



# Mijn stem Mijn PNH-zorg

Deze brochure is ontworpen om  
je PNH-zorg te ondersteunen.



**Horen dat je PNH hebt kan schokkend zijn.  
Het kan helpen als je er meer over weet.**

### ***Inhoud:***

<b>4</b>	<b>Over PNH</b>
	Wat is PNH?
	Hoe ontstaat PNH?
	PNH-kloon
	Hemolyse en het afweersysteem
	Diagnose en controle van PNH
	Klachten van PNH
<b>8</b>	<b>Leven met PNH</b>
	Lichamelijke gezondheid en welzijn
	Geestelijke gezondheid en welzijn
	Werk en gezinsleven
	Communicatie is belangrijk
<b>12</b>	<b>Behandeling van PNH</b>
	Ontwikkelingen
<b>13</b>	<b>Complementremmers bij PNH</b>
<b>14</b>	<b>Bijhouden van klachten</b>
<b>15</b>	<b>Opmerkingen</b>
<b>16</b>	<b>Woordenlijst</b>
<b>18</b>	<b>Referenties</b>

Sommige woorden in deze brochure zijn **vetgedrukt en onderstreept**.

Dat betekent dat ze worden uitgelegd in de woordenlijst op pagina 16 van deze brochure.

# Over PNH

## Wat is PNH?

Paroxismale Nachtelijke **Hemoglobinurie** (PNH) is een zeldzame ziekte waarbij **rode bloedcellen** te snel worden afgebroken. Mensen met PNH kunnen bijvoorbeeld klachten hebben van ernstige vermoeidheid, buikpijn en/of donkere urine. Zij hebben ook een verhoogd risico op **trombose**.

## Hoe ontstaat PNH?

Bloedcellen ontstaan uit **stamcellen** in het **beenmerg**. PNH ontstaat door een beschadiging in de genen van die stamcellen. Hieruit ontstaan **beschadigde rode bloedcellen**.<sup>1</sup> Rode bloedcellen vervoeren zuurstof door het lichaam. De beschadigde rode bloedcellen zijn niet beschermd tegen het eigen afweersysteem. Het **afweersysteem** beschermt het lichaam tegen infecties (ontstekingen). Bij mensen met PNH breekt het afweersysteem niet alleen ziekteverwekkers af, maar ook de beschadigde rode bloedcellen. Deze afbraak van rode bloedcellen wordt **hemolyse** genoemd.<sup>2</sup>

PNH is een zeldzame ziekte die iedereen kan treffen, van elke leeftijd, ras of geslacht. Niemand wordt geboren met PNH; het staat bekend als een "verworven ziekte", wat betekent dat het niet erfelijk is en niet besmettelijk.<sup>3</sup>

## PNH-kloon

Het bloed van een persoon met PNH bestaat deels uit gezonde cellen en deels uit beschadigde cellen. De beschadigde bloedcellen samen noemen we de **PNH-kloon**. Als bijvoorbeeld 10 van de 100 bloedcellen gemaakt worden door een afwijkende beenmergstamcel, dan is de PNH-kloon 10%. Je arts zal de PNH-kloon in de gaten houden omdat deze iets zegt over de ernst van je PNH.

## Hemolyse en het afweersysteem

Hoe werkt nou de hemolyse bij PNH? Het afweersysteem beschermt ons tegen indringers van buitenaf. Een van de onderdelen van het afweersysteem dat daarvoor zorgt, is het **complementsysteem**.



Het complementsysteem ruimt ziekmakers op, zoals virussen of bacteriën, en het verwijdert beschadigde of stervende cellen.<sup>4</sup>



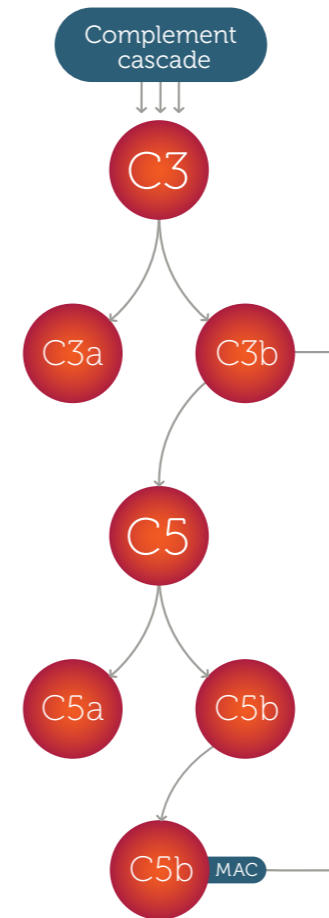
Het complementsysteem bestaat uit meer dan 60 eiwitten. **C3** en **C5** zijn twee belangrijke eiwitten.<sup>4</sup>



Wanneer je afweersysteem een virus of bacterie opmerkt, worden C3 en C5 in een vaste volgorde geactiveerd.<sup>4</sup>

## Het complementsysteem

Het afweersysteem beschermt het lichaam tegen infecties (ontstekingen). Het complementsysteem is een onderdeel van het afweersysteem.<sup>4</sup> Het complementsysteem bestaat uit complement-eiwitten die als dominostenen in een vaste volgorde actief worden.



C3 speelt een centrale rol in het complementsysteem en kan op verschillende manieren geactiveerd worden. Geactiveerd C3 splitst in C3a en C3b.

C3b kan **cellen markeren** om opgeruimd te worden in de lever of de milt. Dit kunnen ook beschadigde rode bloedcellen zijn: **extravasculaire hemolyse**.



C3b activeert ook C5<sup>5</sup>

Geactiveerd C5 splitst zich in C5a en C5b<sup>5</sup>

Het **membraan-aanvals-complex (MAC)** vernietigt gevaarlijke organismen in het lichaam, zoals virussen en bacteriën.<sup>5</sup> Het MAC breekt beschadigde rode bloedcellen af in de bloedvaten: **intravasculaire hemolyse**.



## Er zijn dus 2 soorten hemolyse: extravasculair en intravasculair

Beide soorten hemolyse kunnen tegelijk in je lichaam optreden en kunnen de PNH-klachten veroorzaken die je ervaart<sup>6</sup>:



### EXTRAVASCULAIRE HEMOLYSE (EVH)

EVH treedt op wanneer beschadigde rode bloedcellen **buiten de bloedvaten** (in de lever en milt) worden afgebroken.<sup>6</sup>



### INTRAVASCULAIRE HEMOLYSE (IVH)

IVH treedt op wanneer beschadigde rode bloedcellen worden vernietigd **in de bloedvaten**.<sup>6</sup>

## Diagnose en controle van PNH

Mensen met PNH hebben verschillende klachten. De meeste hebben **bloedarmoede** (of **anemie**: te weinig rode bloedcellen) als ze de diagnose krijgen. Andere veelvoorkomende klachten zijn vermoeidheid, buikpijn, ademnood, hoofdpijn, donker gekleurde urine en problemen met erecties.

In Nederland wordt PNH vastgesteld met een bloedtest. Als je behandeling nodig hebt, houdt de dokter rekening met al je klachten.

Met de volgende waarden in het bloed wordt vaak rekening gehouden:

### Hemoglobine:

een eiwit in de rode bloedcellen waarmee zuurstof wordt vervoerd. Weinig rode bloedcellen en lage **hemoglobinespiegels** wijzen op bloedarmoede en zijn een kenmerk van PNH.<sup>6</sup>

### Lactaatdehydrogenase (LDH):

een enzym in de rode bloedcellen van je lichaam. Als rode bloedcellen kapot gaan (hemolyse), komt **LDH** in het bloed. Hoe meer hemolyse, hoe meer LDH gemeten wordt.<sup>8</sup>

### Reticulocyten:

jonge rode bloedcellen. Hoge aantallen **reticulocyten** betekenen dat je lichaam te hard werkt om de kapotte rode bloedcellen te vervangen.<sup>8</sup>

### Bilirubine:

een kleurstof die vrijkomt als rode bloedcellen worden vernietigd. Mensen met PNH kunnen een hoge **bilirubinespiegel** hebben.<sup>2</sup>

Het is belangrijk om in goed overleg te blijven met je arts. Vertel wat belangrijk voor je is en welke klachten je hebt. Zonder jouw informatie kan de arts je minder goed helpen.

## Klachten van PNH

De klachten van PNH wisselen van persoon tot persoon. Sommige mensen hebben er maar een paar; anderen kunnen zich juist erg onwel voelen met ernstige, slopende problemen.<sup>9</sup>

Mogelijke klachten zijn:<sup>1,10,11</sup>



Vermoeidheid



Moeite met concentreren - "hersennist"



Bloedarmoede



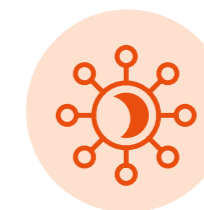
Rug- en buikpijn



Ernstige hoofdpijn



Bloedstolsels



Ontstekingen



Bloedingen



Hemoglobinurie - urine die donker is (rood of bruin) doordat er hemoglobine uit de kapotte rode bloedcellen in zit.



Spijkrampen in organen - soms kunnen de spieren in de organen binnenin je lichaam onbedoeld samentrekken. Dit kan problemen geven, zoals moeite met ademen, moeite met slikken en/of erectieproblemen.

### Bloedarmoede of anemie

Bloedarmoede betekent dat er te weinig rode bloedcellen in het bloed zitten of dat de rode bloedcellen niet goed werken. Rode bloedcellen vervoeren zuurstof in het bloed dankzij hemoglobine en zijn dus erg belangrijk. Bloedarmoede kan leiden tot vermoeidheid, zwakte, duizeligheid en kortademigheid.<sup>2</sup>

Lage aantallen rode bloedcellen kunnen optreden door minder aanmaak van rode bloedcellen (door een slechte beenmergfunctie), of door afbraak van rode bloedcellen (**hemolytische anemie**).<sup>12</sup> Hemolytische anemie is een van de belangrijkste kenmerken van PNH, die tot **88%** van de mensen met PNH treft.<sup>8,13,14</sup>

### Vermoeidheid

Tot **81%** van de PNH-patiënten ervaart vermoeidheid.<sup>10</sup>

# Leven met PNH

## Lichamelijke gezondheid en welzijn

PNH kan je kwaliteit van leven behoorlijk in de weg zitten. Vermoeidheid wordt vaak genoemd als belangrijkste klacht daarbij.<sup>15</sup>

PNH is een ingewikkelde ziekte die bij iedereen anders uitwerkt. Misschien moet je uitproberen wat voor jou goed werkt. Regelmaat, rust, bewegen en gezonde voeding kunnen helpen.



## Geestelijke gezondheid en welzijn

Geestelijke gezondheid en welzijn zijn belangrijk voor een goede kwaliteit van leven. Een diagnose van PNH is vaak levensveranderend. Het is normaal dat je stress of angst voelt over je ziekte, klachten of behandeling.

**Lichaamsbeweging, meditatie en een dagboek of logboek bijhouden over je ervaringen** kunnen helpen bij het omgaan met stress en angst.<sup>19,20</sup>

Als je je door je ziekte eenzaam voelt, kan het helpen om erover te praten of om je ervaringen te delen met andere PNH-patiënten.

De AA & PNH Contactgroep zet zich in voor mensen met PNH en kan je helpen om in contact te komen met andere PNH-patiënten, die mogelijk dezelfde gevoelens ervaren als jij. Op de website kun je meer informatie vinden: <https://www.aenpnh.nl> of scan de QR-code.



### Rust

Zorg ervoor dat je voldoende **rust** krijgt. Dat kan helpen vermoeidheid tegen te gaan.<sup>15</sup>

Het kan nuttig zijn om een **regelmatig slaappatroon** aan te houden. Zorg overdag voor wat **beweging** om 's nachts beter te slapen.<sup>16</sup>

Probeer dranken die **cafeïne en alcohol** bevatten te **vermijden**. Die kunnen het vermogen van het lichaam om te rusten verstoren.<sup>16</sup>

Zorgen en angst kunnen soms de **slaap** beïnvloeden. Om te **ontspannen**, kan je proberen een warm bad te nemen voordat je naar bed gaat. Het kan ook helpen om uit bed te komen en naar een andere kamer te gaan, een boek te lezen of naar muziek te luisteren.<sup>16</sup>



### Beweging

Het kan helpen om wat **lichaamsbeweging** te doen als je je daartoe in staat voelt.<sup>17</sup>

Lichaamsbeweging kan variëren van **lichte oefeningen**, zoals **wandelen, yoga** en licht huishoudelijk werk, tot **intensievere activiteiten**, zoals **fietsen of hardlopen**.<sup>17</sup>

Praat met je zorgteam over wat voor jou het beste zou kunnen zijn.<sup>17</sup>



### Voeding

Er is geen speciaal dieet dat al je PNH-klachten kan verlichten. Het is belangrijk om **gezond te eten**, met veel fruit en groenten.<sup>17</sup>

Je zorgteam kan je daarbij adviseren.

## Werk en gezinsleven

Een evenwicht vinden tussen werk en gezinsleven kan al een uitdaging zijn als je je goed voelt. Als je daarbij ook nog probeert om te gaan met de klachten en emoties die het gevolg zijn van PNH, kan dat behoorlijk moeilijk zijn.

### Plannen

Het is belangrijk om vooruit te plannen en om hulp te vragen. Bedenk wat voor jou het belangrijkste is en wat je kunt doen op een dag. Spaar je energie voor de dingen die het belangrijkste zijn.

### Je hoeft het niet alleen te doen!

Vraag om hulp van familie en vrienden om wat van de extra druk af te halen die PNH veroorzaakt. Geef heel precies aan wat je nodig hebt.

Overweeg om eerlijk te zijn tegen je werkgever over de uitdagingen die je ziekte met zich meebrengt en welke extra tijd en ondersteuning je nodig hebt. Het kan lastig zijn om een werkgever te informeren dat je een chronische ziekte hebt en regelmatig behandeld moet worden.

Je zorgteam kan je hierbij helpen.

## Communicatie is belangrijk



### Familie en vrienden

PNH is een onbekende aandoening, wat betekent dat je het misschien moet uitleggen aan **vrienden, familie, buren en collega's**. Dit kan moeilijk zijn, maar het zal de mensen om je heen helpen begrijpen hoe ze jou het beste kunnen helpen.

Als iemand je vraagt hoe je je voelt, kan het voor jullie allebei goed zijn als je open en eerlijk antwoord geeft, zodat de ander kan begrijpen welke invloed je ziekte op je heeft.

Het kan ook fijn zijn om de mensen om je heen op de hoogte te brengen als er iets verandert in wat je wilt of wat je nodig hebt, omdat het anderen helpt zich met je verbonden te voelen.



### Zorgverleners

**Een goede relatie met je zorgteam is belangrijk** voor een succesvolle behandeling van je ziekte. Elke afspraak en elk gesprek is belangrijk.

Niemand ervaart PNH zoals jij. Iedereen met PNH is uniek, daarom is het belangrijk om openlijk te bespreken waar je tegenaan loopt, zodat je zorgteam je zo goed mogelijk kan helpen. Dit kan ongemakkelijk aanvoelen, maar bedenk dat je zorgteam je wil helpen en dat alles wat je zegt, vertrouwelijk wordt behandeld.

## 1. Vóór je afspraak

**Je afspraak plannen** kan je helpen bij de gesprekken met je zorgteam. Het kan handig zijn om zelf alvast na te denken hoe je vindt dat het gaat met je PNH, wat je nodig hebt en wat je in de toekomst wil bereiken. Overweeg om je vragen op te schrijven vóór je afspraak, bijvoorbeeld:

- "Wat betekenen mijn resultaten?"
- "Welke verdere tests zijn nodig?"
- "Wat zijn mijn behandelingsopties? Hoe zou ik me daarbij kunnen voelen?"
- "Wanneer word ik opnieuw gecontroleerd?"

## 2. Tijdens je afspraak

- **Geef zo veel mogelijk informatie.** Je zorgverleners moeten volledig op de hoogte zijn van al je lichamelijke en emotionele klachten, zelfs als je denkt dat ze niet belangrijk zijn of los staan van je PNH. Waar heb je (het meeste) last van en welke invloed heeft dat op je dagelijkse leven? Welk effect heeft PNH op je relatie met familie, vrienden en collega's? Kun je er met iemand over praten?

Bedenk dat je zorgverlener zowel je lichamelijke als je emotionele klachten en zorgen wil kennen.

### Hoe vaak voel je je vermoeid en welke invloed heeft dat op je leven?

*Leg precies uit hoe je je voelt. Het kan helpen om daar cijfers bij te gebruiken (bijv. "Ik kon de afgelopen maand 3 keer niet naar mijn werk vanwege vermoeidheid.")*

### Hoe vaak voel je je kortademig en houdt dat je tegen om van het leven te genieten?

*(bijv. "Ik ben gestopt met mijn sport omdat ik de groep niet kan bijhouden.")*

### Waar heb je precies moeite mee?

*(bijv. "Ik moet steeds mijn ouders vragen om op mijn kinderen te passen omdat ik te moe ben voor de weekendactiviteiten.")*

De checklist op bladzijde 14 kan daarbij helpen.

- Vraag om advies over welke hulp je kunt krijgen.
- Vraag om uitleg als je iets niet begrijpt.
- Zorg dat je weet wat de vervolgstappen zijn - wat er zal gebeuren en wanneer.

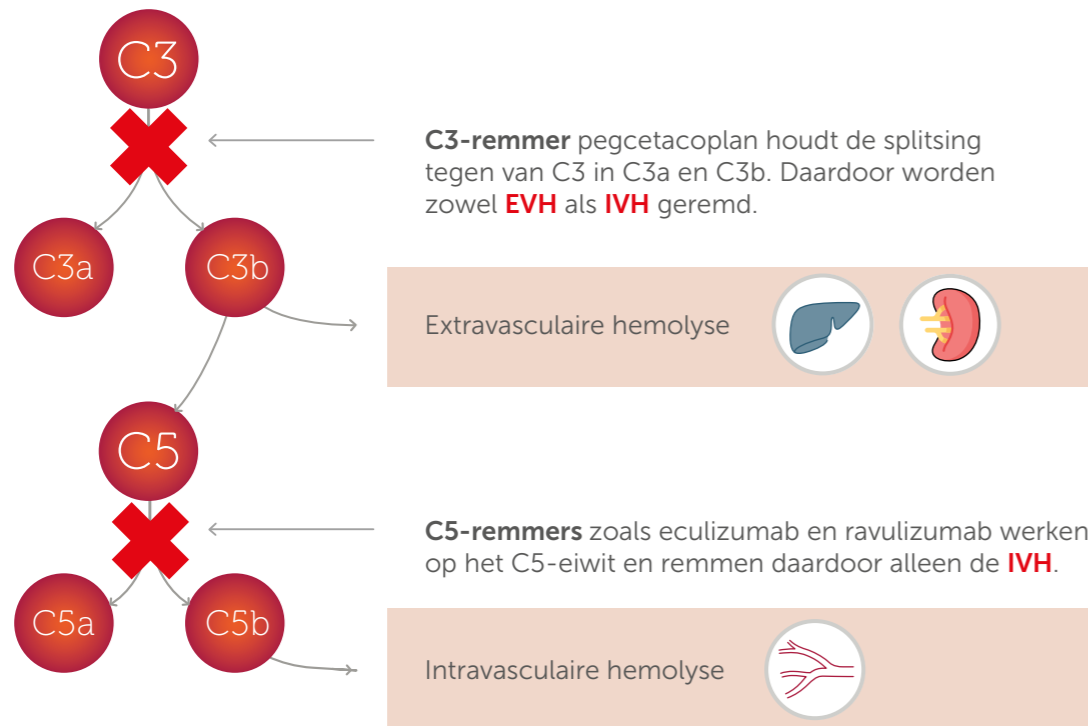
## 3. Na je afspraak

- Bijhouden.** Noteer welk effect veranderingen in je gewoontes of behandelplan op je hebben. Schrijf ook eventuele nieuwe onderwerpen op om met je arts te bespreken bij je volgende afspraak.
- Houd het overzicht.** Bewaar al je afspraken en resultaten op één plek, zodat je ze gemakkelijk kunt delen met je (nieuwe) zorgverleners.

# Behandeling van PNH

Als je PNH hebt, is het belangrijk om te weten dat er manieren zijn om je te helpen. In Nederland is de zorg voor mensen met PNH goed geregeld en er zijn medicijnen. Deze medicijnen kunnen ervoor zorgen dat je je beter voelt en minder last hebt van de ziekte. We richten ons hier vooral op de remmers van het complementsysteem, die de hemolyse tegengaan. Je arts stelt voor jou het meest geschikte behandelplan op. Lees de bijsluiter van jouw medicijn(en) voor meer informatie.

De behandeling van PNH is volop in ontwikkeling. C5-remmers bestaan al het langst. C5-remmers verminderen intravasculaire hemolyse (IVH, in de bloedvaten). Nieuwere medicijnen, zoals C3-remmers, die eerder in de volgorde van het complementsysteem ingrijpen, remmen ook de extravasculaire hemolyse (EVH, in de lever en milt). De figuur hieronder legt uit hoe C3- en C5-remmers werken.



EVH: extravasculaire hemolyse (buiten de bloedvaten, in de lever en de milt)  
IVH: intravasculaire hemolyse (in de bloedvaten)

## Ontwikkelingen

De ontwikkeling van nieuwe medicijnen gaat door, met als doel om de kwaliteit van het leven van mensen met PNH nog verder te verbeteren. Die verbetering kan bestaan uit makkelijkere toediening van het medicijn, en/of uit het verminderen van klachten die nog steeds bestaan, zoals bijvoorbeeld vermoeidheid.



Complementremmers die zijn goedgekeurd in Europa.<sup>21</sup>

# Complementremmers bij PNH<sup>21</sup>

Medicijn	Werking	Toediening	Voor wie vergoed <sup>22</sup>
Eculizumab	C5-remmer	<p>De eerste 5 weken: 1 keer per week. Daarna: 1 keer per 2 weken.</p> <p>Met een infuus in een ader.</p>	Volwassenen en kinderen met een hoge activiteit van de PNH.
Ravulizumab	C5-remmer	<p>De eerste dosis heet 'oplaaddosis'. 2 weken daarna volgt een onderhoudsdosis, en die wordt 1 keer per 8 weken herhaald.</p> <p>Met een infuus in een ader.</p>	Volwassenen en kinderen (>10 kg) met een hoge activiteit van de PNH of die 6 maanden stabiel zijn bij behandeling met eculizumab.
Pegcetacoplan	C3-remmer	<p>2 keer per week.*</p> <p>Met een infuus onder de huid, met een infuus-pomp.</p>	Volwassenen met PNH, die bloedarmoede blijven houden ondanks gebruik van een C5-remmer voor minstens 3 maanden.

\*In de eerste 4 weken wordt ook nog doorbehandeld met de C5-remmer.

# Bijhouden van klachten

Je denkt misschien dat kleine veranderingen in je klachten niet belangrijk zijn, of misschien merk je ze niet eens op. Maar samen met je bloeduitslagen, zijn je klachten in de loop van de tijd belangrijk om veranderingen in je gezondheid te herkennen. Overweeg om je klachten in een dagboek bij te houden.

## Check je klachten

Kruis aan wat het beste bij jou past.

Hoe vaak in de afgelopen maand heb je het volgende ervaren:

Vermoeidheid

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Als je vermoeidheid ervaart, hoe ernstig is dat dan?

Licht  Matig  Ernstig

Hoofdpijn

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Moeite met ademen

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Moeite met slapen/gevoel van zwakte

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Het lukt niet om de dagelijkse dingen te doen door de PNH

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Geen zin/trek om te eten

Nooit  1 of 2 keer  3-5 keer  6+ keer

Niet vooruit durven plannen (omdat je niet weet hoe je je dan voelt):

Waar  Niet waar

In het algemeen vind ik mijn kwaliteit van leven:

Zeer goed  Goed  Matig  Slecht

Hoeveel dagen per maand ervaar je het volgende:

Buikpijn en/of pijn op de borst

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Pijn in benen en/of rug

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Moeite met slikken

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Moeite met concentreren/helder denken, of "hersenmist"

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Heb je andere klachten? Vul ze dan hieronder zelf in:

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen

Nooit  1 of 2 dagen  3-5 dagen  6+ dagen



Nadat je je antwoorden hebt gecontroleerd, kan je de resultaten met de arts/zorgverlener bespreken.

# Opmerkingen

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---

---



# Woordenlijst

---

## **Afweersysteem**

- De afweer van het lichaam. Afweer zorgt voor bescherming tegen infecties (ontstekingen).

## **Beenmerg**

- Verantwoordelijk voor de aanmaak van bloed. Beenmerg zit in bepaalde botten (bekken, borstbeen, ribben en ruggenwervels).

## **Beschadigde rode bloedcellen**

- Rode bloedcellen die ontstaan zijn uit een beschadigde stamcel; deze zijn niet beschermd tegen het eigen afweersysteem.

## **Bilirubine**

- Een kleurstof die vrijkomt als rode bloedcellen worden vernietigd. Mensen met PNH kunnen een hoge bilirubinespiegel hebben.<sup>2</sup>

## **Bloedarmoede (anemie)**

- Te weinig rode bloedcellen in het bloed, of rode bloedcellen die niet goed werken.

## **C3**

- Een eiwit in het bloed dat een centrale rol heeft in het complementsysteem en een belangrijke functie vervult bij ontstekingen, IVH en EVH.

## **C5**

- Een eiwit in het bloed dat een rol heeft in het complementsysteem en een functie vervult bij ontstekingen en IVH.

## **Complementsysteem**

- Onderdeel van het afweersysteem. Het complementsysteem ruimt gevaarlijke onderdelen op, zoals virussen of bacteriën, en het verwijdert beschadigde of stervende cellen.

## **Dysfagie**

- Moeite met slikken.

## **Dyspneu**

- Moeite met ademen.

## **Extravasculaire hemolyse (EVH)**

- Hemolyse buiten de bloedvaten (in de lever en de milt).

## **Hemoglobine**

- Een eiwit in de rode bloedcellen waarmee zuurstof wordt vervoerd. Weinig rode bloedcellen en lage hemoglobinespiegels wijzen op bloedarmoede en zijn een kenmerk van PNH.<sup>6</sup>

## **Hemoglobinurie**

- Urine die donker is (rood of bruin) doordat er hemoglobine uit de afgebroken rode bloedcellen in zit.

## **Hemolyse**

- Afbraak van rode bloedcellen.

## **Hemolytische anemie**

- Bloedarmoede door hemolyse (afbraak van rode bloedcellen).

## **Intravasculaire hemolyse (IVH)**

- Hemolyse in de bloedvaten.

## **Lactaatdehydrogenase (LDH)**

- Een enzym in de rode bloedcellen van je lichaam. Als rode bloedcellen kapot gaan (hemolyse), komt LDH in het bloed. Hoe meer LDH gemeten wordt, hoe meer hemolyse.<sup>8</sup>

## **Membraan-aanvals-complex (MAC)**

- Onderdeel van het complementsysteem. Het helpt om gevaarlijke organismen, zoals virussen en bacteriën in het lichaam af te breken.<sup>5</sup>

## **PNH-kloon**

- Gedeelte van de bloedcellen dat beschadigd is door PNH.

## **Reticulocyten**

- Jonge rode bloedcellen. Hoge aantallen reticulocyten betekenen dat het lichaam te hard werkt om de kapotte rode bloedcellen te vervangen.<sup>8</sup>

## **Rode bloedcellen**

- Zorgen voor zuurstof in het bloed en zijn erg belangrijk.

## **Stamcellen**

- Worden gemaakt in het beenmerg. Stamcellen zijn onrijp. Dat betekent dat ze zich nog ontwikkelen (rijpen) tot meerdere soorten cellen. De stamcellen in het beenmerg delen en groeien uit tot bloedcellen.

## **Trombose**

- Bloedpropje dat vastzit in een bloedvat.

# Referenties

---

- <sup>1</sup> Hill A, Rother RP & Hillmen P. Improvement in the symptoms of smooth muscle dystonia during eculizumab therapy in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Hematologica* 2005;90:111–113.
- <sup>2</sup> Barcellini W & Fattizzo B. Clinical Applications of Hemolytic Markers in the Differential Diagnosis and Management of Hemolytic Anemia. *Dis Markers* 2015;635670.
- <sup>3</sup> Devos T, Meers S, Boeckx N, et al. Diagnosis and management of PNH: Review and recommendations from a Belgian expert panel. *Eur J Haematol* 2018;101:737–749.
- <sup>4</sup> Cho H. Complement regulation: physiology and disease relevance. *Korean J Pediatr* 2015;58:239–44.
- <sup>5</sup> Merle NS, Church SE, Fremeaux-Bacchi V en Roumenina LT. Complement System Part I - Molecular Mechanisms of Activation and Regulation. *Front Immunol* 2015;6:262.
- <sup>6</sup> Hill A, DeZern AE, Kinoshita T & Brodsky RA. Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria. *Nat Rev Dis Primers* 2017;3:17028.
- <sup>7</sup> Preis M, Lowrey C. Laboratory tests for paroxysmal nocturnal hemaglobinuria. *Am J Hematol* 2013;89(3):339–341.
- <sup>8</sup> Parker C, Omine M, Richards S, et al. Diagnosis and management of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood* 2005;106:3699–709.
- <sup>9</sup> Lima M. Laboratory studies for paroxysmal nocturnal hemoglobinuria, with emphasis on flow cytometry. *Pract Lab Med* 2020;20.
- <sup>10</sup> Schrezenmeier H, Röth A, Araten DJ, et al. Baseline clinical characteristics and disease burden in patients with paroxysmal nocturnal hemoglobinuria (PNH): updated analysis from the International PNH Registry. *Ann Hematol*. 2020;99(7):1505-1514.
- <sup>11</sup> Mitchell R, Salkeld E, Chisolm S, et al. Path to Diagnosis of Paroxysmal Nocturnal Hemoglobinuria: The Results of an Exploratory Study Conducted by the Aplastic Anemia and MDS International Foundation and the National Organization for Rare Disorders Utilizing an Internet-Based Survey. *SM Clin Med Oncol* 2017;1:1001.
- <sup>12</sup> Chaparro C, Suchdev PS. Anemia epidemiology, pathophysiology, and etiology in low- and middle-income countries. *Ann N Y Acad Sci* 2019;1450:1.
- <sup>13</sup> Nishimura JI, et al. Clinical course and flow cytometric analysis of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria in the United States and Japan. *Medicine* 2004;83(3):193–207.
- <sup>14</sup> Brodsky R. Advances in the diagnosis and therapy of paroxysmal nocturnal hemoglobinuria. *Blood Reviews* 2008;22(2):65–74.
- <sup>15</sup> Sakai K. Even mild hemolysis in paroxysmal nocturnal hemoglobinuria could severely compromise the quality of life due to long-term sustained intolerant fatigue. *Leuk Res Rep* 2020;14:100224.
- <sup>16</sup> AASM. Sleep education. Beschikbaar op: <https://sleepeducation.org/healthy-sleep/healthy-sleep-habits/> [Laatst geraadpleegd: januari 2022].
- <sup>17</sup> AA.MDA International Foundation. Caring for Yourself. Beschikbaar op: <https://www.aamds.org/treatments/self-care>. [Laatst geraadpleegd: oktober 2023].
- <sup>18</sup> Mercer SW, Gunn J, Bower P, et al. Managing patients with mental and physical multimorbidity. *BMJ* 2012.
- <sup>19</sup> Mental Health Foundation. How to manage and reduce stress. Beschikbaar op: <https://www.mentalhealth.org.uk/publications/how-manage-and-reduce-stress>. [Laatst geraadpleegd: januari 2022].
- <sup>20</sup> Smyth T. Online Positive Affect Journaling in the Improvement of Mental Distress and Well-Being in General Medical Patients With Elevated Anxiety Symptoms: A Preliminary Randomized Controlled Trial. *JMIR Ment Health* 2018;5(4):e11290.
- <sup>21</sup> European Medicines Agency. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines>. Zoekterm *paroxysmal nocturnal haemoglobinuria* onder 'Medicines for human use'. [laatst geraadpleegd 13 februari 2024].
- <sup>22</sup> <https://www.medicijnkosten.nl/>. [laatst geraadpleegd 13 februari 2024].



# Een beter leven voor mensen met PNH

NP-29577, februari 2024

Verantwoordelijke uitgever: Swedish Orphan Biovitrum (The Netherlands) B.V.  
Poortland 66, 1046 BD Amsterdam  
[www.sobi.com/netherlands](http://www.sobi.com/netherlands)

© 2024 Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) – Alle rechten voorbehouden.

