



Ungedeckter Bedarf

bei **Neuromyelitis-
optica-Spektrum-
Erkrankungen**
in Europa



Einleitung

In Europa leben 30 Millionen Menschen mit einer seltenen Krankheit.¹ Für viele ist der Weg zu einer genauen Diagnose kompliziert und frustrierend, größtenteils weil die Krankheit relativ unbekannt ist, selbst bei Gesundheitsdienstleistern.

Zu diesen seltenen Krankheiten gehört eine Gruppe autoimmunbedingter entzündlicher Erkrankungen des zentralen Nervensystems, die sich Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen nennt (abgekürzt NMOSD vom engl. Begriff „Neuromyelitis optica spectrum disorders“). Die NMOSD ist eine seltene Autoimmunerkrankung des zentralen Nervensystems, die vorrangig die Sehnerven und das Rückenmark betrifft. Sie kann zu einem permanenten Visusverlust, zu Lähmung, zu einem Verlust der Darm- und Blasenkontrolle und zu Muskelschwäche führen.²

Die NMOSD betrifft in Europa mehr als 10.000 Menschen und tritt am häufigsten bei Frauen im Alter zwischen 30 und 50 Jahren auf und unverhältnismäßig hoch bei Menschen afrikanischer oder asiatischer Herkunft.³⁴

Obwohl es Diagnostiktests für NMOSD gibt, wird die Krankheit häufig fälschlicherweise als Multiple Sklerose diagnostiziert.⁵ Die Symptome beider Krankheiten ähneln sich. Aber die Fehldiagnose hat für NMOSD-Patienten wesentliche Konsequenzen, denn die NMOSD ist eine schwerwiegende Krankheit. Patienten, die unbehandelt bleiben oder falsch behandelt werden, sind dem hohen Risiko einer dauerhaften Behinderung – oder noch schlimmer – dem Tod ausgesetzt.

Um den Schweregrad der NMOSD zu lindern, ist eine zeitnahe Diagnose unerlässlich. Sie ist die Basis für eine wirksame Therapie und hochwertige Versorgung. Aber es gibt einige wichtige Aspekte, die Patienten daran hindern, ihre Krankheit in die Hand zu nehmen. Diese sind:

- **Mangelndes Bewusstsein**
- **Mangel an Fachkräften**
- **Überaltete Behandlungsleitlinien**
- **Ungleicher Zugang zu neuen Therapien**
- **Unzureichende Unterstützung von Betreuungspersonen**

Mangelndes Bewusstsein

Die NMOSD ist im Großen und Ganzen als Krankheit in der Öffentlichkeit unbekannt. Auch Gesundheitsdienstleister erkennen sie nur selten – besonders außerhalb spezialisierter Behandlungszentren.

Nach dem ersten Schub, der in der Regel mit einem plötzlichen Visusverlust und einem Verlust der Darmkontrolle einhergeht, wenden sich Patienten meist an die Notaufnahme. Dort wird auf etwaige Anomalien getestet, die Hinweis auf den Patientenzustand geben sollen. In den meisten Einrichtungen verfügen Ärzte jedoch nur selten über ausreichend praktische Erfahrung mit NMOSD-Symptomen, um die Krankheit richtig identifizieren zu können.

Daher kommt es bei NMOSD-Patienten zu Rezidiven und wiederholten Notsituationen, da sie kaum etwas über Ihren Zustand wissen.

Das mangelnde Bewusstsein hinsichtlich NMOSD insbesondere bei Not- und Hausärzten ist ein kritischer ungedeckter Bedarf. Ohne Diagnose und Behandlung können sich NMOSD-Symptome mit der Zeit verschlechtern.² Was als plötzlicher Visus- oder Gefühlsverlust beginnt, kann zu Lähmung oder gar zum Tod führen.

Schritte nach vorn

Ein Bewusstsein hinsichtlich der Krankheit ist notwendig, wenn Patienten optimal versorgt werden sollen. Sensibilisierungskampagnen, die auf Not- und Hausärzte abzielen, können dazu beitragen, das Bewusstsein zu verbessern und die richtige und genaue Diagnose zu fördern.



„ Mit mehr Wissen um die Krankheit werden Gesundheitsdienstleister Patienten früher diagnostizieren und behandeln oder sie an die richtigen Einrichtungen überweisen können, wo sie dann adäquat versorgt werden. “

Matthias Fuchs,
Patientin,
Deutschland

Mangel an Fachkräften

Patienten müssen zudem medizinisch von Fachkräften betreut werden, die mit NMOSD vertraut sind. Der Zugang zu solchen Ärzten ist jedoch aufgrund unterschiedlicher Faktoren eingeschränkt.

Richtige Überweisungen hängen von der korrekten Interpretation der Symptome durch den Hausarzt ab. Aufgrund der vielseitigen Symptomatik besteht jedoch die Gefahr, dass Patienten von ihren Hausärzten an die falschen Fachärzte überwiesen werden, d. h. Ophthalmologen, Radiologen oder Gastroenterologen usw., bevor sie an den richtigen Arzt gelangen. Dieses Hin und Her kann eine präzise Diagnose um Jahre verzögern.

In ganz Europa besteht ein Mangel an Neurologen, die sich auf inflammatorische demyelinisierende Autoimmunerkrankungen spezialisieren. Patienten müssen für einen Termin bei dem richtigen Facharzt lange Anfahrten und manchmal auch Flüge in Kauf nehmen. Und da die Zahl der Ärzte, die NMOSD behandeln, sehr klein ist, sind die Wartelisten lang.

Ein erfahrener Experte führt zahlreiche Tests durch, u. a. auch MRTs, CT-Untersuchungen und Tests auf AQP4-IgC-Antikörper, die für NMOSD hochspezifisch sind.⁶ Solche Experten können auch optimale Therapien verordnen, mit denen sich Schübe in Zukunft verhindern und die Behinderungsrisiken, die mit NMOSD einhergehen, reduzieren lassen.

Schritte nach vorn

Da spezielle Neurologen in Europa nicht unbegrenzt zur Verfügung stehen, sollten NMOSD-Patienten Alternativen haben, so dass ihre medizinische Betreuung durchgehend und konsequent erfolgen kann. Patienten, die für einen Termin beim Facharzt weite Wege zurücklegen müssen, sollten eine telemedizinische Betreuung geboten bekommen. Und im Anschluss an die NMOSD-Diagnose sollten Ärzte die Pflege koordinieren und alle Mitglieder des Versorgungsteams des Patienten informieren.



» Wir sehen immer wieder die Folgen dieses Mangels an Fachkräften für NMO: lange Wartezeiten, lange Anfahrten für einen Termin beim richtigen Arzt und manchmal auch eine verzögerte Diagnose, da die Krankheit nicht immer vom ersten Facharzt, der aufgesucht wird, erkannt wird «

Camilla Bohm Coleman, Patientin, Schweden

Überaltete Behandlungsleitlinien

Leitlinien und Konsenserklärungen geben wichtige Hinweise für die besten Diagnose- und Behandlungsmethoden. Sie spielen auch für Entscheidungsträger und Versicherungen eine Rolle, wenn diese Deckungsschutz und Positivlisten erarbeiten.

Die aktuellen europäischen Behandlungsleitlinien für die Diagnose und Behandlung der NMOSD wurden zuletzt 2010 erstellt.⁷ Aber die Europäische Arzneimittelagentur EMA hat seitdem Therapien zugelassen (das letzte Präparat 2021), mit denen sich Rezidive von NMOSD-Patienten reduzieren lassen und eine dauerhafte Behinderung verhindert werden kann.

Ohne aktualisierte Leitlinien haben Patienten jedoch keinen Zugang zu diesen innovativen Therapien. Und Ärzte sind weiterhin nicht über die optimalen Wege zur Diagnose und Behandlung der NMOSD-Patienten in ihrer Praxis informiert. Sowie diese Therapien auf den Markt kommen und wissenschaftliche Errungenschaften widerspiegeln, müssen Sie für Menschen außerhalb des Gesundheitssystems, Interessenvertretungen und besonders auch Patienten zugänglich sein.

Interessenvertretungen und Selbsthilfegruppen sollten Material und Informationen an Patienten weiterleiten. Denn sie spielen eine wichtige Rolle bei Diskussionen mit Entscheidungsträgern, wenn es um den Zugang zu patientenzentrierter Versorgung geht.

Schritte nach vorn

Sowie die europäischen Behandlungsleitlinien für NMOSD mit neuen Therapien aktualisiert werden, wächst auch der Bedarf an der Entwicklung und Verbreitung von Sensibilisierungsmaterial, das für Patienten und Entscheidungsträger leicht verständlich und zugänglich ist. Werden Patientenperspektiven in die Entwicklung dieser Leitlinien integriert, ist dafür gesorgt, dass die Empfehlungen patientenzentrisch erfolgen.



„ Die Aktualisierung der europäischen Behandlungsleitlinien für die NMOSD stellt sicher, dass Patienten über neue praxisbasierte Therapien verfügen. Des Weiteren wird die Einbeziehung von NMO-Patienten in zukünftige Diskussionen zu Behandlungsleitlinien dafür sorgen, dass diese patientenorientiert aufgestellt sind, und die Bemühungen unterstützen, das Bewusstsein hinsichtlich NMOSD bei Patienten, Leistungsanbietern, Entscheidungsträgern und in der allgemeinen Öffentlichkeit zu steigern. “

Prof. Dr. Romain Marignier,
Experte für NMO, Frankreich



Ungleicher Zugang zu neuen Therapien

Die Zulassung neuer Therapien durch die Europäische Kommission garantiert nicht, dass Patienten Zugang haben. Wie die meisten Therapien seltener Erkrankungen sind auch die bei NMOSD sehr kostspielig.

Regierungen und Gesundheitssysteme in ganz Europa können plötzlich entscheiden, dass die Präparate nicht kosteneffektiv sind. Und wenn sie dies tun, ist ein Zugang für Betroffene fast unmöglich.

Um mit dieser Situation zurechtzukommen zu können, sollten Patienten und

Interessenvertretungen frühzeitig und oft den Dialog mit Einrichtungen suchen, die sich mit der medizintechnischen Folgenabschätzung befassen. Solche Einrichtungen sprechen Empfehlungen zu Therapien aus, die von den Krankenkassen finanziert und erstattet werden. Aber die einschlägigen Prozesse sind nicht immer durchschaubar und lassen auch nicht immer eine Einwirkung von Interessenvertretern

und Patienten zu. Zudem definiert jedes Land Wert und Kosteneffektivität unterschiedlich, was bedeutet, dass sich der Zugang von Patient zu Patient unterscheidet.

Patienten liefern jedoch wichtige Perspektiven hinsichtlich des Werts und der Notwendigkeit von Therapien bei NMOSD.

Schritte nach vorn

Patientenperspektiven müssen in den Entscheidungsprozess von Einrichtungen, die sich mit der medizintechnischen Folgenabschätzung befassen, integriert

werden. Ein erfolgreicher Dialog mit diesen Einrichtungen ist möglich, wenn NMOSD-Patienten über das Material und die Ressourcen verfügen, die ihnen zu einem besseren Verständnis verhelfen.

Patienten haben die Möglichkeit, Entscheidungsträger wissen zu lassen, wie wichtig der Zugang zu Therapien für Patienten mit NMOSD ist.

„Eine geeignete Therapie ist wichtig, um mit NMOSD ein erfüllendes Leben führen zu können.“

Christiaan Waters,
Patientin
Niederlande

Schlechte Unterstützung für Betreuungspersonen

Patienten mit NMOSD, und besonders diejenigen mit dauerhafter Behinderung, sehen sich ggf. Schwierigkeiten bei Aufgaben des Alltags gegenüber, die Sehkraft und Bewegungsfähigkeit erfordern. Dadurch entstehen Herausforderungen für eine unabhängige Lebensführung, da die Unterstützung durch Familie und Betreuungspersonen notwendig ist.

Diese Rolle von Familienangehörigen und Betreuungspersonen wird jedoch häufig von Gesundheitssystemen außer Acht gelassen. Um NMOSD-Patienten angemessen unterstützen zu können, müssen Betreuungspersonen oft eigene Prioritäten in den Hintergrund stellen. Hierzu können ihr Beruf, die Anforderungen der Familie, gesellschaftliche Aktivitäten und persönliche Verpflichtungen zählen.

Daher sehen sich Betreuungspersonen wesentlichen Stresssituationen gegenüber – sowohl finanziell als auch emotional. Um Patienten mit Behinderung aufgrund NMOSD angemessen versorgen zu können, muss daher auch auf die Anforderungen von Betreuungspersonen eingegangen werden.

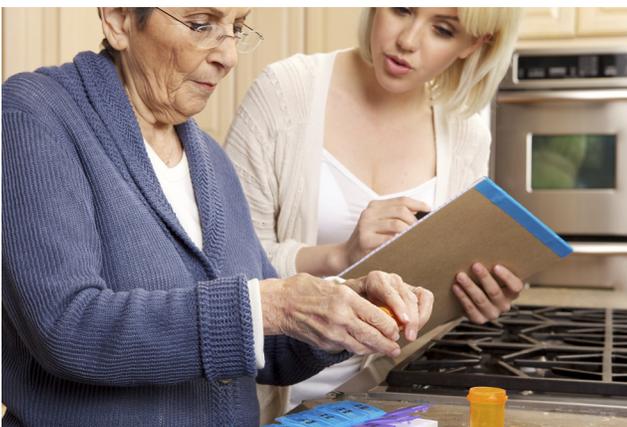
Als wichtige Mitglieder des Versorgungsteams brauchen Betreuungspersonen auch

Informationen, um die Bedürfnisse von Patienten mit NMOSD voll und ganz zu verstehen. Emotionale Unterstützung ist ebenfalls wichtig, um mit den Verantwortlichkeiten des Alltags zurechtzukommen, während die Betreuung in Vollzeit erfolgt.

Schritte nach vorn

Nicht nur NMOSD-Patienten brauchen besser zugängliche Informationen und Ressourcen, ihre Familien und Betreuungspersonen tun es auch. Krankenhäuser und Behandlungszentren müssen sie als wichtige Mitglieder des Versorgungsteams eines Patienten betrachten. Alles, was getan werden kann, sollte getan werden, damit Erfolg vorprogrammiert ist. Hierzu kann Folgendes gehören:

- eine Vermittlung an Selbsthilfegruppen,
- die Weiterleitung von auch für Laien verständlichen Materialien und Ressourcen und
- die Bereitstellung von Ansprechpartnern im Krankenhaus oder im Behandlungszentrum, sollten Fragen zu NMOSD aufkommen.



» Betreuungspersonen benötigen denselben Zugang zu hochwertigen Informationen und Ressourcen für NMO wie Patienten, und es ist wichtig, dass sie dabei zusammenarbeiten. «

Souad Mazari, Gründer
NMO France Association, Frankreich



Schlussfolgerung

Bei Patienten in Europa, die mit NMOSD leben, gibt es einen ungedeckten Bedarf, der sie daran hindert, angemessen versorgt zu werden. Über ihre Lage ist außerhalb einschlägiger Kreise nur wenig bekannt. Undiagnostiziert und unbehandelt stellt die NMOSD ein hohes Risiko für eine dauerhafte Behinderung und in manchen Fällen den Tod dar.

Entscheidungsträger müssen sich mit den Hürden beschäftigen, denen sich Patienten gegenübersehen. Sie können damit anfangen, indem sie:

- Not- und Hausärzte mit Informationsmaterial zu NMOSD versorgen,
- Optionen im Rahmen der Telemedizin dahingehend verbessern, dass Patienten Zugang zu wichtigen Fachärzten in erreichbarer Nähe haben,
- Leitlinien dahingehend aktualisieren, dass sie für Patienten und Betreuungspersonen gut und leicht zu verstehen sind,
- Einrichtungen, die sich mit der medizintechnischen Folgenabschätzung befassen, anregen, Patientenperspektiven in ihren Entscheidungsprozess einzubeziehen,
- Betreuungspersonen als wichtige Mitglieder des Patiententeams betrachten.

Mit einer Lösung dieser Problemstellungen kann das Verständnis hinsichtlich NMOSD wesentlich verbessert und der Zugang zu Therapie und Behandlung erweitert werden, und es werden Versorgungsplätze bereitgestellt werden können.

Literatur

1. Wakap SN, Lambert DM, Olry A, et al. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. *European Journal of Human Genetics*. (2020) 28:165-173. doi: 10.1038/s41431-019-0508-0.
2. Wingerchuk DM, Hogancamp WF, O'Brien PC, Weinshenker BG. The clinical course of Neuromyelitis Optica (Devic's Syndrome). *Neurology*. (1999) 53:1101-14. doi: 10.1212/wnl.53.5.1107.
3. Kingwell E, Marriott JJ, Jetté N, Pringsheim T, et al. Incidence and prevalence of multiple sclerosis in Europe: a systematic review. *BMC Neurol*. (2013) 13:128. doi: 10.1186/1471-2377-13-128
4. Hor JY, Asgari N, Nakashima I. Epidemiology of Neuromyelitis Optica Spectrum Disorder and Its Prevalence and Incidence Worldwide. *Frontiers in Neurology*. (2020) 11:501. doi: 10.3389/fneur.2020.00501.
5. Villa A, Fernanzez V, Melamud L. Neuromyelitis optica misdiagnosed as multiple sclerosis: a hospital-based study. *ECTRIMS Online Library*. (2018) P978.
6. Lennon VA, Wingerchuk DM, Kryzer TJ, et al. A serum autoantibody marker of neuromyelitis optica: distinction from multiple sclerosis. *Lancet*. (2004) 364:2106-12. doi: 10.1016/S0140-6736(04)17551-X.
7. Sellner J, Boggild M, Clanet M, et al. EFNS guidelines on diagnosis and management of neuromyelitis optica. *Eur J Neurol*. (2010) 17(8):1019-1032. doi: 10.1111/j.1468-1331.2010.03066.x.



Über die European Alliance for Patient Access

Die European Alliance for Patient Access ist Teil der Global Alliance for Patient Access, einer internationalen Plattform für Gesundheitsdienstleister und Patienteninteressenvertreter zur Förderung des Dialogs über Leitlinien und patientenzentrische Versorgung.

GAfPA.org



The European Alliance for Patient Access bedankt sich bei Horizon Therapeutics für die freundliche Unterstützung.