



Universiteit  
Leiden

The Netherlands

## **Patient-centered value-based healthcare in long-term follow-up after pediatric stem cell transplantation for nonmalignant diseases**

Bense, J.E.

### **Citation**

Bense, J. E. (2024, February 29). *Patient-centered value-based healthcare in long-term follow-up after pediatric stem cell transplantation for nonmalignant diseases*. Retrieved from <https://hdl.handle.net/1887/3720035>

Version: Publisher's Version

License: [Licence agreement concerning inclusion of doctoral thesis in the Institutional Repository of the University of Leiden](#)

Downloaded from: <https://hdl.handle.net/1887/3720035>

**Note:** To cite this publication please use the final published version (if applicable).



# **Appendices**

---

**List of abbreviations**

**List of publications**

**Curriculum Vitae**

**Dankwoord**

## List of abbreviations

AMH = anti-Müllerian hormone

BMF = bone marrow failure

BMI = Body Mass Index

BMT = bone marrow transplantation

CC = chronic condition

cGVHD = chronic graft versus host disease

COVID = corona virus disease

CVA = cerebrovascular accident

Distress Thermometer for Parents (DT-P)

FSH = follicle stimulating hormone

FT4 = free thyroxin

GVHD = graft versus host disease

HBP = hemoglobinopathies

HCP = health care professional

HPA = hypothalamic-pituitary axis

HPV = humane papillomavirus

HRQoL = health related quality of life

HRT = hormone replacement therapy

HSCT = hematopoietic stem cell transplantation

ICHOM = International Consortium for Health Outcomes Measurement

IEI = inborn errors of immunity

IEM = inborn errors of metabolism

IGF = insulin-like growth factor

LCI = Landelijke Coördinatie Infectieziektebestrijding

LEEF = Late Effects Follow-up

LH = luteinizing hormone

NAH = near adult height

NFU = Netherlands Federation of University Medical Centers

NVK = Nederlandse Vereniging voor Kindergeneeskunde

PRE = patient-reported experience

PREM = patient-reported experience measure

PRO = patient-reported outcome

PROM = patient-reported outcomes measure

PTH = parathyroid hormone

SAA = severe aplastic anemia

SDM = shared-decision making

SCID = severe combined immunodeficiency

SS = short stature

TAI = total abdominal irradiation

TBI = total body irradiation

TSH = thyroid stimulating hormone

VBHC = value-based healthcare

## List of publications

### This thesis

**Bense, J.E.**, Lankester, A.C., Bresters, D., Versluys, A.B., Louwerens, M., & de Pagter, A.P.J. (2023). Leidraad late effecten follow-up na kinderstemceltransplantatie of celtherapie voor benigne hematologische, metabole of immunologische indicatie - Screening guideline for late effects after pediatric stem cell transplantation or cell therapy for nonmalignant diseases Nederlands Tijdschrift voor Hematologie.

### *Submitted*

**Bense, J.E.**, Guilonard, N., Zwaginga, F., Stiggelbout, A.M., Louwerens, M., Mekelenkamp, H., Lankester, A.C., Pieterse, A.H., & de Pagter, A.P.J. (2023). The value of using patient-reported outcomes for health screening during long-term follow-up after paediatric stem cell transplantation for nonmalignant diseases. *Health Expect*, 27(1). <https://doi.org/10.1111/hex.13902>

**Bense, J.E.**, Stiggelbout, A.M., Lankester, A.C., & de Pagter, A.P.J. (2023). Long-term parental distress after pediatric hematopoietic stem cell transplantation for nonmalignant diseases. *Pediatr Blood Cancer*, 70(11), e30638. <https://doi.org/10.1002/pbc.30638>

**Bense, J.E.**, Stiggelbout, A.M., Lankester, A.C., & de Pagter, A.P.J. (2023b). Passende zorg is Levensloopzorg: een blauwdruk voor implementatie van waardegedreven zorg. *Qruux*. <https://www.qruux.com/passende-zorg-is-levensloopzorg-een-blauwdruk-voor-implementatie-van-waardegedreven-zorg/>

**Bense, J.E.**, Haverman, L., von Asmuth, E.G.J., Louwerens, M., Luijten, M.A.J., Stiggelbout, A.M., Lankester, A.C., & de Pagter, A.P.J. (2023). Late Effects in Pediatric Allogeneic Hematopoietic Stem Cell Transplantation for Nonmalignant Diseases: Proxy- and Patient-Reported Outcomes. *Transplant Cell Ther*, 29(3), 186.e181-186.e110. <https://doi.org/10.1016/j.jtct.2022.12.024>

**Bense, J.E.**, Ter Welle, L., Mekelenkamp, H., Schimmel, M., Louwerens, M., Lankester, A.C., Pieterse, A.H., & de Pagter, A.P.J. (2022). Exploring the long-term psychosocial

impact of paediatric haematopoietic stem cell transplantation for nonmalignant diseases. *Health Expect*, 25(5), 2462-2470. <https://doi.org/10.1111/hex.13565>

de Kloet, L.C.#, **Bense, J.E.#**, van der Stoep, M., Louwerens, M., von Asmuth, E.G.J., Lankester, A.C., de Pagter, A.P.J., & Hannema, S. E. (2022). Late endocrine effects after hematopoietic stem cell transplantation in children with nonmalignant diseases. *Bone Marrow Transplant*, 57(10), 1564-1572. <https://doi.org/10.1038/s41409-022-01755-x>

*# Shared first author*

### Other publications

van der Stoep, M., **Bense, J.E.**, de Kloet, L.C., von Asmuth, E.G.J., de Pagter, A.P.J., Hannema, S.E., Guchelaar, H.J., Zwaveling, J., & Lankester, A.C. (2023). Effect of Busulfan and Treosulfan on Gonadal Function after Allogeneic Stem Cell Transplantation in Children and Adolescents with Nonmalignant Diseases Is Not Exposure-Dependent. *Transplant Cell Ther*, 29(8), 529.e521-529.e525. <https://doi.org/10.1016/j.jtct.2023.05.003>

Mekelenkamp, H., de Vries, M., Markovitch, B., Sirait, T., Pieterse, A.H., **Bense, J.E.**, Kleinschmidt, K., Albert, M.H., Neven, B., Corbacioglu, S., Lankester, A., & Smiers, F. (2023). Decision making on HSCT in patients with hemoglobinopathies; an EBMT Pediatric Diseases Working Party and Inborn Errors Working Party scenario-based survey on physicians' perspectives. *Bone Marrow Transplant*, 58(5), 584-586. <https://doi.org/10.1038/s41409-023-01926-4>

Lugthart, G., Jordans, C.C.E., de Pagter, A.P.J., Bresters, D., Jol-van der Zijde, C.M., **Bense, J.E.**, van Rooij-Kouwenhoven, R.W.G., Sukhai, R.N., Louwerens, M., Dorresteyn, E.M., & Lankester, A.C. (2021). Chronic kidney disease ten years after pediatric allogeneic hematopoietic stem cell transplantation. *Kidney Int*, 100(4), 906-914. <https://doi.org/10.1016/j.kint.2021.05.030>

## **Curriculum Vitae**

Joëll Bense is geboren op 31 mei 1993 in Venlo. In 2011 behaalde zij haar VWO-Atheneum diploma aan het Valuascollege in Venlo. Vervolgens volgde ze gedurende één jaar de studie Gezondheidswetenschappen in Maastricht. In 2012 startte ze met haar studie Geneeskunde. Aan het einde van haar bachelostudie kwam ze voor het eerst in aanraking kwam met de stamcelgeneeskunde en ervoer de klinische kant hiervan tijdens haar semi-artsstage bij de afdeling kinderstemceltransplantatie. Ze behaalde haar masterdiploma in december 2018. Direct daarna ging ze aan de slag als arts-assistent kindergeneeskunde in het Spaarne Gasthuis in Haarlem. Na een jaar werkervaring te hebben opgedaan, begon ze in januari 2020 aan haar promotietraject bij de kinderstemceltransplantatie van het Leids Universitair Medisch Centrum. Dit deed ze onder begeleiding van prof. dr. A.C. Lankester, prof. dr. A.M. Stiggelbout en dr. A.P.J. de Pagter. Het promotietraject rondde ze succesvol af in maart 2023. Daarna ging ze werken als arts-assistent kindergeneeskunde bij het Reinier de Graaf Ziekenhuis in Delft. Per 1 januari 2024 is Joëll gestart met haar opleiding tot kinderarts in het Leids Universitair Medisch Centrum.





## **DANKWOORD**

Dit proefschrift had ik nooit kunnen voltooien zonder de onschatbare steun van velen om mij heen. Dankzij hun hulp heb ik het maximale uit mijn promotietraject kunnen halen. Door de lessen die ik heb geleerd, kan ik oprecht zeggen dat ik, zowel als dokter als mens, ben veranderd.

Allereerst wil ik alle patiënten en hun families bedanken. Niet alleen hebben de patiënten richting gegeven aan de onderzoeksonderwerpen, maar ze hebben ook inzicht geboden in de gebieden waar verbetering van de zorg noodzakelijk is. Door nauwe samenwerking ben ik me bewust geworden van de impact die een zorgverlener kan hebben op een patiënt. Hartelijk dank voor jullie waardevolle input, waarmee we samen de zorg verder kunnen verbeteren.

Anne, dank dat jij mij onderdeel hebt gemaakt van het LEEF team. Jouw manier van samenwerken en vermogen om enthousiasme over te brengen op anderen, zie ik als een voorbeeld.

Arjan, dank voor alle steun die je hebt geuit door mijn gehele promotietraject en mijn vervolgstappen. Ik waardeer hoe laagdrempelig benaderbaar je bent en de oprechte interesse die je hebt getoond.

Anne S, dank voor de begeleiding in de, voor mij eerder nog onbekende, wegen in het Waardegedreven Zorg onderzoeksveld. Ik waardeer jouw expertise en betrokkenheid tijdens mijn promotieonderzoek.

Trude, samen waren we als Jut en Jul op pad in het Waardegedreven Zorg landschap. Dank voor al je steun en de soapverhalen die we hebben gedeeld. Ik kan me niemand beter voorstellen om de stappen verder uit te werken die we hebben bedacht. Je bent een topper met een gouden hart en ik ben blij dat je vandaag naast me staat.

Erik, door jouw statistische hulp en lessen zijn mijn onderzoeken naar een hoger niveau getild, waarvoor veel dank. Ook bedankt voor de gezelligheid op onze onderzoekskamer, samen met Trude, Anne en de familie Hazes.

Marloes en Dominique, dank voor de fijne samenwerking. Mede dankzij jullie hebben we een breed scala aan patiënten kunnen betrekken. Op naar een nog betere samenwerking door het verbeteren van de transitie.

SCT team, dank voor jullie betrokkenheid bij mijn onderzoek. Ik heb me altijd thuis gevoeld in het SCT team.

WGZ team, dank voor jullie enthousiaste begeleiding en lessen vanuit andere zorgpaden. Nienke en Caroline, ik heb veel van jullie geleerd op het gebied van organisatie, maar ook zeker van creatief denken, die ik nu ook in de praktijk toepas.

Studentes, Lisa, Lieke, Sophie, Sascha, Mirthe, Nicole en Femke, dank dat ik jullie heb mogen begeleiden tijdens jullie wetenschapsstages. Ik ben zeer dankbaar voor jullie inzet.

Pharos instituut, dank voor de samenwerking waardoor de informatie voor patiënten is verbeterd. De boodschap die jullie uitdragen, waarin de zorg voor iedereen toegankelijk moet zijn, neem ik mee in mijn toekomst.

Sircle Creative, Sebastiaan, dank voor de samenwerking bij het ontwikkelen van voorlichtingsfilmpjes. Het was mooi om te zien hoe jij voelde dat je een bijdrage hebt geleverd aan de verbetering van de informatievoorziening voor patiënten.

PhD dummies, collega's onderzoekers, dank dat ik altijd bij jullie kon aansluiten en dank voor de gezelligheid.

Familie Hazes, dank voor het spelen van een grote rol in het LEEF team, van versiering aan de muur tot aan hoofdpersonages in vele soapseries.

Bij het terugkijken op de afgelopen jaren werd mijn plezier in mijn werk alleen maar groter door de vele lieve mensen om mij heen.

Lieve familie, mam, pap, Janou, Roy, Sadée, Philip, Rico en Leonie, ik ben dankbaar voor de sterke band die we met elkaar hebben. Door jullie, waar ik op dat moment ook ben, voel ik me altijd thuis en geliefd. Het idee dat ik jullie nu nog trotser kan maken doet me goed. Lieve Jill, Lino en Julia, ik ben zo blij dat ik jullie tante Jojo mag zijn en dat ik jullie van zo dichtbij zie opgroeien. Ik krijg altijd een lach op mijn gezicht als ik jullie zie en zelfs ook als ik alleen maar even aan jullie denk.

Lieve familie Bense, de manier waarop jullie altijd oprechte interesse tonen is bewonderingswaardig. Ik heb jullie steun, en van opa en oma, altijd gevoeld.

Lieve familie Dings, lieve oma, auk op afstand heb ik de leefde vanoët og altiëd geveuld. Det daen andere alde vanoët heejbaove met eine gruuëtse glimlach naor os bliëf kiëke.

Lieve vrienden, dank voor het af en toe doorpikken van mijn onderzoeksbubbel en het vele lachen (en borrelen). Ik geniet van onze bourgondische leefstijl en wil nog lang niet dat deze stopt.