

# ***e-Update***

Dezember 2008

IPOPI ist eine im Vereinigten Königreich unter der Nummer 1058005 eingetragene karitative Einrichtung.

Die globale Organisation zur Verbesserung der Lebensqualität von Menschen mit primären Immundefekten.

In dieser Ausgabe:

Ein Weihnachtsgruß Ihrer Vorsitzenden

s'HERTOGENBOSCH

Bericht über junge Erwachsene in Den Bosch

ESID Datenbank

Seltene Krankheiten: eine Herausforderung für Europa

Die Erklärung der EU-Kommission zu Plasmaprodukten

Britisches PID-Register

## Ein Weihnachtsgruß Ihrer Vorsitzenden

Ganz egal, wo Sie sich gerade in der Welt befinden und woran Sie glauben – die Weihnachtszeit ist für alle Menschen, unabhängig von ihrem Glauben, eine ganz besondere Zeit.

Für mich gehört zu den besonderen Dingen dieser Weihnachtszeit, dass sie für mich die erste als Ihre Vorsitzende ist, und ich möchte meinen Kollegen im Vorstand und allen, die bei den Wahlen im Rahmen der JHV für mich gestimmt haben, danken. Ihr Vertrauen in mich erfüllt mich mit großer Ehrfurcht und Dankbarkeit, gerade in dieser Zeit, in der wir uns alle auf das vergangene Jahr besinnen und uns auf die Chancen des kommenden Jahres freuen.

Wir leben in einer spannenden und anspruchsvollen Zeit, und ich freue mich darauf, an der Begeisterung für neue Entwicklungen im Bereich der Diagnose und Behandlung von primären Immundefekten (PID) teilhaben zu können. Außerdem freue ich mich auf die Herausforderung, weiter zur Sensibilisierung und zur Schaffung der politischen Voraussetzungen für eine höhere Lebensqualität für alle Menschen mit PID - d. h. diejenigen, bei denen die Diagnose bereits gestellt worden ist, und diejenigen, bei denen sie noch gestellt werden wird – beizutragen. Hinzu kommt noch die Herausforderung, die Bereitstellungen Bestand an ausreichendem, erschwinglichem und sicherem Immunglobulinen für alle zu gewährleisten.

Abschließend möchte ich David noch meinen besonderen Dank für seine Hilfe und Unterstützung, die er uns im Laufe des gesamten Jahres hat zukommen lassen, aussprechen.

Mein Ehemann Greg und ich wünschen Ihnen von ganzem Herzen eine gesegnete Weihnachtszeit.

Jose Drabwell  
IPOPI-Vorsitzende

## 's Hertogenbosch

Es wäre vermutlich eine Untertreibung zu behaupten, dass der Kongress in Den Bosch ein Erfolg war.

Die Teilnehmerzahlen brachen alle Rekorde; wir haben einen neuen Vorstand und eine neue Vorsitzende gewählt – sie ist sogar unsere erste ‚Patientin‘ in diesem Amt, im Gegensatz zu den ihr vorangegangenen Partnern oder Elternteilen; wir erfuhren, dass ungefähr zehn Länder fast soweit sind, 2010 in Istanbul neue IPOPI-Mitglieder zu werden; wir hörten eine Reihe ausgezeichneter Vorträge, wobei die wunderbare Sitzung mit Professor Helen Chapel und Dr. Jordan Orange an erster Stelle steht; und, abgesehen von denjenigen, die ihre Hotelzimmer spät gebucht hatten, gab es keine Beschwerden!!

Erstmals hatte die IPOPI einen Präsentationsstand, der zusammen mit unserer Literatur ein großer Anziehungspunkt war. Wir haben seit der Konferenz weltweit über 100 Pakete mit IPOPI-Broschüren versendet. Die gute Nachricht ist, dass unser Bestand mehr als ausreicht und wir unsere Broschüren KOSTENLOS an alle Interessierten senden! Melden Sie sich und wir senden Ihnen Ihr Exemplar zu!

Auf unserer Internet-Seite [www.ipopi.org](http://www.ipopi.org) können Sie sämtliche Präsentationen von Den Bosch abrufen. Sie können sie je nach Bedarf verwenden, natürlich mit entsprechender Quellenangabe. Unser nächster, im zweijährigen Rhythmus stattfindender Kongress wird 2010 in Istanbul abgehalten. In der bis dahin verbleibenden Zeit werden weitere Ankündigungen dazu veröffentlicht.

Sobald wir beginnen, über Hotelbuchungen und Anmeldungen zu sprechen, sollten Sie jedoch beides in Angriff nehmen – denn ansonsten kann es gut sein, dass Ihr Hotel eine lange Busfahrt vom Kongress entfernt liegt, wie die Erfahrung in Den Bosch gezeigt hat! Es ist jetzt an der Zeit, dass Sie über Ihre Delegierten nachdenken und Finanzmittel beantragen, damit sie am Kongress teilnehmen können. IPOPI kann eventuell Mittel freisetzen. Diese stehen jedoch grundsätzlich nur denjenigen zur Verfügung, die beweisen können, dass sie ohne Erfolg versucht haben, Mittel zu beschaffen. Anders ausgedrückt, sollten Sie sich nicht darauf verlassen, dass Sie von IPOPI Mittel erhalten können, insbesondere, wenn Sie in der Vergangenheit bereits unterstützt worden sind.

## 's Herto genbosch/2

Vermutlich wurden die Gefühle aller, die am Kongress in Den Bosch teilnahmen, in der Abschlussrede von Jose Drabwell, unserer neuen Vorsitzenden, sehr gut auf den Punkt gebracht:

„Als neue IPOPI-Vorsitzende, und wahrscheinlich die erste Vorsitzende mit Immundefekt, möchte ich ein großes „Dankeschön“ an Dr. Ester de Vries richten. Sie hat es verstanden, ESID-, INGID- und IPOPI-Mitglieder auf einzigartige Weise zusammenzubringen - wir sind in den letzten Tagen sogar alle zu regelmäßigen Kirchgängern\* geworden.

Wir haben uns informiert, dazugelernt, eine Zusammenarbeit eingeleitet und Freundschaften geschlossen. Jetzt ist es jedoch an der Zeit, Ihnen nach dieser erfolgreichen Konferenz eine gute Heimfahrt zu wünschen. Bitte führen Sie Ihre hervorragende Arbeit im Bereich der primären Immundefekte fort.“

\*Viele der gesellschaftlichen Ereignisse im Rahmen des Kongresses fanden in Kirchen oder ehemaligen Kirchen im Den- Bosch-Zentrum statt.

# 's Hertogenbosch/3

## Bianca Pizzera, stellvertretende IPOPI-Vorsitzende

Der IPOPI-Vorstand kann mit großer Freude berichten, dass Bianca Pizzera die Bitte, Ehrenvizepräsidentin von IPOPI zu werden, freundlicherweise angenommen hat. Sie gehört nun zusammen mit Bob LeBien, Life-Präsident, und Prof. Helen Chapel zur Reihe derer, die für ihr einzigartiges Engagement für Leben und Arbeit der IPOPI geehrt worden sind.

In den vier Jahren von 2004 bis 2008 hat Bianca die Arbeit von IPOPI auf bemerkenswerte Weise vorangebracht, und der Vorstand ist stolz, sie auf diese besondere Art ehren zu können.

## Luciano Vassalli-Preis

Auf dem Kongress in Den Bosch wurde erstmals der Luciano Vassalli-Preis von Lucianos Eltern Sandra und Sergio an Thomas Andersen aus Norwegen verliehen.

Der Preis wurde in Anerkennung des bemerkenswerten Einflusses geschaffen, den Luciano in seinem Heimatland Schweiz durch die Information der Öffentlichkeit über primäre Immundefekte ausüben konnte. Er war eine Quelle der Inspiration für alle in seinem Umfeld. Thomas erhielt den Preis für die herausragende Art, mit der er mit seinem primären Immundefekt (PID) umgeht und mit der er andere über PID und über das Leben mit dieser Störung informiert.

Thomas wurde am 9. April 1983 mit der Diagnose SCID geboren. Mit nur 25 Jahren sind bei Thomas bereits drei Knochenmarkstransplantationen, eine Lebertransplantation (2005) und eine große Herzoperation im Dezember 2007 durchgeführt worden.

Thomas kam mit SCID zur Welt, und aufgrund seines PID hat er in seinem kurzen Leben schon zahlreiche kritische Phasen durchgestanden. Er gibt niemals auf, er ist immer optimistisch, er hat einen starken Willen, und er selbst meint: „Ich habe 9 Leben“!

Thomas hat immer eine positive Einstellung, und er sieht Möglichkeiten anstatt Probleme. Er hält es für wichtig, anderen jungen Erwachsenen beizubringen, wie sie mit der Krankheit zurechtkommen können.

Er motiviert und inspiriert andere junge Erwachsene mit PID.

Forts...

## 's Hertogenbosch/4

Thomas unterrichtet und informiert Mitarbeiter des Gesundheitswesens sowie Patienten bei Sitzungen über PID und subkutane Behandlung. Thomas hat auch seine Geschichte als PID-Patient erzählt. Seiner Meinung nach ist die subkutane Behandlung äußerst positiv, und er hat junge Menschen und Mitarbeiter des Gesundheitswesens motiviert und beraten. Er hat sie in die Behandlung eingewiesen und gezeigt, wie sie die subkutane Behandlung in ihr tägliches Leben integrieren können.

Thomas erhielt diesen Preis unter begeistertem Applaus und Zuspruch aller, die anlässlich der IPOPI-Eröffnungsfeier in Den Bosch zusammengekommen waren. Neben der offiziellen Plakettereisauszeichnung erhielt Thomas auch persönliche Andenkenzeichnungen von Sandra und Sergio.

Wir erwarten nunmehr die Vorschläge Ernennungen für die Preisverleihung im Jahr 2010 in Istanbul.

### ***Vielen Dank!***

Der IPOPI-Vorstand möchte der niederländischen Patientenorganisation Stichting voor Avweerstoomissen und Familie Waas sowie insbesondere Ineke Waas für ihre Hilfe bei der Betreuung des IPOPI-Stands während des gesamten Kongresses in Den Bosch danken. Ohne diese effektive Hilfe wäre unser Stand sinnlos gewesen – stattdessen war er der Mittelpunkt der IPOPI-Aktivitäten!

# Junge Erwachsene in Den Bosch – Ein Bericht!

In diesem Bericht werden Sie etwas über die Aktivitäten der Jungen Erwachsenen während des IPOPI-Kongresses 2008 in Den Bosch, Niederlande, erfahren. Ich hoffe, dass dieser Bericht junge Erwachsene dazu veranlassen wird, am nächsten Kongress in Istanbul im Jahr 2010 teilzunehmen.

Der IPOPI-Kongress begann am Donnerstag mit einer Eröffnungsfeier, in deren Rahmen einer der jungen Erwachsenen (Thomas Andersen aus Norwegen) mit einem Preis für seinen Einsatz und für die Motivation anderer PID-Patienten, wie sie mit der Krankheit leben können, ausgezeichnet wurde. Nach der Eröffnungssitzung begaben wir uns in unseren eigenen Raum, um uns miteinander bekannt zu machen. Alle JE, die am Kongress teilnahmen, kannten sich bereits, weshalb wir direkt über die Zukunft der JE bei IPOPI diskutierten. Wir trafen einige Entscheidungen, die wir im Rahmen der für Sonntag vorgesehenen Präsentation vorstellen wollten.

Irgendwann sind wir (ein paar JE) in Den Bosch etwas trinken gegangen. Nach unserer Rückkehr nahmen wir an der offiziellen Eröffnung des Kongresses teil. Im Anschluss an die Eröffnung fand ein Begrüßungsempfang statt, bei dem wir etwas essen konnten. Danach sind wir mit den JE in die Stadt gegangen, um noch mehr zu essen und zu trinken. Leider waren die meisten Küchen der Restaurants bereits geschlossen, weshalb wir schließlich bei Mc Donald's landeten. Später sind wir dann in unsere Hotels gegangen, um etwas Schlaf zu bekommen.

Am Freitag (17. Oktober) haben wir die Fraktionierungsanlage Sanquin in Amsterdam besichtigt. Sanquin ist der niederländische Hersteller von Immunglobulinen. Nach einer Tasse Kaffee oder Tee fand eine Begrüßungsveranstaltung statt, und danach wurden wir durch die Anlage geführt. Wir begannen die Besichtigung im Blutspendezentrum, wo uns die Funktionsweise der Systeme erklärt wurde. Danach besichtigten wir die Fraktionierungsanlage, in der IVIG oder SCIG hergestellt werden. Wir konnten auch das Lager sehen, in dem alle von Sanquin hergestellten Produkte aufbewahrt werden. Nach der Besichtigung erhielten wir ein Mittagessen. Darauf folgte ein Vortrag über die Behandlung zu Hause und über einige Entwicklungen bei Sanquin.

Nach Abschluss des Programms fuhren wir wieder nach Den Bosch, um am Baxter-Dinner teilzunehmen. Leider kamen wir auf dem Rückweg in einen Stau, und die Fahrt nach Den Bosch dauerte viel länger als erwartet.

Wir schafften es aber zum Baxter-Dinner, und danach gingen wir noch mal in die Stadt, um in einem Café etwas zu trinken. Und auch an diesem Abend landeten wir alle wohlbehalten in unseren Hotelbetten.

Am Samstag fuhren wir in den Freizeitpark „de Efteling“, in dem es viele verschiedene Attraktionen gibt. Da Wochenende und schönes Wetter war, war in dem Freizeitpark sehr viel los. Wir hatten lediglich Zeit für die tollsten Attraktionen, dann haben wir uns wieder auf den Weg nach Den Bosch gemacht, um am Gala-Dinner teilzunehmen. Danach waren wir alle so müde, dass wir zurück in die Hotels gegangen sind. *(Anm.: Oder haben einige von Euch die Nacht zum Tag gemacht? - Es wird da was gemunkelt!!!)*

Am Sonntag, dem letzten Tag, bereiteten wir unsere Präsentation vor und hielten sie vor den „Erwachsenen“, die an der IPOPI-Sitzung teilnahmen. Abschließend verabschiedeten sich alle voneinander, und jeder trat seine Heimreise an.

**Wir hoffen, dass wir uns 2009 und natürlich 2010 in Istanbul wieder sehen werden. Hoffentlich mit einigen neuen JE in Vertretung ihrer Länder.**

**Guus Waas  
Niederlande**

# Das ESID-Netzwerk der Online-Datenbanken für PID

## Eine internationale Plattform für PID-Epidemiologie und -Forschung

Die ESID (European Society for Immunodeficiencies, [www.esid.org](http://www.esid.org)) verwaltet seit 2004 eine Online-Datenbank für primäre Immundefekte. Die ESID-Datenbank ist ein sicheres, internetgestütztes Patientenregister, das sowohl klinische als auch Labor-Daten von PID-Patienten umfasst. Die Datenbank liefert einen gemeinsamen Datensatz für derzeit 214 verschiedene PID-Einheiten und wird fortlaufend entsprechend den Fortschritten in der Forschung aktualisiert. Der Datensatz umfasst Diagnose, Therapie, Anamnese, Labordaten und Indikatoren über die Auswirkungen auf die Gesundheit.

Mit dieser Datenbank möchte die ESID Antworten auf wichtige Fragen zur Epidemiologie der PID finden. Wie häufig kommen PID in verschiedenen Ländern und in Europa als Ganzes vor und wie weit sind sie verbreitet? Wie hoch ist die Sterblichkeitsrate, und wie verändert sie sich im Zusammenhang mit Fortschritten bei Diagnose und Therapie? Welche Behandlungsstrategien werden vorwiegend eingesetzt? Wie lange dauert es bis zur ist die Verzögerung bei der Diagnose von PID in den verschiedenen Ländern und in Bezug auf die verschiedenen Formen? Andere Register in Europa haben sich schon vorher mit diesen Fragen beschäftigt, meist auf nationaler Ebene, wie zum Beispiel in Spanien (REDIP, <http://web.hsd.es/redip/>) und Italien, (IPINET, [www.aieop.org](http://www.aieop.org)). Die Online-Datenbank von ESID ist eine gemeinsame Plattform für alle diese Bemühungen. Hier werden zuverlässige epidemiologische Daten für alle europäischen Länder gesammelt.

Bei der ESID-Datenbank handelt es sich jedoch nicht in erster Linie um eine Ein-Punkt-Studie, die auf Epidemiologie beschränkt ist. Sie dient auch als Forschungsplattform mit langfristiger Dokumentation. Mit Hilfe der Datenbank können die Forscher Patientengruppen bestimmen, an denen für genetische Screenings und multizentrische Versuche ermittelndurchgeführt werden können. Die Datensätze können für Studien, die die Datenbank als Plattform für ihre Meldeformulare verwenden, flexibel erweitert werden.

### Aktueller Stand

Seit Einrichtung der Datenbank im August 2004 sind insgesamt 7.499 Patienten aus 54 verschiedenen Zentren und nationalen Registern von der ESID-Datenbank erfasst worden. Die aktuellen Fortschritte bei der Dokumentation gehen aus Abb. 1 hervor.

Die oben genannte Zahl gibt zwar noch lange kein vollständiges Bild der PID in Europa wider, aber die aktuellen Ergebnisse liefern wertvolle Einblicke in die Epidemiologie der PID, insbesondere in Ländern mit hoher Dokumentationsrate.

Wir haben zum Beispiel, nachdem wir den Artikel „Gemeinsame nordische Versammlung in Schweden“ (e-Update September 2008, S. 25) gelesen hatten, die geschlechtsspezifische Verteilung der PID-Patienten im Kindes- und Erwachsenenalter untersucht. In dem Artikel wurde behauptet, dass „70 % aller erwachsenen PID-Patienten Frauen sind“. Unsere Ergebnisse aus der ESID-Datenbank stützen diese Hypothese jedoch nicht.

## Das ESID-Netzwerk der Online-Datenbanken für PID /2

Wir untersuchten die Geschlechtszugehörigkeit aller Patienten, die noch nicht verstorben waren und somit die weiter beobachtet werden konnten. Insgesamt ergaben sich so 6.771 Patienten. Abb. 2 zeigt die Geschlechterverteilung insgesamt sowie in den Patientengruppen der unter 16-Jährigen („Kinder“) und der 16-Jährigen und Älteren („Erwachsene“). Der weibliche Anteil war bei den Erwachsenen in der Tat höher, aber die Mehrheit lag mit 56,4% nach wie vor bei den Männern.

Die ESID-Datenbank ist zu Forschungszwecken bereits bei Erhebungen an Patienten mit X-chromosomaler Thrombozytopenie (XLT) sowie an Patienten mit neuroendokrinen Karzinomen und CD40L-Mangel verwendet worden. Multizentrische klinische Versuche zum Variablen Immundefektsyndrom (variable immuno-deficiency, CVID) und zur X-chromosomalen Agammaglobulinämie (XLA) werden derzeit durchgeführt.

### Sensibilisierung der Öffentlichkeit

Wir sind der Überzeugung, dass die ESID-Datenbank eine wesentliche Rolle für die Sensibilisierung in Bezug auf PID spielt. Informationen über die Verbreitung von PID beruhen häufig auf Schätzungen. Die ESID-Datenbank wird jedoch hoffentlich schon bald über eine ausreichende Menge dokumentierter Patienten verfügen, um der Öffentlichkeit und den Gesundheitsbehörden verlässliche epidemiologische Daten liefern und dadurch zeigen zu können, dass PID gar nicht so selten auftreten, wie oft geglaubt wird.

Das Team der ESID-Datenbank arbeitet bereits mit verschiedenen nationalen Patientenorganisationen wie DSAI in Deutschland und PIA im Vereinigten Königreich zusammen. Wir freuen uns, neue Kontakte für eine Zusammenarbeit knüpfen zu können, und bitten alle interessierten Organisationen, sich mit uns unter [registry@esid.org](mailto:registry@esid.org) in Verbindung zu setzen.

Benjamin Gathmann, Team der ESID-Online-Datenbank

### Abb. 1 Registrierungsfortschritte in den einzelnen Ländern

Aus der Karte geht die Gesamtzahl der in jedem Land dokumentierten Patienten hervor. Die Farben spiegeln entsprechend der Farblegende die Zahl der registrierten Patienten im Verhältnis zu den Bevölkerungszahlen des Landes wider. (n Patienten pro 100.000 Einwohner).

# Das ESID-Netzwerk der Online-Datenbanken für PID /3

Alle Patienten



männlich weiblich

Kinder



männlich weiblich

Erwachsene

männlich weiblich



Abb. 2 Geschlechterverteilung

Geschlechterverteilung bei den in der ESID-Online-Datenbank registrierten Patienten. Gruppe der „Kinder“: Patienten im Alter von bis zu 15 Jahren. Gruppe der „Erwachsenen“: Patienten ab 16 Jahren. Das Schaubild zeigt die absolute Zahl der Patienten nach Geschlecht, gefolgt vom relativen Anteil in %.

# Seltene Krankheiten: eine Herausforderung für Europa

## Taskforce „Seltene Krankheiten“

Am 18. November 2008 fand die europäische Konferenz über Nationale Strategien und Pläne für seltene Krankheiten in Europa unter der Schirmherrschaft der französischen EU-Ratspräsidentschaft im Gesundheitsministerium in Paris statt.

An der Konferenz nahmen Politiker, Vertreter der Europäischen Kommission und des Europäischen Parlaments, Patientenorganisationen und Experten teil. Mit der Konferenz sollte Folgendes erreicht werden:

- *Überblick über die aktuelle Situation und über Entwicklungen politischer Strategien und nationaler Aktionspläne für seltene Krankheiten in Europa*
- *Erfahrungsaustausch über optimale Methoden und Strategien, die es in Europa bereits gibt*
- *Bestimmung von Faktoren, die für den Erfolg entscheidend sind und ausgetauscht werden könnten*

Auf der Konferenz wurden zwei wichtige Projekte im Bereich der seltenen Krankheiten in Europa vorgestellt:

### 1) Die Mitteilung der Europäischen Kommission über seltene Krankheiten

Die Europäische Kommission nahm am 11. November 2008 eine Mitteilung und einen Vorschlag für eine Empfehlung des Rates zu seltenen Krankheiten an, in denen eine umfassende Strategie zur Unterstützung der Mitgliedstaaten bei Diagnose, Behandlung und Versorgung der 36 Millionen Menschen mit seltenen Krankheiten festgelegt wird.

Die Mitteilung steckt eine Handlungsstrategie in drei Schlüsselbereichen ab:

- *Seltene Krankheiten besser erkennen und ins Bewusstsein rücken*
- *Nationale Pläne zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten fördern*
- *Stärkung der europäischen Zusammenarbeit und Koordinierung im Bereich seltener Krankheiten*

Die Europäische Kommission will mit dieser Mitteilung und mit dem ihr beiliegenden Vorschlag für eine Empfehlung des Rates eine umfassende Strategie für seltene Krankheiten entwickeln, damit einerseits europaweit die Zusammenarbeit und gegenseitige Unterstützung in diesem heiklen Bereich intensiviert werden und andererseits die Mitgliedstaaten bei der Verabschiedung ihrer eigenen nationalen und regionalen Strategien unterstützt werden. Auf diese Weise kommt den Menschen, die unter seltenen Krankheiten leiden, und deren Familien die europäische Integration zugute, indem sie ihnen spürbare Vorteile in ihrem täglichen Leben bringt.

Beide Dokumente wurden dem Parlament zur Stellungnahme und dem Rat der Europäischen Union zur Annahme der Empfehlung vorgelegt. Die Annahme der Empfehlung steht beim EU-Gesundheitsministerrat sowohl unter der französischen (16. Dezember 2008) als auch der kommenden tschechischen Ratspräsidentschaft (9. Juni 2009) auf der Tagesordnung. Dasselbe gilt bei Bedarf auch im darauf folgenden Halbjahr unter schwedischem Ratsvorsitz.

**Der Vorsitzende des Rates, Nicolas Sarkozy, hat die Unterstützung der Mitteilung der Europäischen Kommission angekündigt, woraus zu schließen ist, dass die Inhalte dieses entscheidenden Dokuments unter der derzeitigen französischen Ratspräsidentschaft vorrangig behandelt werden.**

# Seltene Krankheiten: eine Herausforderung für Europa /2

2) EUROPLAN, das europäische Projekt zur Schaffung nationaler Pläne für seltene Krankheiten *EUROPLAN* ist ein über drei Jahre laufendes und von der Europäischen Kommission finanziertes Projekt. Es wird vom *National Center for Rare Diseases (CNRD)* des *Istituto Superiore di Sanità* in Italien koordiniert und umfasst 21 der 27 EU-Mitgliedstaaten sowie Eurordis (die einzige am Projekt beteiligte Patientenorganisation). Auf diese Weise wird eine breit gefächerte Vertretung verschiedener Hintergründe und Erfahrungen ermöglicht, darunter auch die von Patienten. Das Projekt entstand aus der Tatsache heraus, dass der Bedarf nach einer verstärkten Zusammenarbeit der Mitgliedstaaten, um effektive Ansätze/Strategien im Bereich der seltenen Krankheiten besser definieren und bestimmen zu können, trotz aller bisherigen Bemühungen noch groß ist.

Der Gedanke eines umfassenden Ansatzes zur Bewältigung der verschiedenen Herausforderungen im Bereich der seltenen Krankheiten wird schon seit langem diskutiert. Dennoch hat lediglich Frankreich einen endgültigen, finanzierten Aktionsplan für seltene Krankheiten entwickelt. In den anderen Mitgliedstaaten (MS) gibt es nationale politische Strategien in gewissen Bereichen (Italien, Schweden, Dänemark, VK), oder solche Strategien sind in Arbeit (Bulgarien, Portugal, Spanien, Rumänien, Luxemburg). Wiederum andere MS verfügen über gezielte politische Strategien im Bereich Forschung (Deutschland, Niederlande).

Das Projekt soll die Mitgliedstaaten bei der Schaffung nationaler strategischer Pläne für seltene Krankheiten und bei der Zusammenführung nationaler Bemühungen in eine gemeinsame Strategie auf europäischer Ebene unterstützen.

## Ziele

Das Gesamtziel von *EUROPLAN* besteht darin, den Zugang zu Vorsorge, Diagnose, Behandlung und Versorgung von Patienten mit seltenen Krankheiten mit zu gewährleisten, indem Daten und Empfehlungen zur Entwicklung nationaler Pläne für seltene Krankheiten produziert und verbreitet werden. Die „Empfehlungen“ werden zur Harmonisierung und Integration der Strategien des öffentlichen Gesundheitswesens im Bereich seltene Krankheiten in ganz Europa beitragen und so einen Abbau der Ungleichheiten bei der medizinischen Versorgung von EU-Bürgern mit seltenen Krankheiten und deren Familien ermöglichen.

Im Rahmen des Projekts sollen Informationen über die verschiedenen Initiativen zur Schaffung strategischer Pläne für seltene Krankheiten zur Verfügung gestellt werden, um eine einheitliche Vorgehensweise bei der strategischen Planung im Bereich seltene Krankheiten zu gewährleisten. Ein noch wichtigeres Ziel ist die Bestimmung und Beschreibung der besten Methoden für den Austausch von Informationen, Modellen und Daten über wirksame Strategien im Umgang mit seltenen Krankheiten. Zu den Empfehlungen gehört eine kritische Analyse der aktuellen Maßnahmen in Bereichen mit besonderem Handlungsbedarf (institutioneller Rahmen, medizinische Versorgung, Qualitätskontrolle und Unterstützung der Patientenorganisationen). Sie werden den Mitgliedstaaten als Richtschnur für die Erarbeitung nationaler Pläne für seltene Krankheiten dienen. In diesem Zusammenhang können die Empfehlungen auch in der politischen Aufklärungsarbeit verwendet werden.

## Erwartete Ergebnisse

**Im Rahmen des Projekts sollen Empfehlungen erarbeitet werden, wie ein strategischer Plan unter umfassender Einbeziehung verschiedener Interessengruppen (Ministerien, regionale und lokale Behörden, Angehörige der Gesundheitsberufe, Forscher und Patienten) entwickelt werden kann. Außerdem sollen diese Empfehlungen in allen EU-Mitgliedstaaten weit verbreitet werden.**

**Der Einbeziehung von Interessengruppen wird eine wesentliche Bedeutung zugeschrieben, um die beiden Hauptziele des Projekts erreichen zu können:**

- 1) Erzielung eines Konsens im Bereich von Strategien für den Umgang mit seltenen Krankheiten, ausgehend von aktuellen Forschungsergebnissen**
- 2) Förderung der strategischen Planung im Bereich seltene Krankheiten auf der Grundlage optimaler Methoden.**

**Dank der Zusammenarbeit aller Interessengruppen wird das Projekt zur Sensibilisierung für seltene Krankheiten beitragen, und die Empfehlungen werden eine wichtige Rolle für die politische Aufklärungsarbeit spielen.**

## **Erklärung der Europäischen Kommission zum Unterschied zwischen Arzneimitteln aus Blutplasma und Vollblut sowie Blutbestandteilen**

Die Europäische Kommission hat Folgendes erklärt:

„Bei der Erstellung ihres zweiten Berichts über mitgliedstaatliche Förderung freiwilliger, unbezahlter Blutspenden wird die Kommission mit Blick auf die Auslegung und Umsetzung des Grundsatzes freiwilliger, unbezahlter Blutspenden im europäischen Kontext die unterschiedlichen Vorgehensweisen bei der Gewinnung von Blutbestandteilen gebührend berücksichtigen.“

Die Menschen, die von Plasmaprodukten wie Immunglobulin abhängen, haben die Sorge, dass die unbezahlten Blutspenden in Europa nicht ausreichen, um die Menge der erforderlichen Behandlungsprodukte abzudecken.

Aus bezahlten Blutspenden hergestellte Immunglobuline hatten in den letzten 15 Jahren einen ausgezeichneten Sicherheitsstandard, und da die weltweite Versorgung mit Plasmaprodukten derart knapp ist, hätte die Beschränkung des Zugangs zu diesen Produkten unmittelbar schwere Folgen für die Patienten.

Nach einem Treffen von Vertretern der Plasma-Nutzer mit Kommissar Vassiliou im Mai 2008 hat sich die Kommission bereit erklärt, den Zusammenschluss der Organisationen, die die häufigsten Nutzer von Plasma-Produkten (darunter auch Menschen mit primären Immundefekten) vertreten, aktiv in ihre Erwägungen einzubeziehen.

## Das britische PID-Register - Ein nationaler Ansatz zur Sammlung von Daten in Vorbereitung internationaler Forschungsarbeiten

Im Vereinigten Königreich, wie auch in anderen Ländern, ist die Notwendigkeit eines nationalen PID-Registers im Laufe der Jahre immer deutlicher geworden. Patienten und Angehörige der Gesundheitsberufe sind gleichermaßen an einem solchen Register interessiert. Es wird eine wesentliche Rolle spielen, um eine Forschung der Spitzenklasse zu gewährleisten, und letzten Endes auch zur Verbesserung der Patientenversorgung beitragen. Zu den obersten Zielen der Datensammlung gehören auch die Sensibilisierung der Öffentlichkeit und die Stärkung der Position der PID gegenüber Schlüsselakteuren wie Medien und Regierung. Die britische Patientenorganisation PIA (*Primary Immunodeficiency Association*, [www.pia.org.uk](http://www.pia.org.uk)) und das britische Netzwerk UKPIN (*The UK Primary Immunodeficiency Network*, [www.ukpin.org.uk](http://www.ukpin.org.uk)) haben sich bei der Schaffung eines nationalen Registers zusammengetan. Hierzu war hochmoderne Technologie erforderlich, weshalb die britischen Zentren beschlossen, die Erfahrung und Zuverlässigkeit eines bereits vorhandenen und bewährten Systems, genauer gesagt der ESID-Online-Datenbank für Primäre Immundefekte, zu nutzen. Dieses System läuft bereits seit 2004 erfolgreich und bietet alle erforderlichen Eigenschaften. Es sammelt klinische Daten, Labordaten sowie Daten zur Lebensqualität und ermöglicht langfristige Beobachtungen durch Follow-up-Dokumentation. Eine ausführlichere Beschreibung des ESID-Registers ist den Seiten 8 – 10 dieser Ausgabe des e-Update zu entnehmen.

Die britischen Zentren entschieden sich allerdings dafür, ihr Register auf einem dafür vorgesehenen Server im Vereinigten Königreich zu hosten. ESID unterstützt diese Lösung für nationale Register voll und ganz. Die für das Register bei UKPIN eingerichtete Lenkungsgruppe hat somit alle notwendigen Maßnahmen ergriffen, um in naher Zukunft einen Server mit einer Kopie der ESID-Datenbank einzurichten. Die notwendige Genehmigung der Ethik-Kommission ist vorhanden, und wir sind derzeit dabei, die Datenschutzstrategien mit dem University College London, wo sich der Server befinden wird, endgültig festzulegen.

### Aktueller Stand

Derzeit tragen bereits acht britische Zentren mit ihren Patientendaten zum Register bei. Die Daten von 943 PID-Patienten sind bereits in die ESID-Plattform eingegeben worden (Stand: 12. Dezember 2008).

Sobald der Server eingerichtet worden ist, wird von UKPIN der Beitritt vieler weiterer Mitgliedszentren erwartet. PIA unterstützt das Projekt nicht nur durch die Bereitstellung der notwendigen Server-Hardware, sondern hauptsächlich durch die Finanzierung eines Mitarbeiters, der die Dokumentationszentren besucht und ihnen bei der Eintragung von Daten hilft. Dies hat sich in anderen Ländern bereits als entscheidend erwiesen, weil die Eintragung von Daten offensichtlich für die Zentren eine gewisse Zusatzarbeit bedeutet, die häufig durch Zeitmangel und fehlendes Personal verhindert wird. Einige Zentren befinden sich in der glücklichen Lage, dass sie über bestimmte Mitarbeiter verfügen, die die Daten regelmäßig aktualisieren. Andere hängen wiederum von zusätzlicher Unterstützung ab.

Es sollen insgesamt 36 Mitgliedsorganisationen von UKPIN hinzukommen. Bisher haben 8 Zentren 940 Patienten eingetragen.

Ein weiterer Vorteil des ESID-Systems besteht darin, dass das britische Register trotz seiner Unabhängigkeit und der Möglichkeit, es an britische Bedürfnisse anzupassen und entsprechend abzuändern, nach wie vor mit der internationalen Version kommunizieren kann. Dadurch sind Vernetzung und Forschung in viel größerem Umfang möglich. Der Patient entscheidet, ob er seine Daten lediglich der Forschung im Vereinigten Königreich zur

Verfügung stellen möchte, oder ob sie in potenzielle internationale Forschungsprojekte einfließen können, indem sie einmal pro Jahr auf die internationale ESID-Plattform exportiert werden. Für weitere Informationen setzen Sie sich bitte mit Viviane Knerr, Datenbankkoordinatorin beim *Royal Free Hospital, University College London*, in Verbindung: [v.knerr@medsch.ucl.ac.uk](mailto:v.knerr@medsch.ucl.ac.uk).

***FROHE WEIHNACHTEN UND EIN  
GUTES NEUES JAHR***