

**BESTE LEZER,**

De behandelopties voor patiënten met stollingsstoornissen zijn de laatste jaren exponentieel toegenomen. Vooral voor patiënten met hemofilie heeft dit enorme veranderingen gebracht. Waar er tot de jaren 80 van de vorige eeuw geen behandeling voorhanden was, zijn er nu verschillende effectieve én veilige behandelopties. De toedieningsroute is niet alleen meer intraveneus, maar ook subcutaan en de toedieningsfrequentie is veranderd van driemaal per week naar soms maar één keer per maand of in geval van gentherapie eenmalig. De positieve impact op de kwaliteit van leven en gevolgen van de stollingsstoornis op het dagelijks leven zijn enorm.

Helaas geldt deze vooruitgang niet voor alle stollingsstoornissen. Patiënten met de zeer zeldzame maar ook zeer ernstige trombopathieën ziekte van Glanzmann en Bernard-Soulier-syndroom zijn nog steeds aangewezen op 'on demand'-therapie. Patiënten leven continu met de onzekerheid van onvoorspelbare ernstige bloedingen die alleen door een acute ziekenhuisbehandeling kunnen worden verholpen. Er gloort echter hoop aan de horizon. Een nieuw bispecifiek antilichaam met de potentie bij verschillende zeldzame erfelijke stollingsstoornissen wordt inmiddels getest in fase I/II-studies waarover u meer kunt lezen in het artikel van Zivkovic et al.

Ook voor patiënten met een centraalzewstelselmyeloom is de hoop gevestigd op nieuwe middelen zoals golcadomide, waarvan in de HOVON 176-studie wordt onderzocht of dit de zeer sombere prognose kan verbeteren. De studie is nog niet open, maar u kan er al wel meer over lezen in het artikel van collega Nijland et al.

Verder in deze uitgave veel casuïstiek. Elke patiënt is uniek en elke dag worden we weer uitgedaagd door casussen die net iets anders zijn dan normaal. Dat maakt het vak ook zo leuk en uitdagend! Lees mee over de opgedane ervaring met een ernstige transfusiëreactie door garnaalallergie of beenmergnecrose bij APL-behandeling.

Veel leesplezier!

Dr. Lize van Vulpen, internist-hematoloog  
*Vicehoofdredacteur*