

MEK remmers bij plexiforme neurofibromen

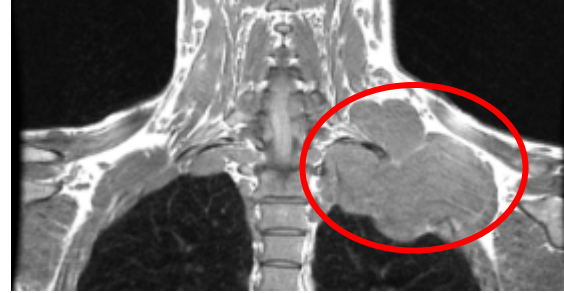
Ledendag NFVN
7 april 2018

Walter Taal

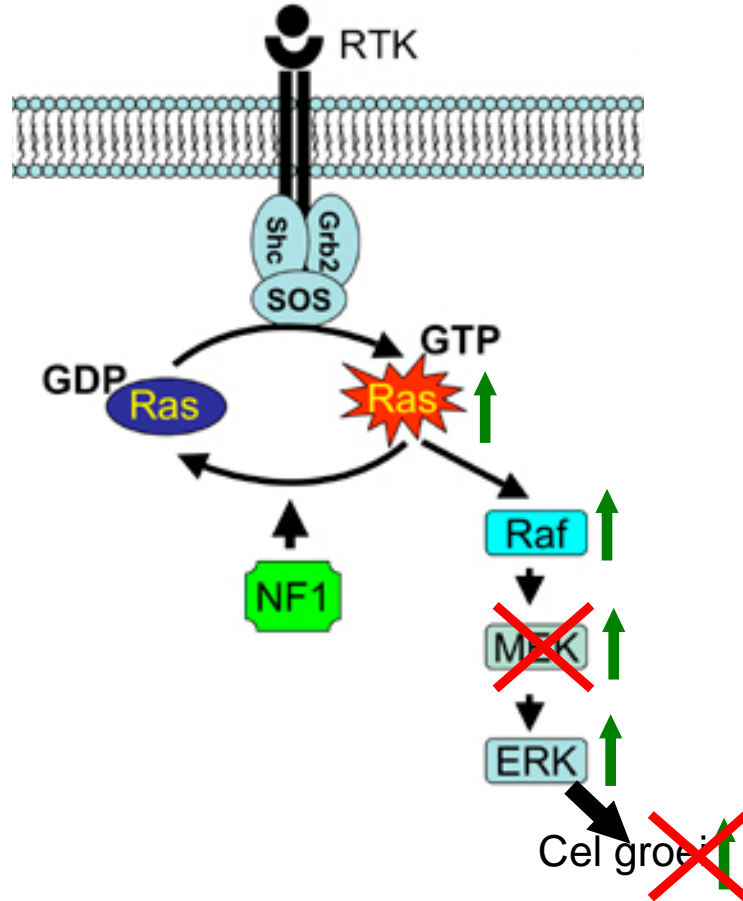
Achtergrond

Plexiforme neurofibromen

Vaak moeilijk te opereren



MEK remmer



MEK remmer bij PNF

Baseline

Cycle 5

Cycle 10

Selumetinib:

- 24 kinderen
- niet te opereren PNF
- $\geq 20\%$ afname bij 70%

*Dombi E et al. N Engl J Med. Dec 2016

Bijwerkingen MEK remmers

Hoge bloeddruk, Bloedneus, Bloed bij plas en ontlasting, Hoesten, Kortademig

Droge mond, Misselijkheid, Braken, Buikpijn, Diarree, Obstipatie. Droge huid, Jeuk, **Huiduitslag (ca. 60%)**, Puistjes, Haaruitval, **Vermoeidheid**, Vocht vasthouden, Koorts.
Leverfunctiestoornissen.



Plan is een studie te doen in ErasmusMC

- Trametinib (MEK remmer)
- 30 mensen met niet te opereren PNF die klachten geven
- Veel afdelingen betrokken:
 - o.a. neurologie, oncologie, radiologie, kinderartsen
- Maar kost veel geld (o.a. medicijn zelf, volume metingen, controle)
 - Novartis
 - NFVN
 - Stichting neurofibromatose?
 - KIKA / CTF??