

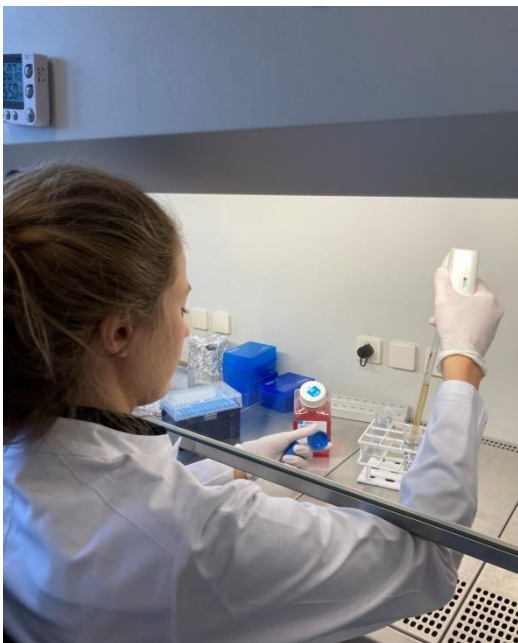


DGM Deutsche Gesellschaft
für Muskelkranke e.V.

Informationen

aus dem Bereich **ALS-Forschungsförderung**

der DGM im Jahre 2023



Deutsche Gesellschaft für Muskelkranke e.V. DGM
Im Moos 4
79112 Freiburg
Tel. 07665 9447-0
Fax 07665 9447-20
E-Mail: info@dgm.org
Internet: www.dgm.org

ALS-Forschung in der DGM

Auszüge aus dem Mitgliedermagazin „Muskelreport“

Diagnosegruppen

ALS

Gesprächskreise Amyotrophen Lateralsklerose FALS, Genetik oder FUS-Mutation

Im letzten Muskelreport haben wir informiert, dass wir Gesprächskreise für Betroffene mit einer nachgewiesenen genetischen Form oder familiären Vorgeschichte ins Leben gerufen haben. Am 6. Mai 2022 starteten wir mit einem I. FALS/Genetik Gesprächskreis und konnten einige Treffen organisieren. So trafen wir uns im I. Quartal 2023 zu zwei Onlineterminen.

ION 363

Am 24. Februar 2023 traf sich FUS-Community zu einem Online-Austausch, der durch PD Dr. Patrick Weydt/Bonn begleitet wurde. Inhalt war im Wesentlichen, wie kann es mit der Studieneinführung zu dem Medikament der Firma Ionis zu ION363 in Europa weitergehen. Erfreulicherweise erreichte uns zwischenzeitlich die Information, dass ein Studienantrag zu ION363 beim BfArM eingegangen ist. Das wäre ein 2. Medikament nach dem I. ALS ASO-Medikament zu Torfersen/Biogen zu SOD1. Dieses Medikament kann für SOD1-Betroffene zu einer weiteren Verlaufsstudie nach Härtefallprogramm beantragt werden.

PremodiALS-Studie

Am 10. März 2023 trafen wir uns erneut online, diesmal mit Prof. Dr. Paul Lingor/München zu der laufenden PremodiALS Studie am Klinikum rechts der Isar in München. Diese Studie wird weltweit in den USA, Australien und acht europäischen Ländern durchgeführt. Insbesondere Probanden, die eine Genmutation in sich tragen oder Angehörige mit genetischer Veränderung wissend oder bewusst nicht wissend, können an der Studie teilnehmen. Auch gesunde Probanden ohne eine ALS in der Familie oder mit einer sporadischen verlaufenden ALS sind eingeladen. Alle Probanden sollten keine oder nur geringe Symptome aufweisen. Die möglichen Probanden werden eingeladen und nach umfangreicher Aufklärung und Anamnese u. a. auf ihr Blut, Urin, Tränenflüssigkeit, Liquor, Geruchssinn und kognitiven Fähigkeiten untersucht. Prof. Lingor betonte, dass nicht zwingend an allen Untersuchungen teilgenommen werden muss



Prof. Dr. M. Deschauer, Dr. L. Semmler, Fr. P. Rau, Fr. E. Westenberg, Fr. A. Stiglmeier, Dr. G. Machetzanz, Prof. Dr. P. Lingor

– alle Untersuchungen sind freiwillig. Insgesamt gibt es zwei Termine im Abstand von einem Jahr, die in München wahrgenommen werden sollten. Mögliche Probanden haben zudem die Möglichkeit, sich eventuell entstehende Kosten erstatten zu lassen. Die Studie soll Aufschluss über frühe molekulare Veränderungen geben, die bei der ALS auftreten. Der Nutzen der Studie kann idealerweise sein, dass wir Faktoren entdecken, die eine ALS begünstigen oder ausbrechen lassen und somit Therapien für eine bessere Behandlung entwickeln können oder Menschen mit einer familiären ALS präventiv behandeln können. Wer mitmachen möchte, kann sich direkt an das Klinikum rechts der Isar in München wenden (paul.lingor@tum.de). Bei der PremodiALS Studie werden alle Daten pseudonymisiert, das heißt, Namen von Teilnehmenden verlassen nie das Studienzentrum. Das Konzept wurde vom Datenschutzbeauftragten geprüft und von der Ethikkommission der TU München bewilligt. Auf Wunsch können Ihnen die Ergebnisse der klinischen Untersuchungen mitgeteilt werden. Wir haben Informationen dazu auf unserer Webseite, gerne können Sie uns auch innerhalb der Diagnosegruppe ALS kontaktieren.

Zu den Gesprächskreisen oder zur Patienteninitiative/FUS-Mutation oder weiteren Fragen können Sie sich mit Tatjana Reitzig unter T 030 94398684 oder tatjana.reitzig@dgm.org in Verbindung treten.



Hautbiopsien als diagnostisches 'Fenster' in ALS-Patienten

Prof. Dr. Julian Großkreutz und PD Dr. Monika Leischner-Brill

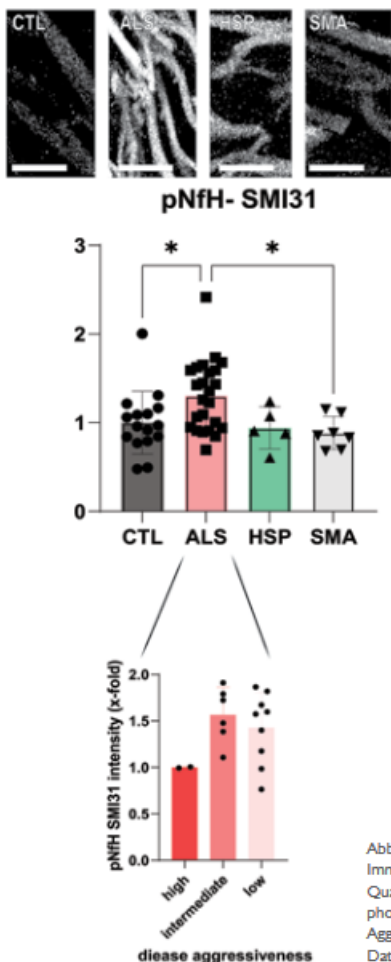


Abbildung 1: Zytoskeletale Veränderung in Hautbiopsien von Motoneuronenkrankten. (oben) Beispiele der Immunfärbung auf phosphorylierte Neurofilamente (pNfH). Kontrolle (CTL), ALS, HSP, SMA-Patienten. (mitte) Quantitative Auswertung der Grauwerte der Immunfärbungen in Gesunden, SMA und ALS-Patienten für phosphorylierte Neurofilamente (pNfH-SMI31). (unten) Einteilung der ALS-Patienten mit dem D50-Modell nach Aggressivität ergeben weitere Unterschiede im Proteingehalt von pNfH. Jeder Punkt stellt zusammengefasste Daten eines Patienten dar.

venwasser von Patienten nachgewiesen werden können und mit der Krankheitsaggressivität korrelieren. Da Neurofilamente nur in Nervenzellen vorkommen, müssen diese aus Nervenzellen ausgeschleust werden. Daher ist es wichtig, den Gehalt von phosphorylierten (pNfH) und nicht-phosphorylierte Nf-Formen (npNfH) in den Nervenfasern selbst zu bestimmen und mit dem Gehalt im Blut und Nervenwasser von ALS-Patienten zu vergleichen. Tatsächlich steigt nur in Hautbiopsien von ALS-Patienten, nicht aber von HSP, SMA oder Gesunden, der Gehalt von pNfH und npNfH in den sensorischen Nervenfasern an (Abb. 1). Dieser Trend setzt sich im Gehalt von Mikrotubuli fort. Nach Kategorisierung der ALS-Fälle mit Hilfe des D50-Modell zur Krankheitsprogression in milde, intermediäre oder aggressive ALS-Formen, ergeben sich weitere neue Erkenntnisse: in der aggressiven Form der ALS sind npNfH und pNfH deutlich niedriger als in milden oder intermediären ALS-Fällen (Abb. 1). Unsere Daten deuten also auf einen Zusammenbruch des Zytoskelettes bei aggressiver ALS hin. Neurofilamente im Blut und Nervenwasser sind bei diesen ALS-Patienten dementsprechend hoch. In Nervenfasern in Hautbiopsien von Patienten

Amyotrophe Lateralsklerose (ALS) ist eine seltene, nicht heilbare degenerative Erkrankung des motorischen Nervensystems. In den letzten Jahren wird ALS aber zunehmend als multisystemische Erkrankung gesehen, da auch andere Nervenzellen wie z.B. sensorische Nervenfasern betroffen sind. Ursächliche Therapien gibt es bis heute keine, auch aufgrund der bisher meist ungeklärten Krankheitsmechanismen und Genetik. Die meisten ALS Fälle treten sporadisch auf, ganz im Gegensatz zur hereditären spastischen Paraparese (HSP) oder spinalen Muskelatrophie (SMA). Die ursächlichen Störungen, die zum Untergang des motorischen Nervensystems beitragen, sind vielfältig. So werden z.B. erhöhter oxidativer Stress, reduzierter Organellen-Transport, mitochondriale Dysfunktion oder toxische Proteinaggregationen vermutet. Neuere Studien zeigen, dass auch das Skelett der Zellen, das sog. Zytoskelett, verändert sein kann. Dieses Zytoskelett ist für Nervenzellen überlebenswichtig, da es grundlegende Funktionen übernimmt, wie z. B. den Transport von Organellen, und für den Durchmesser von Fortsätzen maßgebend ist.

In dem von der DGM-unterstützten Projekt untersuchen wir das Zytoskelett von sensorischen Nervenfasern in Hautbiopsien von ALS-Patienten. Lichtmikroskopisch analysieren wir immunhistologische Färbungen von Gefrierschnitten, in dem wir die Fluoreszenz-Intensitäten der Färbungen vergleichen. Besonders fokussieren wir auf das Zytoskelett der sensorischen Nervenfasern, das aus drei Komponenten gebaut wird: Neurofilamente (Nf), Aktin und Mikrotubuli. Neurofilamente dienen als Biomarker bei der ALS, da diese im Blut und Ner-

mit milden oder intermediär aggressiven ALS Formen finden wir dagegen eine Erhöhung der zytoskeletalen Komponenten. Letztere könnten auf einen zellbiologisch unbekanntem defensiven Mechanismus von sensorischen Nervenfasern hindeuten, die den Untergang von Nervenzellen verzögern könnte.

Das Projekt ist durch die Projektförderung der DGM unterstützt worden.

PD Dr. Monika Leischner-Brill
Institute of Neuronal Cell Biology
Technische Universität München

Prof. Dr. med. Julian Großkreutz
UKSH Campus Lübeck, Klinik für Neurologie
Präzisionsneurologie



Amyotrophen Lateralsklerose ALS/ FUS-Mutation



An ALS zu erkranken, bedeutet noch immer für die betroffenen Menschen an einer unheilbaren, schweren Erkrankung mit einer stark verkürzten Lebenserwartung zu leiden. Die meist sehr schnell voranschreitende Erkrankung stellt für

die Betroffenen, ihre Angehörigen und das soziale Umfeld eine große Belastung dar.

Etwa 10 Prozent der ALS-Patienten haben eine nachgewiesene genetische Form oder familiäre Vorgeschichte, währenddessen man beim größten Teil der Erkrankten von Spontanmutationen spricht. Speziell für die kleinere Gruppe der familiären ALS (FALS) bietet die DGM in zwischen ALS-Gesprächskreise für Betroffene an. Aus diesem Kreis haben sich unterschiedliche Subformen in der Mutation gezeigt. Neben der SOD1-Mutation sind das die C9orf72, TARDBP sowie die FUS-Mutation und weitere. Insofern ergeben sich dadurch unterschiedliche Bedarfe, auch weil verschiedene Ansätze in der Forschung vorsichtigen Anlass zur

Hoffnung geben, die ALS in ihrem Verlauf zumindest zu verlangsamen.

Wir möchten Betroffene mit einer nachgewiesenen genetischen Form oder familiärer Vorgeschichte ermutigen, sich zu melden, wenn Interesse an einer Teilnahme an einem Gesprächskreis besteht. Aus dieser Gruppe ist bereits eine erste Patienteninitiative für Menschen mit einer FUS-Mutation entstanden, die eng vernetzt ist.

Zu Gesprächskreisen oder zur Patienteninitiative/ FUS-Mutation sowie zu weiteren Fragen können Sie mit Tatjana Reitzig unter T 030 94398684 oder tatjana.reitzig@dgm.org in Verbindung treten. Zu den Gesprächskreisen wird dann persönlich eingeladen.

Forschungsförderung der DGM

In der ersten Förderperiode unterstützt die DGM folgende Forschungsvorhaben in Höhe von insgesamt ca. 200.000 Euro.

Blaszcyk, Edyta Schulz-Menger, Jeanette	Charité Berlin	Unklare Troponinerhöhung bei Muskeldystrophien – Rolle von Troponin T und Troponin I in der Differenzialdiagnostik
Glaubitz, Stefanie	Universitätsmedizin Göttingen	Die Rolle der microRNA in der Pathogenese und der Diagnostik von Myositiden
Groß Martin	Universitätsmedizin Oldenburg	Studie "Ambulante Neuropalliativmedizin (NeuPal)"
Großkreutz, Julian Großmann, Kirsten	UKSH Lübeck	Anwendung standardisierter Assessments bei Betroffenen mit neuromuskulären Erkrankungen: Nutzen und Praktikabilität für Physiotherapeut*innen und Erkrankte
Holzer, Marie-Therese Stenzel, Werner Preuße, Corinna	Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf, Charité Berlin f	Charakterisierung der Ku+-Myositiden – Rolle der Autophagie, Aktivierung des Immunoproteasoms und Mechanismen der Proteinaggregation
Kleefeld, Felix	Charité Berlin	Pilotstudie zur mitochondrialen Dysfunktion bei Myotoner Dystrophie Typ 2 (DM2)
Mijic, Marko Wirner-Piotrowski, Corinna	LMU München, Friedrich-Baur-Institut	Der FBIndex zur Bestimmung des Sturzrisikos von Patient*innen mit neuromuskulären Erkrankungen und sein Beitrag zur Hilfsmittelversorgung
Pernice, Helena F.	Charité Berlin	Automatisierte Ganganalyse als klinischer Verlaufsmarker in hereditären neuromuskulären Erkrankungen
Petri, Susanne	Medizinische Hochschule Hannover	Gewichtsverlust bei Amyotropher Lateralsklerose (ALS) – Pathophysiologie und Identifikation neuer Therapieansätze
Preuße, Corinna Roos, Andreas	Charité Berlin	Untersuchungen zur Proteostase in Patienten mit Systemischer Sklerodermie
Stenzel, Werner	Charité Berlin	20. Internationalen Kongress für Neuropathologie vom 12. bis 16. September 2023 in Berlin
Tiburcy, Malte	Universitätsmedizin Göttingen	CRISPR/CAS9 Genomeditierung von humanen pluripotenten Stammzellen zur Modellierung der Kollagen VI Myopathie

Ein einfacher Test zur Beurteilung der Atemmuskelfunktion

Anfang 2023 wurde in der Fachzeitschrift *Journal of Neuromuscular Diseases* ein Fachartikel über ein Projekt veröffentlicht, das mit finanzieller Unterstützung der DGM am Universitätsklinikum in Münster (UKM) und am UKM-Marienhospital in Steinfurt durchgeführt wurde. In der Arbeitsgruppe von PD Dr. Matthias Boentert konnte ein einfaches Testverfahren zur Abschätzung von Lungenfunktion und Atemmuskelfunktion validiert, d. h. hinsichtlich seiner Anwendbarkeit und Zuverlässigkeit geprüft werden. Es handelt sich um den sogenannten Single-Breath-Count-Test (SBCT), bei dem man nach maximaler Einatmung so lange wie möglich zählt (also 1,2,3...), ohne noch einmal Luft zu holen. Das Ganze erfolgt mit normal lauter Sprechstimme und – mit Hilfe einer Metronom-App – in einem vorgegebenen Tempo von zwei Zahlen pro Sekunde.

Eine Atemmuskelschwäche kann bei vielen neuromuskulären Erkrankungen (NME) auftreten. Üblicherweise ist eine Untersuchung beim Lungenfacharzt oder eine gezielte Messung der Atemmuskelfunktion z. B. im neuromuskulären Zentrum erforderlich, um das Problem frühzeitig zu erkennen und gegebenenfalls den Weg in ein geeignetes Schlaflabor zu bahnen. Dort kann genauer geprüft werden, ob die medizinische Indikation für eine nächtliche Maskenbeatmung besteht. Die zur Atemmuskelfunktionmessung erforderliche Technik wird in aller Regel von neurologischen Facharztpraxen nicht vorgehalten. Grundidee des Projekts von Medizindoktorand Eike Klein (Foto) war es daher zu untersuchen, ob der SBCT als unkomplizierte Screening-Alternative geeignet ist. Die Validierungsstudie wurde mit 100 gesunden Personen und 100 Menschen mit NME durchgeführt.

Ihre Ergebnisse sind vielversprechend: Sowohl bei gesunden Personen als auch bei Menschen mit NME zeigt sich ein klarer statistischer Zusammenhang zwischen dem SBCT-Zählwert und den üblichen Lungenfunktionswerten wie der Vitalkapazität.

Bei Menschen mit NME ist dieser Zusammenhang sogar noch deutlicher als bei Gesunden und findet sich zudem auch in Bezug auf den maximalen Druck bzw. Sog, der bei kräftiger Einatmung erzeugt werden kann und ein direktes Maß der Zwerchfellkraft darstellt. Je schwächer die Atemmuskulatur ist, desto genauer spiegelt der SBCT das Ausmaß des Problems wider. Die Eignung des SBCT als Screening-Untersuchung für NME-Betroffene wird daran deutlich, dass mit dem erreichten Wert beim Zählen hinreichend genau vorhergesagt werden kann, ob eine Einschränkung der Lungenfunktion vorliegt (bei einem Zählwert < 41) oder eine schlafbezogene Atmungsstörung wahrscheinlich ist (bei einem Zählwert < 39); der letzte Aspekt muss aber noch weitergehend untersucht werden.

Der SBCT erlaubt eine Beurteilung der Lungenfunktion und der Atemmuskelfunktion insbesondere dann, wenn keine Lungenfunktionsdiagnostik möglich ist. Er ist einfach durchzuführen, kostengünstig und auch im Rahmen von Telefonvisiten oder Videosparchstunden einsetzbar.

Referenz: Klein E, Dräger B, Boentert M. Validation of the Single Breath Count Test for Assessment of Inspiratory Muscle Strength in Healthy Subjects and People with Neuromuscular Disorders. *J Neuromuscul Dis.* 2023 Jan 6. doi: 10.3233/JND-221530.

Validation of the Single Breath Count Test for Assessment of Inspiratory Muscle Strength in Healthy Subjects and People with Neuromuscular Disorders

[Cite](#)

Article type: Research Article

Authors: Klein, Eike^{a, b} | Dräger, Bianca^{a, b} | Boentert, Matthias^{a, b}; * 

Affiliations: [a] Department of Neurology with Institute of Translational Neurology, University Hospital Münster, Münster, Germany | [b] Department of Medicine, UKM Marienhospital Steinfurt, Steinfurt, Germany

Correspondence: [*] Correspondence to: Dr. Matthias Boentert, Department of Neurology with Institute for Translational Neurology, University Hospital Muenster, Muenster, Germany. E-mail: matthias.boentert@ukmuenster.de; ORCID-ID 0000-0001-6133-1397.

Correspondence: [*] Correspondence to: Dr. Matthias Boentert, Department of Neurology with Institute for Translational Neurology, University Hospital Muenster, Muenster, Germany. E-mail: matthias.boentert@ukmuenster.de; ORCID-ID 0000-0001-6133-1397.

Abstract: Objective: This study aimed to validate the single breath count test (SBCT) against volitional measures of respiratory muscle function in healthy subjects and people with neuromuscular disorders (NMD; n=100 per group). Methods: Testing comprised upright and supine SBCT, forced vital capacity (FVC), maximum inspiratory pressure (MIP), and sniff nasal inspiratory pressure (SNIP). Predictability of FVC by SBCT was assessed using logarithmic regression analysis. Receiver operating characteristics curves were used to identify SBCT thresholds for lung restriction (FVC < 80% predicted), inspiratory muscle weakness (MIP < 60 cmH₂O), and indication for non-invasive ventilation (NIV) in NMD patients. Results: In both groups, SBCT showed moderate correlation with FVC. In patients, SBCT values were also correlated with MIP and SNIP. Strength of correlations was similar with supine and upright SBCT which accounted for 23.7% of FVC variance in healthy individuals (44.5% in patients). Predictive thresholds of upright SBCT were < 27 for MIP < 60 cmH₂O (sensitivity 0.61/specificity 0.86), < 39 for NIV indication (0.92/0.46), and < 41 for FVC < 80% predicted (0.89/0.62). Conclusion: The SBCT is positively correlated with spirometry. It predicts both lung restriction and NIV indication in NMD patients. The SBCT allows for remote monitoring and may substitute for spirometry/manometry if appropriate devices are unavailable.

Keywords: Single breath count test, spirometry, maximum inspiratory pressure, neuromuscular disorders, non-invasive ventilation

DOI: 10.3233/JND-221530

Journal: *Journal of Neuromuscular Diseases*, vol. 10, no. 2, pp. 251-261, 2023

Accepted 21 December 2022 | **Published:** 07 March 2023

Palliativmedizinische Versorgung bei neurologischen Erkrankungen

SK2-Leitlinie



von der Klinischen Kommission für neurologische Palliativmedizin der Deutschen Gesellschaft für Neurologie

(DGN) und unter Koordination von Prof. Ploner sowie Prof. Rolke ist die SK2-Leitlinie erarbeitet worden. Mit den Hauptzielen Awareness für palliative Versorgungsbedarfe neurologischer Patient:innen, Hilfestellung für die Kommunikation in der Neurologie tätiger Ärzt:innen für Palliativthemen, Information für Patient:innen mit nicht-heilbaren, lebenszeitverkürzenden neurologischen Erkrankungen und deren

An- und Zugehörige sowie Unterstützung für an der Palliativversorgung beteiligte nicht-neurologische Berufsgruppen bei der Betreuung neurologischer Patient:innen. Ein besonderer Dank geht dabei an Tatjana Reitzig, die sich als DGM-Vertreterin in den Prozess eingebracht hat. <https://dgn.org/artikel/s2k-leitlinie-palliativmedizinische-versorgung-neurologischer-erkrankungen>

„Jeden Tag leben ALS wäre er der Letzte“



Ingrid Haberland im Interview



Maria Nowak

„Die unheilbare Nervenkrankheit ALS erreichte durch die „Ice-Bucket-Challenge“ im Jahr 2014 mediale Aufmerksamkeit. Inzwischen ist es um die Krankheit wieder still geworden. Doch was genau ist ALS und wie beeinflusst die Diagnose das Leben der Betroffenen?“ (Maria Nowak)

Mit ihrer crossmedialen Arbeit hat Maria Nowak Hintergründe und den Umgang mit der Erkrankung Amyotrophe Lateralsklerose eingehend beleuchtet. Die Studentin, die vor 18 Jahren ihren Vater, den Fußballprofi Krzysztof Nowak, an die ALS verloren hat, gibt Einblick in die Arbeitsweise der ALS-Forschung sowie den Umgang mit der Erkrankung. Die vollständige Arbeit ist einsehbar unter:



www.campus38.de/leben-und-gesellschaft/sport-und-gesundheit/beitrag/artikel/jeden-tag-leben-als-waere-er-der-letzte.html?fbclid=IwAR06o19_tBsRjUdYmqMeLyjhWYVpB26rrFlqENWNP2Eg_7ersB4kdAEWYM8Q

Dort sind Heike Klußmann als Betroffene und Ingrid Haberland als Vertreterin der DGM, diagnosespezifisch zu ALS, sowie Prof. Meyer als Wissenschaftler zu Wort gekommen, die von der Autorin befragt, gefilmt und zum Teil auch in ihrem Umfeld besucht worden sind.

Liebe Frau Nowak, Sie haben gerade eine Semesterarbeit über die ALS geschrieben, was war Ihre Motivation, gerade diese Erkrankung als Thema auszuwählen?

Es ist ein Thema, welches mir sehr nahesteht, da mein Vater Krzysztof Nowak im Jahr 2005 an ALS verstorben ist. Da ich zu dem Zeitpunkt vier Jahre alt war, kann ich mich nicht wirklich an meinen Vater erinnern. Ich wollte die Krankheit besser kennenlernen und die Betroffenen unterstützen, indem ich die Gesellschaft eventuell dazu motivieren kann zu Spenden, aber auch um Öffentlichkeitsarbeit für die Betroffenen zu betreiben. Die Krzysztof Nowak – Stiftung vom VfL Wolfsburg hat dabei eine wichtige Bedeutung für mich. Ich finde es großartig, dass es diese Stiftung gibt. Besonders wichtig finde ich auch die Kooperation mit der DGM.

Ihre Arbeit ist mit einer sehr guten Note gewürdigt worden, was genau war das Besondere an Ihrer Arbeit?

Ich muss zugeben, dass ich mich sehr freue, dass das Projekt so gut bewertet wurde. Aber umso mehr freue ich mich über die Veröffentlichung sowie über das positive Feedback von allen und die Unterstützung, die ich erhalten habe. Dafür bin ich sehr dankbar! Daher ist die Note für mich in dem Fall

eine Nebensache. Es ist schön, dass wir Studierenden der Ostfalia Hochschule in Salzgitter überhaupt diese technischen und praktischen Möglichkeiten haben, solche Projekte auf die Beine zu stellen. Wir sprechen hier von einem crossmedialen Projekt, welches mir die Möglichkeit gab, Text, Abbildungen und Videos zu integrieren. Für dieses große und wichtige Thema war es ein sehr gutes Format, obwohl ich zugeben muss, dass es dennoch schwer war, die Nervenkrankheit ALS zusammenzufassen. Ich musste mir lange darüber Gedanken machen, wie ich das Projekt aufbauen und was ich inhaltlich aufgreifen möchte. Ich hoffe sehr, dass es mir gelungen ist, die Krankheit so gut wie möglich in den wenigen Worten und Videos zusammenzufassen.

Sie haben sich im Rahmen Ihrer Arbeit mit Erkrankten, Angehörigen, Medizinern und Patientenorganisationen unterhalten, was waren Ihre Eindrücke?

Mir ist aufgefallen, dass die Lebensqualität der Betroffenen heutzutage besser ist, worüber ich mich sehr freue. Damals gab es, denke ich, noch nicht so viele Hilfsmittel. Ich habe bis heute größten Respekt vor meiner Mutter, wie sie das damals alles gemeistert hat mit meinem Vater sowie zugleich mit zwei Kindern. Aber umso wichtiger ist es auch, diese Hilfsmittel zu haben und Zugriff darauf zu erhalten, um das Leben mit der schweren Krankheit irgendwo zu erleichtern und dennoch so gut wie möglich zu gestalten. Mich hat auch der Gesprächskreis der DGM, zu dem mich Frau Haberland eingeladen hat, sehr begeistert und irgendwo sehr mitgenommen. Ich finde es gut, dass man sich dort austauschen und gegenseitig wichtige Tipps geben kann. Außerdem fiel mir auf, dass man sehr große Hoffnung auf die Forschung setzt. Ein Heilmittel wäre natürlich das Beste, was passieren könnte! Durch das Interview mit Prof. Dr. Thomas Meyer wurde mir klar, wie viel Arbeit dahintersteckt und dass es von vielen Faktoren, wie zum Beispiel Gelder, Studienteilnehmenden und Forschungsteam, abhängt. Ich drücke da ganz fest die Daumen!

Ihre Semesterarbeit ist nun auf den Seiten der Universität veröffentlicht worden, was ist die wesentliche Aussage, die Sie vermitteln möchten?

Mit meinem Projekt möchte ich die Rezipienten über die Krankheit ALS aufklären. Ich habe das Gefühl, dass alle die Ice Bucket Challenge aus dem Jahr 2014 kennen, aber nicht wirklich wissen, was die Thematik dahinter war. Seitdem ist meiner Meinung nach das Thema sehr untergegangen. Daher hoffe ich, dass ich auf die Nervenkrankheit nochmal aufmerksam machen und vor allem mit den Videos veranschaulichen kann. Meine wesentlichen Aussagen sind, dass ALS eine schlimme Krankheit ist und wir von den Betroffenen vieles lernen können. Ich persönlich nehme aus meinem Projekt viel fürs Leben mit. Mir wurde nochmal klar, wie wichtig Gesundheit ist – ich würde sogar behaupten es ist das Wichtigste – und dass meine Probleme keine richtigen Probleme sind. Ich habe gelernt, das Leben viel mehr zu genießen, aber auch noch mehr auf meine Mitmenschen zu achten und ihnen zu helfen, wenn sie Hilfe benötigen. Vielleicht können die Rezipienten es ebenfalls aus diesem Projekt entnehmen.

Während die DGM in der Beratung und Forschungsförderung sehr aktiv ist, agiert die Krystof-Nowak-Stiftung mildtätig und kann in Einzelfällen Unterstützung geben, wie bewerten Sie die Aktivitäten in der Szene?

Ich finde diese Kooperation sehr wichtig und wertvoll. Als Team ist man immer stärker. Die Krzysztof Nowak-Stiftung kann immer an die DGM weiterleiten, sowie die DGM an die Krzysztof Nowak-Stiftung, je nachdem was der oder die Betroffene gerade

braucht, ob finanzielle Unterstützung oder hilfreiche Beratung. In meinen Augen ist es auch ein Vorteil, dass hinter der Stiftung der Bundesligist VfL Wolfsburg steht. Ich meine, es ist dabei hilfreich, mehr Menschen erreichen zu können, da der Verein in der Öffentlichkeit breit aufgestellt ist. Zugleich nehme ich die DGM als einen sehr starken Verein wahr mit einem besonderen Know-how. Die Mischung von beidem ist daher große Klasse! Hoffentlich bleibt uns das so noch sehr lange erhalten.

Um in die Zukunft zu schauen, es laufen jetzt schon Vorbereitung für eine große virtuelle Spendenaktion in 2024, es wird aufgerufen zu laufen oder Rad zu fahren. Beteiligen Sie sich mit einer Aktion?

Sehr gerne werde ich mich an der Aktion beteiligen! Ich persönlich fahre lieber mit dem Fahrrad, aber für die Spendenaktion würde ich natürlich auch mal wieder die Laufschuhe auspacken. Bis dahin werde ich an meiner Ausdauer arbeiten und ich freue mich schon jetzt darauf, gemeinsam mit allen Teilnehmenden für den guten Zweck laufen zu gehen oder Rad zu fahren.

Dann sehen und sprechen wir uns bestimmt wieder, spätestens in 2024 auf der Strecke!

Vielen Dank für das Gespräch, Glückwunsch zur sehr guten Benotung Ihrer Arbeit und viel Erfolg für weitere gute Aktionen!

MND-NET Deutsches Netzwerk für ALS und Motoneuronerkrankungen



Das MND-NET ist ein Zusammenschluss wissenschaftlicher und klinischer Zentren im deutschsprachigen Raum, die sich der Behandlung von Patienten mit Motoneuronerkrankungen verpflichtet haben und diese Erkrankungen gemeinsam erforschen. Gefördert wurde das Projekt vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) und von der DGM.

Seit 2012 werden klinische Längsschnittdaten und Biomaterial von über 8000 MND-Patienten (darunter ca. 300 SMA-Patienten) systematisch erfasst (webbasiertes eDC-System, zentrale Biobank, beides gehostet am Koordinationsstandort Ulm).

Die Zusammenarbeit im MND-NET haben die Netzwerkmitglieder in einer Kooperationsvereinbarung geregelt. Netzwerkkoordinator ist der Standort Ulm mit dem Projektleiter Prof. Ludolph, ein Steering Committee berät und unterstützt den Netzwerkkoordinator bei seinen Aufgaben. In Fachausschüssen wird der wissenschaftliche Austausch in Spezialgebieten wie

z. B. der Neurogenetik, der Neuropathologie und neurochemischer Biomarker gestärkt.

Über 150 wissenschaftliche Publikationen des MND-Netzwerks sind bereits veröffentlicht. Sie dokumentieren die Ergebnisse zahlreicher Forschungsprojekte, die zum besseren Verständnis der ALS-Krankheit durchgeführt werden. Im MND-Netzwerk werden von Forschern initiierten Studien (Investigator Initiated Trials, IIT) durchgeführt, die das Ziel haben neue Therapien zu entwickeln.

Mitglieder des deutschen ALS/MND-NETs sind an vielen multinationalen ALS-Studien beteiligt, die von der pharmazeutischen Industrie vorangetrieben werden.

In einem Gemeinschaftsprojekt haben die MND-NET – Standorte die neue Webseite des MND-NETs entwickelt, erreichbar unter www.mnd-net.de.

5. ALS-Informationstag in Bonn Forschung, Behandlung, Versorgung



v.l.n.r.: Prof. Susanne Petri (Hannover), Prof. Neil Shneider (New York), Dr. Patrick Weyt (Bonn), Sonja Kämpfer (Waiblingen), Prof. Jochen Weißhaupt (Mannheim)

Am 18. August 2023 hatten das Universitätsklinikum Bonn (UKB) und das Deutsche Zentrum für Neurodegenerative Erkrankungen (DZNE) in ihrer Gemeinschaftsveranstaltung zum fünften ALS-Informationstag nach Bonn eingeladen. Die Amyotrophe Lateralsklerose (ALS) ist eine bislang nicht heilbare neurodegenerative Erkrankung, welche hierzulande etwa 8.000 Menschen betrifft. Die Krankheit führt zu einer fortschreitenden Nervenlähmung mit vollständiger Beeinträchtigung bei Mobilität, Kommunikation, Ernährung und Atmung.

Die halbtägige Veranstaltung auf dem Bonner Venusberg stand wieder unter der bewährten Leitung und Moderation von PD Dr. Patrick Weydt (Leiter der ALS-Ambulanz am UKB) und wurde zeitgleich im Live-Stream auf YouTube übertragen. Es wurden die neuesten wissenschaftlichen Entwicklungen im Bereich der Behandlung und Versorgung vorgestellt und ethische Fragen diskutiert.

In seiner Begrüßung würdigte Dr. Weydt zunächst Bruno Schmidt (1965-2022), ALS-Patient und Gründer des Selbsthilfevereins „ALS – Alle Lieben Schmidt“. Des Weiteren stellte er das ALS-Ambulanzteam am UKB vor dankte den zahlreichen Sponsoren.

Im Anschluss referierte Prof. Dr. Susanne Petri (Medizinische Hochschule Hannover) zur sporadischen ALS. Dabei nannte sie neben den Symptomen auch den Beginn der Erforschung dieser Krankheit am Beispiel des US-amerikanischen Baseballspielers Lou Gehrig (gest. 1941). Sie zeigte die Schnittmenge zwischen ALS und FTD (= Frontotemporale Demenz) auf, erläuterte die

Diagnosekriterien (nach El Escorial) und grenzte die symptomatische Therapie von der neuroprotektiven Therapie (Bsp. Riluzol) ab.

Danach gab Prof. Dr. Jochen Weishaupt (Universitätsmedizin Mannheim) einen Überblick über den Forschungsstand der genetischen ALS und stellte einige Studienergebnisse vor. Des Weiteren veranschaulichte er mögliche Ergebnisse einer genetischen Testung für Familienangehörige von an ALS Erkrankten.

Nach einer Pause erläuterte Dr. André Maier (Charité Berlin) in seinem Vortrag zur symptomatischen Therapie und Versorgung die Grundsätze der ALS-Behandlung und nannte die drei Domänen, nämlich Verlängerung der Lebenszeit, Linderung von Symptomen und Erhöhung der Teilhabe. Zusätzlich zeigte er am Beispiel des Bewegungstrainers die Vorteile einer gerätegestützten Physiotherapie auf.

Anschließend berichtete Dr. René Günther (Leiter der ALS-Ambulanz an der Universität Dresden) über die Spinale Muskeltrophie (SMA) und erläuterte die drei Phänotypen „non-sitter“, „sitter“ und „walker“. Neben den Therapiemöglichkeiten ist insb. die frühzeitige Diagnose im Neugeborenen-Screening entscheidend, denn hier gilt: Je früher die Behandlung beginnt, desto besser ist die Heilungschance.

Mit Prof. Neil Shneider, MD, PhD (Columbia University, New York, USA) war erstmals ein Referent aus dem Ausland vertreten. In seinem Vortrag „Novel Therapies for Ultra Rare ALS“

berichtete er über die ALS-Erkrankung der eineiigen Zwillingsschwestern Alex und Jaci Hermstad in den USA und den dabei gewonnenen Erkenntnissen zur Entwicklung eines neuartigen Medikaments in Zusammenarbeit mit der Fa. Ionis Pharmaceuticals.

Ergänzt wurde dieser Vortag durch den sehr anschaulichen Erfahrungsbericht von Sonja Kämpfer, deren Tochter Anna an dieser seltenen FUS-Mutation erkrankt ist und dank der Behandlung mit dem genetischen Medikament „Jacifusen“ (dessen Entwicklung durch die n-Lorem Foundation gefördert wird) zuversichtliche Therapieerfolge zeigt.

Der ALS-Informationstag wurde begleitet durch eine Hilfsmittelausstellung verschiedener Anbieter im Foyer, die auf reges Interesse der Anwesenden stieß. Ebenso war in gewohnter Weise der NRW-Landesverband DGM durch unsere Landesvorsitzende Petra Hatzinger mit einem Informationsstand vertreten.

Schließlich gilt bei ALS: Niemand sollte sich trotz der schwierigen Umstände und Begleiterscheinungen allein gelassen fühlen, denn neben der ärztlichen Unterstützung in den ALS-Ambulanzen sowie den verschiedenen therapeutischen und psychologischen Versorgungsmöglichkeiten vor Ort sind insbesondere die ALS-Selbsthilfegruppen der DGM eine wertvolle Stütze zum gegenseitigen Austausch und Netzwerken für Patientinnen und Patienten und deren An- und Zugehörige.

Als Fazit des 5. ALS-Informationstages in Bonn lässt sich festhalten, dass alle Anwesenden es bereichernd fanden, in persönlichen Gesprächen ihre Erfahrungen weiterzugeben sowie neue Kontakte herzustellen und wichtige Informationen mitzunehmen.

Holger Burghoff



FUS-Studie startet am NMZ Ulm

Eine neue klinische Studie für ALS Patienten mit einer Mutation im FUS-Gen beginnt in Ulm. Die Ion363-CS1 Studie soll die Sicherheit, Verträglichkeit und Wirksamkeit von Ion363 bei Patienten mit bestätigter FUS-Mutation untersuchen. Eine Studienbehandlung erfolgt über einen Zeitraum von ca. eineinhalb Jahren und könnte in der Abteilung Neurologie des Universi-

tätsklinikums Ulm durchgeführt werden. Nähere Informationen zum genauen Ablauf der Studie und Ihrer Eignung zur Teilnahme erhalten Sie gerne unter

T 0731 177 5362 bzw. elke.froehlich@uni-ulm.de.



Versorgungsforschung für ALS-Betroffene



Wegweiserangebot – Patientenlotsen an Neuromuskulären Zentren (NMZ)

Das aktuelle Thema „Patientenlotsen an Neuromuskulären Zentren“ bildete den Auftakt am Vortag des DGM-Kongresses in Essen. Die **Kongresspräsidentin, Prof. Dr. Ulrike Schara-Schmidt**, begrüßte auf dem Symposium ca. 100 Teilnehmende. Im Fokus der Veranstaltung stand der Mehrgewinn von Wegweiser-Angeboten für das medizinische Setting, und damit auch der ökonomische Effekt auf das Gesundheitswesen. Expertenvorträge machten zudem deutlich, dass die Lotsentätigkeit im direkten Kontakt mit den Patientinnen und Patienten nicht nur kommunikativ wirkt. Als Ansprechperson, Vermittelnde und Koordinierende innerhalb des NMZ optimieren die Lotsen die gesamte Versorgungssituation für neuromuskulär erkrankte Menschen erheblich.

Unter dem Titel „Evaluation und aktueller Stand“ gab **PD Dr. Thorsten Langer** (Universitätsklinikum Freiburg) mit Joachim Sproß (Bundesgeschäftsführer DGM) ein Update über den derzeitigen Stand im Pilotprojekt. Als bemerkenswert ist benannt worden, dass nach der jetzt auslaufenden Dreijahres-Projektzeit die Gespräche für eine Verstetigung der Lotsentätigkeit durch Finanzierungsmodelle der Universitätskliniken erste Erfolge zeigen. An den Kliniken wird der positive Effekt auf das Versorgungsmanagement gesehen. Auch die ersten Zwischenergebnisse der projektbegleitenden Evaluation unterstreichen diese Wirkungen, Dr. Thorsten Langer stellte einige Ergebnisse der unabhängigen Evaluation vor.

Prof. Dr. Leonie Sundmacher und M.Sc. Marie Coors (beide TU München) stellten die „Gesundheitsökonomische Sicht auf Wegweiser- und Lotsentätigkeiten in der stationären Versorgung“ vor und kamen zu dem Schluss, dass weiterer Forschungsbedarf im Hinblick auf die Wirksamkeits- und Kostenevaluation von Lotsenprojekten besteht. Konkrete Zahlen zeigte Marie Coors in ihrer Studie über die Cardio-Lotsen: „Die Zahl an Krankenhaus-Wiedereinweisungen konnte für die Interventionsgruppe signifikant reduziert werden und auch die durchschnittliche Krankenhausverweildauer war signifikant geringer. Innerhalb von zwölf Monaten mussten Patienten, die von einem Cardiolotsen betreut wurden, im Schnitt rund zwei Tage weniger im Krankenhaus bleiben.“ Daraus können gesundheitsökonomische Einsparungspotentiale konkret abgeleitet und beziffert werden.



Wolfgang van den Bergh (Herausgeber Ärztezeitung) hielt einen Vortrag mit dem Titel „Gesundheitssystem und Präzisionsmedizin – Dolmetscher für Komplexität gesucht“. Seine Quintessenz fiel deutlich aus: „Ärzte, Kassen, Industrie und Patienten bilden eine Versorgungsallianz, um dem Leistungsversprechen der Politik Rechnung zu tragen!“ Van den Bergh verwies auf die aktuellen politischen Diskussionen und Vorhaben, wie z. B. die Unabhängige Patientenberatung, Gesundheitskioske. Ausgehend vom Versprechen der Ampel-Parteien im Koalitionsvertrag, „für erfolgreich geförderte Projekte, wie die der Patientenlotsen werden wir einen Pfad vorgeben, wie diese in die Regelversorgung überführt werden können“, kam er zu dem Fazit: „Ohne Patientenlotsen und Dolmetscher wird die Versorgung teurer!“

Über „Patientenlotsen im Kontext regionaler Versorgung“ berichtete **Malte Behmer** (BMC, Berlin). Er gab einen Einblick in konkrete Umsetzungsmodelle mit regionalem Bezug. Dabei regte er an, in gefestigten Strukturen funktionierende Lotsenprojekte starten zu lassen. Malte Behmer motivierte die regionalen Akteure mit seinem Fazit, „Gesundheitsregionen können neue Versorgungslösungen in der Fläche ausrollen und dabei bestehende Hürden aus der Regelversorgung überwinden.“ Die Überleitung zur Bundespolitik zeigte er mit Verweis auf die zwei Versorgungsgesetze 2023:

- I. Stärkung der Medizin in der Kommune (u. a. Gesundheitskioske, Primärversorgungszentren, Maßnahmenpaket Gesundheitsregionen)
- II. Stärkung des Zugangs zu gesundheitlicher Versorgung (u. a. Regelungen zu MVZ & Gesundheitsberufen).

Als Gesundheitspolitiker und Bundestagsabgeordneter sprach **Dirk Heidenblut** (Essen) und zeigte „Die Einstufung von Patientenlotsen im Fokus der Fachpolitik – Gesundheitsausschuss“ auf. Der enorme Transformationsprozess im Gesundheitswesen mit den vielen Ansätzen stellt die Gesundheitspolitik vor besondere Herausforderungen. Diese drücken sich auch in den von Malte Behmer erwähnten Versorgungsgesetzen aus. Lt. Dirk Heidenblut werden Ansätze von wegweisenden Lotsenprojekten in die Überlegungen zu Versorgungsgesetzen einfließen.

In einem abschließenden Austausch wurden die Vorteile von DGM-Patientenlotsen herausgestellt. Diese Lotsen organisieren die interdisziplinären Konsultationen, leiten Patienten zu den notwendigen Stellen und übernehmen administrative und organisatorische Aufgaben für ein passgenaues Behandlungs- und Versorgungssetting. Es zeigte sich, wie mehrdimensional die Lotsentätigkeiten positive Wirkungen zeigen. Gerade in den Behandlungen von komplexen Erkrankungen ist für Diagnostik und Therapie eine Koordinierung sinnvoll. Die ressourcenbewussten Effekte steigern Therapieerfolge und bewirken direkte Korrelationen zur Kostenreduzierung.

Für die DGM ist es bedeutend, dass die Patientinnen und Patienten mit einer chronischen und komplexen Erkrankung, die zumeist in ihrer Mobilität beeinträchtigt sind, Unterstützungsmodelle für eine bestmögliche klinische Versorgung erhalten. Von der anspruchsvollen Diagnosestellung bis zur medizinisch-therapeutischen Unterstützung ist die Versorgung oft mit en-

ormem Aufwand verbunden. Indem mit Unterstützung von Patientenlotsen Wartezeiten abgebaut und das medizinische Personal entlastet wird, wird die Gesundheitsversorgung patientenzentrierter organisiert.

Kongresspräsident **Prof. Dr. Tim Hagenacker** zeigte sich von den Vorzügen überzeugt: „In Essen haben wir eine Patientenlotsin, die als Teil der Transition in beiden Kliniken tätig ist. Wir erleben das als sehr positiv, als gewinnbringend. Weil uns durch das, was die Patientenlotsin leistet, mehr Zeit für die Patienten zur Verfügung steht. Der Patient fühlt sich von Anfang an gut mitgenommen, weil die Behandlung nicht erst im Wartezimmer oder im Zimmer des Arztes beginnt.“ Schon jetzt zeige das DGM-Projekt, dass mit Patientenlotsen die limitierten Ressourcen in den neuromuskulären Zentren optimaler zu nutzen seien.



Evaluationsabschlussbericht des DGM-Patientenlotsenprojekts

Evaluationsabschlussbericht des DGM-Patientenlotsenprojekts

Erfolge in der Verkürzung von Wartezeiten und Verbesserung des Patientenkomforts

Seit drei Jahren läuft das innovative DGM-Patientenlotsenprojekt mit dem klaren Ziel, Wartezeiten zu verkürzen und den Patientenkomfort zu erhöhen. Die unabhängige Evaluation, durchgeführt vom Universitätsklinikum Freiburg unter der Leitung von Christine Straub und PD Dr. Torsten Langer, hat nun ihren Abschlussbericht vorgelegt.

In diesem Abschlussbericht, der den Zeitraum von Oktober 2020 bis Mai 2023 abdeckt, werden die Prozess- und Ergebnisevaluationen des Patientenlotsen-Programms der DGM (PLP-DGM) präsentiert. Die Evaluierung konzentrierte sich auf die Arbeit der Patientenlotsinnen (PL) an fünf zertifizierten Neuromuskulären Zentren (NMZ) in Rhein-Neckar/Heidelberg, Leipzig, Göttingen, Thüringen/Jena und Nordrhein/Essen.

Die Ergebnisse dieser Evaluierung, unter Berücksichtigung der Standards der Deutschen Gesellschaft für Evaluation (DeGEval 2016), sind äußerst vielversprechend. Die DGM initiierte und finanzierte das Projekt, unterstützt von den pharmazeutischen Unternehmen Alexion, Argenix, Merck Family Foundation, Novartis, Pfizer, Sarepta, PTC Therapeutics und Roche sowie Patrick Schwarz-Schütte als privatem Förderer, um ab dem Frühsommer 2020 Lotsen als Case-Management-Personen in den NMZ zu etablieren. Dieses Angebot ist persönlich vor Ort aktiv, weist Wege auf, informiert, koordiniert und strukturiert die Behandlungsverläufe.

Die Prozessevaluation konzentrierte sich auf die Sichtweise und Erfahrungen der Lotsen sowie der ärztlichen Fachaufsichten (FA) an den Muskelzentren. Die Ergebnisevaluation hingegen

analysierte die Auswirkungen und Effekte des DGM-Lotsenprojekts, wobei Telefoninterviews mit den ärztlichen Behandlern, Patienten und Eltern von Patienten sowie schriftliche Befragungen von allen und abschließende Online-Befragungen der Patientenlotsen als Grundlage dienten.

Die Hauptziele der Evaluation waren Patientenkomfort, Wartezeit, Gesundheitskompetenz und Entlastung der Behandler. Das Lotsenangebot hat erfolgreich Wartezeiten verkürzt, indem es die Terminkoordination verbessert und den Patienten geholfen hat, ihre Gesundheitskompetenz zu steigern. Besonders erwähnenswert ist, dass die Patientenlotsen nicht-ärztliche Beratungsthemen im Rahmen eines Case Managements bearbeiten, was zu einer Entlastung der Behandler beiträgt. Darüber hinaus unterstützen sie durch eine strukturierte Prozesskoordination und



die Übernahme vorbereitender Maßnahmen die Versorgung der Patienten im Neuromuskulären Zentrum.

Die Ergebnisevaluation zeigt, dass die Lotsen einen signifikanten Beitrag zur Verbesserung der Versorgungsqualität leisten, insbesondere im Hinblick auf die genannten Zielgrößen. Sie werden als verlässliche, leicht erreichbare Ansprechpartner wahrgenommen, was zu hoher Patientenzufriedenheit und positiven Erfahrungen führt. Die Patienten und Eltern von Patienten wünschen sich zusätzlich eine Vertretung der Patientenlotsen bei Abwesenheit.

Die Empfehlungen der Evaluation betonen die Bedeutung einer klaren Definition der Patientenlotsen-Aufgaben, um Überschneidungen mit anderen Berufsgruppen zu vermeiden.

Auf der klinisch-praktischen Organisationsebene sollte die Neutralität der Lotsenfunktion berücksichtigt werden und damit eine bedürfnis- und bedarfsorientierte anstatt einer rein indikationsorientierten Vorgehensweise. Es wird empfohlen, die vielfältige Schnittstellenfunktion der Lotsen zu nutzen, um sowohl

interdisziplinäre als auch interprofessionelle Handlungs- und Kommunikationsstrukturen zu intensivieren. Insbesondere sollte die DGM mit ihren vielfältigen Angeboten für Patienten und Eltern von Patienten und die Behandelnden als Ressource des integrierten Versorgungsprozesses am NMZ genutzt werden. Zur Stärkung der professionellen Empathie im Umgang der Lotsen mit Betroffenen, die von (schwerer/schwerster) neuromuskulärer Erkrankung betroffen sind, werden regelhaft spezifische Maßnahmen, wie z. B. kollegialer Austausch, fachliche Fortbildungen oder Supervision für die Patientenlotsen empfohlen.

Insgesamt zeigt diese Evaluation des DGM-Patientenlotsenprojekts, dass es erfolgreich dazu beiträgt, die Versorgung von Patienten zu verbessern und ihre Bedürfnisse stärker in den Fokus zu rücken sowie im Behandlungszentrum effizienter und wirtschaftlicher zu agieren. Trotz einiger Limitationen bietet diese Evaluation wertvolle Erkenntnisse und Empfehlungen für die Weiterentwicklung des Projekts.

(Zusammenfassung aus dem Evaluationsabschlussbericht)



Verstärkung der Patientenlotsenangebote in Göttingen und Leipzig



PD Dr. Jana Zschüntzsch, Prof. M. Weber

Die Fortsetzung der Lotsenangebote an den Neuromuskulären Zentren in Leipzig und Göttingen sind vereinbart. Die Universitätsmedizin Göttingen stattet das dortige Muskelzentrum mit einer ganzen Stelle aus, das Universitätsklinikum in Leipzig hat eine Stelle mit einem halben Deputat für das Muskelzentrum eingerichtet.

Mit diesen Entscheidungen unterstreichen die Kliniken den hohen positiven Effekt für Patienten sowie für das Behandlungs- und Versorgungssystem im Muskelzentrum. Die koordinierende und kommunizierende Form der Patientensteuerung fördert die effiziente und qualitativ hochwertige Diagnostik und Therapie. Somit sind Sigrid Blitz in Göttingen und Eike Hänsel in Leipzig auch über das eigentliche DGM-Projekt hinaus mit der Patientenlotsentätigkeit vertraut und stehen mit den medizinischen Fachpersonen sowie den Patientinnen und Patienten unterstützend im Austausch. Gerade in Göttingen ist das Angebot aus Sicht der Klinik in die allgemeinen Strukturen integriert. Für die unbefristete Verstetigung haben sich PD Dr. Jana Zschüntzsch sowie Prof. Markus Weber über Verlauf und Effekte der Lotsentätigkeit vertieft und konnten sich für das dauerhafte Angebot erfolgreich einsetzen.

Mit dem Neuromuskulären Zentrum Jena erfolgen weitere Gespräche, um auch dort für die Versorgung von Betroffenen das bisher sehr gut funktionierende Angebot der Lotsentätigkeit weiterzuführen.

Das Gesamtprojekt „Patientenlotsen an Neuromuskulären Zentren“ hat auch bei weiteren Pharmaunternehmen/Stiftungen Aufmerksamkeit erzeugt, so hat sich die Unterstützergemeinschaft von Novartis, Roche, Sarepta, Alexion, Pfizer, PTC und Patrick Schwarz-Schütte erweitert mit der Merck Foundation sowie mit Argenx.

Durch diese zusätzlichen Förderungen ist es gelungen, zwei neue Standorte zu installieren. Die entsprechende Ausschrei-

bung ist an die Muskelzentren gesandt worden. Der Bundesvorstand hat aus den eingegangenen Bewerbungen die Standorte NMZ Schleswig-Holstein, Standort Lübeck und NMZ Brandenburg, Standort Rüdersdorf ausgewählt. Die entsprechenden Bewerbungsprozesse sind nun angelaufen. Interessierte können sich direkt an die beiden Sprecher wenden (Leipzig: julian.grosskreutz@neuro.uni-luebeck.de, Rüdersdorf: jens.schmidt@mhb-fontane.de).

Tag der Patientenlotsen am 9. November 2023 im Hotel Rossi/Berlin

Das große Ziel des DGM – Pilotprojekts ist, Patientenlotsen in die öffentlichen Finanzierungssysteme zu bringen. In der jetzigen Diskussion und Wegweiseangebote stellt sich auch die Frage nach der Verortung der Patientenlotsen und die damit verbundenen konkreten Aufgaben. Wo kann das Lotsensystem am effektivsten ansetzen. Gemeinsam mit der Deutschen Schlaganfallhilfe, der Deutschen Gesellschaft für Care- und Casemanagement und dem Bundesverband Managed Care wird auf dem „Tag der Patientenlotsen“ am 9. November darauf eingegangen. Dabei spielen auch Fragen eine wesentliche Rolle, inwieweit der Patientenlotse auch SGB-übergreifend tätig ist. Kann der Patientenlotse regional angebunden werden, um sich nicht nur der medizinischen Versorgung (SGB 5), sondern auch Themen der ganzheitlichen Versorgung (Reha, Inklusion, Teilhabe, Arbeitsförderung, Hilfsmittelversorgung etc.) zu adressieren? Dieser Frage wird auf dem Tag der Patientenlotsen nachgegangen, sowohl theoretisch durchleuchtet als auch mit praktischen Beispielen gezeigt.



Eine Lotsin kann gerade in Zeiten des Fachkräftemangels den Wert eines halben Arztes oder einer Pflegekraft haben

Die DGM ist seit 2020 aktiv beteiligt in der Versorgung von Betroffenen mit einer neuromuskulären Erkrankung durch Patientenlotsen an zunächst fünf, nun sieben Muskelzentren. In Jena, Göttingen, Leipzig, Heidelberg sowie Essen, und ab sofort auch in Lübeck und Rüdersdorf, sind Patientenlotsinnen tätig. Ihre Aufgabe besteht darin, Betroffene in den komplexen Versorgungspfaden bei Diagnose und Therapie wegweisend zu unterstützen. Sie agieren als direkte Ansprechpartnerinnen, koordinieren intersektorale Termine und führen Patienten durch die breite Palette der medizinisch-therapeutischen, sozialen sowie organisatorischen Anforderungen.

Der Projektstatus ist inzwischen in Göttingen, Jena und Leipzig aufgehoben, die Kliniken haben die enormen Vorteile für Patienten sowie Ärztinnen/Ärzte und damit verbundene wirtschaftlich positive Effekte aufgegriffen und das Angebot weitergeführt. Neben der DGM haben sich viele Initiativen gebildet, die Lotsenprojekte auch bei weiteren Indikationen durchführen. Es zeigt

sich insbesondere bei chronischen und zum Teil auch seltenen Erkrankungen ein hoher Koordinierungsbedarf, der über Patientenlotsen bestmöglich adressiert wird.

Auf bundespolitischer Ebene ist die Notwendigkeit des flächendeckenden wegweisenden Angebots erkannt worden. Nun gilt es, Lotsen in die Regelversorgung zu bringen und dafür die rechtlichen Voraussetzungen zu schaffen. Zudem zeigt sich der Ansatz von SGB-übergreifenden Unterstützungsangeboten sinnvoll, auch für Muskelkranke sind die Themen Pflege, Reha, Teilhabe, Hilfsmittel von besonderer Bedeutung.

Die (Weiter-)Entwicklung der Implementierung von Lotsenangeboten und rechtliche Verortung waren Hauptthema auf dem in Berlin am 9. November 2023 stattgefundenen „Tag der Patientenlotsen“. Dabei riefen die Veranstalter dazu auf, regionale Lösungen für die Versorgung von Menschen in gesundheitlichen und sozialen Notlagen zu stärken. Patientenlotsen kommt dabei



Katharina Kohnen sowie Hanna Stüber



Lotsin Sigrid Blitz

eine entscheidende Rolle zu, berichteten Modellprojekte ausgehend von umfassenden Erfahrungen vor Ort. Wie schon im Vorjahr appellierten die Veranstalter: Die Bundesregierung muss die im Koalitionsvertrag formulierte Ankündigung, Patientenlotsen regelhaft zu etablieren, umsetzen. Ein an der Veranstaltung vorgestelltes Rechtsgutachten zu bereits existierenden sozialrechtlichen Möglichkeiten für einen regelhaften Anspruch aller Versicherten lieferte dazu die Vorlage.

Mehr als 160 Teilnehmerinnen und Teilnehmer aus dem Gesundheitswesen nahmen teil – mit dem Ziel, Möglichkeiten für die regionale Verankerung von Patientenlotsen zu erörtern. Von der DGM nahmen die Lotsinnen Sigrid Blitz, Barbara Wolfram sowie Hanna Stüber teil. Die Landesverbände waren vertreten durch Joachim Köhring, Wolf-Michael Klein, Beate Eggert sowie Britta Strand-Cook und vom Bundesvorstand waren Silke Schlüter, Katharina Kohnen sowie Prof. Jens Schmidt anwesend.

Die rechtlichen Möglichkeiten im Sozialleistungssystem für die Installierung von Patientenlotsen sind bereits gegeben, zeigte der Sozialrechtsexperte Prof. Dr. jur. Gerhard Igl mit seinem detaillierten Rechtsgutachten auf. „Das Gutachten ist eine wichtige Grundlage für den von der Koalition angestrebten Pfad zur Implementierung von Patientenlotsen in unserem Gesundheitssystem“, betonte Dr. Michael Brinkmeier, Vorstandsvorsitzender der Stiftung Deutsche Schlaganfall-Hilfe. Prof. Dr. Lutz Hager, Vorstandsvorsitzender des Bundesverbands Managed Care (BMC), unterstrich die Bedeutung von Lotsen für eine vernetzte regionale Versorgung: „Gerade in schwierigen Situationen profitieren Patienten von einer koordinierten Versorgung in ihrer Region. Voraussetzung dafür ist, dass sie kompetent durch den SGB-übergreifenden Dschungel gesundheitsrelevanter Leistungen gelotst werden. Patientenlotsen sind daher ein unver-



Alle Fotos © Ralph Puchta

(v.l.n.r.) Podiumsdiskussion u.a. mit Prof. Gerhard Igl, Rainer Sbrzesny, Dana Bethkenhagen, Sabine Beine, PD Dr. Jana Zschüntzsch

zichtbarer Bestandteil regionaler, integrierter und patientenzentrierter Versorgung.“ „Bei der Bewertung der Wirksamkeit von Lotsen ist neben der medizinischen Verbesserung die Frage einer umfassenden Teilhabe in den Mittelpunkt zu stellen“, betonte Prof. Dr. Peter Löcherbach, Vorstandsmitglied der Deutschen Gesellschaft für Case und Care Management. „Die Erfahrungen der verschiedenen Lotsenmodelle verdeutlichen, dass die Intervention stets die gesamte Lebenssituation der Betroffenen umfasst. Joachim Sproß, Bundesgeschäftsführer der DGM, ergänzte: „Es gilt nun, die gesammelten Erfahrungen zusammenzuführen und Patientenlotsen auch innerhalb des Versorgungssystems sektorübergreifend einzurichten. Die koordinierende Lotsentätigkeit stärkt gerade in der Versorgung von chronischen, seltenen und komplexen Erkrankungen Therapieerfolge.“ Die Gemeinschaft der Patientenlotsen-Projekte stehe dafür bereit und das Interesse der Regionen sei vorhanden.

In der abschließenden von Dana Bethkenhagen (Tagesspiegel) moderierten Podiumsdiskussion wurden die Ergebnisse des intensiven Tages zusammengefasst. Rainer Sbrzesny vom Büro des Patientenbeauftragten der Bundesregierung zeigte sich beeindruckt von den Projekten, auch er sieht die Chance für die Implementierung ins Gesundheitssystem. Die Neurologin, PD Dr. Jana Zschüntzsch, unterstrich den hohen Wert der Lotsenleistung: „Eine Lotsin kann gerade in Zeiten des Fachkräftemangels den Wert eines halben Arztes oder einer Pflegekraft haben und insbesondere diese Berufsgruppen maßgeblich entlasten“. Prägnanter ist es nicht zu formulieren.

Der Tag der Patientenlotsen war eine Gemeinschaftsveranstaltung des Bundesverbands Managed Care e.V., der Deutschen Gesellschaft für Case und Care Management, der DGM und der Stiftung Deutsche Schlaganfall-Hilfe. Er fand 2022 erstmals in Berlin statt und verknüpft die deutschlandweit über 50 Patientenlotsenprojekte miteinander, die in unterschiedlichen Indikationen Menschen mit komplexen Versorgungslagen unterstützen.

