

LAM Treatment Alliance Weltweites Patiententreffen vom 11.-13. Januar 2008 in Oxford, UK

Kurzbericht und nächste Schritte

Zentrale Frage: Wie können Patienten die Forschung unterstützen?

Anfang Januar trafen sich auf Einladung der LAM Treatment Alliance (LTA) siebenundfünfzig Forscher, Ärzte, Patientinnen und deren Familienmitglieder aus siebzehn verschiedenen Ländern in Oxford, um einen Durchbruch bei der Suche nach einer Behandlung gegen LAM zu erreichen. Absicht des Treffens war es, nach Wegen für Patienten zu suchen, die Forschung zu unterstützen und zu erleichtern.

Der begrenzende Faktor für die LAM Forschung ist weder fehlendes Interesse von Seiten der Forscher noch Geld. **Es ist in allererster Linie der Zugang zu LAM Gewebe und Patientendaten.** Einige Forscher warten dringend auf Gewebe und Flüssigkeit von LAM Patientinnen, um ihre Arbeit fortsetzen zu können. Des Weiteren wirkt die kleine Anzahl an Patientinnen in jedem erdenklichen Land abschreckend auf Forscher, die ihre Arbeit dadurch erschwert sehen. Während des Treffens in Oxford wurden daher speziell diese beiden Hauptprobleme behandelt und die folgenden Lösungen erarbeitet.

1 Europäisches Gewebenetzwerk

Der wesentliche Mangelfaktor in der LAM Forschung ist Gewebe. Unter Gewebe verstehen wir alles, was potenziell LAM-Zellen beinhalten kann, wie Chyle, Blut, Urin, Angiomyolipome der Niere und Flüssigkeit von Bronchialspülungen.

Gewebe wird absolut dringend in der LAM-Forschung benötigt.

Das National Disease Research Interchange (NDRI) hat seit letztem März mit überragendem Erfolg die Koordination von frischem und konserviertem LAM Gewebe in den USA übernommen. Es ist möglich, diesen Service nach Europa auszuweiten, der die Beschaffung, Aufbereitung und Verschickung des Gewebes an Forscher in schnellstmöglicher Zeit beinhaltet.

Während einer Teilveranstaltung, die dem Problem der Gewebeknappheit gewidmet war, einigten sich die Teilnehmer darauf, dem NDRI die Federführung für das LAM Gewebe-Management, nicht nur in den USA sondern auch außerhalb, zu übertragen. Da das NDRI bereits eine beachtliche Erfahrung und Kompetenz auf diesem Gebiet erlangt hat, ist das der schnellste denkbare Weg, um Forscher mit dem dringend benötigten, frischen LAM Gewebe zu versorgen. In einer Abstimmung während des Treffens erfuhr der Vorschlag, eine sofortige Zusammenarbeit mit dem NDRI zu beginnen, überwältigende Zustimmung. Das NDRI bietet eine kostengünstige, sofortige, transparente und neutrale Lösung für die Gewebeknappheit und bringt dazu noch ein tief greifendes Verständnis für die Erfordernisse der Forscher mit. Es unterstützt die Beschaffung und Verteilung des Gewebes dabei proaktiv, indem Patienten bei der Registrierung geholfen wird und die Abwicklungszeiten bei einer Gewebespende so kurz wie möglich gehalten werden. Das NDRI ist nicht nur eine Gewebebank. Es nimmt sich jeder dringenden Anfrage von Forschern an, die an LAM Gewebeproben arbeiten wollen und es hat die Mittel und Fähigkeiten Forscher und Gewebe innerhalb von Stunden zusammenzubringen. Das ist unerlässlich für frisches Gewebe.

Was können Sie beitragen?

Für den Fall, dass Sie Gewebe oder Flüssigkeit LAM Forschern zur Verfügung stellen möchten, müssen Sie zunächst eine Einverständniserklärung ausfüllen und Ihre Kontaktdaten angeben. [Das geht sehr einfach über die Homepage (s.u.)] Das NDRI ist gerade dabei, diese Einverständniserklärungen anzupassen und in andere Sprachen zu übersetzen. Für Patientinnen in nicht-englischsprachigen Ländern ist es zwingend erforderlich, die Einverständniserklärung in der jeweils offiziellen Landessprache auszufüllen, auch wenn sie perfekt Englisch sprechen. Sie können aber Ihre Registrierung schon in Englisch vornehmen. Das NDRI wird sich dann melden, sobald die Übersetzungen fertig sind.

Klicken Sie auf den untenstehenden Link und gehen Sie auf 'Register to donate' [Registrierung für Spender. Gemeint ist die Organspende].

http://www.ndriresource.org/Donor_Programs/Individual_Donors/37/

Wenn bei Ihnen dann später einmal eine Biopsie, Thoraxdrainagen-Einlage, Transplantation, Pleurodese, Bronchial-Spülung **oder irgendeine andere invasive Maßnahme** geplant ist, schicken Sie bitte dem NDRI eine E-Mail mit den nötigen Informationen (WAS wird WANN WO gemacht). Natürlich können Sie im Falle einer Transplantation nicht das OP-Datum angeben, aber es ist sinnvoll, die administrativen Arbeiten vorher zu erledigen, damit Zeit gespart wird, wenn der Anruf kommt. Grundsätzlich gilt: Je früher die Ankündigung zum NDRI kommt, desto größer sind die Chancen, dass alle erforderlichen Schritte im Prozess rechtzeitig erfolgen. Wir werden in Kürze eine umfassende Liste von Geweben (feste und flüssige) versenden, die für die Forschung wichtig sind. Höchstwahrscheinlich wird auch Blut und Urin von zunehmendem Wert sein, also bleiben Sie dran!

Nachstehend ein Link zum Dezember Newsletter des NDRI, in dem die Gründung des LAM Geweberegisters Erwähnung findet (Seite 2).

http://www.ndriresource.org/SiteData/docs/ARareInsight12_07/0bc3e8212189efed253bd5109c43aed3/ARareInsight12_07.pdf

2 Die Globale LAM-Datenbank: LAMsight

Das MIT (Massachusetts Institute of Technology) Media Lab entwickelt derzeit eine Datenbank, die allen LAM Patientinnen weltweit eine Registrierung [über das Internet] ermöglicht. Das ist wichtig, damit Forscher z.B. herausfinden können, wie viele Patientinnen in jedem Land vorhanden sind sowie grundsätzliche Informationen über die Patientinnen. Das wird beim Entwickeln klinischer Studien eine enorme Erleichterung darstellen und wird Forschern sowie anderen Patientinnen (sofern diese Funktion zugelassen wurde bei der Registrierung) die Kontaktaufnahme erleichtern, um über Neuigkeiten in der Forschung und klinische Studien zu informieren.

Die Daten werden extrem gut gegen unberechtigten Zugriff gesichert sein, da der Datenschutz höchste Priorität im Datenbankdesign genießt. Als registrierte Nutzer erhalten Patientinnen selbst Zugriff auf verdichtete Daten. Außerdem wird LAMsight für behandelnde Ärzte von Nutzen sein, die Erkenntnisse für das Krankheits-Management ihrer Patientinnen erlangen wollen. Und auch Forscher können so nach Schlüsselfaktoren suchen, die helfen die Krankheit zu verstehen. Im Augenblick befindet sich die Datenbank im Aufbau und wird noch getestet. Sobald die Registrierung allen Patientinnen der LAM Gemeinschaft offen steht, erscheint ein Hinweis auf der LTA Homepage. Dies wird in 3-6 Monaten der Fall sein.

Die Datenbank wird Patientinnen unter anderem die Möglichkeit geben, systematisch ihre eigenen Fragen zu beantworten. Fragen und Antworten, die heute im Rahmen von länderspezifischen

Mailings geklärt werden, können so effektiver organisiert werden, so dass die gewonnenen Informationen dann wesentlich mehr Patientinnen zugänglich sind.

Die in Oxford anwesenden Forscher und Ärzte sind überzeugt, dass dies die beste Möglichkeit ist, der geringen Anzahl von LAM Patientinnen zu begegnen, weil dadurch Forschern der Zugriff zu einem größeren Patienten- und Datenpool möglich ist, als mit allen bisher verfügbaren Datenbanken. Auch der Kontakt zu Patientinnen, die bereit sind weitere Informationen zu liefern oder an Studien teilzunehmen wird dadurch erleichtert.

Dr. Ulrich Costabel (Deutschland) hob die Bedeutung von klinischen Studien mit ausreichend großen Patientenzahlen hervor, um statistisch signifikante Ergebnisse erzielen zu können. Medikamentenstudien werden nur möglich sein, wenn eine größere Anzahl Patientinnen zu einem bestimmten Zeitpunkt bereit ist teilzunehmen. Ohne sinnvoll angelegte klinische Studien und der ausreichenden Anzahl an teilnehmenden Patientinnen wird es sehr schwierig werden, eine effektive Behandlung gegen LAM zu finden und deren Wirksamkeit und Unbedenklichkeit abschätzen zu können. Die Ärzte auf dem Treffen räumten ein, dass Patientinnen mit schnellem Verlust der Lungenfunktion möglicherweise nicht auf eine Studie warten können. Um diesem Argument gerecht zu werden, wird die LTA zusammen mit Wissenschaftlern eine Spezifikation zum Umgang mit Off-Label Medikamenten erarbeiten.

Nur durch diese Anstrengungen in der Koordination und Zusammenarbeit werden wir einen enormen Fortschritt in unserem Bestreben nach einer Behandlungsmöglichkeit für LAM machen. Durch Gewebespenden und die Registrierung in der Global LAM Datenbank können wir Forschern helfen, uns zu helfen!

Vielen Dank für Ihre Unterstützung!

Das Koordinations- Komitee des Globalen LTA Patienten Treffens