

SIDE EVENT

Amyotrophic Lateral Sclerosis – The perspective of patient associations

10/10/2023
BILBAO, BASQUE COUNTRY, SPAIN



Schlussfolgerungen und Empfehlungen

Üblicherweise sind die Gesundheitssysteme auf häufiger auftretende Krankheiten ausgerichtet, sodass Patienten mit seltenen Krankheiten beim Zugang zu Diagnostik, Versorgung und Behandlung im Vergleich zur übrigen Bevölkerung mit Ungleichheiten konfrontiert sind. Dies stellt für die von seltenen Krankheiten betroffenen Menschen in der Regel eine erhebliche soziale und wirtschaftliche Belastung dar.

Die amyotrophe Lateralsklerose (ALS) ist ein gutes Beispiel hierfür. Von dieser seltenen Krankheit betroffene Patienten und ihre Angehörigen in ganz Europa haben Organisationen auf lokaler, nationaler und europäischer Ebene gegründet, um für ihre Bedürfnisse zu sensibilisieren. Sie fordern die relevanten Akteure unermüdlich zum Handeln auf, wobei in erster Linie politische Veränderungen vorangetrieben und diese in konkrete Maßnahmen auf nationaler und europäischer Ebene umgelegt werden müssen. Zudem vertreten sie die Auffassung, dass die Entwicklung von Forschung, Frühdiagnose und individuell abgestimmter Versorgung von Patienten und Pflegekräften sowie die finanzielle Unterstützung Hand in Hand mit den Werten eines unterstützenden, sozialen und mitfühlenden Europas gehen. Es bedarf eines harmonisierten Ansatzes, mit dem ein Mindestmaß an Unterstützung in der gesamten EU festgelegt wird. Dabei muss den spezifischen mit ALS verbundenen Problemen Rechnung getragen werden. Dazu zählt auch die Verringerung des Familieneinkommens, wenn ein Patient oder ein pflegender Angehöriger seinen Arbeitsplatz aufgibt. Für kranke Menschen ist es von entscheidender Bedeutung, dass sie eine optimierte und individuell auf sie zugeschnittene Diagnose erhalten, bei der die Bedürfnisse im Voraus erkannt sowie frühzeitig Maßnahmen ergriffen und neue Behandlungsmöglichkeiten geschaffen werden. Im Hinblick auf künftige Verbesserungen müssen bei Wissen und Instrumenten Fortschritte erzielt werden.

Methoden und Marker werden nicht nur entwickelt, um die Krankheit zu diagnostizieren, sondern auch, um ihren Verlauf vorausszusagen und Erkenntnisse über die auslösenden Faktoren zu gewinnen. Dieses Wissen ist von entscheidender Bedeutung für die Nutzung und Optimierung der Ressourcen zur Verlängerung des Lebens der Patienten und zur Verbesserung ihrer Lebensqualität. Von einigen Gentherapien wird erwartet, dass sie die Entwicklung von ALS verlangsamen, und es sind bereits DNA-basierte Medikamente verfügbar, die den Verlauf neurodegenerativer Krankheiten beeinflussen und in der Zukunft zur Behandlung von ALS eingesetzt werden könnten. In den jüngsten wissenschaftlichen Publikationen wird davon ausgegangen, dass 2025 klinische Studien zu neuen Therapien durchgeführt werden.

Zugleich werden bei der Forschung über ALS Erkenntnisse gewonnen, die für alle neurodegenerativen Krankheiten von Nutzen sein können, denn um ALS zu verstehen, braucht es Wissen über viele Aspekte der Neurodegeneration, was auch die Behandlung und Heilung anderer neurodegenerativer Erkrankungen voranbringt.

Patientenorganisationen und die Forschungsgemeinschaft fordern:

- ein vergleichbares Versorgungsniveau für ALS-Patienten in allen EU-Mitgliedstaaten, wobei private Interessenträger, Industrie und Dienstleister in die Zusammenarbeit einbezogen werden müssen, um die therapeutischen Möglichkeiten und die Versorgung der Patienten und ihrer Pflegekräfte zu verbessern;
- eine Aufstockung der Forschungsmittel;
- einen verbesserten Datenzugang, gemeinsame Standards für die ALS-Forschung auf Unionsebene sowie die Einbeziehung von Pharmaindustrie, Wissenschaft und Gesetzgebern als wesentliche Bestandteile für eine erfolgreiche Forschung;
- konzentrierte und koordinierte Anstrengungen unter Vermeidung von Doppelarbeit. So wäre es beispielsweise ratsam, das Wissen über neuromuskuläre Forschung und Hirnforschung zusammenzuführen;
- die Bereitstellung angemessener materieller und personeller Ressourcen für die Forschung, damit sich mehr Nachwuchsforscherinnen und -forscher für diesen Forschungsbereich entscheiden;
- eine Optimierung der Diagnostik, die Abschaffung unnötiger Untersuchungen, die die Diagnosestellung verteuern, eine Beobachtung nach der Diagnose sowie beschleunigte Verfahren zur Bewertung und Zulassung von Behandlungen;
- Weiterbildung für Spezialisten und Zentren zur Förderung des Wissensaustauschs;
- mehr Flexibilität seitens der Europäischen Arzneimittel-Agentur bei den Zulassungsverfahren für ALS-Therapeutika. Angesichts der geringen durchschnittlichen Überlebensdauer nach der Diagnose ist es von wesentlicher Bedeutung, dass Patienten schneller experimentelle Therapien in Anspruch nehmen können;
- eine Stärkung der häuslichen Pflege, einschließlich emotionaler Unterstützung;
- eine seriöse und rigorose Kommunikation über ALS in geeigneter Sprache, vorzugsweise unter Einbeziehung der Institutionen.

Maßnahmen auf europäischer Ebene

- Annahme des Europäischen Aktionsplans für seltene Krankheiten als kleinstem gemeinsamen Nenner für alle EU-Länder. Dieser Aktionsplan muss in allen EU-Mitgliedstaaten harmonisiert werden, um Chancengleichheit für die Bürgerinnen und Bürger zu gewährleisten;
- EU-Programme zur Unterstützung von nationalen, lokalen und regionalen Einrichtungen und der Forschung, um die Behandlung voranzubringen und diesbezügliche Ungleichheiten abzubauen. Jeder Mitgliedstaat sollte sich verpflichten, im Einklang mit seiner nationalen Strategie und den europäischen Zielen eine umfassende nationale Strategie zur Behandlung von ALS umzusetzen;
- Bereitstellung von EU-Mitteln für Grundlagenforschung und klinische Forschung. Die Verfahren für die Durchführung klinischer Studien sowie die Genehmigung, die Zulassung und das Inverkehrbringen von Arzneimitteln sollten gestrafft und vereinheitlicht werden;
- eine Digitalisierung der Pflege- und Gesundheitssysteme sowie einen Datenaustausch im Hinblick auf zielgenauere Maßnahmen und eine besseren Behandlung. Künstliche Intelligenz kann entscheidend zur Datenanalyse und Schaffung einer Präzisionsmedizin beitragen, bei der individuelle, auf den jeweiligen Krankheitsverlauf abgestimmte Behandlungen konzipiert und angewandt werden;
- Gewährleistung des Zugangs zu erschwinglichen Behandlungen, Arzneimitteln für seltene Leiden, neuen Medikamenten und Gesundheitstechnologien sowie zu medizinischer Versorgung;
- Sicherstellung des Austauschs von Wissen, klinischen und Forschungsergebnissen sowie bewährten Verfahren im Rahmen der Europäischen Referenznetzwerke (ERN), da dies von entscheidender Bedeutung für die Verbesserung der Gesundheitsversorgung und der Gesundheitsinfrastruktur ist. Die ERN müssen daher finanziell und politisch unterstützt werden.