

Dr. M.H. Cnossen

Potentiele belangenverstrengeling	Organisatie/ Bedrijf
<i>Voor bijeenkomst mogelijk relevante relaties met bedrijven</i>	
Investigator-initiated research grants	Netherlands Organisation for Scientific Research (NWO)/ Netherlands National research Agenda (NWA), the Netherlands Organization for Health Research and Development (ZonMw), Dutch Innovatiefonds Zorgverzekeraars, Baxter/Baxalta/Shire/Takeda, Pfizer, Bayer Schering Pharma, CSL Behring, Sobi Biogen, Novo Nordisk, Roche, Novartis and Nordic Pharma
Travel grants; speaker fees	Idem
Steering board membership	Roche, Bayer, Novartis
* <i>All fees go to the Erasmus MC as an institution.</i>	



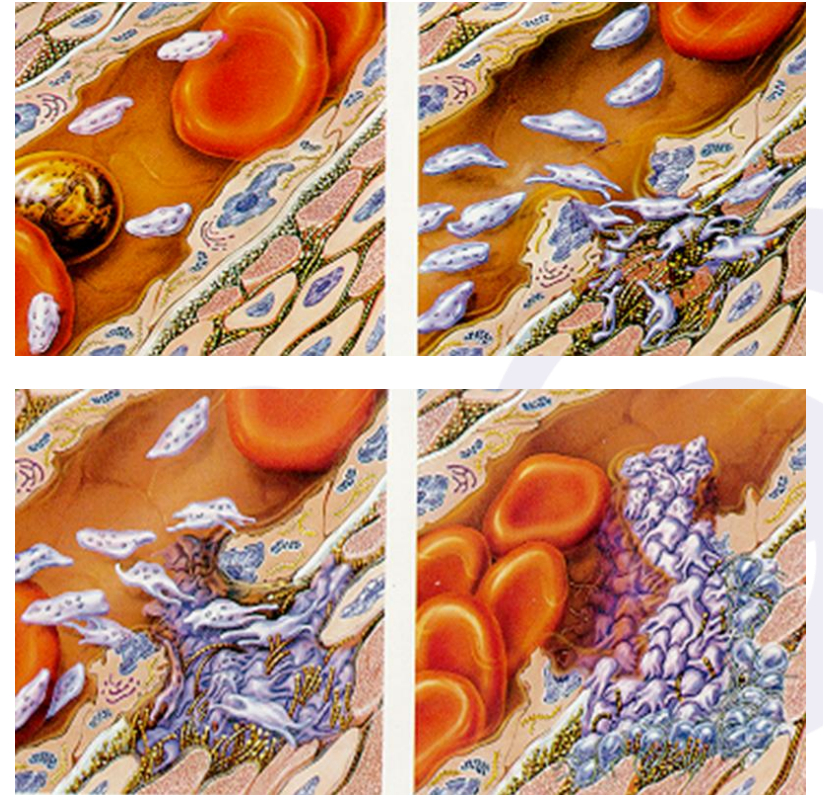
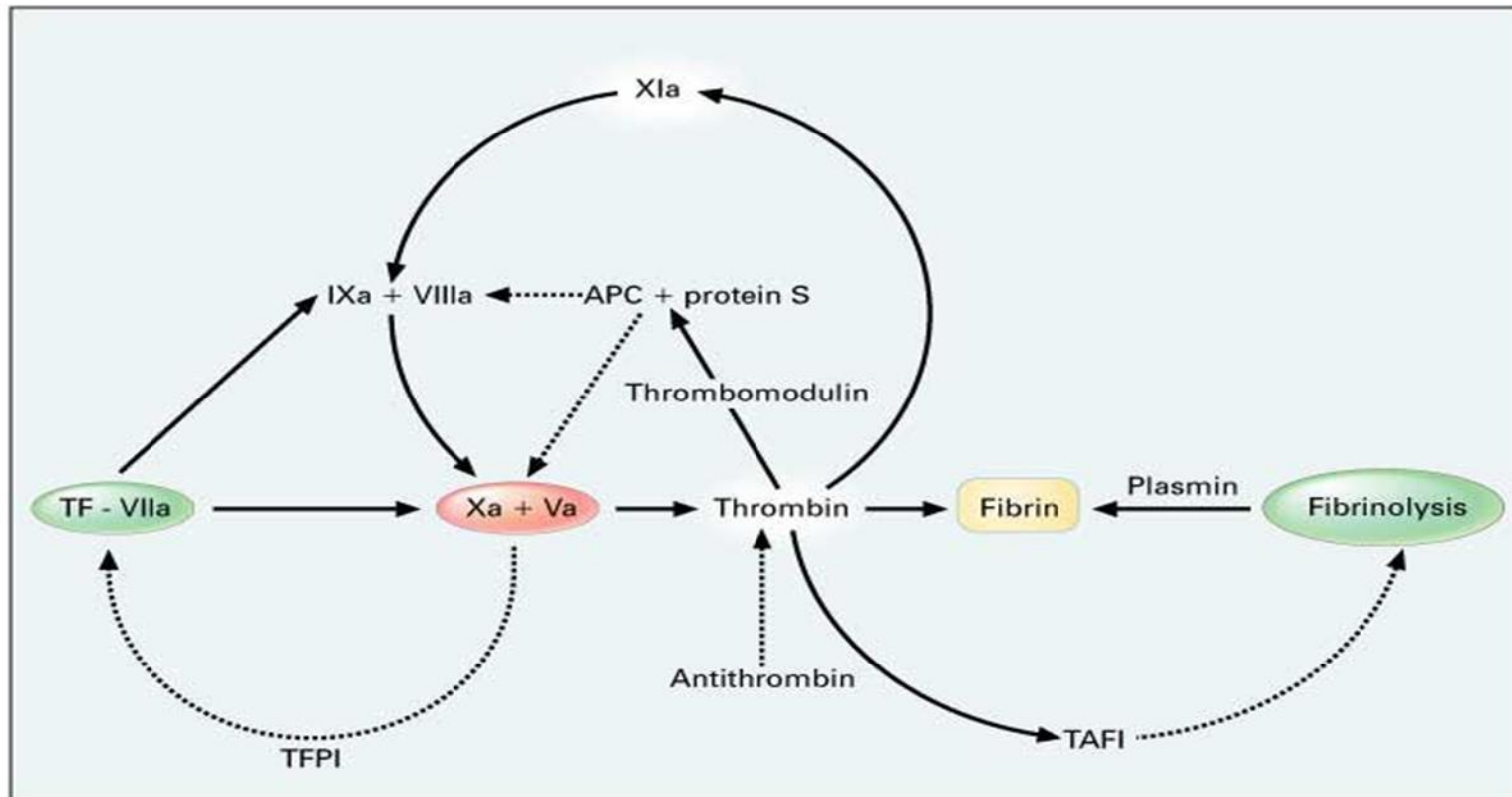
De (verbindings)weg van OPTI-CLOT naar SYMPHONY; 10 jaar ZonMW GGG

Dr. Marjon H. Cnossen, kinderarts-hematoloog

ZonMw GGG congres, donderdag 31 maart 2022, Ronde 2

www.symphonyconsortium.nl

Hemostase = verbindend



de Volkskrant

DE VOLKSKRANT BV JACOB BONTIUSPLAATS 9, POSTBUS 1002, 1000 BA, AMSTERDAM REDACTIE@VOLKSKRANT.NL TEL.: REDACTIE 020-562 9222 KLANTENSERVICE 088-056 1561 BEZORGER 020-562 9222



De voorzitters van de Nationale Wetenschapsagenda Beatrice de Graaf en Alexander Rinnooy Kan (rechts) in de Fokker Terminal in Den Haag in 2015. Beeld Cigdem Yuksel

In 2015 werd de Nationale Wetenschapsagenda (NWA) opgericht om de Nederlandse bevolking meer te betrekken bij de wetenschap. Er konden vragen ingestuurd worden, wat in groten getale gebeurde: de bijna 12 duizend vragen werden uiteindelijk ondergebracht in 25 wetenschappelijke routes.

Eind 2018 konden wetenschappers voor het eerst onderzoeksvoorstellen indienen voor de NWA. Ook dit gebeurde in groten getale: 323 onderzoeksgroepen dienden een voorstel in, elk team bestaande uit zowel wetenschappers als partners uit het bedrijfsleven of het maatschappelijk middenveld. Cofinanciering van buiten de universiteit was namelijk een noodzakelijke



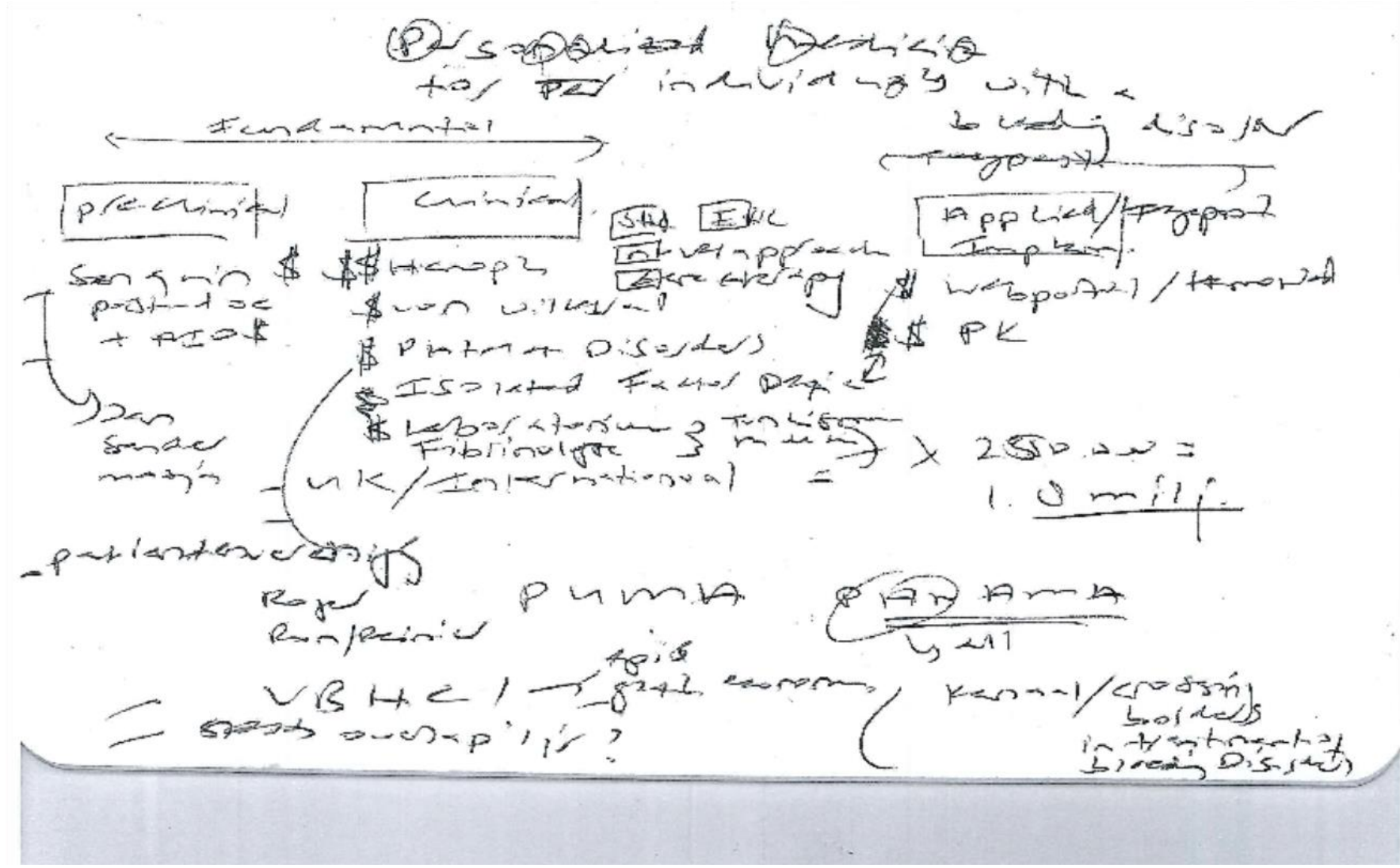
NWA
Netherlands
for

NWA
Wetenschaps
agenda



Dinsdag, 8 mei 2018

Er was eens....



Zorg in Nederland

Visie

- Beleidsvisie Minister Els Borst (2000) -> Concentratie van zorg
- Zeldzame ziekten, dure geneesmiddelen, expertise nodig maar ook kunnen opbouwen -> NFU-Expertise Centra (ECZA)
- HKZ geaccrediteerde centra

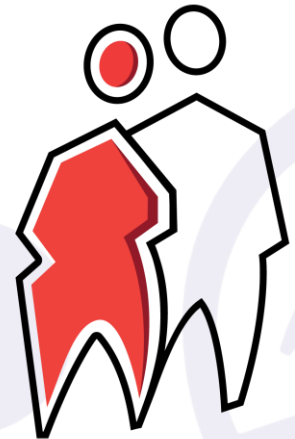
Huidige ontwikkelingen

- Nieuwe geneesmiddelen naast/i.p.v. factor concentraten
- Gentherapie
- Algemene ontwikkelingen gezondheidszorg w.o.kosten

Patiëntenvereniging



- Patient advocacy
- Belangrijke rol patiënten register HemoNed
- Ministerie VWS-OCW: CF en hemofilie zorg voorbeeld



NVHP

Nederlandse Vereniging van Hemofilie-Patiënten

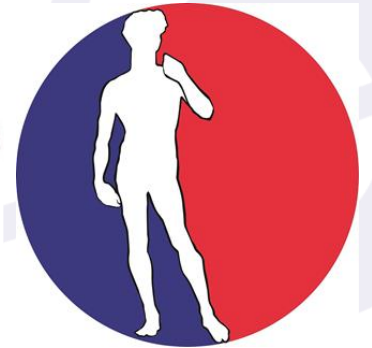
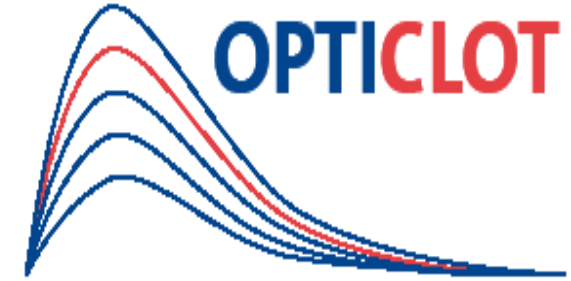
Traditie onderzoek

- Klinisch
- Translationeel
- Fundamenteel

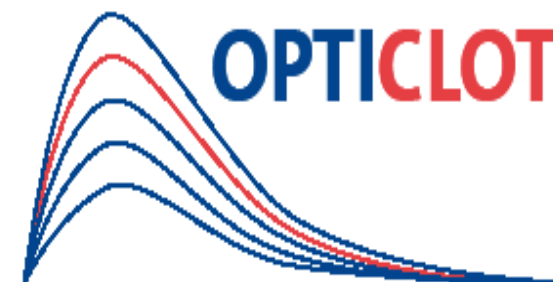


ZonMw

10 jaar ZonMW GGG



OPTI-CLOT studies



Perioperative pharmacokinetic-guided factor VIII concentrate dosing in haemophilia (OPTI-CLOT trial): an open-label, multicentre, randomised, controlled trial

*Iris van Moort, Tim Preijers, Laura H Bukkems, Hendrika C A M Hazendonk, Johanna G van der Bom, Britta A P Laros-van Gorkom, Erik A M Beckers, Laurens Nieuwenhuizen, Felix J M van der Meer, Paula Ypma, Michiel Coppens, Karin Fijnvandraat, Roger E G Schutgens, Karina Meijer, Frank W G Leebeek, Ron A A Mathôt, Marjon H Cnossen, for the OPTI-CLOT study group**

Summary

Background Dosing of replacement therapy with factor VIII concentrate in patients with haemophilia A in the perioperative setting is challenging. Underdosing and overdosing of factor VIII concentrate should be avoided to minimise risk of perioperative bleeding and treatment costs. We hypothesised that dosing of factor VIII concentrate on the basis of a patient's pharmacokinetic profile instead of bodyweight, which is standard treatment, would reduce factor VIII consumption and improve the accuracy of attained factor VIII levels.

Lancet Haematol 2021;
8: e492-502

See [Comment](#) page e469

*Study group members are listed
in the appendix (p 3)

Department of Pediatrics

The background features several overlapping circles in a light purple color. A solid dark blue horizontal band runs across the middle of the image, containing the text 'SYMPHONY CONSORTIUM' in white, bold, uppercase letters.

SYMPHONY CONSORTIUM



- **Netherlands Hemophilia Patient Society (NVHP)**
- **All Hemophilia Treatment Centers**
 - Erasmus MC & Erasmus University
 - Amsterdam UMC
 - University Medical Center Groningen
 - University Medical Center Utrecht
 - Leiden University Medical Center
 - Radboud UMC
- **Sanquin Research & Sanquin Diagnostics**
- **Dutch Hemophilia Treaters Society (NVHB)**
Dutch Society on Thrombosis and Hemostasis (NVTH)
- **Bayer B.V. & CSL Behring B.V. & Sobi Benelux**

A map of the Netherlands is shown in the background, with several red location pins indicating the locations of the consortium members. The pins are scattered across the country, with a higher concentration in the western and central regions. The map is rendered in a light gray color, and the pins are a vibrant red color.

SYMPHONY Consortium

The background features several overlapping circles in a light purple color. A solid dark blue horizontal band runs across the middle of the image, containing the text.

INTER-DISCIPLINARY APPROACH

Multidisciplinary



Expertises

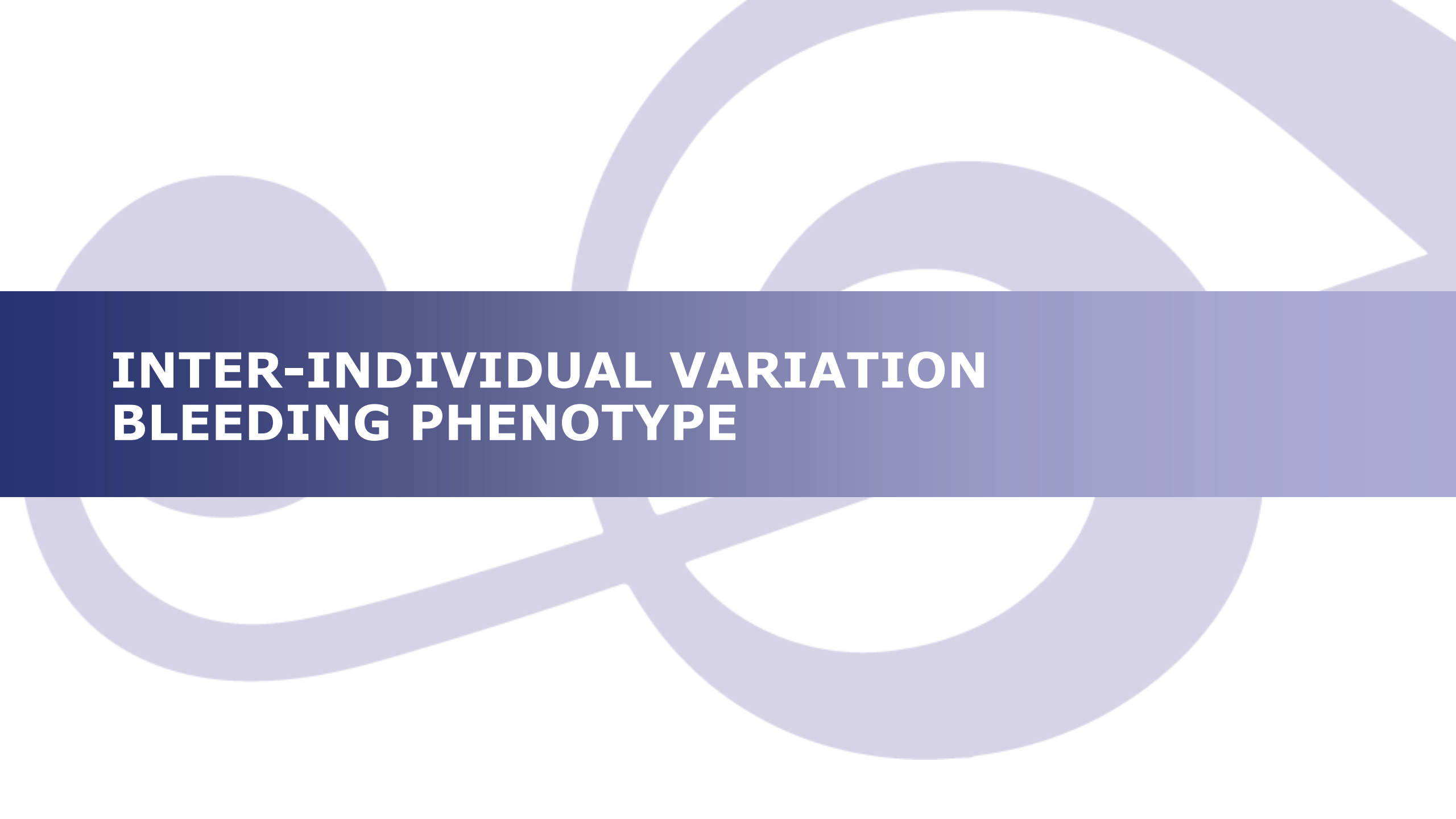
(pediatric)hematology, clinical pharmacology, psychology, clinical genetics, epidemiology, value-based health care experts, ethicists, ICT en m-health, biochemistry, molecular genetics, (medical) biology, business economics, marketing & sales, patient advocacy, industrial design

consortium. Cnossen: "Experts zoals fundamentele onderzoekers en epidemiologen, maar ook gezondheidseconomen, klinisch farmacologen, value-based health care experts, ethici, psychologen, ICT en e-health deskundigen werken samen om de gestelde doelstellingen te bereiken."

Vele deskundigen vanuit het Erasmus MC en de Erasmus Universiteit nemen deel aan dit baanbrekend onderzoek, waaronder Frank Legeest, Moniek de Maat, Ruben Biefrings, Yvonne Krup, Elise Huisman, Jan Hazelzet, Hester Jongsma, Jeroen Buijs, en Carin Jyl. Ook drie externe deskundigen uit het Erasmus MC zoals Iris van Moort en Nikki van Leeuwen zullen SYMPHONY versterken.

Cnossen: "We zetten in op maximaal klinisch effect en de beste gezondheidsuitkomsten, zonder excessieve kosten voor de maatschappij."





INTER-INDIVIDUAL VARIATION BLEEDING PHENOTYPE



ORGANISATION

WP 1: Management

WP 2: Knowledge utilisation and/or entrepreneurship

THEME 1 Optimisation of diagnostic assays

WP 3: Novel diagnostic assays for coagulation factor deficiencies

WP 4: Advanced diagnostics for platelet function disorders

THEME 2 Towards personalised medicine and best treatment choice

WP 5: Establishing a value-based health care approach

WP 6: Dose individualization of factor concentrates and desmopressin using population pharmacokinetic (PK) modeling

WP 7: Implementation of novel treatment strategies by e-health systems

WP 8: Costs and effects of personalised treatment in bleeding disorder patients

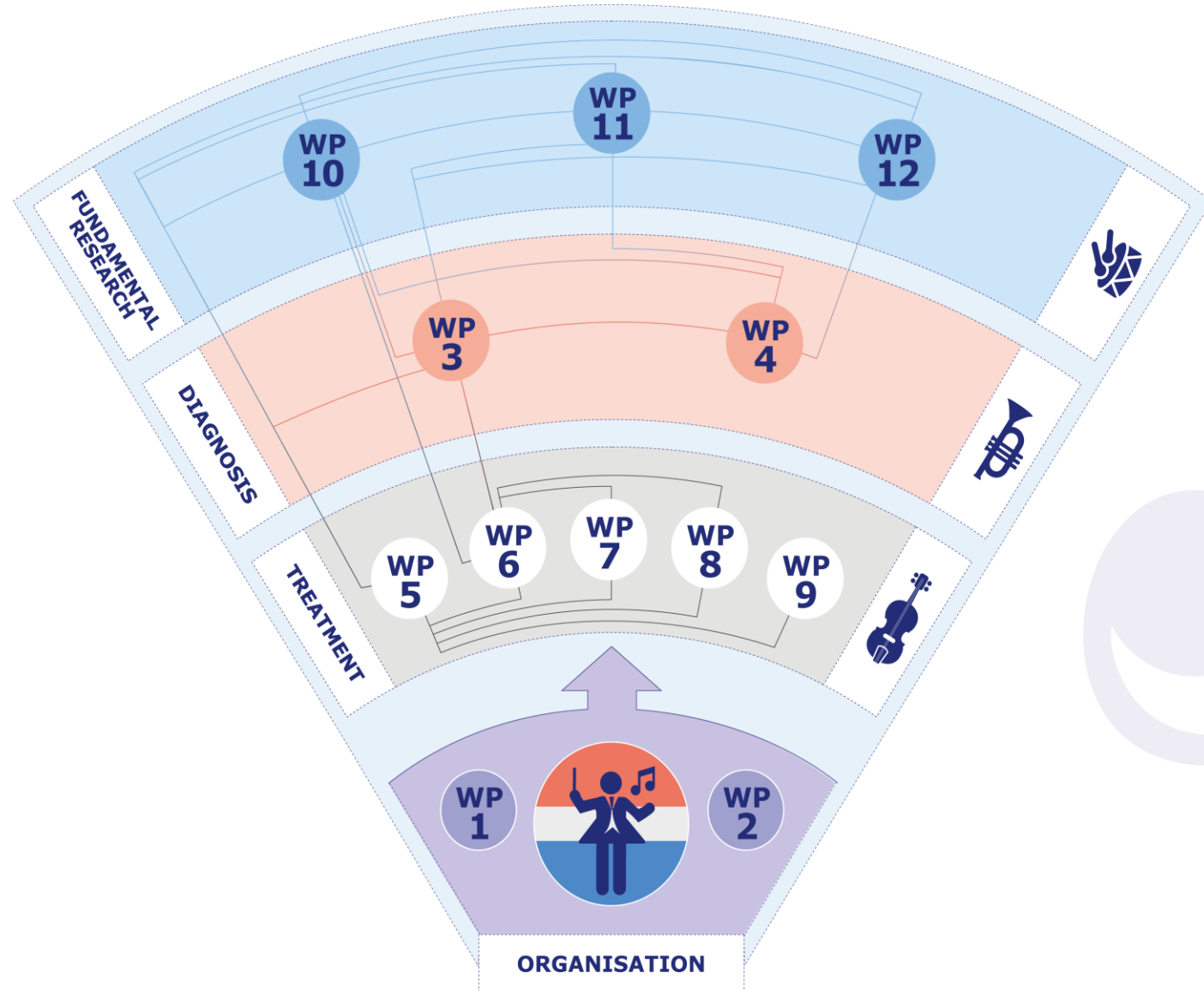
WP 9: Ethical dilemmas of treatment choice

THEME 3 Unravelling the fundamental aspects of haemostasis

WP 10: Linking the proteome to bleeding phenotype

WP 11: Unravelling the genetic origins of platelet disorders using iPSC model systems

WP 12: The endothelial compartment as disease modifier in bleeding disorders



SYMPHONY PHDS



biochemists - fundamental scientists - statisticians - value based health care specialists - health care cost analysts - geneticists



clinical pharmacologists - psychologist - ICT experts - medical specialists - laboratory specialists - epidemiologists - ethicists



patient society - (cel)biologists - philosophers - medical technology assessment specialists - pharmaceutical companies



Young talent in the SYMPHONY consortium lead by Dr Marjon H. Cnossen



**“If you want to go fast,
go alone.
If you want to go far,
go together”**

- African proverb -



Saskia Maarse | cultuurquotes



Questions & Suggestions

Marjon Clossen: 06-24272878

Simone Reitsma: 06-36111673

symphony@erasmusmc.nl

www.symphonyconsortium.nl





Nederlandse Vereniging voor Trombose en Hemostase





WORKPACKAGES

CONSORTIUM

Principal Investigator

Dr. M.H. Cnossen

Project coordinator

Dr. S.H. Reitsma

Theme Diagnostics

Prof. dr. M. de Haas

Dr. M. van den Biggelaar

Prof. dr. M.P.M de Maat

R.A. Arisz

Prof. dr. R.E.G. Schutgens

Dr. R.T. Urbanus

M. Zivkovic

Theme Fundamental Research

Prof. dr. J.J. Voorberg

Prof. dr. C.J. Fijnvandraat

Prof. dr. A.B. Meijer

J. Del Castillo Alferes

Dr. E. van den Akker

H. Zhang

Dr. R. Bierings

Prof dr. H.C.J. Eikenboom

Dr. I. van Moort

S.N.J. Laan

Theme Treatment

Prof. dr. F.W.G. Leebeek

Dr. H.F. Lingsma

Prof. dr. J.A. Hazelzet

E.S. van Hoorn

Prof. dr. R.A.A. Mathot

L.H. Bukkems

M.C.H.J. Goedhart

L.G.R. Romano

W. Al Arashi

M.E. Cloesmeijer

A. Janssen

Dr. S.C. Gouw

M.R. Brands

Prof. dr. K. Meijer

Prof. dr. A.L. Bredenoord

Dr. R. van der Graaf

L. Baas