



## **278<sup>th</sup> ENMC International Workshop**

**Sted:** Hoofddorp, The Netherlands

**Tittel:** European standards for harmonization of myasthenia gravis registries and emerging digital solutions

**Dato:** 20-21<sup>st</sup> September 2024

**Organisert av:** Prof. Sabrina Sacconi (France), Prof. Andreas Meisel (Germany), Prof. Renato Mantegazza (Italy)

**Oversettelse og tilpasning av denne rapporten:**  
Nils Erik Gilhus

### **Deltagere:**

Anja Hoffmeister (patient representative Germany), Lidgarde Allard (patient representative Belgium), Peter-Bram Hoen (Netherlands), Nils Erik Gilhus (Norway), Lorenzo Maggi (Italy), Adela Della Marina (Germany), Emmanuelle Salort Campana (France), Stanislav Vohanka (Czech Republic), Fiammetta Vanoli (Italy), Renato Mantegazza (Italy), Sabrina Sacconi (France), Andreas Meisel (Germany), Elena Cortes Vicente (Spain), Jan Verschuren (Netherlands), Ernestina Santos (Portugal), Terenshina Evangelista (France), Suanna Brauner (Sweden), Pascal Laforet France), Matthieu Lusignan (France), Mohammad Ashragi (UK), Frauke Stascheit (Germany)

**Online:** Raqual Pardo (Spain), Marjan Cosyns (Belgium)

## **Sammendrag**

### **Bakgrunn**

Myasthenia gravis (MG) er en sjelden autoimmun sykdom som i det siste har fått økt oppmerksomhet som følge av nye behandlingsmuligheter. For bedre å kunne vurdere alternative behandlinger og for økt forståelse av sykdommen generelt er det nødvendig med god registrering av sykdomsdata, og gjerne fra mange land. For å kunne sammenligne resultater og for å kunne samarbeide i forskning er det nødvendig at registrerte data faktisk er sammenlignbare. I dette samarbeidsmøtet diskuterte leger, pasienter og andre eksperter hvordan et slikt samarbeid om data best kan foregå for å fremme behandlingen av MG.

Før møtet hadde alle deltagerne besvart et såkalt Delphi spørreskjema om hvilke data som bør være obligatoriske og hvilke som bør være frivillige i et nasjonalt, sykdomsspesifikt MG register. Samtidig ble det innhentet en oversikt over eksisterende nasjonale registre. Der ble det likeledes vist til tekniske, etiske og økonomiske utfordringer ved et slikt register. Pasientene ble utfordret på implikasjoner ved registerdeltagelse.

## Målsetting

Målet ved dette 278. ENMC møtet var å fremme samarbeidet mellom pasienter, leger og andre involverte for å etablere MG registre. Målet med slike registre er å bedre behandlingen for MG pasienter. Harmonisering av data mellom registre i ulike land er essensielt for forskning og samarbeid om en rekke typer prosjekter.

## Resultater

Deltagerne kom i møtet frem til en enighet om en liste med data som bør inkluderes som obligatoriske og en liste som bør inkluderes som mulige (frivillige) i et MG-register. Informert samtykke fra pasienten før registrering må inneholde alle vesentlige elementer i klartekst.

I møtet ble det angitt at 8 nasjonale MG-registre er operative og at ytterligere 2 er nær oppstart. Data fra mer enn 7 000 MG pasienter er registrert.

Viktige punkter:

- Bedre pasientkommunikasjon og med et integrert pasientperspektiv. Pasientrepresentanter mente at sykdomsaspekter av vesentlig betydning for dem ikke var tilstrekkelig belyst med nåværende datainnsamlinger. Pasientene ønsket likeledes aktiv medvirkning ved innleggelse av data.
- Nasjonale MG-registre trenger en klar organisering, med styringsgrupper som har medisinsk, forskningsmessig, etisk og juridisk kompetanse. Pasienter er sentrale deltagere i styringsgruppen.
- Nasjonale MG-registre trenger en robust infrastruktur og et tilfredsstillende sett av inkluderte data. Datasettet skal følge allment vedtatte internasjonale retningslinjer slik at opplysningene er korrekte, gjenfinnbare og uavhengige av den enkelte registeroperatør. De skal følge prinsippene fra «EMA Patient Registry Initiative», og de bør følge anbefalingene som fremkom etter en systematisk prioritering (Delphi-skjema) av MG-data i dette møtet. Digitale verktøy kan benyttes i datainnsamlingen.
- Sikker finansiering over tid er helt avgjørende. Finansieringen bør ideelt sett være offentlig. Pasientorganisasjoner kan være aktuelle for finansiering. Dersom private firmaer finansierer, er det særlig viktig med klare retningslinjer for bruk av data og for transparens i alle ledd. Samfinansiering fra flere kilder kan være mulig.
- Langtidsregistrering er mye av selve poenget med et register. Forutsetningen for etablering av og deltagelse i et slikt register er at siktemålet er aktivitet over mange år.

## Videre fremdrift

Dette møtet ledet til en bred enighet om nødvendige og ønskelige premisser for nasjonale MG-registre. Særlig la man vekt på å komme frem til hvilke data som bør registreres på den enkelte pasient i et slikt register. Samarbeid om data mellom land ble fremhevet, både for å fremme diagnostikk og behandling og som ledd i forskning. En langsiktig målsetting kan være å etablere et felles europeisk register, eventuelt som en overbygning over nasjonale registre. Arbeidsgruppen planlegger ytterligere aktiviteter for å fremme MG-registre på et nasjonalt plan og i et europeisk perspektiv.

