeken waarbij de testresultaten van verschillende laboratoria met elkaar worden vergeleken.

## 5. MODULE TRANSITIE

**Uitgangsvraag 7: Welke maatregelen dienen te worden getroffen, zodat de transitie van de totale zorg voor kinderen met PSC naar de zorg voor volwassenen goed verloopt?**

### Subvragen:

- a) Wie doet wat wanneer en in welke frequentie zodat de voorbereiding op de transitie op het juiste moment wordt ingezet?
- b) Wie doet wat en in welke frequentie, zodat de transitie op 18-jarige leeftijd goed verloopt?
- c) Wie is vanuit de zorg voor kinderen, hoelang, nog aanspreekbaar voor de zorg van de betreffende volwassene met PSC?

### Aanbevelingen

*Aanbevelingen ten aanzien van de transitie zijn hier beschreven, maar de transitie zal mede afhankelijk zijn van de lokale situatie, de patiënt met PSC en diens naasten. Succesvolle transitie vraagt om een flexibel plan op maat, afgestemd op de ontwikkeling van de patiënt en diens persoonlijke situatie.*

- De regievoerend arts (RA) ziet er bij kinderen met PSC op toe dat (een goede voorbereiding op) transitie van kindzorg naar volwassenenzorg plaatsvindt. Hij kan ook iemand aanstellen (zorgcoördinator) om dit proces te begeleiden, bijvoorbeeld de gespecialiseerd verpleegkundige.
- Transitie vindt plaats van de kinderarts/kinder-mdl-arts/kinderhepatoloog naar een MDL-arts voor volwassenen in een topklinisch of academisch ziekenhuis die affiniteit heeft voor en ervaring heeft met PSC. (zie omschrijving elders)
- De zorgcoördinator van het transitieproces (regievoerend arts, gespecialiseerd verpleegkundige of andere) coördineert de transitiefase: de (start van de) voorbereiding, de afronding van de kindzorg en de overgang naar de volwassenenzorg.
- De transitieplanning begint op 12-15-jarige leeftijd en de daadwerkelijke transitie naar de volwassenenzorg vindt plaats op 17-jarige leeftijd, in overleg met de ouders, het kind en de RA/zorgcoördinator. Als de diagnose pas rond de leeftijd van 16- 17 jaar wordt gesteld, is een versnelde voorbereiding op de transitie nodig.
- Een goede samenwerking en communicatie tussen de MDL-arts waar de volwassen patiënt onder behandeling komt en de kinderarts/ kinder-MDL-arts/hepatoloog die de voorgeschiedenis kent is van belang. Het is aanbevolen om in de overgangsfase een gezamenlijk spreekuur te doen.

- Aangezien 90% van de adolescenten met PSC ook IBD heeft, dient er bij de transitie aandacht te zijn voor zowel PSC als IBD.
- Participatie van de adolescent met PSC in het transitieprogramma, door de adolescent uit te rusten met kennis en vaardigheden, empowert de adolescent om de aandoening PSC/ IBD te managen.<sup>110</sup>
- Transitie bij PSC/IBD is een continu proces dat zowel de adolescent, de ouders en de kinderen volwassenen zorgverleners betreft.
- Patiënten, ouders en de kinder- en volwassenen zorgverleners kunnen verschillende houding/ideeën hebben ten aanzien van de transitie. Het is van belang deze te houdingen/ideeën te identificeren en te harmoniseren aan het begin van het proces.
- De vaardigheden voor succesvolle transitie bestaan uit ziektespecifieke kennis, zelfmanagement en besluitvorming voor de adolescent.
- De educatie van de patiënt moet leeftijdsadequaat zijn en moet gericht zijn op de hele periode van transitie (vanaf 12 jaar), maar is met name van belang in het jaar voorafgaand aan de transfer naar de volwassenenzorg.<sup>110</sup>
- Voor een goede educatie van de patiënt is ontwikkelingsrijpheid een belangrijke sleutel tot succes; psychosociale problemen, communicatieproblemen met zorgverleners en motivatieproblemen kunnen een obstakel zijn voor het succesvol verwerven van kennis.
- De educatie over IBD en PSC kan versterkt worden door herhaling en concrete voorbeelden. Een veilige en voor de adolescent comfortabele omgeving is van belang.
- Seksuele ontwikkeling en rijping kunnen vertraagd zijn bij adolescenten met PSC/IBD.
  - Het is van belang voor patiënt en familie om de veranderingen door PSC/IBD in de normale fysiologische seksuele ontwikkeling te begrijpen.
  - Ouders moeten aangemoedigd worden (de mogelijk verschillende) seksuele ontwikkeling ook met hun kind te bespreken.
  - Issues rondom seksualiteit zijn zeer belangrijk tijdens de transitieperiode.
  - Counseling is van belang om ongewenste zwangerschap te voorkomen, om zwangerschapperelateerde complicaties te verminderen en om de aandoening zo goed mogelijk onder controle te hebben als een zwangerschap gewenst is.<sup>111</sup>
- De adolescent of jong volwassenen kan het moeilijk vinden om zich te voegen in de volwassenenzorg, die zich meer focust op signaleren van maligniteiten, seksuele functie, en vruchtbaarheid en bij meisjes eventueel op zwangerschap in contract met de focus in de kindertijd die vooral op groei en ontwikkeling is gericht. Het is aanbevolen om hier aandacht voor te hebben.

- Tijdens de transitie is het van belang bij ieder consult goed te controleren hoe de progressie loopt van het transitieproces.
- Educatie van de ouders ten aanzien van het langzaam overgeven van de verantwoordelijkheid ten aanzien van het management van de PSC/IBD naar hun kind is van belang. Hier ligt een cruciale rol voor het transitie team.
  - Ouders kunnen problemen hebben met het loslaten,
  - Ouders kunnen een verlies voelen als het team van kindzorgverleners wegvalt, die hun bron van steun en informatie was gedurende de kinderjaren.
  - Ouders moeten aangemoedigd worden om vertrouwen te hebben in de zelfmanagementvaardigheden van hun kind.
- Om het transitieproces te bevorderen kunnen zorgverleners de adolescent voor de transfer naar de volwassenzorg al een (aantal) keer zien zonder ouders.
- Transfer naar de volwassenenzorg vindt bij voorkeur plaats tijdens een stabiele periode van de aandoening.

Onderstaand schema/checklist kan gebruikt worden als hulpmiddel bij de transitie.

**Checklist voor jongere en zorgverlener om te kijken of de transitie goed kan plaatsvinden:**

Leeftijd	patiënt	Medisch team
11-13 jaar	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kan aandoening omschrijven</li> <li>• Weet de namen van medicijnen, de dosering en de bijwerkingen</li> <li>• Weet hoe de medicatie in te nemen</li> <li>• Kan temperatuur bij zichzelf opnemen</li> <li>• Kan omschrijven wat de invloed van de PSC en de eventuele IBD is op school en dagelijks leven</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Introduceert het idee om in de nabije toekomst ook zonder ouders op consult te komen.</li> <li>• Vraagt ouders om een deel van het consult in de wachtkamer te verblijven</li> <li>• Anticiperende begeleiding t.a.v. zaken als fitness, seksualiteit, middelengebruik</li> <li>•</li> </ul>
14-16 jaar	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Kan het medische team benoemen</li> <li>• Kent de namen van de onderzoeken en procedures die hij/zij ondergaat en ook de reden waarom</li> <li>• Kent zijn of haar medische voorgeschiedenis</li> <li>• Kent de namen van de ondersteunende patiëntenorganisaties voor PSC en zo nodig ook voor IBD</li> <li>• Begrijpt de eventuele risico's bij slechte therapietrouw</li> <li>• Begrijpt de invloed van het gebruik van alcohol en middelen op de</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Regisseert alle vragen en geeft alle nodige uitleg aan patiënt</li> <li>• Vraagt aan patiënt zelf de input t.a.v. vragen</li> <li>• Legt aan familie uit het belang van het zelfmanagement van de jongere</li> <li>• Maakt aan jongere duidelijk welke informatie wel/niet aan ouders moet worden bekendgemaakt</li> <li>• Bepaalt in samenspraak wanneer de jongere de ouders wel/niet in de kamer erbij wil hebben</li> <li>• Brengt het gesprek op gang over wanneer de transitie plaats gaat</li> </ul>

	aandoening PSC/IBD	<p>vinden</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Bespreekt met de jongere de ideeën en plannen die jongere heeft na school (onderwijs, werk, sociaal)</li> <li>• Legt aan patiënt uit hoe deze toegang krijgt tot medische gegevens</li> <li>• Geeft instructies aan patiënt hoe deze medische gegevens bij zich draagt (in bijvoorbeeld portemonnee, rugzak)</li> <li>• Geeft instructies aan de jongere hoe deze de recepten op tijd krijgt voorgeschreven, en hoe de jongere goed zijn afspraken kan bijhouden</li> </ul>
17-19 jaar	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Weet hoe en waar info te vinden en te verkrijgen is over PSC en evt IBD</li> <li>• Laat zien dat hij/zij zelf afspraken met zorgverleners kan maken, recepten kan aanvragen en zorgverleners kan contacten</li> <li>• Weet eigen zorgverzekering te benoemen</li> <li>• Draagt gegevens van de zorgverzekering bij zicht</li> <li>• Gezamenlijke afspraak met zowel kindzorgverlener als volwassen zorgverlener vindt plaats</li> <li>• Afspraak met volwassenen zorgverleners is gemaakt</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Eventuele hindernissen ten aanzien van de transitie worden besproken</li> <li>• De volwassenenzorgverleners zijn bekend en worden geïntroduceerd. Een gezamenlijk consult van kindzorgverlener en volwassenen zorgverlener vindt plaats</li> <li>• Benoemt dat de jongere op 18 jarige leeftijd zijn eigen beslissingen kan nemen</li> <li>• Voorziet de jongere van een medisch dossier en eventuele checklist/ vult met jongere IZP in</li> <li>• Zorgverleners uit de kindzorg zorgen voor een goede overdracht naar de zorgverleners in de volwassenenzorg</li> </ul>

#### Toelichting en onderbouwing

Kenmerken van transities zijn dat ze gepaard kunnen gaan met angst, onzekerheid en pijn maar ook met verwachtingen. Transities zijn onomkeerbare processen waarbij mensen, met name patiënten maar ook zorgverleners, uit hun comfortzone moeten komen en naar een nieuwe situatie gaan. Transitie is het doelmatige en geplande proces die aan de medische, psychosociale en educatieve behoefte van adolescenten en jongvolwassenen voldoet wanneer zij van kindzorg naar volwassenenzorg over gaan.

Een mislukte transitie kan leiden tot niet volgen van de medische therapie, slecht opvolgen van controles bij zorgverleners en als gevolg daarvan verslechtering van het ziekteverloop.

Transitiezorg is de doelbewuste planmatige overgang van adolescenten en jongvolwassenen met een chronische aandoening van een kindgericht zorgsysteem naar een zorgsysteem dat gericht is op volwassenen. In de richtlijn 'Transitie voor adolescenten'<sup>112</sup> worden twee fasen onderscheiden in

transitie: de transitieplanning en de transitie in de praktijk. Transitieplanning bevat het kiezen van het moment waarop de voorbereidingen worden getroffen en ook de voorbereidingen zelf voor de transitie naar volwassenenzorg. De daadwerkelijke transitie is het proces van overdracht en inbedding in de volwassenenzorg.

Bij adolescenten en volwassenen met PSC nemen de klachten vaak toe: PSC vertoont een progressief verloop en daarmee blijft de zorgvraag intensief of neemt deze zelfs toe. Patiënten met PSC hebben een verhoogd risico op diverse complicaties en bijkomende aandoeningen, onder andere cholangitiden, colitis, portale hypertensie, deficiëntie van vetoplosbare vitaminen, botafbraak en ontwikkeling van cholangiocarcinoom. Daarom ligt transitie naar een (volwassen) MDL-arts in een academisch centrum met affiniteit voor en ervaring met PSC het meest voor de hand.

De keuze van het moment waarop de transitie wordt voorbereid is cruciaal voor een soepel verloop van het transitietraject. Het tijdstip waarop transitieplanning begint, wordt bepaald in overleg met de ouders, het kind en de RA. De RA kaart de transitie meestal op 14-15-jarige leeftijd aan, maar het onderwerp transitiezorg kan ook eerder of later worden aangesneden. De zorgcoördinator start de voorbereiding in ieder geval ruim voordat de patiënt de leeftijd van 18 jaar heeft bereikt.

In het transitietraject is er aandacht voor de kennis en de vaardigheden die de jongere nodig heeft om zelf de verantwoordelijkheid te kunnen nemen over zijn gezondheid en zorg <sup>112</sup>.

Er moet een goed contact/samenwerking zijn tussen de MDL-arts waar de volwassen patiënt onder behandeling is en de kinderarts/ kinder-MDL-arts die de voorgeschiedenis kent.

## Literatuurlijst

1. Aabakken L, Karlsen TH, Albert J, Arvanitakis M, Chazouilleres O, Dumonceau JM. Role of endoscopy in primary sclerosing cholangitis: European Society of Gastrointestinal Endoscopy (ESGE) and European Association for the Study of the Liver (EASL) Clinical Guideline.
2. Abdalian, R. and Heathcote, E.J. Sclerosing cholangitis: a focus on secondary causes. *Hepatology*. 2006; 44: 1063-1074
3. Advies- en expertgroep kwaliteitsstandaarden (AQUA). Leidraad voor Kwaliteitsstandaarden. Diemen, Zorginstituut Nederland: 2015.
4. Amsterdam –Oxford PSC score calculator; <http://www.fcbkapp.nl/psc/8/>
5. Arbelaiz A, Azkargorta M, Krawczyk M, Santos-Laso A, Lapitz A, Perugorria MJ, Serum extracellular vesicles contain protein biomarkers for primary sclerosing cholangitis and cholangiocarcinoma. *Hepatology*. 2017 Oct;66(4):1125-1143.
6. Bambha K, Kim WR, Talwalkar J, et al. Incidence, clinical spectrum, and outcomes of primary sclerosing cholangitis in a United States community. *Gastroenterology*. 2003;125:1364-9.
7. Baluyut, A.R., Sherman, S., Lehman, G.A., Hoen, H., and Chalasani, N. Impact of endoscopic therapy on the survival of patients with primary sclerosing cholangitis. *Gastrointest Endosc*. 2001; 53
8. Benito de Valle M, Rahman M, Lindkvist B, Björnsson E, Chapman R, Kalaitzakis E. Factors that reduce health-related quality of life in patients with primary sclerosing cholangitis. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 2012 Jul;10(7):769-775.
9. Bergquist, A., Ekbohm, A., Olsson, R., Kornfeldt, D., Loof, L., Danielsson, A. et al. Hepatic and extrahepatic malignancies in primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol*. 2002; 36: 321-327
10. Berstad AE, Aabakken L, Smith HJ, Aasen S, Boberg KM, Schrumpf E.; Diagnostic Accuracy of Magnetic Resonance and Endoscopic Retrograde Cholangiography in Primary Sclerosing Cholangitis. *Clinical Gastroenterology and Hepatology* , Volume 4 , Issue 4 , 514 - 520
11. Beuers U, Boberg KM, Chapman RW, Chazouilleres O, Invernizzi P, Jones DEJ, et al. EASL Clinical practice guidelines: Management of cholestatic liver disease. European Association for the Study of the Liver. *Journal of Hepatology*. 2009;51:237-267.
12. Beuers U, Rust C. Overlap syndromes. *Semin Liver Dis*. 2005; 25: 311-320

13. Beuers U, Spengler U, Kruis W, Aydemir U, Wiebecke B, Heldwein W. et al. Ursodeoxycholic acid for treatment of primary sclerosing cholangitis: a placebo-controlled trial. *Hepatology*. 1992; 16: 707714
14. Bjornsson, E., Lindqvist-Ottosson, J., Asztely, M., and Olsson, R. Dominant strictures in patients with primary sclerosing cholangitis. *Am J Gastroenterol*. 2004; 99
15. Blechacz B, Gores GJ. Cholangiocarcinoma: advances in pathogenesis, diagnosis, and treatment. *Hepatology* 2008; 48: 308-321
16. Blauwdruk Participeren in Richtlijnen: leidraad voor het effectief opnemen van “participeren en functioneren in werk”; website NVAB; NVAB, CBO, VGI.
17. Boberg, K.M., Egeland, T., and Schrumpf, E. Long-term effect of corticosteroid treatment in primary sclerosing cholangitis patients. *Scand J Gastroenterol*. 2003; 38
18. Boberg, K.M., Jebsen, P., Clausen, O.P., Foss, A., Aabakken, L., and Schrumpf, E. Diagnostic benefit of biliary brush cytology in cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol*. 2006; 45: 568574
19. Bonkovsky HL, Hawkins M, Steinberg K, Hersh T, Galambos JT, Henderson JM, Millikan WJ, Galloway JR. Prevalence and prediction of osteopenia in chronic liver disease. *Hepatology*. 1990 Aug;12(2):273-80.
20. Boonstra K, Ponsioen CIJ, Rauws EAJ, Beuers U. Primaire scleroserende cholangitis: Stand van zaken. *Ned Tijdschr Geneeskd*. 2010; 154:A1476.
21. Boonstra K, Weersma RK, van Erpecum KJ, Rauws EA, Spanier BW, Poen AC, et al. Population-based epidemiology, malignancy risk, and outcome of primary sclerosing cholangitis. *Hepatology*. 2013 Dec;58(6):2045-2055.
22. Broome, U. and Bergquist, A. Primary sclerosing cholangitis, inflammatory bowel disease, and colon cancer. *Semin Liver Dis*. 2006; 26: 3141
23. Buiting C, Njoo K. Richtlijn Informatie-uitwisseling tussen Huisarts en Specialist bij verwijzingen (HASP). 2008 Nederlands Huisartsen Genootschap.
24. Chapman R, Fevery J, Kalloo A, Nagorney DM, Boberg KM, Shneider B, et al. AASLD Practice Guidelines; Diagnosis and management of Primary Sclerosing Cholangitis. *Hepatology*. 2010 Feb;51(2):660-678.
25. Charatcharoenwitthaya, P., Enders, F.B., Halling, K.C., and Lindor, K.D. Utility of serum tumor markers, imaging, and biliary cytology for detecting cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis. *Hepatology*. 2008; 48: 11061117



26. Coördinatieplatform Zorgstandaarden. Raamwerk Individueel Zorgplan. Den Haag; CPZ: 2012.
27. Cruz-Ramón V, Chinchilla-López P, Ramírez-Pérez O, Qi X, Méndez-Sánchez N. The Changing Face of the Diagnosis of Chronic and Malignant Liver Diseases: Potential New Biomarkers. *Ann Hepatol*. 2017 Dec 27;17(1):14-17.
28. Cullen, S.N., Rust, C., Fleming, K., Edwards, C., Beuers, U., and Chapman, R. High dose ursodeoxycholic acid for the treatment of primary sclerosing cholangitis is safe and effective. *J Hepatol*. 2008; 48: 792800
29. Enns R, The Use of ERCP Versus MRCP in Primary Sclerosing Cholangitis; *Gastroenterol Hepatol (N Y)*. 2008 Dec; 4(12): 852–854.
30. Freeman ML, Nelson DB, Sherman S, Haber GB, Herman ME, Dorsher PJ et al.; Complications of endoscopic biliary sphincterotomy. *N Engl J Med*. 1996; 335
31. Gaag van der NA, Rauws EA, van Eijck CH, Bruno MJ, van der Harst E, Kubben FJ, Gerritsen JJ, Greve JW, Gerhards MF, de Hingh IH, et al. Preoperative biliary drainage for cancer of the head of the pancreas. *N Engl J Med*. 2010;362:129–137.
32. Gotthardt D, Chahoud F, Sauer P. Primary sclerosing cholangitis: diagnostic and therapeutic problems. *Dig Dis*. 2011;29 Suppl 1:41-5.
33. Gregorio, G.V., Portmann, B., Karani, J., Harrison, P., Donaldson, P.T., Vergani, D. et al. Autoimmune hepatitis/sclerosing cholangitis overlap syndrome in childhood: a 16-year prospective study. *Hepatology*. 2001; 33
34. Haafkens J, Moerman C, Schuring M, van Dijk F. Searching bibliographic databases for literature on chronic disease and work participation. *Occup Med* 2006;56:39-45.
35. Hammel, P., Couvelard, A., OToole, D., Ratouis, A., Sauvanet, A., Flejou, J.F. et al. Regression of liver fibrosis after biliary drainage in patients with chronic pancreatitis and stenosis of the common bile duct. *N Engl J Med*. 2001; 344
36. Hazel van den SJ, Wolfhagen Eh, van Buuren HR, van de Meeberg PC, and Van Leeuwen DJ; Prospective risk assessment of endoscopic retrograde cholangiography in patients with primary sclerosing cholangitis. Dutch PSC Study Group. *Endoscopy*. 2000; 32: 779782
37. Hendriks ME, van Westerloo DJ, Portegies P. Klinische les; Verwardheid en afwijkende leveruitslagen: de lastige diagnose 'hepatische encefalopathie'. *Ned Tijdschr Geneeskd*. 2007 Dec;51(49):2701-2706 .
38. Hendriks SA. Generieke zorgthema Huisartsgeneeskundige zorg. VSOP 2014.

39. Huo TI, Lin HC, Wu JC, Lee FY, Hou MC, Lee PC, Chang FY, Lee SD. Proposal of a modified Child-Turcotte-Pugh scoring system and comparison with the model for end-stage liver disease for outcome prediction in patients with cirrhosis. *Liver Transpl.* 2006 Jan;12(1):65-71.
40. Johnson GK, Geenen JE, Venu RP, Schmalz MJ, and Hogan WJ; Endoscopic treatment of biliary tract strictures in sclerosing cholangitis: a larger series and recommendations for treatment. *Gastrointest Endosc.* 1991; 37
41. Karlsen TH, Schrumpf E, Boberg KM. Genetic epidemiology of primary sclerosing cholangitis. *World J Gastroenterol* 2007;13:5421–5431.
42. Kaya M, Petersen BT, Angulo P, Baron TH, Andrews JC., Gostout CJ et al. Balloon dilation compared to stenting of dominant strictures in primary sclerosing cholangitis. *Am J Gastroenterol.* 2001; 96
43. KNGF, KNMP, NIP, NVZ, NFU, GGZ Nederland, NPCF. Handreiking Verantwoordelijkheidsverdeling bij samenwerking in de zorg. Utrecht; KNMG: 2010.
44. Knuistingh Neven A, Lucassen PLBJ, Bonsema K, Teunissen H, Verduijn MM. et al. NHG standaard slaapproblemen- en slaapmiddelen. 2014. [www.nhg.org/standaarden/samenvatting/slaapproblemen-en-slaapmiddelen](http://www.nhg.org/standaarden/samenvatting/slaapproblemen-en-slaapmiddelen)
45. Lai EC, Mok FP, Tan ES, Lo CM, Fan ST, You KT et al. Endoscopic biliary drainage for severe acute cholangitis. *N.Engl.J Med* 1992;326(24):1582-6.
46. Lamberts LE, Janse M, Haagsma EB, Van den Berg AP, Weersma RK. Immune-mediated diseases in primary sclerosing cholangitis. *Digestive and Liver Disease.* 2011 Oct; 43 (10): 802–806.
47. Lazaridis, K.N. and Gores, G.J. Primary sclerosing cholangitis and cholangiocarcinoma. *Semin Liver Dis.* 2006; 26: 4251
48. Lindor, KD; Ursodiol for primary sclerosing cholangitis. Mayo Primary Sclerosing Cholangitis Ursodeoxycholic Acid Study Group. *N Engl J Med.* 1997; 336: 691695
49. Lindor KD, Kowdley KV, Harrison ME. ACG Clinical Guideline: Primary Sclerosing Cholangitis. *Am J Gastroenterol.* 2015;110:646–659.
50. Lohse AW, Chazouillères O, Dalekos G, Drenth J, Heneghan M, Hofer H, et al. EASL Clinical Practice Guidelines: Autoimmune hepatitis. European Association for the Study of the Liver. *Journal of Hepatology.* 2015;63:971-1004.

51. Lindor, K.D., Enders, F.B., Schmall, J.A., Hoskin, T.L., Jorgensen, R.A., Petz, J.L. et al. Randomized, double-blind controlled trial of high-dose ursodeoxycholic acid for primary sclerosing cholangitis. *Hepatology*. 2008; 48: 378A
52. Lunder AK, Hov JR, Borthne A, Gleditsch J, Johannesen G, Tveit K, Prevalence of Sclerosing Cholangitis Detected by Magnetic Resonance Cholangiography in Patients With Long-term Inflammatory Bowel Disease. *Gastroenterology*. 2016 Oct;151(4):660-669
53. Maggs JR, Chapman RW. An update on primary sclerosing cholangitis. *Curr Opin Gastroenterol* 2008;24:377–383.
54. van de Meeberg PC, Portincasa P, Wolfhagen FH, van Erpecum KJ, VanBerge-Henegouwen GP. Increased gall bladder volume in primary sclerosing cholangitis. *Gut* 1996;39:594–599.
55. Mekkes JR. *Huidziekten.nl. Zakboek dermatosen: Pruritis en prurigo*. Amsterdam; 2011.
56. Mekkes JR. *Huidziekten.nl. Zakboek dermatosen: Pruritis bij cholestase*. Amsterdam; 2013.
57. MELD-calculator; Organ Procurement and Transplantation Network.
58. Mieli-Vergani G, Vergani D, Baumann U, Czubkowski P, Debray D, Dezafofi A, Diagnosis and Management of Paediatric Autoimmune Liver Disease: ESPGHAN Hepatology Committee Position Statement.; *J Pediatr Gastroenterol Nutr*. 2017 Nov 3.
59. Mieli-Vergani G, Vergani D. Sclerosing Cholangitis in Children and Adolescents. *Clin Liver Dis*. 2016;20(1):99-111.
60. van Milligen de Wit, A.W., Rauws, E.A., van Bracht, J., Mulder, C.J., Jones, E.A., Tytgat, G.N. et al. Lack of complications following short-term stent therapy for extrahepatic bile duct strictures in primary sclerosing cholangitis. *Gastrointest Endosc*. 1997; 46
61. Mitchell, S.A., Bansi, D.S., Hunt, N., Von Bergmann, K., Fleming, K.A., and Chapman, R.W. A preliminary trial of high-dose ursodeoxycholic acid in primary sclerosing cholangitis. *Gastroenterology*. 2001; 121: 900907
62. Navaneethan U. Diagnosis of cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis: finding a needle in a haystack. *Endoscopy* 2016; 48(05): 417-418
63. O'Brien, C.B., Senior, J.R., Arora-Mirchandani, R., Batta, A.K., and Salen, G. Ursodeoxycholic acid for the treatment of primary sclerosing cholangitis: a 30-month pilot study. *Hepatology*. 1991; 14: 838847

64. Oliveira HM, Pereira C, Santos-Silva E, Pinto-Basto J, Vizcaíno JR, Pessegueiro-Miranda H; A New Mutation Causing Progressive Familial Intrahepatic Cholestasis Type 3 in Association with Autoimmune Hepatitis. *European Journal of Case Reports in Internal Medicine*
65. Olsson, R., Boberg, K.M., de Muckadell, O.S., Lindgren, S., Hultcrantz, R., Folvik, G. et al. High-dose ursodeoxycholic acid in primary sclerosing cholangitis: a 5-year multicenter, randomized, controlled study. *Gastroenterology*. 2005; 129: 1464-1472
66. Pardi, D.S., Loftus, E.V. Jr., Kremers, W.K., Keach, J., and Lindor, K.D. Ursodeoxycholic acid as a chemopreventive agent in patients with ulcerative colitis and primary sclerosing cholangitis. *Gastroenterology*. 2003; 124: 889-893
67. Parsi MA; Common controversies in management of biliary strictures; *World J Gastroenterol*. 2017 Feb 21; 23(7): 1119–1124.
68. Ponsioen CY, Arnelo U, Bergquist A, Rauws EA, Paulsen V, Cantu P, No Superiority of Stents vs Balloon Dilatation for Dominant Strictures in Patients With Primary Sclerosing Cholangitis. *GASTROENTEROLOGY* 2018;155 (3):752-759.e5
69. Ponsioen CY. Incidence and prevalence of primary sclerosing cholangitis around the world. In: U.Leuschner, U.Broome, A.Stiehl, eds. *Cholestatic liver diseases - therapeutic options and perspectives*. Lancaster UK: Springer; 2004;219-24.
70. Protocol indicatiestelling en selectie voor levertransplantatie bij volwassenen en kinderen in Nederland. Nederlandse transplantatie vereniging. Haarlem; mei 2010.
71. Rademaker AAEM, Benninga MA, Beuers UHW, Plötz FB. Een kind met primaire scleroserende cholangitis. *Ned Tijdschrift Geneeskd*. 2015;159: A8312.
72. Richtlijn acuut leverfalen. Nederlandse internisten vereniging. Utrecht; 2010.
73. Richtlijn onderzoek en behandeling van galstenen; Nederlandse Vereniging voor Heelkunde 2016.
74. Richtlijn pancreascarcinoom. Oncoline. Integraal Kankercentrum Nederland. Utrecht; 2012.
75. Rosen CB, Heimbach JK, Gores GJ. Liver transplantation for cholangiocarcinoma. *Transpl Int* 2010; 23: 692-697

76. Rudolph, G., Kloeters-Plachky, P., Rost, D., and Stiehl, A. The incidence of cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis after long-time treatment with ursodeoxycholic acid. *Eur J Gastroenterol Hepatol.* 2007; 19: 487491
77. Said K, Glaumann H, Bergquist A. Gallbladder disease in patients with primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol* 2008;48:598–605.
78. Schaafsma F, Hulshof C, Verbeek J, Bos J, Dyserinck H, van Dijk F. Developing search strategies in Medline on the occupational origin of diseases. (Etiologie van beroepsgebonden aandoeningen) *Amer J Ind Med* 2006;49:127-37.
79. Stiehl, A. Ursodeoxycholic acid therapy in treatment of primary sclerosing cholangitis. *Scand J Gastroenterol Suppl.* 1994; 204: 5961
80. Stiehl, A., Rudolph, G., Kloeters-Plachky, P., Sauer, P., and Walker, S. Development of dominant bile duct stenoses in patients with primary sclerosing cholangitis treated with ursodeoxycholic acid: outcome after endoscopic treatment. *J Hepatol.* 2002; 36
81. Stiehl, A., Rudolph, G., Sauer, P., Benz, C., Stremmel, W., Walker, S. et al. Efficacy of ursodeoxycholic acid treatment and endoscopic dilation of major duct stenoses in primary sclerosing cholangitis. An 8-year prospective study. *J Hepatol.* 1997; 26
82. Tischendorf JJ, Hecker H, Krüger M, Manns MP, Meier PN. Characterization, outcome, and prognosis in 273 patients with primary sclerosing cholangitis: A single center study. *Am J Gastroenterol.* 2007;102:107–114.
83. Tol JA, van Hooft JE, Timmer R, Kubben FJ, van der Harst E, de Hingh IH, Vleggaar FP, Molenaar IQ, Keulemans YC, Boerma D, et al. Metal or plastic stents for preoperative biliary drainage in resectable pancreatic cancer. *Gut.* 2016;65:1981–1987.
84. Trikudanathan G, Navaneethan U, Njei B et al. Diagnostic yield of bile duct brushings for cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis: a systematic review and meta-analysis. *Gastrointest Endosc* 2014; 79: 783-789
85. Tung, B.Y., Emond, M.J., Haggitt, R.C., Bronner, M.P., Kimmey, M.B., Kowdley, K.V. et al. Ursodiol use is associated with lower prevalence of colonic neoplasia in patients with ulcerative colitis and primary sclerosing cholangitis. *Ann Intern Med.* 2001; 134: 8995
86. Vajda I. Visiedocument Concentratie en organisatie van zorg bij zeldzame aandoeningen. VSOP 2015.
87. Varekamp I, Hulshof CTJ, van Dijk FJH, van Vliet C. EBM voor de bedrijfsarts: zoekstrategieën voor de internationale literatuur over moeilijk objectiveerbare aandoeningen. Werk gerelateerde aspecten van moeilijk objectiveerbare aandoeningen. *TBV* 2005;13:343-347.

88. de Vries AB, Janse M, Blokzijl H, Weersma RK. Distinctive inflammatory bowel disease phenotype in primary sclerosing cholangitis. *World J Gastroenterol*. 2015 Feb 14;21(6):1956-71.
89. VSOP. Visiedocument Concentratie en organisatie van zorg bij zeldzame aandoeningen. Soest; VSOP: 2015a.
90. VSOP. Zorgmodule Communicatie en voorlichting bij zeldzame aandoeningen. Soest; VSOP: 2014.
91. VSOP. Zorgmodule Psychosociale zorg bij zeldzame aandoeningen. Soest; VSOP: 2015b.
92. VSOP. Zorgmodule Zelfmanagement bij zeldzame aandoeningen. Soest; VSOP: 2012.
93. VSOP, NHG, PSC Patients Europe, huisartsenbrochure PSC.
94. Weismüller TJ, Trivedi PJ, Bergquist A, Imam M, Lenzen H, Ponsioen CY. Patient Age, Sex, and Inflammatory Bowel Disease Phenotype Associate With Course of Primary Sclerosing Cholangitis. *Gastroenterology*. 2017 Jun;152(8):1975-1984.
95. Wolf JM, Rybicki LA and Lashner BA;The impact of ursodeoxycholic acid on cancer, dysplasia and mortality in ulcerative colitis patients with primary sclerosing cholangitis. *Aliment Pharmacol Ther*. 2005; 22: 783788
96. Woodward J, Neuberger J. Autoimmune overlap syndromes. *Hepatology*. 2001; 33: 994-1002
97. Claessen MM, Vleggaar FP, Tytgat KM, Siersema PD, van Buuren HR. High lifetime risk of cancer in primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol*. 2009;50:158-64.
98. Bergquist A, Ekblom A, Olsson R, et al. Hepatic and extrahepatic malignancies in primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol*. 2002;36:321-7.
99. Ponsioen CY, Vrouenraets SM, Prawirodirdjo W, et al. Natural history of primary sclerosing cholangitis and prognostic value of cholangiography in a Dutch population. *Gut*. 2002;51:562-6.
100. Assis DN, Levy C. Editorial: environmental risk factors for PSC with and without IBD – the story unfolds; *Alimentary Pharmacology & Therapeutics*, June 2015. Volume 41. Issue 11, 1214-1216.
101. Loftus EV Jr, Sandborn WJ, Tremaine WJ, et al. Primary sclerosing cholangitis is associated with nonsmoking: a case-control study. *Gastroenterology* 1996; 110: 1496–502.

102. van Erpecum KJ, Smits SJ, van de Meeberg PC, et al. Risk of primary sclerosing cholangitis is associated with nonsmoking behavior. *Gastroenterology* 1996; 110: 1503–6.
103. Eaton JE, Juran BD, Atkinson EJ, et al. A comprehensive assessment of environmental exposures among 1000 North American patients with primary sclerosing cholangitis, with and without inflammatory bowel disease. *Aliment Pharmacol Ther* 2015; 41: 980–90.
104. Broome U, Olsson R, Loof L, Bodemar G, Hultcrantz R, Danielsson A, et al. Natural history and prognostic factors in 305 Swedish patients with primary sclerosing cholangitis. *Gut* 1996;38:610-615.
105. Burak K, Angulo P, Pasha TM, Egan K, Petz J, Lindor KD. Incidence and risk factors for cholangiocarcinoma in primary sclerosing cholangitis. *Am J Gastroenterol* 2004;99:523-526.
106. Claessen MM, Vleggaar FP, Tytgat KM, Siersema PD, van Buuren HR. High lifetime risk of cancer in primary sclerosing cholangitis. *J Hepatol* 2009;50:158-164.
107. Beuers U., Rauws E., ter Borg P., van Buuren H., Koek G. (2009) 10 Cholestatistische leverziekten. In: Janssen H., Drenth J., van Hoek B. (eds) *Leverziekten*. Bohn Stafleu van Loghum, Houten
108. Laborda TJ, Jensen MK, Kavan M, and Deneau M; Treatment of primary sclerosing cholangitis in children. *World J Hepatol*. 2019 Jan 27; 11(1): 19–36.
109. Weersma RK, Lindor KD; Shifting Paradigms: What Is the True Prevalence and Clinical Course of Primary Sclerosing Cholangitis? *Gastroenterology*. Volume 151, Issue 4, October 2016, Pages 590-593
110. van Rheenen PF, Aloi M, Biron IA, Carlsen K, Cooney R, Cucchiara S; European Crohn's and Colitis Organisation Topical Review on Transitional Care in Inflammatory Bowel Disease. *J Crohns Colitis*. 2017 Sep 1;11(9):1032-1038.
111. Escher JC; Transition from pediatric to adult health care in inflammatory bowel disease. *Dig Dis* 2009, 27: 382-386
112. Royal College of Nursing. *Transitiezorg voor adolescenten. Richtlijn voor verpleegkundigen*. London; RCN: 2008.

Belangrijke websites:

- [www.easl.eu/research/our-contributions/clinical-practice-guidelines](http://www.easl.eu/research/our-contributions/clinical-practice-guidelines)
- [www.esge.com/role-of-endoscopy-in-primary-sclerosing-cholangitis.html](http://www.esge.com/role-of-endoscopy-in-primary-sclerosing-cholangitis.html)
- [www.easl.eu/medias/cpg/issue2/English-report.pdf](http://www.easl.eu/medias/cpg/issue2/English-report.pdf)
- [www.aasld.org/sites/default/files/guideline\\_documents/PrimarySclerosingCholangitis2010.pdf](http://www.aasld.org/sites/default/files/guideline_documents/PrimarySclerosingCholangitis2010.pdf)
- <http://gi.org/wp-content/uploads/2015/05/Primary-Sclerosing-Cholangitis-May2015.pdf>
- <https://optn.transplant.hrsa.gov/resources/allocation-calculators/meld-calculator/>

CONCEPT



## Bijlagen

### Bijlage 1. Afkortingen en begrippenlijst

#### Afkortingen:

AASLD	American Association for the Study of Liver Diseases
ADEK	Betreft de vitamines A, D, E en K
AF	Alkalische Fosfatase
AIH	Auto-immuun hepatitis
ANA	Antinuclear Antibody
ASGE	American Society for Gastrointestinal Endoscopy
BC	behandelcentrum
CT	Computed Tomography
CCA	Cholangiocarcinoom
EASL	European Association for the Study of the Liver
ERN	European Reference Networks
ERC	Endoscopic Retrograde Cholangiography
ERCP	Endoscopic Retrograde Cholangiopancreatography
EC	Expertisecentrum
DEXA	Dual Energy X-ray Absorptiometry
GGT	Gamma Glutamyl Transferase
IBD	Inflammatory Bowel Disease
ICU	Intensive Care Unit
IZP	Individueel Zorgplan
KNMG	Koninklijke Nederlandse Maatschappij der Geneeskunst
LKM-1	Liver kidney microsomal type 1 antibody
MRC	Magnetic Resonance Cholangiography
MRCP	Magnetic Resonance Cholangiopancreatography
MRI	Magnetic Resonance Imaging
NLV	Nederlandse Leverpatiënten Vereniging
NorUDCA	Norursodeoxycholic acid
OZL	Onderwijsondersteuning Zieke Leerlingen
PBC	Primaire Biliaire Cholangitis
PGO	Persoonlijke Gezondheidsomgeving
PO	primair onderwijs
PSC	Primaire Scleroserende Cholangitis
PTBD	Percutaneous Transhepatic Biliary Drainage
RA	Regievoerend arts
RZ	regionaal ziekenhuis
STZ	Samenwerkende Topklinische Ziekenhuizen
UDCA	ursodeoxycholzuur (ursodeoxycholic acid)
VO	Voortgezet Onderwijs
WMO	Wet maatschappelijke Ondersteuning

**Begrippen:**

Asterixis	Het onvermogen om een vaste positie te behouden. Kan zichtbaar zijn als een plotseling tonusverlies van de hand- en polsspieren bij het uitstrekken van de armen. Ook wel “flapping tremor” genoemd.
Cholestase	galstuwning door vernauwing of afsluiting van de galgangen die de gal van de lever naar de darm voeren. De obstructie kan veroorzaakt worden door galstenen, een levertumor, galwegtumor of pancreastumor. Cholestase kan ook optreden als gevolg van een defect in de vorming van gal. In dat geval is er dus geen sprake van obstructie. Ook metabole of stapelingsziekten kunnen cholestase veroorzaken. Klinische kenmerken van galstuwning zijn vermoeidheid, jeuk en icterus (geelzien).
Dominante strictuur	een stenose (vernauwing) met een diameter van 1,5 mm in de gemeenschappelijke galgang, of een stenose met een diameter van 1 mm in de hepatische galgang.
Hoofdbehandelaar	De hoofdbehandelaar is een medisch specialist, (meestal) lid van het mono/multidisciplinair team en verantwoordelijk voor de tijdens het behandeltraject uitgevoerde verrichtingen die binnen het terrein zijn gelegen waarop de hoofdbehandelaar als specialist werkzaam is.
Icterus	“Geelzucht” is een gele verkleuring van de weefsels door ophoping van galkleurstoffen. Dit is meestal het best te zien aan het oogwit.
Kwaliteitsstandaard	Een kwaliteitsstandaard is een openbaar toegankelijk document dat goede zorg beschrijft voor een bepaald gezondheidsgerelateerd thema en beoogt een bijdrage te leveren aan verbetering en borging van de kwaliteit van zorg.
Regievoerend arts	De regievoerend arts (RA) is een medisch specialist, die op de hoogte is van de recente wetenschappelijke ontwikkelingen en behandelmethoden van PSC, de regie heeft over de totale (levenslange) multidisciplinaire zorg (inclusief follow-up) en het aanspreekpunt is voor de (ouders van de) patiënt betreffende zorginhoudelijke vragen.
Zelfmanagement	Zelfmanagement is het individuele vermogen van de mens met een chronische ziekte om goed om te gaan met symptomen, behandeling, lichamelijke en sociale consequenties en leefstijlaanpassingen inherent aan leven met een chronische ziekte.
Zorgcoördinator	De zorgcoördinator coördineert het zorgaanbod, geeft sturing zodat op het juiste moment de juiste zorg wordt geboden en bewaakt het zorgproces. De zorgcoördinator is het eerste aanspreekpunt voor de patiënt en zorgverleners. De zorgcoördinator is vaak een arts, maar kan ook een verpleegkundig specialist zijn die nauw contact met de regievoerend arts heeft

## Bijlage 2: Kwaliteitscriteria t.b.v. de nationale toetsing van expertisecentra voor zeldzame aandoeningen

Thema's	Kwaliteitscriteria t.b.v. de nationale toetsing van expertisecentra voor zeldzame aandoeningen
<b>I. Kwaliteit van zorg</b>	Het EC is - indien relevant voor de specifieke zeldzame aandoening - in staat tot het leveren van hoog gespecialiseerde complexe patiëntenzorg diagnostiek, behandeling en nazorg, follow up
	Het EC levert de zorg met een vaststaand multidisciplinair team.
	Het EC levert inbreng bij ontwikkeling van zorgstandaarden en richtlijnen en werkt mee aan de verspreiding hiervan, samen met vertegenwoordigers van betrokken patiëntenorganisaties
	Het EC coördineert het zorgaanbod binnen de gehele keten voor de specifieke aandoening.
	Binnen het EC is men op de hoogte van en draagt bij aan de meest recente (basaal) wetenschappelijke ontwikkelingen ten aanzien van de diagnostiek, causale en/of symptomatische behandeling en van secundaire en tertiaire preventieve maatregelen en/of van specifieke psychosociale begeleiding van de patiëntengroep.
	Het EC beschikt over een systematiek om de kwaliteit van de zorg te waarborgen.
<b>II. Transitie</b>	Het EC zorgt, waar nodig, voor waarborging van de continuïteit van de zorgverstrekking van kinderjaren, via adolescentie tot en gedurende volwassen leeftijd (transitiezorg)
<b>III. Continuïteit van EC</b>	Het EC draagt zorg voor de opleiding van c.q. de overdracht van kennis naar (nieuwe) experts van het MD-team.
	Het EC is erkend door de Raad van Bestuur.
	Het EC is bereid tot visitatie.
<b>IV. Samenwerking met andere partijen</b>	Het EC werkt, op basis van een samenwerkingsovereenkomst, met patiënten(organisatie(s) samen om de kwaliteit van zorg te verbeteren.
	Het EC werkt samen op het terrein van onderzoek en patiëntenzorg met andere expertisecentra in binnen- en buitenland.
<b>V. Informatie &amp; communicatie</b>	Het EC fungeert als informatieloket en vraagbaak voor zorgverleners, patiënten en hun naasten.
	Het EC draagt zorg voor voorlichting over de (cluster van) zeldzame aandoening(en) aan zorgprofessionals buiten het EC en andere beroepsbeoefenaars buiten de gezondheidszorg.
<b>VI. Onderzoek</b>	Het EC verricht (basaal) wetenschappelijk onderzoek op het gebied van de zeldzame aandoening en publiceert hierover.
	Het EC draagt zorg voor dataregistratie van patiënten met de desbetreffende aandoening.
<b>VII. Grensoverschrijdende gezondheidszorg</b>	Het EC coördineert en adviseert, indien nodig, grensoverschrijdende gezondheidszorg met aangewezen EC's in andere EU-landen, waarnaar patiënten of biologische monsters kunnen worden doorverwezen.

Tabel: Kwaliteitscriteria t.b.v. de nationale toetsing van expertisecentra voor zeldzame aandoeningen

## Bijlage 3: Verantwoording

### Autorisatie en onderhoudsplan

Autorisatie wordt aangevraagd bij de onderstaande wetenschappelijke verenigingen:

- Nederlandse Vereniging van Maag-Darm-Leverartsen (NVMDL)
- Nederlandse Internisten Vereniging (NIV);
- Nederlandse Vereniging voor radiologie (NVvR);
- Nederlandse Vereniging voor Heelkunde (NVvH);
- Nederlandse Vereniging voor Verzekeringsgeneeskunde (NVVG);
- Nederlandse Vereniging voor Arbeids- en bedrijfsartsen (nvab);
- Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK);
- Verpleegkundigen & Verzorgenden Nederland (V&VN)
- Nederlandse Leverpatiënten Vereniging (NLV);
- PSC patients Europe.

De Stichting PSC Patients Europe is als eigenaar verantwoordelijk voor het beheer en onderhoud van deze kwaliteitsstandaard. Hierbij is de actualiteit, toegankelijkheid en leesbaarheid van de kwaliteitsstandaard van belang. Bij oplevering van deze kwaliteitsstandaard is een onderhoudsgroep ingericht.

#### Samenstelling onderhoudsgroep

- Prof. dr. U. Beuers; Maag-, darm- en leverarts/ internist, hoofd Leverziekten van het Amsterdam UMC, locatie AMC – expertisecentrum Immuungemedieerde en genetische cholestatische en leverziekten.
- prof. Dr. Bart van Hoek; Maag-, darm- en leverarts LUMC
- Dr. Robert C. Verdonk, Maag-, darm- en leverarts St. Antonius ziekenhuis
- Mevrouw M. Kaatee, PSC Patients Europe
- Dr. L. de Lannoy, PSC Patients Europe

De onderhoudsgroep heeft de volgende taken:

- ondersteunen Stichting PSC Patients Europe bij de implementatie van de kwaliteitsstandaard
- Kwaliteitsstandaard actueel houden
- Kwaliteitsstandaard beoordelen op toegankelijkheid en leesbaarheid

De onderhoudsgroep houdt de kwaliteitsstandaard actueel door:

- Eén jaar na verschijning te controleren op actualiteit
- Twee jaar na verschijning te controleren op actualiteit, toegankelijkheid en leesbaarheid
- Na deze twee jaar periodiek te controleren op actualiteit, toegankelijkheid en leesbaarheid, met een frequentie die wordt bepaald door de onderhoudsgroep
- De samenstelling van de onderhoudsgroep wordt regelmatig gevalideerd

Deze beoordeling kan leiden tot een herzieningstraject, waarin inhoudelijke en tekstuele aanpassingen door de onderhoudsgroep worden gedaan. De kwaliteitsstandaard wordt vervolgens opnieuw voorgelegd voor autorisatie door de betrokken beroepsorganisaties.

De Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP) streeft ernaar om de generieke thema's actueel te houden.

### **Initiatief**

Initiatief: Stichting PSC Patients Europe en Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties

### **Financiering**

De ontwikkeling van de Kwaliteitsstandaard PSC werd gefinancierd door de Stichting Dioraphte in het kader van het project Perspectief van Zeldzaam – Perspectief voor Zeldzaam

### **Samenstelling werk- en adviesgroep**

Voor het ontwikkelen van de richtlijn zijn in 2015 een werk- en adviesgroep ingesteld. De adviesgroep bestond uit MDL-artsen die betrokken zijn bij de zorg voor patiënten met PSC. De leden van de werk- en adviesgroep zijn door hun beroepsvereniging gemandateerd voor deelname of namen deel op persoonlijke titel. Daarnaast maakt een vertegenwoordiger van de patiëntenorganisatie stichting PSC Patients Europe deel uit van de werkgroep.

De multidisciplinaire adviesgroep bestond uit vertegenwoordigers van de belangrijkste bij de zorg voor patiënten met PSC betrokken disciplines.

### **Belangenverklaringen**

De leden van de advies- en klankbordgroep hebben schriftelijk verklaard of ze in de laatste vijf jaar een (financieel ondersteunde) betrekking onderhielden met commerciële bedrijven, organisaties of instellingen die in verband staan met het onderwerp van de kwaliteitsstandaard. Tevens is navraag gedaan naar persoonlijke financiële belangen, belangen door persoonlijke relaties, belangen door middel van reputatiemanagement, belangen vanwege extern gefinancierd onderzoek en belangen door kennisvalorisatie.

### **Inbreng patiëntenperspectief**

In alle fasen van de ontwikkeling van de kwaliteitsstandaard is rekening gehouden met het perspectief van (ouders van) patiënten met PSC. De stichting PSC Patients Europe en de VSOP namen het initiatief voor deze kwaliteitsstandaard. Vertegenwoordigers van de patiëntenorganisatie waren lid van de werk- en adviesgroep en brachten het patiëntenperspectief in tijdens bijeenkomsten. Knelpunten vanuit patiëntenperspectief vormden – samen met knelpunten vanuit zorgverlenersperspectief – de basis van de kwaliteitsstandaard. Bij het literatuuronderzoek is specifiek gezocht naar publicaties over waarden en voorkeuren van patiënten. Het patiëntenperspectief is meegewogen bij de formulering van de uitgangsvragen en de aanbevelingen. De kwaliteitsstandaard is voor commentaar voorgelegd aan vertegenwoordigers van de stichting PSC Patients Europe.

### **Methode**

Evidence-based, expert opinion.

De aanbevelingen in deze kwaliteitsstandaard zijn gebaseerd op de wetenschappelijke literatuur, de praktijkkennis van zorgverleners en de voorkeuren en waarden van patiënten. Omdat PSC een

zeldzame aandoening is, is de evidentie op wetenschappelijke basis beperkt. Daarom is het oordeel van (ervarings-) deskundigen op het gebied van PSC zwaar meegewogen. Een brede vertegenwoordiging van zorgverleners en patiënten was nauw betrokken bij de ontwikkeling van deze kwaliteitsstandaard, waarbij gezocht is naar consensus over kennis en inzichten.

### **Implementatie**

In de verschillende fasen van de ontwikkeling van de kwaliteitsstandaard is rekening gehouden met de implementatie van de kwaliteitsstandaard en de praktische uitvoerbaarheid van de aanbevelingen. Daarbij is uitdrukkelijk gelet op factoren die de invoering van de kwaliteitsstandaard in de praktijk kunnen bevorderen of belemmeren.

De kwaliteitsstandaard wordt digitaal verspreid onder alle relevante beroepsgroepen. Ook is de kwaliteitsstandaard te downloaden vanaf [www.kwaliteitsstandaarden.nl](http://www.kwaliteitsstandaarden.nl).

### **Werkwijze**

De Kwaliteitsstandaard PSC is ontwikkeld aan de hand van de Leidraad voor Kwaliteitsstandaarden van de Advies- en expertgroep kwaliteitsstandaarden (AQUA; 2015). De werk- en adviesgroep werkte gedurende 3 jaar aan de totstandkoming van de kwaliteitsstandaard. De werk- en adviesgroep zijn verantwoordelijk voor de integrale tekst van deze kwaliteitsstandaard.

Het ontwikkeltraject van de kwaliteitsstandaard bestond uit een knelpuntanalyse, een systematische inventarisatie van bestaande richtlijnen, een literatuuronderzoek, werkgroepbijeenkomsten en diverse commentaarrondes onder de werk- en adviesgroep.

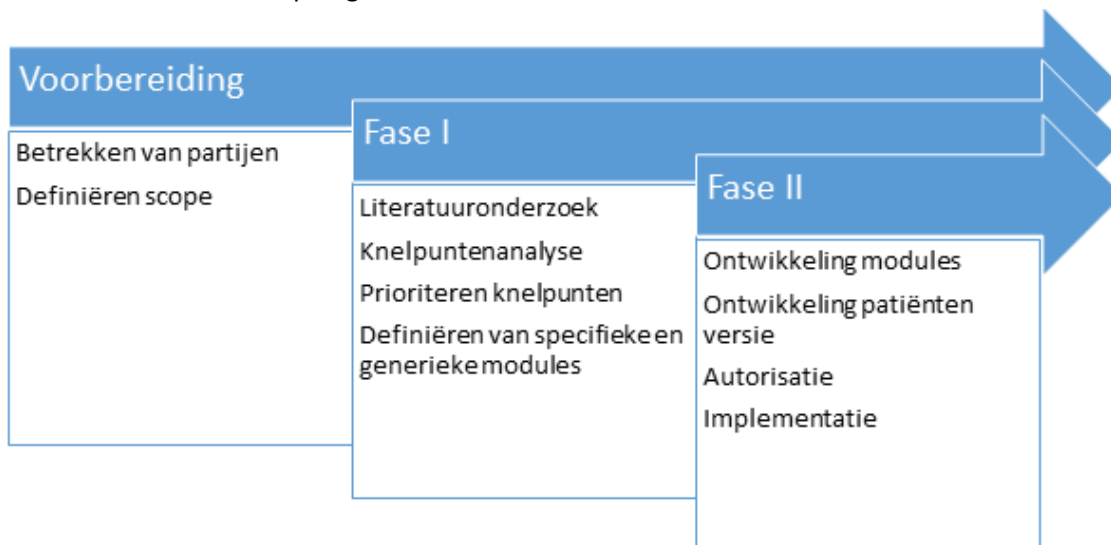
De knelpunten in de kwaliteit van de zorg voor patiënten met PSC werden geïnventariseerd onder de achterban van de stichting PSC Patients Europe en de zorgverleners in de werk- en adviesgroep. De geïnventariseerde knelpunten zijn vervolgens geprioriteerd door de achterban van de stichting PSC Patients Europe resp. de zorgverleners. Vervolgens zijn knelpunten vanuit zorgverlenersperspectief gekoppeld aan knelpunten vanuit patiëntenperspectief. Dit leverde een lijst van knelpunten op, die vervolgens zijn omgezet in uitgangsvragen, welke de basis vormen van de kwaliteitsstandaard. Vervolgens is een systematisch literatuuronderzoek uitgevoerd dat er op gericht was om relevante artikelen te identificeren voor de onderbouwing van de kwaliteitsstandaard.

Leden van de adviesgroep gingen op basis van de gevonden literatuur met elkaar in discussie en formuleerden de aanbevelingen. Deze aanbevelingen geven antwoord op de uitgangsvragen. De aanbevelingen zijn gebaseerd op de wetenschappelijke literatuur (voor zover deze voorhanden was), de praktijkkennis van zorgverleners en de voorkeuren en waarden van patiënten.

De uitgangsvragen en teksten zijn voorbereid door de werkgroep en voor commentaar voorgelegd aan de adviesgroep. Het commentaar van de adviesgroep is door de werkgroep verwerkt in de kwaliteitsstandaard.

Nadat de concept-kwaliteitsstandaard werd vastgesteld door de werkgroep, werd deze voorgelegd aan de betrokken beroepsorganisaties en de patiëntenorganisatie voor commentaar. De concept-kwaliteitsstandaard werd waar nodig door de werkgroep aangepast op basis van dit commentaar.

Daarna werd de kwaliteitsstandaard vastgesteld door de werkgroep en ter autorisatie voorgelegd aan de betrokken beroepsorganisaties.



### **Zoekverantwoording**

Als startpunt voor het literatuuronderzoek is gezocht naar bestaande (buitenlandse) richtlijnen in Medline (Pubmed) en in de databases van Guidelines International Network, Trip en National guideline clearinghouse (USA) en naar systematische reviews in Medline (Pubmed) en de Cochrane library. Vervolgens werd voor de afzonderlijke uitgangsvragen aan de hand van specifieke zoektermen gezocht naar gepubliceerde wetenschappelijke onderzoeken (RCT's, systematische reviews, vergelijkend en niet-vergelijkend observationeel onderzoek) in verschillende elektronische databases (Medline, Embase, Cinahl). Daarnaast leverden de leden van de advies- en klankbordgroep relevante publicaties aan en werden artikelen geëxtraheerd uit referentielijsten van de geselecteerde artikelen. De gebruikte trefwoorden van de zoekacties in PubMed zijn vermeld in de zoekstrategie hieronder.

Datum	Zoektermen PubMed	Aantal artikelen
10-01-2018	Primary sclerosing cholangitis	6110
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND ("2008/01/14"[PDat] : "2018/01/10"[PDat])	
	Filter: Laatste 10 jaar	2720
	Onderstaande zoektermen werden steeds gecombineerd met bovenstaande zoektermen voor	
	Follow-up	419
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND follow-up[All Fields] AND ("2008/01/14"[PDat] : "2018/01/10"[PDat])	
	Organisatie van zorg	
	guideline	
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND ("guideline"[Publication Type] OR "guidelines as topic"[MeSH Terms] OR "guideline"[All Fields]) AND ("2008/01/14"[PDat] : "2018/01/10"[PDat])	
	"Organization and Administration"[Mesh]	
	Patiëntenperspectief	
	Complicaties	
27-03-2018	ERCP versus MRCP	
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND (("cholangiopancreatography, endoscopic retrograde"[MeSH Terms] OR "cholangiopancreatography"[All Fields] AND "endoscopic"[All Fields])	5



	AND "retrograde"[All Fields]) OR "endoscopic retrograde cholangiopancreatography"[All Fields] OR "ercp"[All Fields]) AND versus[All Fields] AND mrcp[All Fields])	
27-03-2018	Role of ursodeoxycholic acid	29
	("role"[MeSH Terms] OR "role"[All Fields]) AND ("ursodeoxycholic acid"[MeSH Terms] OR ("ursodeoxycholic"[All Fields] AND "acid"[All Fields]) OR "ursodeoxycholic acid"[All Fields]) AND ("therapy"[Subheading] OR "therapy"[All Fields] OR "therapeutics"[MeSH Terms] OR "therapeutics"[All Fields]) AND PSC[All Fields]	
2-04-2018	Psychological support	6
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND (psychological[All Fields] AND support[All Fields])	
	Dual X-ray absorptiometry	4
	("cholangitis, sclerosing"[MeSH Terms] OR ("cholangitis"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields]) OR "sclerosing cholangitis"[All Fields] OR ("primary"[All Fields] AND "sclerosing"[All Fields] AND "cholangitis"[All Fields]) OR "primary sclerosing cholangitis"[All Fields]) AND ("absorptiometry, photon"[MeSH Terms] OR ("absorptiometry"[All Fields] AND "photon"[All Fields]) OR "photon absorptiometry"[All Fields] OR "dual x ray absorptiometry"[All Fields])	

Op basis van op voorhand opgestelde selectiecriteria werd een selectie gemaakt uit de gevonden artikelen. De selectiecriteria waren:

- Artikelen gepubliceerd tussen 2008 en 2018 zodat alleen de meest recente literatuur wordt gebruikt
- Artikelen gepubliceerd in het Engels of Nederlands
- Artikelen die patiënten met PSC betroffen
- Artikelen die relevant waren voor de uitgangsvraag

De geselecteerde artikelen werden gebruikt om de uitgangsvraag te beantwoorden.

**Werkgroep kwaliteitsstandaard PSC**

- Prof. dr. U. Beuers; Maag-, darm- en leverarts/ internist, hoofd Leverziekten van het Amsterdam UMC, locatie AMC – expertisecentrum Immungemedieerde en genetische cholestatische en leverziekten.
- Dr. Henk R. van Buuren; Maag-, darm- en leverarts Erasmus MC
- Prof. Dr. Bart van Hoek; Maag-, darm- en leverarts LUMC
- Dr. Robert C. Verdonk, Maag-, darm- en leverarts St. Antonius ziekenhuis
- Mevrouw M. Kaatee, PSC Patients Europe
- Dr. L. de Lannoy, PSC Patients Europe
- Drs. R. van Tuyll, MD, beleidsmedewerker VSOP, projectleider.

**Adviesgroep kwaliteitsstandaard PSC:**

- Wouden, dr. E.J. van der; MDL-arts, Isala Zwolle
- Nederlandse Internisten Vereniging (NIV); de heer dr. J.A. Otte, internist, ZorgSaam Terneuzen
- Nederlandse Vereniging voor radiologie (NVvR); de heer F.E.J.A. Willemsen, radioloog Erasmus MC
- Nederlandse Vereniging voor Heelkunde (NVvH); de heer Prof. Dr. J.M. Klaase, Hepatobiliair chirurg, UMCG
- Nederlandse Vereniging voor Verzekeringsgeneeskunde (NVVG); de heer drs. T.B.M. Hoofs.
- Nederlandse Vereniging voor Arbeids- en bedrijfsartsen (nvab); drs. M. van Sliedrecht, bedrijfsarts
- Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK); mevrouw dr. B.A.E. de Koning, kinder-MDL-arts, Erasmus MC
- Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde (NVK); de heer dr. P.F. van Rheenen, kinder-MDL-arts, UMCG
- Mevrouw J.T. Helder, verpleegkundig specialist Hepatologie, Amsterdam UMC, locatie AMC

**Patiëntenperspectief:**

- Nederlandse Leverpatiënten Vereniging (NLV); mevrouw J. Willemse
- PSC patients Europe: mevrouw A. Broersen
- PSC patients Europe: mevrouw M. Kaatee
- PSC patients Europe: mevrouw L. de Lannoy
- PSC patients Europe: de heer M. de Waal

## Individueel zorgplan PSC

*Neem dit zorgplan mee naar elk bezoek aan uw zorgverleners*

Dit individueel zorgplan (IZP) is ingevuld op: .....

Dit individueel zorgplan is ingevuld door:.....

### **Waarom een individueel zorgplan?**

U hebt de zeldzame aandoening PSC. Uw huisarts, mdl-arts en andere zorgverleners behandelen u daarvoor. Misschien met medicijnen of met andere therapie. Toch bent u ook zelf verantwoordelijk voor uw gezondheid. Het is belangrijk dat u in uw dagelijks leven zoveel mogelijk doet om uw ziekte onder controle te houden. Het individueel zorgplan helpt u daarbij. In dit zorgplan schrijft u de afspraken op die u maakt met uw zorgverleners.

### **Leeswijzer**

In Deel 1 van dit document vindt u tips qua voorbereiding op uw Individueel zorgplan en adviezen ten aanzien van wat u kunt bespreken met uw zorgverlener.

Deel 2 bevat een persoonlijk Individueel zorgplan wat u zelf in kunt vullen.

### **Deel 1 - Tips en adviezen**

*Stappen om zelf uw aandoening onder controle te houden.*

#### **Stap 1: De voorbereiding**

Hoe bereidt u zich voor op een (eerste) gesprek met uw zorgverlener?

Tips:

- Lees thuis alvast dit zorgplan. Heeft u vragen? Schrijf die dan op. De onderwerpen bij stap 2 kunnen u daarbij helpen.
- Bedenk of u al een plan heeft voor wat u zelf zou willen/kunnen doen. Schrijf het op.

#### **Medicatie:**

- **Welke medicijnen gebruikt u?**  
Vraag uw apotheker om een overzicht van alle medicijnen die u gebruikt.  
Bewaar het overzicht bij dit zorgplan.
- **Heeft u last van bijwerkingen?**  
Schrijf dat dan op in dit zorgplan.
- **Heeft u vragen over uw medicijnen?**  
Schrijf die dan op in dit zorgplan.

**Heeft u vragen over uw leefgewoonten en eventuele problemen?**

Schrijf die dan op in dit zorgplan.

#### **Stap 2: U bespreekt met uw zorgverlener hoe het met u gaat.**

- Wat gaat goed en wat gaat minder goed? Bedenk niet alleen hoe het lichamenlijk met u gaat, ook aan hoe het geestelijk met u gaat of in uw relatie.
- Wat kunt u wel doen en wat niet? Lukt het u de afspraken, die u gemaakt heeft met uw zorgverlener, na te komen? En wat betekent dat voor u?
- Wat kan er beter?
- Bespreek uw vragen, die u heeft opgeschreven tijdens uw voorbereiding.

#### **Bespreek eventuele klachten en (nieuwe) problemen.**

- Als u al langere tijd PSC heeft, kunt u nieuwe problemen krijgen.
- Uw zorgverleners houden uw gezondheid in de gaten door een aantal zaken te meten. Vraag hiernaar.
- Heeft u een grotere kans op complicaties?

#### **U bepaalt wat u moet doen om de kans op nieuwe problemen te verkleinen.**

- Bespreek met uw zorgverlener van welke (nieuwe) problemen u de meeste hinder ondervindt.
- Met uw zorgverlener bespreekt u vervolgens wat u kunt doen om zo goed mogelijk met de nieuwe problemen om te kunnen gaan. Maak notities hierbij voor het zorgplan wat u straks gaat opstellen.
- Ook spreekt u af wanneer u hierover weer verder praat met uw zorgverlener.

#### **U kijkt terug op wat u heeft gedaan.**

- Als u uw zorgverlener weer spreekt, kijkt u samen terug op wat u heeft gedaan.
- Wat was u van plan? Hoe goed is dit gelukt?
- Zo zorgt u er samen met uw zorgverlener voor dat u zoveel mogelijk zelf doet om uw ziekte onder controle te houden.

### **Stap 3: Individueel zorgplan (IZP)**

U heeft met uw zorgverlener besproken welke klachten de meeste problemen geven. Het is belangrijk dat u zelf probeert daarin zoveel mogelijk te verbeteren. Bij deze stap maakt u eventueel samen met partner/mantelzorger, huisarts, gespecialiseerd verpleegkundige of regievoerend arts daarvoor een plan. Dit doet u mede op basis van uw aantekeningen tijdens uw gesprek met uw zorgverlener.

#### **Uw persoonlijke doel**

Als u een plan maakt, probeert u ook antwoord te geven op de volgende vraag:  
Ik wil graag ...?

Wat in te vullen? Als antwoord kunt u bijvoorbeeld denken aan:

- werkomstandigheden optimaal maken
- hobby's kunnen uitvoeren
- minder medicijnen

- met partner, kinderen, kleinkinderen actief zijn
- een mooie reis maken

Maak het uzelf niet te moeilijk. Er zijn geen goede of foute antwoorden, het gaat erom dat u opschrijft wat u belangrijk vindt. Wat u graag wilt bereiken, noemen we uw persoonlijke doel. Het plan dat u met uw zorgverlener maakt, helpt u om dat doel steeds een stap dichterbij te brengen.

### Tips bij het maken van een plan

*Bespreek met uw zorgverlener wat een haalbaar plan is*

- Maak het niet te moeilijk voor u zelf.
- Schrijf op waarom u dit plan wilt uitvoeren.
- Maak uw plan concreet. 'Elke dag een kwartier wandelen' is duidelijker dan 'meer bewegen'.
- Maak een plan dat niet te lang duurt. Maak liever een plan voor een maand dan voor een half jaar.
- Wat u van plan bent, moet passen bij uw dagelijks leven. Als u lange werkdagen heeft, is het lastig om daarnaast ook nog een half uur per dag naar de sportschool te gaan. Misschien kunt u wel op de fiets naar uw werk?
- Bedenk wat u doet op moeilijke momenten. Is er iemand die u kan helpen?

### Aan de slag

Ga nu aan de slag met uw plan. Dat kan soms best lastig zijn. Het is normaal als het even niet lukt om uw plan vol te houden. Geef niet zomaar op. Gun uzelf de tijd.

### Tips om het vol te houden

Vraag steun of advies. Bijvoorbeeld aan:

- Uw zorgverleners.
- Mensen in uw omgeving, bijvoorbeeld uw partner, familie, vrienden of collega's.
- Andere patiënten met PSC.
- Beloon uzelf. Geef uzelf af en toe een bloemetje of een klein cadeautje. Bijvoorbeeld als u na een moeilijke dag toch weer uw plan volhoudt.
- Denk aan het persoonlijke doel dat u invulde. Ook dat kan u motiveren om het vol te houden.

<b>Datum</b>	
<b>Persoonlijk doel</b>	
<b>Plan om doel te bereiken</b>	
<b>Wanneer doel te bereiken?</b>	
<b>Wie kan helpen?</b>	
<b>Evaluatie; is het doel bereikt? Wat ging goed, wat kan beter?</b>	

**Informatie van belang voor zorg- en hulpverleners** bij de zorg voor kinderen/volwassenen met PSC:

Belangrijke individueel gerichte informatie over

**Naam:** .....

.....

.....

.....

.....

CONCEPT

### Persoonlijke gegevens

Naam zorgvrager	
Man/Vrouw	
Geboortedatum	
Adres	
Telefoonnummer	
E-mailadres	
Gezinssamenstelling	
In geval van nood waarschuwen	
1. Naam: Relatie: Telefoon:	
2. Naam Relatie: Telefoon:	
3. Naam Relatie: Telefoon:	
Verzekeringsmaatschappij	
Verzekeringsnummer	

### Mijn zorgverleners

Bij medisch inhoudelijke vragen of behoefte aan medisch advies neem ik contact op met mijn <b>regiovoerend arts:</b>	
Naam	
Functie	
Telefoonnummer	
Wanneer bereikbaar	

<b>Huisarts</b>	
Naam	
Telefoonnummer	
Wanneer bereikbaar	

<b>Andere zorgverlener</b>	
----------------------------	--

Naam	
Functie	
Telefoonnummer	
Wanneer bereikbaar	

<b>Andere zorgverlener</b>	
Naam	
Functie	
Telefoonnummer	
Wanneer bereikbaar	

<b>Andere zorgverlener</b>	
Naam	
Functie	
Telefoonnummer	
Wanneer bereikbaar	

#### *Medische gegevens*

Bloedgroep	<ul style="list-style-type: none"> <li>• A</li> <li>• B</li> <li>• AB</li> <li>• O</li> </ul>
Allergieën	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Antibiotica:</li> <li>• Medicijnen:</li> <li>• Voeding <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Lactose:</li> <li>○ Gluten:</li> <li>○ andere:</li> </ul> </li> <li>• Overig:</li> </ul>
Algemeen	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Vermoeidheid:</li> <li>• Gevoel van malaise:</li> <li>• Jeuk:</li> <li>• Koorts:</li> </ul>
Gastro-intestinaal	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Voedingsproblemen:</li> <li>• Buikpijn:</li> <li>• Misselijk:</li> <li>• Icterus (geelzucht):</li> <li>• Voedingsintolerantie/allergie (zie hierboven):</li> <li>• Defecatieproblemen:</li> <li>• Inflammatoire darmziekte (IBD): ja/nee</li> <li>• Hepatomegalie:</li> <li>• Splenomegalie:</li> <li>• Leverstigmata:</li> </ul>



	<ul style="list-style-type: none"> <li>- spider naevi:</li> <li>- erythema palmare:</li> <li>- gynaecomastie:</li> <li>- testisatrofie:</li> <li>- ascites:</li> </ul>
Psychosociaal	•
Urogenitaal	•
Cardiaal	•
Neurologisch	•
Bindweefsel- en bewegingsapparaat	•

#### *Behandelplan en doelen*

Behandeling	Doel	Periode (en evaluatie)	Zelfmanagement

#### *Correspondentie tussen ouders en regievoerend arts*

*Zelfmanagement: Scan verslagen en brieven*

Datum	Kernboodschap	Zelfmanagement

#### *Mondelinge afspraken*

Datum	Met wie	Afspraak	Zelfmanagement

#### *Medicatieoverzicht*

Naam medicijn	Waarom gebruiken	Dosering	Wanneer en hoe innemen	Waar op letten	Eventuele bijwerkingen

*Vragen aan de regievoerend arts*

Datum	Wat wil ik bespreken?

*Verslag van consult met de regievoerend arts*

Datum	Wat heb ik besproken?

*Vragen aan overige zorgverleners*

Datum	aan wie?	Wat wil ik bespreken?

*Verslag van consulten met overige zorgverleners*

Datum	met wie?	Wat heb ik besproken?

*Overzicht consulten*

Datum	Tijd	Bij wie	Bijzonderheden

*Overzicht van scans van brieven en verslagen*

*Zelfmanagement: Scan verslagen en brieven*

Datum	Van	Aan	Bijzonderheden

*Checklist voor jongere en zorgverlener om te kijken of de transitie goed kan plaatsvinden:*

Leeftijd	patiënt	Medisch team
11-13 jaar	<input type="checkbox"/> Kan aandoening omschrijven <input type="checkbox"/> Weet de namen van medicijnen, de dosering en de bijwerkingen	<input type="checkbox"/> Introduceert het idee om in de nabije toekomst ook zonder ouders op consult te komen.

	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Weet hoe de medicatie in te nemen</li> <li><input type="checkbox"/> Kan temperatuur bij zichzelf opnemen</li> <li><input type="checkbox"/> Kan omschrijven wat de invloed van de PSC en de eventuele IBD is op school en dagelijks leven</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Vraag ouders om een deel van het consult in de wachtkamer te verblijven</li> <li><input type="checkbox"/> Anticiperende begeleiding t.a.v. zaken als fitness, seksualiteit, middelengebruik</li> <li><input type="checkbox"/></li> </ul>
14-16 jaar	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Kan het medische team benoemen</li> <li><input type="checkbox"/> Kent de namen van de onderzoeken en procedures die hij/zij ondergaat en ook de reden waarom</li> <li><input type="checkbox"/> Kent zijn of haar medische voorgeschiedenis</li> <li><input type="checkbox"/> Kent de namen van de ondersteunende patiëntenorganisaties voor PSC en zo nodig ook voor IBD</li> <li><input type="checkbox"/> Begrijpt de eventuele risico's bij slechte therapietrouw</li> <li><input type="checkbox"/> Begrijpt de invloed van het gebruik van alcohol en middelen op de aandoening PSC/IBD</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Regisseert alle vragen en geeft alle nodige uitleg aan patiënt</li> <li><input type="checkbox"/> Vraagt aan patiënt zelf de input t.a.v. vragen</li> <li><input type="checkbox"/> Legt aan familie uit het belang van het zelfmanagement van de jongere</li> <li><input type="checkbox"/> Maakt aan jongere duidelijk welke informatie wel/niet aan ouders moet worden bekendgemaakt</li> <li><input type="checkbox"/> Bepaalt in samenspraak wanneer de jongere de ouders wel/niet in de kamer erbij wil hebben</li> <li><input type="checkbox"/> Brengt het gesprek op gang over wanneer de transitie plaats gaat vinden</li> <li><input type="checkbox"/> Bespreekt met de jongere de ideeën en plannen die jongere heeft na school (onderwijs, werk, sociaal)</li> <li><input type="checkbox"/> Legt aan patiënt uit hoe deze toegang krijgt tot medische gegevens</li> <li><input type="checkbox"/> Geeft instructies aan patiënt hoe deze medische gegevens bij zich draagt (in bijvoorbeeld portemonnee, rugzak)</li> <li><input type="checkbox"/> Geeft instructies aan de jongere hoe deze de recepten op tijd krijgt voorgeschreven, en hoe de jongere goed zijn afspraken kan bijhouden</li> </ul>
17-19 jaar	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Weet hoe en waar info te vinden en te verkrijgen is over PSC en evt IBD</li> <li><input type="checkbox"/> Laat zien dat hij/zij zelf afspraken met zorgverleners kan maken, recepten kan aanvragen en zorgverleners kan contacten</li> <li><input type="checkbox"/> Weet eigen zorgverzekering te benoemen</li> <li><input type="checkbox"/> Draagt gegevens van de zorgverzekering bij zicht</li> <li><input type="checkbox"/> Gezamenlijke afspraak met zowel kindzorgverlener als volwassen zorgverlener vindt plaats</li> <li><input type="checkbox"/> Afspraak met volwassenen zorgverleners is gemaakt</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li><input type="checkbox"/> Eventuele hindernissen ten aanzien van de transitie worden besproken</li> <li><input type="checkbox"/> De volwassenenzorgverleners zijn bekend en worden geïntroduceerd. Een gezamenlijk consult van kindzorgverlener en volwassenen zorgverlener vindt plaats</li> <li><input type="checkbox"/> Benoemt dat de jongere op 18 jarige leeftijd zijn eigen beslissingen kan nemen</li> <li><input type="checkbox"/> Voorziet de jongere van een medisch dossier en eventuele checklist/ vult met jongere IZP in</li> <li><input type="checkbox"/> Zorgverleners uit de kindzorg zorgen voor een goede overdracht naar de zorgverleners in de volwassenenzorg</li> </ul>

## Colofon

Deze kwaliteitstandaard is een uitgave van:

PSC Patients Europe (PSPPE)

PSC Patients Europe (PSCPE) was founded in November 2014, as a 'new style' patient organisation: a pan-European disease-specific foundation, often complementary to the already existing national Patient Organisations (PO's), which are frequently organ-based PO's (e.g. liver foundations, liver patient associations etc.).

E-mail [info@pscpatientseurope.org](mailto:info@pscpatientseurope.org)

Website [www.pscpatientseurope.org](http://www.pscpatientseurope.org)

Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisatie (VSOP)

Koninginnelaan 23

7632 DA Soest

Telefoon 035 – 603 40 40

E-mail [vsop@vsop.nl](mailto:vsop@vsop.nl)

Website [www.vsop.nl](http://www.vsop.nl)

De kwaliteitsstandaard werd mogelijk gemaakt door een financiële bijdrage van het Innovatie Fonds Zorgverzekeraars in het kader van het project 'Zorg voor Zeldzaam'.

Niets uit deze uitgave mag worden vermenigvuldigd en/of openbaar gemaakt worden door middel van druk, microfilm of op een andere wijze zonder voorafgaande schriftelijke toestemming.

© PSC Patients Europe, Soest, 2019