

## **Proefschrift.**

### **Optimizing quality of care for patients with ALS and their family caregivers.**

13 januari 2016.

Huub Creemers.

### **Nederlandse samenvatting.**

Momenteel is er nog geen effectieve behandeling om Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS) te genezen of om de ziekte te stoppen. Daarom vraagt de complexe zorg voor patiënten met ALS en hun mantelzorgers continue aandacht.

In de huidige behandelrichtlijnen voor ALS ontbreekt het aan voldoende bewijs voor die aspecten van de ALS zorg die in eerdere studies en in de klinische praktijk als knelpunten zijn geïdentificeerd: de verstrekking van hulpmiddelen en woningaanpassingen (H&WA), de behandeling van symptomen van de ziekte, de coördinatie van de multidisciplinaire zorg, en de overbelasting van de mantelzorger. Het doel van dit proefschrift was om onze kennis over de bovengenoemde knelpunten te vergroten en om van hieruit aanbevelingen te kunnen doen voor verbeteringen in de ALS zorg. Het onderzoek bij patiënten met ALS en hun belangrijkste mantelzorgers richt zich op de volgende thema's: 1) prognostische factoren voor het functionele verloop van de ziekte, 2) het proces van de aanvraag en de verstrekking van H&WA, 3) cliënt gecentreerde, ondersteunende zorg voor patiënten en mantelzorgers, en 4) de overbelasting van de mantelzorger.

ALS is een progressieve motorneuron ziekte, gekenmerkt door verlies van functie van zowel het centrale motor neuron als het perifere motor neuron, met als gevolg spierzwakte van willekeurige spieren in het hele lichaam. Patiënten met ALS tonen een grote variatie in de mate van progressie en in het patroon van de spierzwakte binnen één lichaamsregio en in de uitbreiding van de spierzwakte naar de andere lichaamsdelen. Naast verlies van spierfunctie kunnen ook cognitieve stoornissen en gedragsveranderingen optreden. De grote variatie in het ziektebeloop maakt het lastig een betrouwbare voorspelling te doen van de snelheid van de progressie en van de gevolgen van de verminderde spierfunctie voor het dagelijks leven. Voor een adequate timing van het inzetten van maatregelen en voorzieningen, zoals woningaanpassingen, hulpmiddelen (bijvoorbeeld voor de spraak of de mobiliteit), ademhalingsondersteuning, voedingsmaatregelen en professionele thuiszorg, is inzage nodig in de factoren die samenhangen met de ziekteprogressie. **Hoofdstuk 2** beschrijft de resultaten van een systematisch literatuuronderzoek naar prognostische factoren (sociodemografische, ziekte-specifieke, psychosociale en comorbide factoren) voor de functionele achteruitgang bij patiënten met ALS. Binnen vijf bibliografische databanken vonden we dertien cohort studies naar prognostische factoren voor de daling van de ALSFRS-(Revised) score bij patiënten met een vastgestelde diagnose ALS. De kwaliteit van het bewijs voor de associatie van 'een hogere leeftijd bij aanvang van de ziekte', 'een bulbair begin van de ziekte', 'een kortere tijd tussen aanvang van de symptomen en de diagnose' en 'een lagere ALSFRS-Revised beginscore' met een sterkere afname van de functionele status was laag, met name als gevolg van de beperkte gegevens en de inconsistentie van de resultaten in het kleine aantal geïncludeerde studies.

Het huidige bewijs voor prognostische factoren voor de functionele achteruitgang bij patiënten met ALS is onvoldoende om een betrouwbaar voorspellingsmodel, geschikt voor de dagelijkse

klinische praktijk, te ontwikkelen. 'Data sharing', het delen van (inter-)nationale klinische- en onderzoeksgegevens, en de vooruitzichten van een beter begrip van de genetische aspecten van ALS, zullen waarschijnlijk in de nabije toekomst een meer betrouwbare voorspelling van de functionele achteruitgang van de patiënt mogelijk maken.

In **Hoofdstuk 3** beschrijven we de resultaten van een landelijk onderzoek naar de ervaringen van 179 patiënten met ALS met de aanvraag en verstrekking van H&WA, en in het bijzonder naar de ervaren problemen tijdens de aanvraag. Negenentachtig procent (n = 159) van de deelnemende patiënten heeft aangegeven een aanvraag voor H&WA te hebben gedaan en 58 procent van deze patiënten gaf aan problemen te hebben ervaren tijdens het aanvraag proces. De meest frequent gemelde problemen waren de lange tijdsduur (42%) en het gebrek aan kennis van de ziekte en de gevolgen voor het dagelijks functioneren bij de autoriteiten (24%). De deelnemers gaven aan dat deze twee problemen beslist opgelost moeten worden om de dienstverlening te verbeteren. We concluderen dat de toegenomen bewustwording van de ziekte en de gevolgen van de progressie van de spierzwakte voor het functioneren van de patiënt in het dagelijks leven, minder bureaucratie, vereenvoudigde procedures, minder missers en fouten bij de levering, empowerment van de patiënten en hun mantelzorgers en een proactieve aanpak door alle belanghebbenden zullen bijdragen aan een verbeterde verstrekking van H&WA. Verbeteringen in de voorspelling van de functionele mijlpalen zal de timing van de proactieve aanvraag en verstrekking van H&WA optimaliseren.

Hoofdstuk 4 en 5 beschrijven de resultaten van een “mixed methods” aanpak om effecten van zorg coaching (case management) bij patiënten met ALS en hun belangrijkste mantelzorger te evalueren. In **hoofdstuk 4** worden de resultaten van de cluster gerandomiseerde en gecontroleerde studie (cluster RCT) naar zorg coaching bij patiënten met ALS en hun belangrijkste mantelzorger gepresenteerd. We bestudeerden het effect van 12 maanden intensieve zorg coaching toegevoegd aan de gebruikelijke multidisciplinaire ALS zorg op de kwaliteit van leven (KvL) van patiënten, de zorglast van de mantelzorgers en de kwaliteit van zorg (KvZ) voor de patiënten en voor hun mantelzorgers. Deelnemende multidisciplinaire ALS behandelteams (n = 31) werden gerandomiseerd naar interventie of controle team. Het uitgangspunt voor de zorgcoach interventie waren de vragen van de patiënt en/of de mantelzorger. De rol van de zorgcoach was het geven van emotionele ondersteuning, praktische ondersteuning, het verstrekken van mondelinge en schriftelijke informatie en advies, de deelnemers verwijzen naar zorg professionals, organisaties en instanties, en bemiddelen als er problemen zouden ontstaan tussen deelnemers en zorg professionals, organisaties of instanties.

Honderdtweeëndertig patiënten en 126 mantelzorgers deden mee aan het onderzoek. De resultaten lieten geen significant voordeel zien van zorg coaching, toegevoegd aan standaard multidisciplinaire ALS zorg, op het KvL domein emotioneel functioneren (patiënt), de zorglast van de mantelzorger en de KvZ (patiënt en mantelzorger) in vergelijking met alleen standaard multidisciplinaire ALS zorg. Deze bevindingen moeten worden gezien in de context van de Nederlandse ALS zorg. De relatief lage scores (=betere KvL) op het KvL domein emotioneel functioneren en de hoge mate van tevredenheid van de patiënten en de mantelzorgers met de ALS zorg kunnen een verklaring zijn voor deze resultaten. We concluderen hieruit dat landelijke implementatie van ons case management model niet gewenst is. Onze bevindingen van een toenemende zorglast van mantelzorgers tijdens het ziekteverloop wijst op de noodzaak voor een

prominentere rol van interventies gericht op mantelzorgers in toekomstig onderzoek. Aangezien case management, de internationale term voor zorg coaching, in een aantal andere landen met verschillende gezondheidszorg systemen is ingevoerd in de ALS zorg, kan ons onderzoek mogelijk toekomstige onderzoeksprojecten in andere landen bevorderen.

Tijdens de RCT bleek dat de patiënten en mantelzorgers verschillende behoeften hadden aan informatie, ondersteuning, behandeling, hulpbronnen en zorg. Sommige deelnemers gaven aan profijt te hebben van zorg coaching. Om inzicht te krijgen in de zorgbehoeften van patiënten en in de ervaringen van de patiënten, mantelzorgers en zorg professionals met zorg coaching hebben we een kwalitatieve studie uitgevoerd (**Hoofdstuk 5**). Deze informatie kan bijdragen aan de implementatie van verbeteringen in de ALS zorg voor patiënten en mantelzorgers. In dit deel van ons zorgcoach onderzoek hebben we semi-gestructureerde interviews gehouden met 10 patiënten, 10 mantelzorgers, 8 revalidatieartsen en 2 zorgcoaches. Vervolgens werd een focusgroep (n=20) georganiseerd met patiënten, mantelzorgers en zorg professionals die niet deelnamen aan de RCT. Doel van de focusgroep was aanvullende gegevens verzamelen om de zorgbehoeften die genoemd waren in de interviews te valideren door een bredere groep patiënten en mantelzorgers en om suggesties voor verbeteringen in de ALS zorg te formuleren.

Uit de interviews en de focusgroep hebben we twee hoofdthema's afgeleid: 1) gewaardeerde aspecten van zorg coaching en 2) behoefte aan en ontvankelijkheid voor zorg coaching. Gewaardeerde aspecten van zorg coaching waren de huisbezoeken en voldoende tijd voor overleg, proactief adviseren en emotionele ondersteuning door de zorg coach. Vier factoren lijken van invloed op de behoefte aan en de ontvankelijkheid voor zorg coaching van patiënten en mantelzorgers: suboptimaal functioneren van het ALS behandelteam, een snellere progressie van de ziekte, een minder ondersteunend sociaal netwerk, en persoonlijke factoren zoals een passieve coping stijl, minder onafhankelijk zijn, minder assertief zijn, en terughoudendheid zijn in het vragen om hulp.

Deze kwalitatieve studie heeft ons inzicht in de specifieke zorgbehoeften van patiënten met ALS en hun mantelzorgers vergroot. We concluderen dat in bepaalde omstandigheden aspecten van zorg coaching van toegevoegde waarde voor patiënten en mantelzorgers kunnen zijn. ALS teams kunnen overwegen om gewaardeerde aspecten van zorg coaching (bereikbaarheid, voldoende tijd, proactieve aanpak, emotionele ondersteuning) in de gebruikelijke multidisciplinaire ALS zorg te implementeren. Extra ondersteuning zou aangeboden kunnen worden aan patiënten met een snel progressief ziekte verloop, een passieve coping stijl en een beperkt sociaal netwerk. Cliënt gecentreerde zorg is ALS zorg die het beste past bij de individuele zorgbehoefte van patiënten en hun mantelzorgers.

Het zorgcoach onderzoek liet zien dat de zorglast van mantelzorgers over het jaar waarin de deelnemers gevolgd werden, significant toenam. Een bevinding in overeenstemming met eerdere onderzoeken bij mantelzorgers van patiënten met ALS. Het verminderen van de zorglast van de mantelzorgers is in het belang van zowel de mantelzorgers als van de patiënten. Om ondersteunende interventies te kunnen ontwikkelen is inzicht nodig in factoren die samenhangen met de zorglast van mantelzorgers. In **hoofdstuk 6** beschrijven we de resultaten van onze longitudinale studie die als doel had om de longitudinale associaties tussen de zorglast van de mantelzorger en klinische en psychosociale kenmerken van de patiënt alsmede psychosociale kenmerken van de mantelzorger te onderzoeken. De zorglast van de mantelzorger werd gemeten met de Caregiver Strain Index (CSI)

vragenlijst. Patiënt en mantelzorg factoren (sociodemografische factoren, angst en depressie, coping stijl en ervaren kwaliteit van zorg van zowel patiënt als mantelzorg, naast de patiënt factoren emotioneel welbevinden, ziekte kenmerken en functionele status) werden onderzocht op samenhang met de zorglast van de mantelzorg. Multilevel regressie analyses toonden aan dat de zorglast van de mantelzorg was geassocieerd met de patiënt factoren 'fysieke beperkingen' en 'emotioneel welbevinden' en met de mantelzorg factoren 'coping stijl', 'symptomen van angst' en 'ervaren kwaliteit van ALS zorg'. De multidisciplinaire teams, betrokken bij de zorg voor patiënten met ALS, zouden zich bewust moeten zijn van deze factoren en zouden hun aandacht voor de mantelzorg moeten vergroten. Onze bevindingen kunnen bijdragen aan de ontwikkeling van ondersteunende interventies gericht op de coping stijl van de mantelzorg, het verminderen van angst bij de mantelzorg en op het emotioneel welbevinden van de patiënt met ALS.

In de algemene discussie (**hoofdstuk 7**) zijn de belangrijkste bevindingen, de sterke punten en de beperkingen van dit proefschrift beschreven. Tot slot worden de implicaties van de onderzoeksbevindingen voor verbeteringen in de ALS zorg besproken en worden aanbevelingen voor toekomstig onderzoek gedaan.

Aangezien ALS een heterogene aandoening is met grote variatie in het ziekteverloop, blijft het op het juiste moment aanbieden van optimale zorg voor patiënten met ALS en hun mantelzorgers een grote uitdaging voor professionals in de ALS zorg. Derhalve zal een nauwkeurige voorspelling van het verlies van spierkracht en de gevolgen voor het dagelijks functioneren bijdragen bij aan optimaal zorgmanagement. Verbeteringen in de voorspelling van de functionele status van de patiënt zal ook het tijdig realiseren van H&WA optimaliseren. Ondanks de huidige kennis over prognostische factoren voor de functionele achteruitgang bij patiënten met ALS is er op dit moment onvoldoende bewijs om een betrouwbaar voorspellingsmodel te ontwikkelen dat kan ondersteunen bij de klinische besluitvorming.

Vanuit de onderzoeken die in dit proefschrift gepresenteerd worden kunnen de volgende aanbevelingen voor de multidisciplinaire ALS zorg, passend bij de individuele zorgbehoefte van de patiënten en hun mantelzorgers, worden gedaan:

- Biedt de patiënt en de mantelzorg proactieve zorg op maat.
- Bespreek de kwaliteit van de ALS zorg met de patiënt en de mantelzorg.
- In het belang van zowel de patiënt als de mantelzorg; zorg voor de mantelzorg.
- Blijf alert op kwetsbare patiënten en mantelzorgers: een snel progressief ziekteverloop, een inadequate coping stijl, een minder ondersteunend of een ontoereikend sociaal netwerk en minder assertieve of minder zelfvoorzienende patiënten en mantelzorgers.
- ALS zorg professionals moeten gemakkelijk toegankelijk en bereikbaar zijn.
- Overweeg om een centraal aanspreekpunt binnen het multidisciplinaire ALS behandelteam te benoemen.
- Empower de patiënt en de mantelzorg in het aanvraagproces van H&WA.

Aanbevelingen voor toekomstig onderzoek zijn de ontwikkeling van een betrouwbaar model voor het nauwkeurig voorspellen van de functionele achteruitgang van de patiënt met ALS om zorgprofessionals in de dagelijkse praktijk te ondersteunen. De ontwikkeling van een ALS-specifiek samengesteld meetinstrument met inbegrip van biomarkers voor ziekteprogressie (bijvoorbeeld: urinezuur, creatinine, bloeddruk) voor een betrouwbare meting van de functionele achteruitgang gedurende het gehele ziekteverloop is nodig. ALS-specifieke vragenlijsten voor het meten van de zorgbehoefte van de patiënt en de mantelzorgers en de tevredenheid van de patiënt en de mantelzorgers met de zorg zouden ontwikkeld moeten worden in overleg met patiënten en mantelzorgers. Nader onderzoek naar de ontwikkeling van evidence-based ondersteunende interventies die zich richten op de coping-stijl van de mantelzorgers en het verminderen van angstklachten bij de mantelzorgers is nodig. Daarnaast behoeven psychologische interventies gericht op het emotioneel welbevinden van de patiënt in toekomstig onderzoek te worden onderzocht. Voorgesteld wordt om het H&WA onderzoek in een 'mixed methods' onderzoeksproject te herhalen om longitudinaal het effect van de ALS bewustzijn en bekendheid campagne en de implementatie van een ALS informatiepakket te onderzoeken. De implementatie van spoedprocedures voor de aanvraag en levering van H&WA is nodig om tijdige verstrekking van H&WA te realiseren.

Toekomstig (inter-)nationaal gezamenlijk onderzoek is nodig om tot evidence-based verbeteringen in de multidisciplinaire ALS zorg te komen. De huidige ontwikkeling van de oprichting van een nationaal ALS Zorg en Onderzoek Netwerk binnen het ALS Centrum Nederland vormt een organisatorische basis voor de verdere ontwikkeling van ALS zorg onderzoek en excellente kwaliteit van ALS zorg en voor intensieve (inter-)nationale samenwerking binnen de onderzochte zorg onderwerpen.