

## Beste lezer,

**Nu de zomervakantie weer ten einde loopt gaan we met grote passen op weg naar het FOP Symposium op zaterdag 7 oktober in Haarlem.**

Het belooft ook dit jaar weer een mooie bijeenkomst te worden, al moest ik persoonlijk als vicevoorzitter van het bestuur wel even slikken toen ik me realiseerde hoeveel

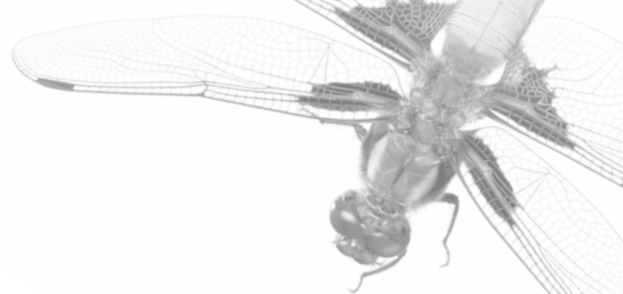
werk onze voormalige voorzitter Elinor verzette om dit allemaal in goede banen te leiden. Maar we zijn druk bezig om er ook dit jaar weer een mooie bijeenkomst van te maken waar we uiteraard zoveel mogelijk van de Nederlandse en Belgische mensen met FOP, hun familieleden, artsen en alle overige geïnteresseerden hopen te ontmoeten. In deze nieuwsbrief lezen jullie alvast een vooruitblik.

Na het vertrek van Elinor als voorzitter zijn we uiteraard druk bezig geweest met de zoektocht naar een nieuwe voorzitter. Maar tot dat moment willen we ook de tijd goed benutten door te inventariseren wat er momenteel goed en minder goed gaat wat de stichting betreft. Dit werd in de vorige nieuwsbrief al door Kees Kleingeld beschreven als 'door de modder rollen'. Samen met Kees heb ik online inmiddels de meeste families mogen spreken en dit heeft een mooi beeld opgeleverd van wat er leeft. In deze nieuwsbrief vertellen we al iets over dit proces, tijdens het symposium zullen we de eerste uitkomsten hiervan presenteren.



Verder houden we jullie in deze nieuwsbrief ook op de hoogte van bijzondere ontwikkelingen, zowel binnen onze eigen groep als internationaal. Elinor is bij de bijeenkomst geweest van FOP Germany en heeft daar ook over mondzorg bij mensen met FOP gesproken. We laten daarnaast Luc aan het woord over zijn werkplek en ook is er nieuws op het gebied van medicatie voor FOP: Palovarotene is namelijk in de Verenigde Staten toegelaten op de medicijnmarkt. Toch zijn hier nog de nodige vraagtekens bij te plaatsen. Ik heb hierover gesproken met een journalist van StatNews en een korte samenvatting van dit artikel is te lezen in deze nieuwsbrief. En tot slot, voor wie zich afvraagt wie ervoor zorgt dat onder meer deze nieuwsbrief weer netjes bij jullie terecht komt, stellen onze administratieve duizendpoten Karin en Frida zich voor. Ik wens jullie veel leesplezier toe en hoop velen van jullie persoonlijk te ontmoeten op 7 oktober bij het symposium.

Saskia Blonk  
Vicevoorzitter FOP Stichting Nederland



## Programma FOP Symposium

**Op 7 oktober aanstaande is het zover! Dan vindt het jaarlijkse FOP Symposium plaats. De uitnodigingen zijn verstuurd en inmiddels is ook het programma bekend. Hierbij krijgen jullie alvast een voorproefje. We hopen jullie allemaal daar te zien!**

We worden dit jaar weer gastvrij ontvangen bij het Van der Valk hotel in Haarlem, waar de FOP-families de mogelijkheid hebben om te overnachten. Net als andere jaren begint het programma voor de families al de dag voorafgaand aan het symposium, op 6 oktober.

### Vrijdag 6 oktober

Op vrijdagmiddag wordt er een besloten STOPFOP-board meeting georganiseerd door Marelise Eekhoff en Ruben de Ruiter. Vervolgens vindt er een gezellige borrel plaats terwijl de FOP-families arriveren. Als iedereen compleet is mogen we aanschuiven voor een welkomstdiner.

### Zaterdag 7 oktober

De volgende ochtend wacht ons een informatief programma. Vanaf 09.00 uur kan men binnenlopen en om 9.30 zal vicevoorzitter Saskia Blonk met een welkomstwoordje het symposium openen. Gedurende de ochtend staan een aantal interessante presentaties op de planning. Onder andere Marelise Eekhoff en haar onderzoeksteam

komen aan het woord, Ruben de Ruiter geeft ons een update over het IVY-project en Coen Netelenbos gaat met alle aanwezigen in gesprek over alle lopende wetenschappelijke onderzoeken. Natuurlijk staat er ook weer een overheerlijk lunchbuffet op de planning, en er is rekening gehouden met de nodige koffiepauzes.

Na de lunch staan er verschillende presentaties op het programma. Carlos Kramer komt vertellen over de Vicair kussens, Saskia Blonk en Kees Kleingeld presenteren de uitkomsten van hun gesprekken met de FOP-families over de toekomst van de FOP Stichting en Hope Newport van IFOPA geeft een preview van de Family Gathering in november. Aan het eind van de middag staan er twee workshops gepland, welke worden georganiseerd door Kees Kleingeld en Hope Newport. We sluiten de dag af met een borrel en een diner voor de FOP-families en genodigden.

### Zondag 8 oktober

Afhankelijk van welke artsen er definitief aanwezig zullen zijn, zullen er op zondag 8 oktober weer medische consulten voor de FOP-families plaatsvinden. De families kunnen dan vragen aan de artsen stellen die specifiek betrekking hebben op hun situatie. De aanwezige families krijgen tijdig bericht over de mogelijkheid om een consult in te plannen.

## Rondje langs de velden

**In het voorjaar ontstond het plan om in gesprek te gaan met de bij FOP Stichting Nederland aangesloten personen met FOP en hun directe familie.**

De aanleiding hiervoor was het gesprek dat Kees Kleingeld had met PGO-support over de zoektocht naar een nieuwe voorzitter voor de stichting, waarbij hij de tip kreeg om de tussenliggende periode juist te benutten om duidelijk te krijgen hoe de direct betrokkenen de rol van de stichting ervaren en wat hun verwachtingen zijn. Op die manier kunnen we de richting en koers van onze patiëntenorganisatie beter bepalen, waardoor we



mogelijk ook een scherper profiel krijgen voor de beoogde nieuwe voorzitter.

De interviews werden afgenomen door Kees Kleingeld en mijzelf. Vooraf hadden we de intentie om ook daadwerkelijk bij iedereen langs te gaan, maar dat bleek voor mijzelf in combinatie met de zorg voor mijn zoon Yorick niet haalbaar. Gelukkig

is onze samenleving tegenwoordig mede door de coronatijd beter ingesteld op online contact, waardoor we via Teams de gesprekken toch op een persoonlijke manier konden houden.

Het belangrijkste doel van de gesprekken was het scherp krijgen van de verwachtingen die men heeft van FOP Stichting Nederland op het gebied van belangenbehartiging, binder van ervaringen, informant van en voor betrokkenen over onderzoek, medische ontwikkelingen e.d. en ondersteuner van dagelijkse sores. Het beoogde resultaat is dat we duidelijke verwachtingen met betrekking tot de richting en koers van de stichting hebben, en een scherper profiel voor de beoogde voorzitter en de rol van de bestuursleden kunnen opstellen.

Inmiddels zijn de meeste gesprekken gevoerd. Het was fijn dat iedereen met een grote bereidheid aan de interviews deel wilde nemen. Want ondanks het



feit dat de families van mensen met FOP binnen de stichting elkaar redelijk kennen, blijken er ook tal van onderwerpen te zijn waar we niet vaak over

praten. De interviewstructuur die Kees hanteerde was dan ook heel prettig om alle punten nu eens wél boven tafel te krijgen. Mijn rol was vooral luisteren naar al die informatie en daar waar nodig verder doorvragen om de standpunten duidelijk te krijgen. Persoonlijk heeft de hele ervaring mij een dieper inzicht gegeven in de drijfveren binnen de families van mensen met FOP en de rol die

de stichting in dit geheel heeft en in de toekomst kan hebben.

Op het symposium op 7 oktober zullen Kees en ik de voorlopige uitkomsten presenteren. Ook zal hier in de volgende nieuwsbrief nog een verslag van komen. Dit uiteraard volledig geanonimiseerd; de gesprekken zelf waren en blijven vertrouwelijk.

Saskia Blonk

## Amerikaanse FDA keurt FOP-medicatie Palovarotene goed

Woensdag 16 augustus 2023 zal binnen de FOP community de boeken ingaan als een belangrijke dag. De Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) besloot toen namelijk om Palovarotene, een door de Franse medicijnfabrikant Ipsen ontwikkeld medicijn, goed te keuren voor de Amerikaanse markt.

Veel FOP-patiënten hebben reikhalzend uitgekeken naar dit moment, omdat hiermee voor het eerst een behandeling voor FOP beschikbaar is. Maar de dubbelzinnige testresultaten blijven vragen oproepen over de effectiviteit ervan. De FDA moest vertroebelde gegevens afwegen tegenover een gepassioneerde groep patiënten die pleitte voor goedkeuring, met het argument dat ze het zich niet kunnen veroorloven om te wachten op duidelijkere studieresultaten.

In de oorspronkelijke studie bleek Palovarotene niet in staat om zijn oorspronkelijke doel, namelijk het verminderen van de botvorming, effectief te



bereiken. Maar toen Ipsen de gegevens opnieuw analyseerde met behulp van andere statistische benaderingen, ontdekte ze dat het medicijn wel leek te werken. Deze statistische methodiek echter – de post-hoc-analyse – wordt beschouwd als dubieus en



niet bewijzend. Ook werd het eindpunt van het effect van de studie veranderd, iets wat eigenlijk nooit mag. Daarom is Palovarotene tot twee keer toe unaniem door de EMA en tenslotte de EU zelf afgewezen.

Palovarotene is bedoeld om de middelste fase van de progressie van FOP te stoppen en de vorming van kraakbeen te onderbreken voordat het nieuw bot kan worden. Het medicijn is afkomstig uit de laboratoria van de Zwitserse farmaceutische gigant Roche, waar de effecten ervan op de vorming van nieuwe cellen het tot een mogelijke behandeling van COPD zouden maken. In 2011 ontdekte een team van onderzoekers van het Thomas Jefferson University College of Medicine dat Palovarotene een belangrijk effect had op muizen die gefokt waren om FOP te hebben, waardoor de aanmaak van nieuw kraakbeen en de vorming van nieuwe stukken bot na een blessure werd geremd. Hun werk, gepubliceerd in *Nature Medicine*, trok de aandacht van Clarissa Desjardins, een Canadese wetenschapper en biotech-ondernemer. Ze begon een bedrijf, genaamd Clementia Pharmaceuticals, om het medicijn van Roche in licentie te geven en te beginnen met de ontwikkeling ervan voor FOP. De Franse medicijnfabrikant Ipsen kocht Clementia Pharmaceuticals in 2019 in een deal ter waarde van 1,3 miljard US dollar.

Palovarotene is een chronische behandeling die elke dag in een lage dosis wordt ingenomen en in een hogere dosis bij ontstekingen. Het medicijn wordt beschikbaar voor meisjes van 8 jaar en ouder, en jongens van 10 jaar en ouder. Hierbij dient wel rekening gehouden te worden met ernstige bijwerkingen voor kinderen in de groei. Naast goedkeuring in Amerika is Palovarotene ook sinds 2022 goedgekeurd in Canada en wordt het daar verkocht onder de merknaam Sohonos. Ipsen evalueert nog eventuele volgende stappen in Europa. Het is mogelijk dat het bedrijf opnieuw Palovarotene indient aan de EMA met behulp van gegevens die zijn verzameld van Amerikaanse patiënten.

Ipsen zal het medicijn in de Verenigde Staten verkopen onder de merknaam Sohonos tegen een gemiddelde catalogusprijs van \$ 624.000 per jaar, hoewel de kosten zullen variëren afhankelijk van de verzekeringsdekking, de behoeften van de patiënt en ondersteuningsprogramma's. Een woordvoerder van het bedrijf zei dat Ipsen zich inzet om de behandeling toegankelijk te maken voor de ongeveer 400

mensen in de V.S. die de ziekte hebben. Binnenkort kan men het commentaar van de ICC vernemen op hun website (<https://www.iccfop.org/>).

### Yoricks ervaring met Palovarotene

Voor een artikel van StatNews werd Saskia Blonk geïnterviewd, net als diverse andere direct betrokkenen. "Mijn zoon Yorick deed jaren mee in de trial 2- en 3-fase van Palovarotene. Hij ging niet veel achteruit gedurende die tijd, waardoor we hoop kregen dat het werkte. Maar ongeveer anderhalf jaar geleden kreeg hij ontstekingen aan zijn benen, eerst zijn rechter, toen zijn linker. Beeldvorming toonde een sterke botgroei. Yorick stopte afgelopen mei met het innemen van de medicatie. Als het niet leek te helpen, of niet meer hielp, dan was het de bijwerkingen zoals een droge huid niet waard. Yorick is nu volledig bedlegerig.

Ik weet dat het onmogelijk is om conclusies te trekken over Palovarotene alleen uit de zaak van Yorick, misschien heeft het medicijn de botvorming enige tijd tegengehouden. Ik vind het ook moeilijk om bedenkingen te uiten over het medicijn gezien de opwinding van andere families. Er was zoveel enthousiasme na het positieve advies bij de FDA-commissie. Maar ik ben bang dat nu Palovarotene is goedgekeurd, een deel van de urgentie om effectieve behandelingen te vinden, zou kunnen verdwijnen. Wat als er een beter medicijn komt, maar vanwege de beschikbaarheid van Palovarotene, onderzoekers en toezichthouders niet zo geïnspireerd zijn om snel te handelen? We willen allemaal een medicijn hebben om botvorming te voorkomen, heel graag. Maar de artsen hebben ons altijd verteld dat er waarschijnlijk een combinatie van medicijnen nodig zal zijn om botvorming volledig te stoppen, gezien de complexiteit van de ziekte. Ik hoop dat Palovarotene een deel van de oplossing is, daarom is het belangrijk dat het beschikbaar is. Maar misschien maakt het ook wel géén deel uit van de oplossing. Ik weet het niet meer zo zeker. "

### Bronnen:

- *StatNews*, 14 augustus 2023, 'In the case of a devastating disease, the FDA weighs an experimental drug's muddled data and a desperate need', by Andrew Joseph and Damian Garde.
- *FDA clears Ipsen bone drug despite questions about its benefits* <https://tinyurl.com/4smvwc23>
- <https://www.ipsen.com/us/press-releases/us-fda-approves-ipsens-sohonom-stm-palovarotene-capsules-the-first-and-only-treatment-for-people-with-fibrodysplasia-ossificans-progressive/>

## ‘Het is belangrijk dat ik comfortabel zit’



**Luc Pascal Schroots heeft FOP en werkt voor de politie in Dordrecht. Hij heeft op kantoor een aangepaste werkplek. Wij vroegen hem wat voor werk hij precies doet, en hoe zijn werkplek is aangepast.**

### Wat voor werk doe je precies?

Ik ondersteun het basisteam van de politie in Dordrecht bij de administratie en ICT. Mijn werkdag begint om 08.30 's ochtends en eindigt rond 14.00 uur, afhankelijk van hoe druk het is. Dit doe ik twee dagen in de week. Gedurende de dag houd ik me met van alles en nog wat bezig. Er zijn verschillende websites die we in de lucht en up-to-date moeten houden. Er komen vaak meldingen binnen die we in het systeem moeten zetten, maar ook informatie voor de agenten. Bijvoorbeeld een bericht over preventief fouilleren in verband met de toenemende criminaliteit. Ik zorg dat dit op de interne website staat, zodat alle agenten hiervan op de hoogte zijn. Het gaat altijd om interne informatie. De informatie krijg ik aangeleverd, vervolgens plaats ik het op de juiste plaatsen in onze systemen.

### Hoe ben je aan deze baan gekomen?

Ik ben via-via aan dit werk gekomen. Ik mocht een keertje meelopen met de officier van dienst in Rotterdam. Zo is het balletje gaan rollen en liet ik weten dat ik werk wilde gaan doen voor de politie. Uiteindelijk kwam ik hier op kantoor terecht. Ik heb er geen extra opleiding voor hoeven doen.

### Is het spannend werk?

Dat valt mee, ik heb niet echt zicht op wat er allemaal buiten gebeurt. Natuurlijk krijg ik wel wat meldingen mee, maar niet allemaal. Heel af en toe loop ik mee of word ik meegevraagd met een agent als het rustig is. Zo wissel ik het bureauwerk af. Ik heb hele leuke collega's, hoe vaker ik kom, hoe gezelliger we het hebben. In totaal bestaat ons basisteam uit ongeveer honderd agenten, dan heb ik het kantoorpersoneel nog niet meegeteld.

### Wat voor aanpassingen zijn er allemaal gedaan aan jouw werkplek?

Ik heb een hoog-laagbureau. Dus als ik even wil staan, kan ik mijn bureau omhoog zetten en erachter gaan staan. Ook heb ik een aangepaste stoel. Normaal krijg je een standaard stoel met wat aanpassingen, maar voor mij is een uitzondering gemaakt, ik heb een stoel die ze bijvoorbeeld ook in de meldkamer gebruiken. Bij deze stoel kun je de rugleuning, zitting en hoofdsteun verstellen. Voor mij is het belangrijk dat ik comfortabel kan zitten en zo min mogelijk belast word. Verder probeer ik tussendoor veel te wandelen, bijvoorbeeld als ik iets moet pakken. Te lang stilzitten is namelijk niet fijn. Op dit moment is alles wat ik nodig heb op mijn werkplek aanwezig, ik ben er heel blij mee!



## FOP Germany, Valbert, 28-30 juli 2023

**Voor het eerst sinds 2019, na Covid-19, vond de jaarlijkse bijeenkomst van de Duitse FOP-vereniging weer op locatie plaats. In het mooie heuvelachtige landschap van Noordrijn-Westfalen, in Valbert, kwamen dit jaar FOP-families uit Duitsland, Frankrijk (Elzas) en Zwitserland weer fysiek bijeen.**



Na jaren van uitsluitend online bijeenkomsten was de opkomst uitzonderlijk groot met ruim 90 deelnemers. Er heerste een bijna uitgelaten stemming, zo blij was men om elkaar weer in levenden lijve te zien. De aanwezigheid van 5 families (veelal vergezeld van grootouders, broers en zussen)

met zeer jonge kinderen met FOP (in de leeftijd van 3 tot 6 jaar) riep daarnaast veel emoties op. Vier van hen liepen al rond met valhelmpjes op in vrolijke kleuren. Bij een paar jonge kinderen waren bewegingsbeperkingen al zichtbaar. Dat alles maakte deze familiebijeenkomst heel bijzonder en de samenkomst met deze jonge families heel emotioneel.

Omdat een aantal onderzoekers (waaronder Nadine Grossman) nu in de Verenigde Staten verblijven, zijn een paar voordrachten vanwege het tijdsverschil al op vrijdagavond via Zoom gehouden. Voor een aandachtig gehoor (fysiek en online) zijn de nieuwste ontwikkelingen in preklinisch FOP-onderzoek gepresenteerd. Men mocht zich gelukkig prijzen met de aanwezigheid van Eileen Shore (Upenn) die speciaal voor deze bijeenkomst was overgekomen. Met haar zorgvuldige presentatie in het Engels, uitstekend vertaald door Petra Seemann, gaf Eileen deze avond de aftrap van een intensief programma.

Zaterdagochtend vroeg kwam Marelise Eekhoff als een wervelwind binnen zeilen. Het oorspronkelijke plan om met een sportvliegtuig de tocht naar Valbert te maken, lukte niet. Dan maar met de auto zeer vroeg op pad om fris als een hoentje rond 09.00 iedereen bij het ontbijt te begroeten! In het ochtendprogramma zijn de ontwikkelingen

gepresenteerd in het STOPFOP-onderzoek (Clemens Stockklaussner), is een update gegeven van de OPTIMA-trial (Marelise Eekhoff) en zijn de toekomstige studies van IPSEN toegelicht (Susanne Hildebrandt). Daarnaast mocht Susanne een complete set met voorlichtingsmateriaal (in het Duits) over FOP voor families en artsen, geproduceerd door IPSEN, uitdelen aan de aanwezige families. Zaterdagmiddag zijn er drie workshops gegeven, met een duur van ongeveer 20 minuten, voor telkens een nieuwe groep. Michelle Davis (IFOPA) sprak in haar workshop over de genetische behandeling van FOP; Karen Kirchoff (IFOPA) had al haar handige tools uitgesteld op lange tafels en gaf onvermoeibaar advies en tips over heel veel uiteenlopende zaken in 'daily life': van toiletgang tot mondverzorging! Aan mij de eer om te mogen spreken over mondzorg bij FOP bij een beperkte mondoopening. Voor de jonge ouders waren er emotionele momenten in mijn workshop. Na afloop heb ik nog lang met ouders gesproken over hoe dat nu moet in de toekomst: tandheelkundige behandelingen bij hun zoon of dochter bij wie zij al duidelijk zien dat de mond niet meer goed opengaat.



Het regende best veel in Valbert, maar er waren ook zonnige perioden. Dat was ook de stemming en het gevoel tijdens deze bijeenkomst: naast de zware momenten waren er dierbare ontmoetingen met oude bekenden maar ook met de jonge ouders en hun families. Wat ik vooral zag was de ongelooflijk belangrijke rol van een patiëntenorganisatie voor families die in hun leven ineens te maken krijgen met een aandoening als FOP.

*Elinor Bouvy-Berends*

