



278. Internationaler ENMC-Workshop

Ort: Hoofddorp, Niederlande

Titel: Europäische Standards für die Harmonisierung von Myasthenia gravis-Registern und neue digitale Lösungen

Datum: 20.-21. September 2024

Organisatoren: Prof. Sabrina Sacconi (Frankreich), Prof. Andreas Meisel (Deutschland), Prof. Renato Mantegazza (Italien)

Übersetzungen dieses Berichts von:

Nils Erik Gilhus: Norwegisch

Fiammetta Vanoli: Italienisch

Sabrina Sacconi: Französisch

Elena Cortes Vicente: Spanisch

Jan Verschuuren: Niederländisch

Stanislav Vohanka: Tschechisch

Susanna Breuner: Schwedisch

Marjan Cosyns (Belgier)

Frauke Stascheit: Deutsch

Teilnehmer:innen:

Anja Hoffmeister (Patientenvertreterin Deutschland), Lidgarde Allard (Patientenvertreterin Belgien), Peter-Bram Hoen (Niederlande), Nils Erik Gilhus (Norwegen), Lorenzo Maggi (Italien), Adela Della Marina (Deutschland), Emmanuelle Salort Campana (Frankreich), Stanislav Vohanka (Tschechische Republik), Fiammetta Vanoli (Italien), Renato Mantegazza (Italien), Sabrina Sacconi (Frankreich), Andreas Meisel (Deutschland), Elena Cortes Vicente (Spanien), Jan Verschuren (Niederlande), Ernestina Santos (Portugal), Terenshina Evangelista (Frankreich), Suanna Brauner (Schweden), Pascal Laforet (Frankreich), Matthieu Lusignan (Frankreich), Mohammad Ashragi (UK), Frauke Stascheit (Deutschland)
Online: Raqual Pardo (Spanien), Marjan Cosyns (Belgien)

Zusammenfassung

Hintergrundinformationen: Die Myasthenia Gravis (MG) ist eine seltene neurologische Autoimmunerkrankung, die in letzter Zeit aufgrund der Entdeckung neuer therapeutischer Ansätze zunehmend an Aufmerksamkeit gewonnen hat. Um den Wert der neuen Behandlungen im Zusammenhang mit den Standardbehandlungen und dem sich ständig verbessernden pathophysiologischen Verständnis besser beurteilen zu können, werden große multinationale Datensätze benötigt, die in der realen Welt der MG-Versorgung gewonnen wurden. Eine wesentliche Voraussetzung dafür ist die Harmonisierung der Datenerfassung, um eine solide Grundlage für Datenaustausch und Forschung zu schaffen. An diesem Workshop nahmen Patient:innen, Kliniker und andere Interessengruppen teil, um die Datenharmonisierung zwischen den verschiedenen europäischen MG-Registern zu erörtern, die gemeinsame Nutzung von Daten und die Zusammenarbeit zu erleichtern und letztendlich die Behandlungsstandard zu verbessern.

Zur Vorbereitung des Treffens führten die Organisatoren einen Delphi-Fragebogen ein, um einen Konsens über obligatorische und optionale Daten zu erzielen, die in allen nationalen MG-Registern enthalten sein sollten. Die Ergebnisse der einzelnen Runden wurden dann unter allen Teilnehmern diskutiert. Darüber hinaus führten die Organisatoren eine Umfrage

zu bestehenden nationalen europäischen MG-Registern durch, um potenzielle technische, ethische und wirtschaftliche Probleme zu ermitteln, die die Datenerfassung und den Datenaustausch beeinträchtigen könnten. Darüber hinaus wurden die Patient:innen in die Erstellung eines informativen Dokuments einbezogen, das über die Teilnahme an Registern und deren Auswirkungen informiert.

Ziele des Workshops

Das Hauptziel der 278. ENMC-Tagung bestand darin, die Zusammenarbeit zwischen Patient:innen, Klinikern und anderen Interessengruppen zu fördern, um herauszufinden, welche Instrumente für den Aufbau einer funktionierenden europäischen MG-Registerinitiative erforderlich sind. Das letztendliche Ziel eines MG-Registers besteht darin, die Qualität der Patientenversorgung zu verbessern, was durch die Erhebung aussagekräftiger, umfangreicher und qualitativ hochwertiger Daten über die europäische MG-Population erreicht werden kann. Darüber hinaus ist die Einrichtung gemeinsamer Datenelemente zwischen den verschiedenen Registern entscheidend für die Datenharmonisierung, die für die Zusammenarbeit und für Forschungsinitiativen, einschließlich epidemiologischer und klinischer Studien, klinischer Versuche, der Pharmakovigilanz sowie der Bereitstellung von realen Daten zu neuen Therapien, unerlässlich ist.

Workshop-Ergebnisse:

Im Rahmen des Delphi-Verfahrens erzielten die Teilnehmer einen Konsens über eine Liste **obligatorischer und fakultativer Daten**, die in ein MG-Register aufgenommen werden sollten, um den Datenaustausch und die Zusammenarbeit zu erleichtern. Auch die Bedeutung eines gut strukturierten und umfassenden **Formulars für die Einwilligung nach Aufklärung** wurde berücksichtigt, das leicht verständlich sein und wichtige Fragen wie Dateneigentum, Datenanonymität und Zweck der Datennutzung behandeln muss. Die Umfrage ergab, dass in Europa **bereits acht nationale MG-Register aktiv sind und zwei weitere im Begriff sind, aktiviert zu werden**, so dass derzeit Daten von mehr als 7 000 MG-Patient:innen zur Verfügung stehen und potenziell gemeinsam genutzt werden können.

Um die künftige Zusammenarbeit auf europäischer Ebene zu optimieren, müssen jedoch mehrere Aspekte angesprochen und verbessert werden:

- **Der erste wichtige Aspekt** ist die Einbeziehung **der Patientenperspektive und die Verbesserung der Patientenkommunikation**. Die Patienten bringen ein einzigartiges Fachwissen über ihre Erkrankung mit, das beim Aufbau eines Krankheitsregisters berücksichtigt werden muss. Patientenvertreter betonten, dass mit den derzeitigen Instrumenten einige kritische Aspekte der MG nicht erfasst werden können. Daher könnte ihre Beteiligung als Interessenvertreter an der Entwicklung eines nationalen MG-Registers die Datenerfassung verbessern und sicherstellen, dass ihre tatsächlichen Bedürfnisse und Probleme berücksichtigt werden. Darüber hinaus forderten die MG-Patient:innen Zugang zu ihren eigenen Daten für die Selbstbeobachtung sowie die Beteiligung an der Dateneingabe (z. B. für die von den Patient:innen berichteten Ergebnisse). Dieses Modell der aktiven Beteiligung auf mehreren Ebenen wird wahrscheinlich die kontinuierliche Beteiligung der Patient:innen an der Datenerhebung fördern.
- **der zweite wichtige Aspekt** ist, dass nationale Register **eine klare Leitungsstruktur** benötigen. Diese sollte idealerweise einen Lenkungs- oder Datennutzungsausschuss umfassen, der für die Verwaltung des Registers zuständig ist, einen medizinischen Beirat, der die Tätigkeit des Lenkungs-/Datenverwendungsausschusses überwacht, und einen Patientenbeirat. Die Governance-Struktur ist dafür verantwortlich, die Methoden der gemeinsamen Datennutzung festzulegen und zu bestimmen, wer für die Verwaltung einer Initiative zur gemeinsamen Datennutzung zuständig ist, wobei gleichzeitig sichergestellt

werden muss, dass die Interessen der an der Einrichtung des Registers beteiligten Personen angemessen vertreten sind.

- **Der dritte Aspekt** erfordert, dass das Register **auf einer robusten Infrastruktur und einem harmonisierten Kerndatensatz** basiert. Die Datenbank sollte so nah wie möglich an den FAIR-Grundsätzen (Auffindbarkeit, Zugänglichkeit, Interoperabilität und Wiederverwendbarkeit) aufgebaut werden, da dies die Konsistenz und Reproduzierbarkeit der Datenerfassung gewährleistet, die für die Festlegung gemeinsamer Datenelemente und die Schaffung einer Grundlage für künftige Kooperationen unerlässlich sind. Um dieses Ziel zu erreichen und eine Harmonisierung der Daten zu erreichen, sollte das Register die Ergebnisse des Delphi-Prozesses in Bezug auf obligatorische und fakultative Daten enthalten und die Grundsätze der EMA-Patientenregisterinitiative berücksichtigen. Digitale Lösungen, wie z. B. Smartphone-Apps, können optionale zusätzliche Hilfsmittel sein, die für eine detailliertere und häufigere Datenerfassung nützlich sind (z. B. von Patienten berichtete Ergebnismessungen).
- **Der vierte Aspekt** betrifft die **finanzielle Nachhaltigkeit**. Idealerweise sollte ein Register von öffentlichen Einrichtungen oder Patientenorganisationen finanziert werden, die ein kontinuierliches Engagement und die langfristige Lebensfähigkeit des Registers gewährleisten. Wenn die Finanzierung durch private Einrichtungen erfolgt, ist es wichtig, dass Transparenz hinsichtlich der Finanzierungsquellen, des Eigentums an den Daten und der Bedeutung der kommerziellen Nutzung gewährleistet ist. Ein Finanzierungsansatz aus mehreren Quellen ist ebenfalls vorzuziehen.
- Der **fünfte Aspekt** ist das **langfristige Engagement**. Der Erfolg eines Registers beruht auch auf einer langfristigen, qualitativ hochwertigen Datenerhebung. Dies hängt in hohem Maße vom Engagement der am Register beteiligten Personen, einschließlich der Patienten und Gesundheitsdienstleister, ab, das durch regelmäßiges Feedback zu Registerinitiativen gefördert werden kann.

Nächste Schritte

Dank der Teilnahme von Klinikern, Registerführern, Patient:innen und anderen Interessengruppen konnten auf diesem Workshop die Grundsätze für ein funktionierendes MG-Register festgelegt werden. Im Rahmen eines Delphi-Verfahrens wurde eine gemeinsame Grundlage für die Kernelemente, die in das MG-Register aufgenommen werden müssen, gefunden. Darüber hinaus wurde der Schwerpunkt daraufgelegt, wie FAIR-Daten erstellt werden können, die den Datenaustausch zwischen verschiedenen nationalen Registern und die Zusammenarbeit bei künftigen Forschungsinitiativen erleichtern. Perspektivisch könnte dies zur Schaffung eines europäischen Registers führen, das die Arbeit an großen Zahlen ermöglicht, was für neue Forschungsinitiativen von wesentlicher Bedeutung ist, mit dem Ziel, die Qualität der Versorgung der Patienten zu verbessern.

Ein weiteres Treffen ist geplant, um die erreichten Ziele weiter zu verfolgen.