

1

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model



TREAT-NMD Patientenregister für SMA



3.Mai 2008

Eine einmalige Möglichkeit

- EU Aufruf zur Antragstellung: “Network of Excellence” sollen Therapiemöglichkeiten für neuromuskuläre Erkrankungen verbessern
- “Längerfristige Neustrukturierung der Forschung” um Harmonisierung zu erreichen
- Antragstellung federführend durch die Universität Newcastle (Straub und Bushby)
- 21 Partner, 5 Jahre Förderung, 10 Mio € für Infrastruktur
- Beginn der Förderung am 1.1.2007



TREAT-NMD Partnerorganisationen



A map of Europe with red dots indicating the locations of partner organizations. The dots are located in the United Kingdom, Ireland, France, Germany, Italy, Spain, and Sweden.

Partner Organizations:

- AFM (Association Française contre les Myopathies)
- MD-NET
- eleThon.it
- EUROPEAN NEURO MUSCULAR CENTRE
- EURORDIS (European Organisation for Rare Diseases)
- santhera Pharmaceuticals
- GENOSAFE
- VASTOX (REDEFINING DRUG DISCOVERY)
- ACIES
- Imperial College London
- MRC Medical Research Council
- KING'S College LONDON (University of London)
- LUMC
- KAROLINSKA INSTITUTET
- UNIVERSITY OF HELSINKI
- UCL
- CNRS (CENTRE NATIONAL DE LA RECHERCHE SCIENTIFIQUE)
- UAB (Universitat Autònoma de Barcelona)
- UNIVERSITY OF NEWCASTLE
- UNI BASEL

Unterstützung durch wissenschaftlichen Beirat

4 | Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders - The TREAT-NMD model



TREAT-NMD Koordinationszentrale



- Integration und Harmonisierung
- Langfristige Finanzierung
- Netzwerk ICT Infrastruktur

www.treat-nmd.eu

Email: info@treat-nmd.eu

TREAT-NMD Aktivitäten sollen Infrastrukturen schaffen, um den Weg vom Labor zu klinischen Studien zu beschleunigen

- Standardisierung von Tiermodellen
- Protokolle für die molekulare Diagnostik
- Produktion, Toxikologie and Methoden zur systemischen Verabreichung
- Klinische Studien
- Behandlungsstandards (“Standards of Care”)
- Patientenregister und Biobanken



- Integration von Patientenorganisationen
- Ethik

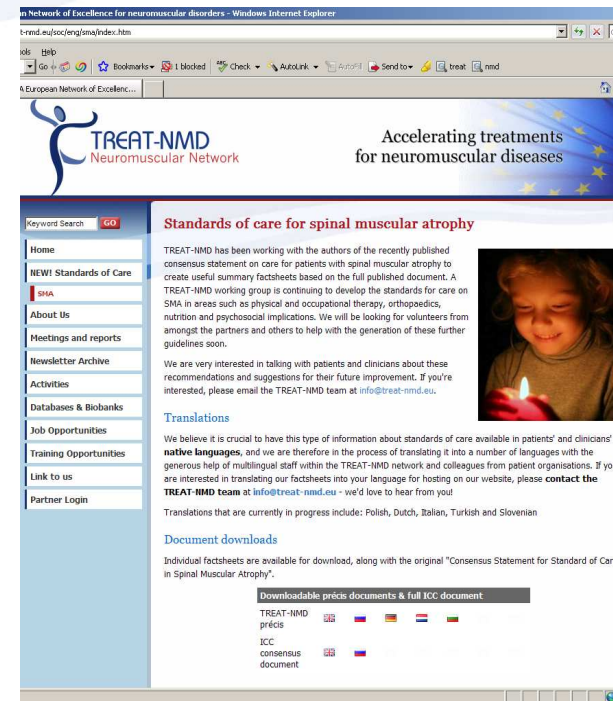
6

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model



Voraussetzung für klinische Studien: einheitliche Behandlungsstandards

- Warum?
 - Um Ungleichheiten bei der Behandlung herauszuarbeiten
 - Um gleiche Bedingungen für zukünftige neue Therapien zu schaffen
 - Für die politische Lobbyarbeit
- Wie?
 - Entwicklung eines Konsens
 - “Cochrane”



Diese Aktivität wird vom Karolinska Institut geleitet, in Zusammenarbeit mit dem ICC und CDC

SMA “standards of care”

- 2007 wurde von TREAT-NMD in Zusammenarbeit mit dem ICC für SMA eine für medizinische Laien verständliche Version des “*Consensus Statement for Standard of Care in Spinal Muscular Atrophy*” erstellt
- In diesem Dokument werden Empfehlungen ausgesprochen zu den folgenden Themen: **klinische Diagnose, Atmung, Gastrointestinaltrakt/Ernährung, orthopädische Versorgung/Rehabilitation und palliative Massnahmen**
- Die TREAT-NMD Version wurde in mehrere Sprachen übersetzt und als elektronisches Dokument veröffentlicht (Deutsch: Frau Schwersenz)
- Eine gedruckte, **deutsche Version** wird zusammen von TREAT-NMD und der DGM veröffentlicht

Voraussetzung für klinische Studien: Studienzentren und Studienkoordination



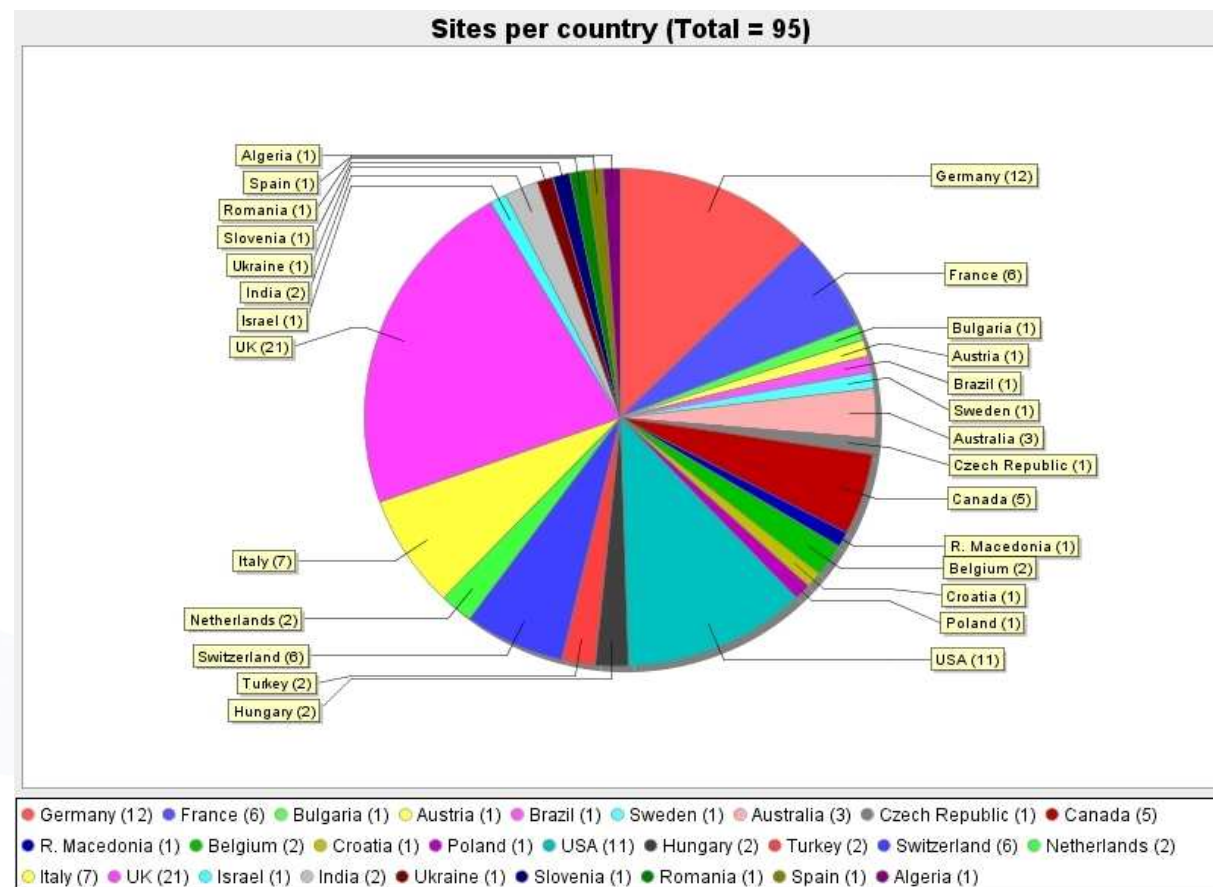
- Universität Freiburg (*MD-NET*)
- Geplanter Service:
 - Projekt und Datenmanagement
 - Monitoring
 - Studienassistenz
 - Training
 - Bioinformatik
 - Identifizierung von Studienzentren
 - Beratung zu EU-Richtlinien
 - EMEA/FDA Kontakte



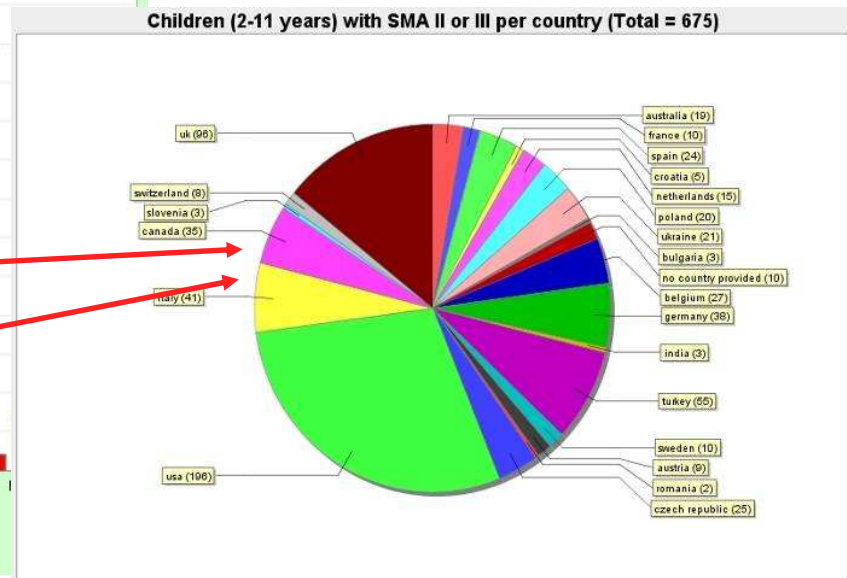
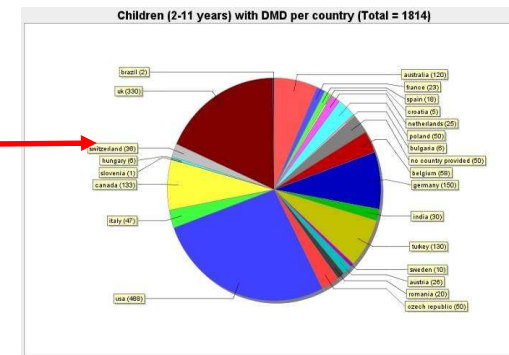
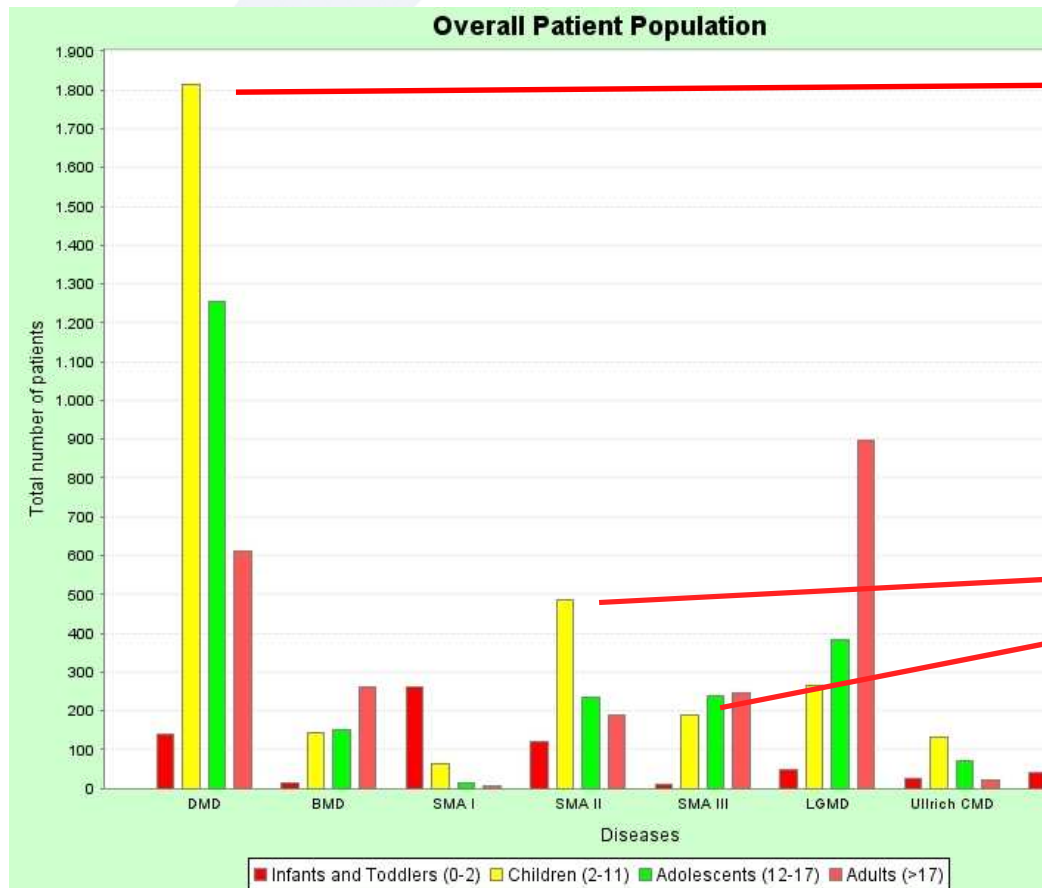
“CTCC Feasibility Questionnaire”: Identifizierung von Studienzentren

Stand März 2008:

- 95 Zentren sind registriert
- aus 27 Ländern
- mindestens 56 Zentren haben bereits Erfahrung mit der Durchführung klinischer Studien



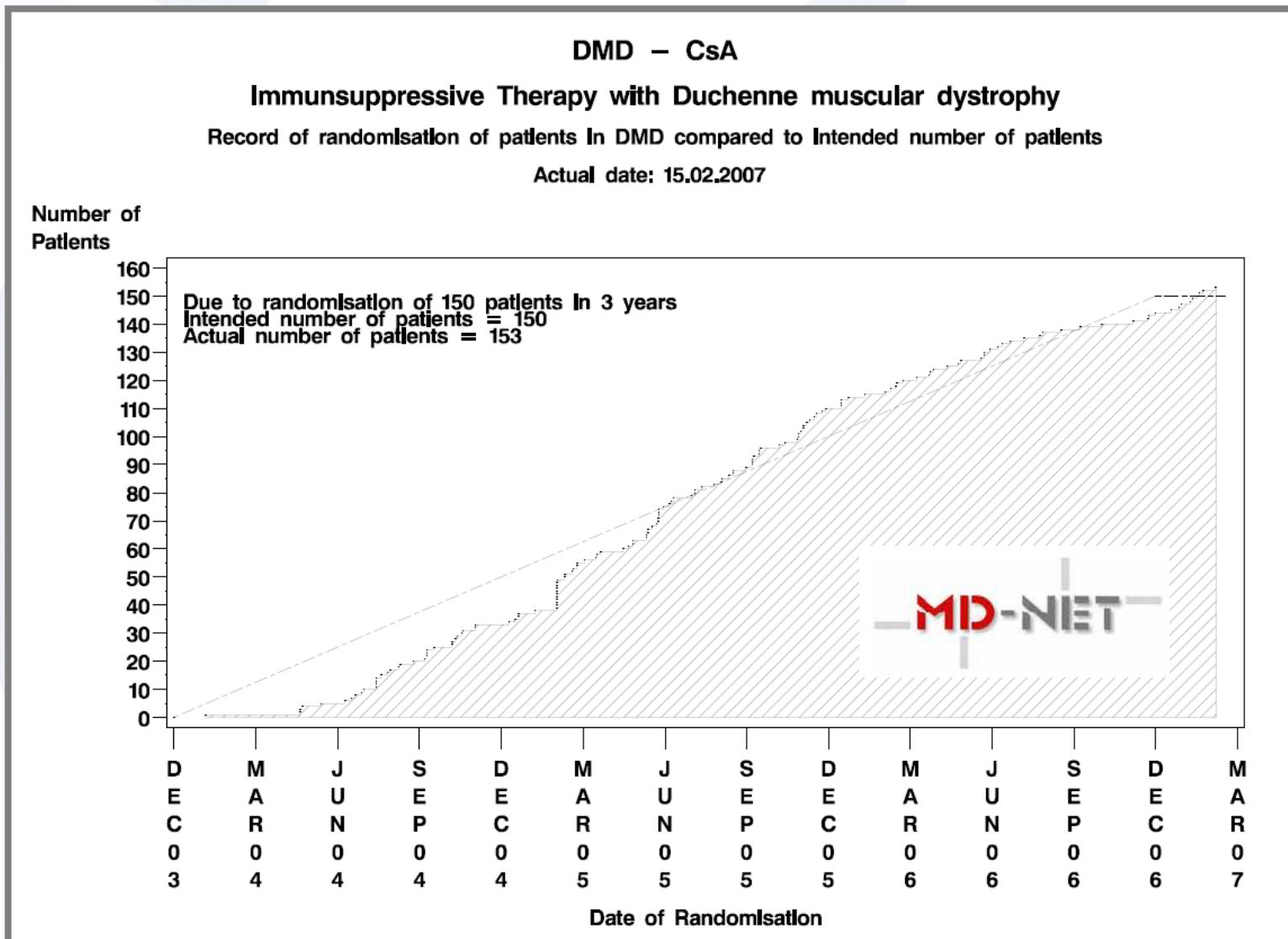
“CTCC Feasibility Questionnaire”: Patientenpopulation insgesamt



Eine weitere Voraussetzung für klinische Studien: Patientenregister

- Vorteile für registrierte Patienten
 - Informationen über Behandlungsstandards und neue Entwicklungen in der klinischen Forschung
 - Gefühl, nicht alleine mit der Diagnose zu sein
 - Aktuelle Informationen über neue Studien
 - Verbindung zur Wissenschaft
- Vorteile für die Industrie
 - Erleichterter Zugang zu Patienten
 - Genaue Vorstellung über die Anzahl Betroffener





Patientenregister: Ziele

- Klinische Studien:
Durchführbarkeit, Planung, Rekrutierung von Patienten
- Forschung:
Epidemiologie; Genotyp-Phänotyp; natürlicher Verlauf der Erkrankung; Einflussfaktoren; Therapienerfolg
- Gesundheitssystem:
Planung, Bereitstellung von Hilfsmitteln und Medizinprodukten
- Politik:
Lobbyarbeit, Forschungsförderung

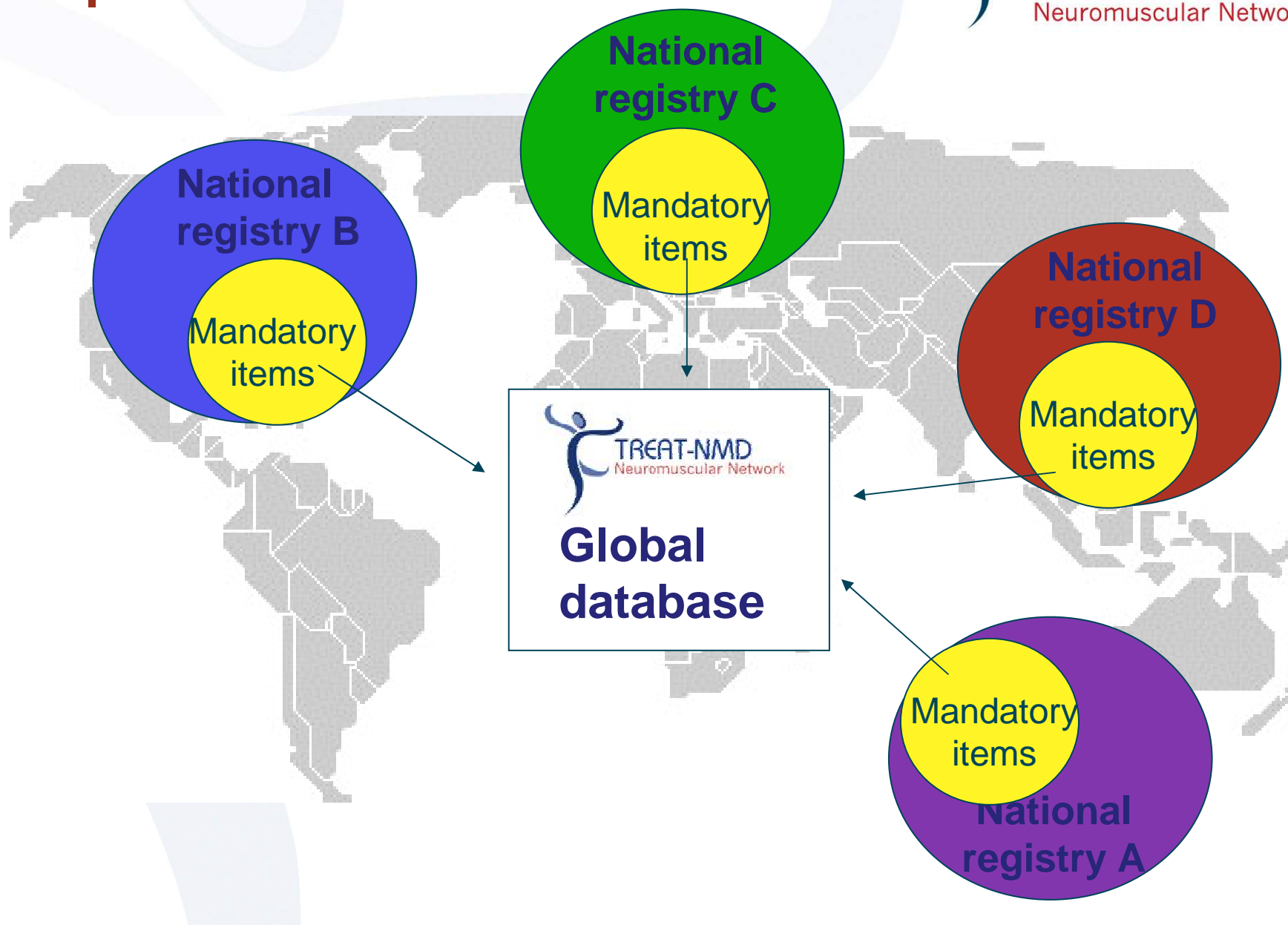
Patientenregister: **Inhalt**

Die abgefragten Daten sollten:

- **einfach zu beantworten** und nicht zu umfangreich
- aber trotzdem **von Nutzen** sein
- international **einheitlich** sein
- **standardisiert** sein, um eine elektronische Auswertung zu ermöglichen:
 - Listen von Antwortmöglichkeiten
 - limitierter Freitext
- **Flexibel** genug, um unterschiedliche Arten der Datensammlung zu ermöglichen: “Professional report”, “Patient report”

15

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model



SMA Patientenregister: Inhalt des Fragebogens

Teil 1: diese Fragen müssen **vollständig** beantwortet werden

- Name, Geburtsdatum, Adresse
- Genetik
- derzeit beste motorische Leistung
- beste motorische Leistung, die jemals erreicht werden konnte
- Rollstuhlpflichtigkeit
- Magensonde
- Skoliose-OP

SMA Patientenregister: Inhalt des Fragebogens

Teil 2: diese Fragen **müssen nicht vollständig** beantwortet werden

- weitere Betroffene in der Familie
- Beatmung (invasiv/nicht-invasiv)
- aktueller FVC-Wert
- Registrierung in anderem Register
- SMN2-Kopienzahl (als Teil des genet. Befundes)
- Einteilung in eine SMA-Untergruppe

SMA-Patientenregister: optionale Daten/Module

- Verfügbarkeit von Biomaterial in einer Biobank
- Andere funktionelle Kriterien/“outcome measures“
- Lebensqualität
- Behandlungsstandards
- Sozio-ökonomische Folgen der Erkrankung
- Zusätzliche Module sollen im Laufe des Projekts ausgearbeitet und zugeschaltet werden!

A screenshot of a web browser displaying the registration page for the TREAT-NMD patient register. The browser's address bar shows the URL "https://www.treat-nmd.de/register/enrolment/index.html". The page header includes the TREAT-NMD logo and a European Union flag. A left-hand navigation menu lists: Startseite, Allgemeines, Registrierung (highlighted), Anmeldung, Hilfe, and Kontakt aufnehmen. The main content area is titled "Registrierung" and contains instructions for creating a user account. Below the instructions is a section for "Persönliche Daten" with input fields for Vorname (Hanns), Nachname (Mustermann), and Geburtsdatum (19.3.1967). The Geschlecht section has radio buttons for männlich (selected) and weiblich.

Registrierung - Patientenregister - TREAT-NMD

https://www.treat-nmd.de/register/enrolment/index.html

 TREAT-NMD
Neuromuscular Network

Startseite

Allgemeines

Registrierung

Anmeldung

Hilfe

Kontakt aufnehmen

Registrierung

Bitte füllen Sie dieses Formular aus und klicken Sie anschließend auf den Knopf „Fortfahren“, um ein Benutzerkonto für das Patientenregister zu erstellen. Mit einem einzigen Benutzerkonto können Sie eine oder auch mehrere Personen, über deren Sorgerecht Sie verfügen, als Patienten in das Register aufnehmen - also beispielsweise sich selbst oder Ihre Kinder.

Falls Sie bereits über ein Benutzerkonto verfügen und beispielsweise einen weiteren Patienten eintragen möchten, müssen Sie dieses Formular nicht noch einmal ausfüllen, sondern sich lediglich über das [Anmeldeformular](#) mit Ihrem bereits gewählten Benutzernamen identifizieren.

Persönliche Daten

Bitte geben Sie hier in jedem Fall Ihre eigenen Daten ein, auch wenn Sie gar nicht sich selbst, sondern beispielsweise Ihr Kind als Patienten eintragen möchten. In einem späteren Schritt können Sie bei Bedarf dessen Namen eintragen. Beachten Sie aber, dass Sie über das Sorgerecht des Patienten verfügen müssen.

Vorname

Nachname

Geburtsdatum Beispiel: 19.3.1967

Geschlecht

männlich

weiblich

Neuen Patienten hinzufügen – Patientenregister – TREAT-NMD

https://www.treat-nmd.de/register-dev/new_patient/index.html



- Startseite
- Kontaktdaten
- Patientendaten
- Benutzerkonto
- Allgemeines
- Hilfe
- Kontakt aufnehmen

Sie sind unter dem Benutzernamen hanns_mustermann angemeldet.
[Abmelden](#)

Neuen Patienten hinzufügen

Bitte geben Sie an, wer als Patient in das Register aufgenommen werden soll. Falls Sie selbst der Patient sind, werden Ihr Name, Geburtsdatum und Geschlecht aus der Registrierung übernommen. Andernfalls werden Sie im nächsten Schritt nach diesen Daten gefragt.

Beziehung zur Patientin/zum Patienten

- Ich bin selbst der Patient
- Die Patientin/der Patient ist mein leibliches Kind
- Die Patientin/der Patient ist nicht mein leibliches Kind, aber ich bin ihr/sein gesetzlicher Vertreter

Register, in das die Patientin/der Patient aufgenommen werden soll

- Duchenne- und Becker-Muskeldystrophie
- Spinale Muskelatrophie

[→ Fortfahren](#) [× Abbrechen](#)

The screenshot shows a web browser window with the title "Einverständniserklärung - Patientenregister - TREAT-NMD". The address bar contains the URL "https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/consent.html?patientId=1&cid=21". The page content includes the TREAT-NMD logo and a navigation menu on the left with items like "Startseite", "Kontakt Daten", "Patientendaten", "Benutzerkonto", "Allgemeines", "Hilfe", and "Kontakt aufnehmen". The main content area is titled "Einverständniserklärung" and contains text explaining how to access the consent form as a PDF file. It includes a link to download the PDF, instructions on how to open it, and a "Fortfahren" button. A "Abbrechen" button is also present at the bottom right.

Einverständniserklärung - Patientenregister - TREAT-NMD

https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/consent.html?patientId=1&cid=21

 TREAT-NMD
Neuromuscular Network

Startseite
Kontakt Daten
Patientendaten
Benutzerkonto
Allgemeines
Hilfe
Kontakt aufnehmen

Sie sind unter dem Benutzernamen hanns_mustermann angemeldet.
[Abmelden](#)

Einverständniserklärung

Über den unten stehenden Link können Sie die Einverständniserklärung als PDF-Datei abrufen. Bitte **drucken Sie sie aus, lesen sie sorgfältig durch und schicken sie unterschrieben an uns**. Sie können sie entweder per Post oder per Fax schicken; unsere Adresse und Faxnummer stehen auf der ersten Seite des Dokuments.

Im nächsten Schritt werden Sie nach dem genetischen Befund gefragt; diesen können Sie selbstverständlich auch zusammen mit der Einverständniserklärung an uns senden.

Wir empfehlen Ihnen, einen zweiten Ausdruck der Einverständniserklärung zu Ihren Unterlagen zu nehmen, Sie können sie aber auch später jederzeit hier noch einmal abrufen. Falls Sie die Datei auf Ihrem Computer speichern möchten, klicken Sie mit der rechten Maustaste auf den Link und wählen Sie „Ziel speichern unter“.

 [Einverständniserklärung](#) (PDF, 66 KiB, öffnet in einem neuen Fenster)

Diese PDF-Datei können Sie z.B. mit dem Programm „Adobe Reader“ öffnen, das auf den meisten Computer bereits vorhanden ist und automatisch gestartet wird. Bei Bedarf können Sie das Programm über die [Website von Adobe](#) kostenlos herunterladen.

Sie können mit der Registrierung gleich fortfahren, auch wenn Ihre Einverständniserklärung noch nicht bei uns eingetroffen ist. Allerdings werden Ihre Daten erst dann weiterverarbeitet, wenn uns das unterschriebene Dokument vorliegt.

[→ Fortfahren](#) [× Abbrechen](#)

A screenshot of a web browser displaying a PDF document. The browser's address bar shows the URL: https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/Einverstaendniserklaerung_1.pdf. The PDF content includes the TREAT-NMD logo, contact information for the Klinikum der Universität München, patient details for Manuela Mustermann, a barcode, and a consent form (Einverständniserklärung) in German. The consent form includes instructions on how to return the document and provides contact information for the project and project leader.

Einverstaendniserklaerung_1.pdf (application/pdf Object)

https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/Einverstaendniserklaerung_1.pdf

Einverständniserklärung

The logo for TREAT-NMD Neuromuscular Network, featuring a stylized human figure in blue and red.

Klinikum der Universität München
Friedrich-Baur-Institut
TREAT-NMD-Patientenregister
Ziemssenstr. 1a
80336 München
Deutschland

Mustermann, Manuela *19.3.1997
ID: 1
2008-03-27T16:38:11+01:00



Einverständniserklärung

Bitte drucken Sie diese Einverständniserklärung aus, lesen sie sorgfältig durch und schicken sie unterschrieben an uns zurück. Sie können sie entweder per Post an die oben stehende Adresse schicken oder per Fax an folgende Nummer:

Fax: 089 5160-7402

Falls Sie das Dokument per Post schicken, vergessen Sie bitte nicht Ihre Absenderadresse zu vermerken. Bitte behalten Sie auch ein Exemplar dieser Einverständniserklärung für Ihre Unterlagen.

Patient: Manuela Mustermann, *19.3.1997

Vater: Hanns Mustermann, *19.3.1967

Projekt: Deutsches DMD- und SMA-Patientenregister im Rahmen von TREAT-NMD

Projektleitung: Priv.-Doz. Dr. Maggie Walter, Klinikum der Universität München, Friedrich-Baur-

Fragebogen (Teil 1) - Patientenregister - TREAT-NMD

https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/questions_1.html?patientId=1

Startseite
Kontaktdaten
Patientendaten
Benutzerkonto
Allgemeines
Hilfe
Kontakt aufnehmen

Sie sind unter dem Benutzernamen hanns_mustermann angemeldet.
[Abmelden](#)

Fragebogen (Teil 1)

Diese Seite enthält den ersten Teil der Fragen zu Manuelas Gesundheitszustand. **Bitte beantworten Sie alle Fragen auf dieser Seite**, da alle Angaben notwendig sind, um Manuelas Daten in das europäische Register einzutragen. Wenn Sie jedoch eine Information momentan nicht parat haben, belassen Sie die Antwort zunächst auf „Keine Angabe“ und fahren Sie mit den anderen Fragen fort; die fehlende Antwort können Sie dann später nachtragen.

Sie können jeweils nur eine der möglichen Antwort auswählen. Falls keine der angegebenen Möglichkeiten genau zutrifft, wählen Sie einfach die Antwort aus, die am Ehesten passt.

Wenn Sie fertig sind, klicken Sie unten auf den Knopf „Speichern“.

Was ist Manuelas Diagnose laut ihres behandelnden Arztes?

- Spinale Muskelatrophie (SMA)
- Andere Erkrankung
- Keine Angabe

Was ist die beste motorische Leistung, die Manuela derzeit erbringen kann?

Die motorische Leistung beschreibt die Fähigkeit einer Person, den eigenen Körper zu bewegen oder zu halten. Frei sitzen bedeutet hier, dass der Betroffene für einige Minuten ohne die Hilfe einer anderen Person oder einer Sitzhilfe (etwa einer Stuhllehne, eines Korsetts oder einer Schiene) sitzen kann.

- Sie kann derzeit laufen (mit oder ohne Hilfe)
- Sie kann derzeit nicht laufen, aber frei, also ohne Hilfe, sitzen
- Sie kann derzeit weder laufen noch frei sitzen
- Keine Angabe

Was war die beste motorische Leistung, die Manuela jemals erbringen konnte?

In dieser Frage geht es nicht um die momentane Situation, sondern um den Zeitraum, in dem sich Manuela am Besten bewegen konnte. Was war damals ihre beste motorische Leistung? Bitte geben Sie ggf. auch das Alter an, in dem Manuelalaufen bzw. sitzen konnte.

- Sie konnte laufen (mit oder ohne Hilfe)
- Sie konnte nie laufen, aber frei, also ohne Hilfe, sitzen
- Sie konnte nie laufen und auch nie frei sitzen
- Keine Angabe

Dies war möglich ab dem Alter von Jahren und Monaten bis zum Alter von Jahren und Monaten.

Fragebogen (Teil 2) - Patientenregister - TREAT-NMD

https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/questions_2.html?patientId=1

Wird Manuela derzeit invasiv beatmet?
„Invasive Beatmung“ bedeutet, dass die Patientin/der Patient mit einem Luftröhrenschnitt (auch Tracheotomie genannt) operiert werden musste, um diese Beatmungsmaschine benutzen zu können. Diese Form der Beatmung kann ebenfalls 24 pro Tag oder auch für einige Stunden am Tag benutzt werden.

Sie benutzt derzeit keine invasive Beatmung.
 Sie wird derzeit für einige Stunden am Tag oder nachts invasiv beatmet.
 Sie wird derzeit immer, also 24 Stunden pro Tag, invasiv beatmet.
 Keine Angabe

Dies ist der Fall seit dem Alter von Jahren und Monaten.

Was ist das Ergebnis von Manuelas aktuellster Lungenfunktionsprüfung?
Um Manuelas Atemfunktion zu überprüfen, wurde möglicherweise eine Lungenfunktionsprüfung durchgeführt. Einer der Werte, die bei einem solchen Test gemessen wird, ist die forcierte Vitalkapazität (FVC, für das englische „forced vital capacity“). Um diesen Wert zu messen, muss ein Patient so tief wie möglich einatmen und dann ganz ausatmen. Die FVC ist das Volumen der Ausatemluft. Da dieses Volumen vom Alter, Geschlecht, Gewicht und Größe abhängig ist, wird sie mit dem Wert verglichen, den man bei einem entsprechenden gesunden Mensch erwarten würde. Daraus ergibt sich eine Prozentzahl, die uns hier interessiert. Falls keine Lungenfunktionsprüfung durchgeführt wurde oder Sie das Ergebnis nicht kennen, lassen Sie das Feld einfach leer.

Forcierte Vitalkapazität (FVC) im Sitzen oder Stehen

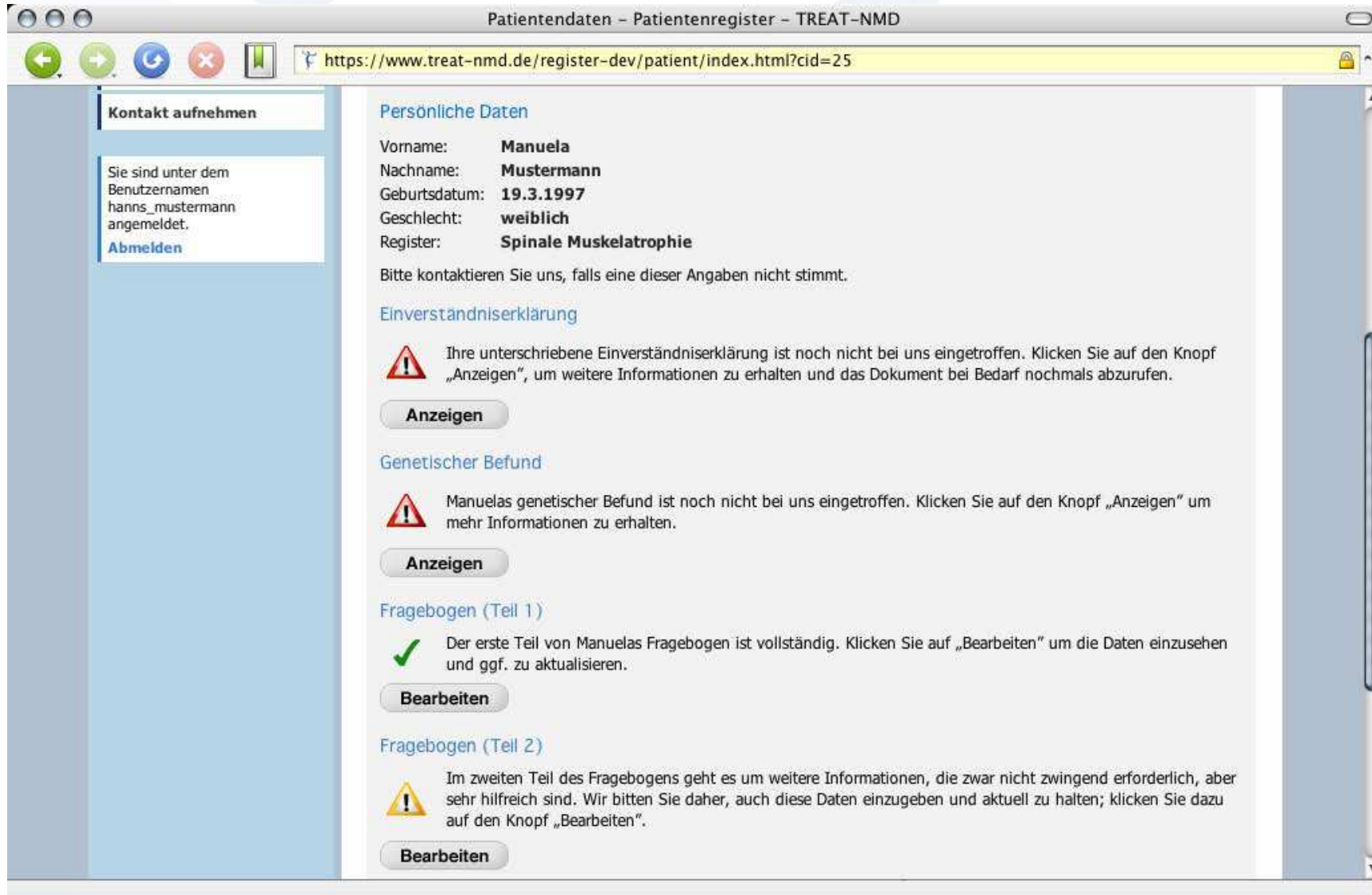
%

Datum der Untersuchung, falls bekannt Beispiel: 27.1.2008

Ist Manuela schon in einer anderen SMA-Datenbank registriert?
Unser Anliegen ist es, internationale SMA-Patientenregister miteinander zu harmonisieren und die Daten in eine europäische, und vielleicht zukünftig globale, Datenbank einzuspeisen. Deshalb wollen wir sicherstellen, dass Patienten nicht aus Versehen zweimal in einer von mehreren Registern benutzten Datenbank auftauchen. Falls Manuela schon in einer anderen SMA-Datenbank registriert ist, werden wir prüfen, ob das in dieser Hinsicht ein Problem darstellt und Sie bei Bedarf auch kontaktieren. Bitte fahren Sie also in jedem Fall mit Ihrer Registrierung hier fort.

International SMA Registry (Indiana University)
 Richard Finkel's SMA survey

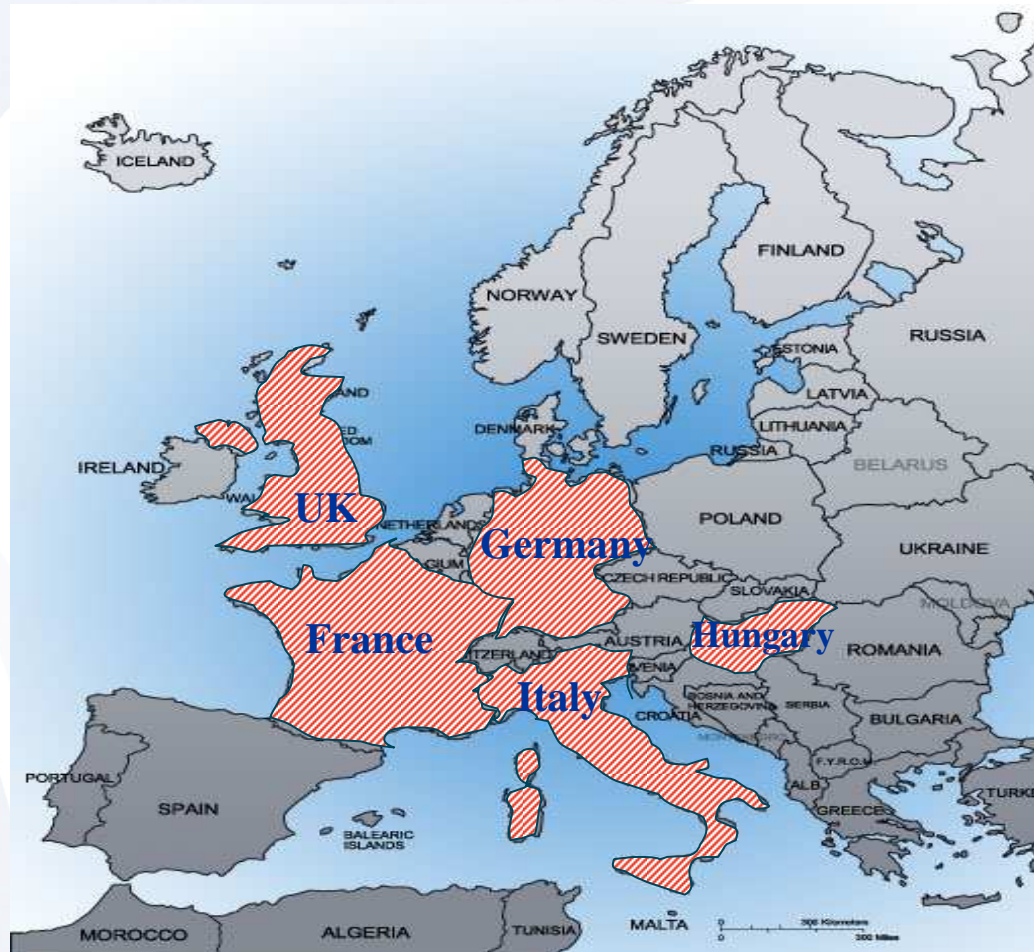
Anderes Register

A screenshot of a web browser window displaying a patient data management interface. The browser's address bar shows the URL "https://www.treat-nmd.de/register-dev/patient/index.html?cid=25". The page title is "Patientendaten - Patientenregister - TREAT-NMD". On the left side, there is a sidebar with a "Kontakt aufnehmen" button and a login status message: "Sie sind unter dem Benutzernamen hanns_mustermann angemeldet." with an "Abmelden" button below it. The main content area is divided into several sections: "Persönliche Daten" showing fields for Vorname (Manuela), Nachname (Mustermann), Geburtsdatum (19.3.1997), Geschlecht (weiblich), and Register (Spinale Muskelatrophie), followed by a note to contact if data is incorrect; "Einverständniserklärung" with a warning icon and a message that the signed declaration has not been received, with an "Anzeigen" button; "Genetischer Befund" with a warning icon and a message that the genetic finding has not been received, with an "Anzeigen" button; "Fragebogen (Teil 1)" with a green checkmark icon and a message that the first part is complete, with a "Bearbeiten" button; and "Fragebogen (Teil 2)" with a warning icon and a message that the second part is optional but helpful, with a "Bearbeiten" button.

Patientenregister: Aufgaben der **nationalen Kuratoren**

- sammeln in den einzelnen Ländern die Daten
 - von medizinischem Personal (Genetiker, Neuropädiater, etc)
 - von den Patienten (“self-report”)
- Genetik: Mutationen des SMN1 Gens & SMN2 Kopienzahl (“**international mutation nomenclature**”: einheitlicher Standard)
- Überprüfung der genetischen & klinischen Daten, um eine **hohe Qualität** der Daten sicherzustellen

Ursprünglich geplante Patientenregister



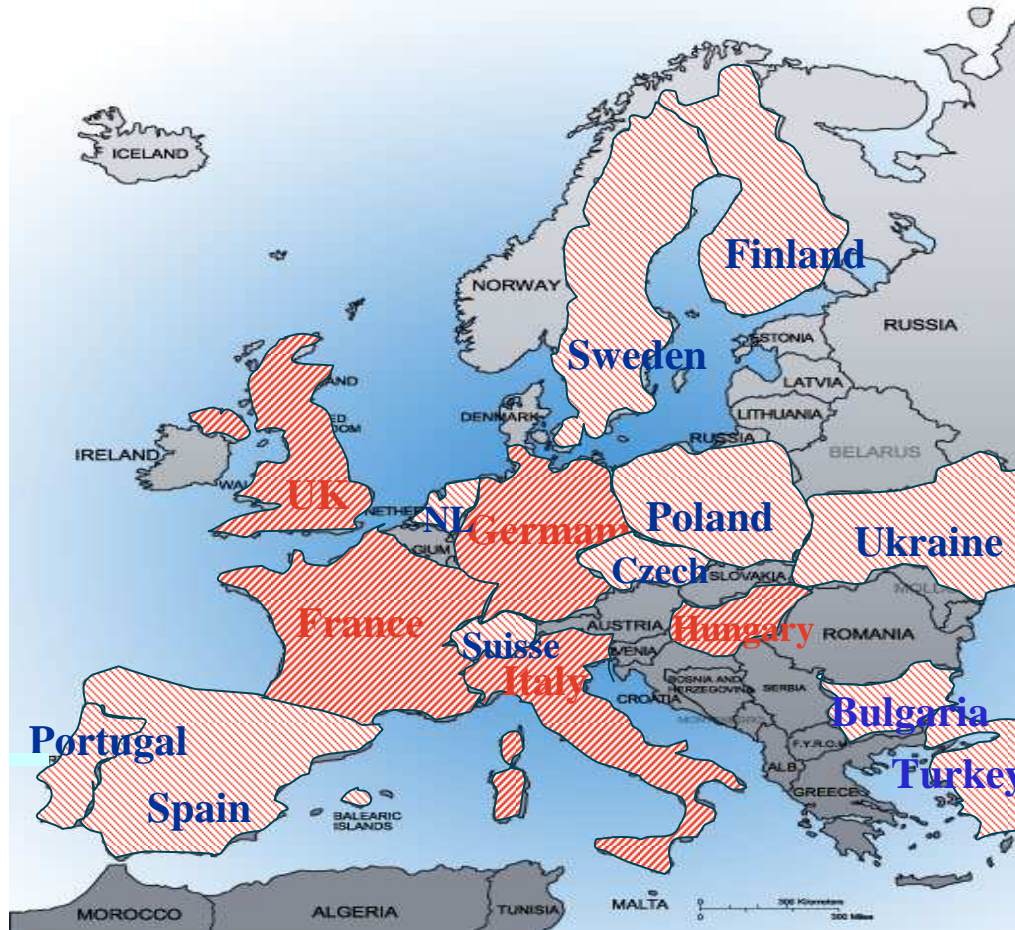
28

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model







































Aktueller Stand (April 2008)

assoziierte
Register:
Australien
Kanada
Japan
USA



Nationale TREAT-NMD Patientenregister für SMA & DMD (Stand Mai 2008)

SMA and DMD national registries

	SMA	DMD
Australia		
Bulgaria		
Canada		
Czech Republic		
Finland		
France		
Germany		
Hungary		
Italy		
Japan		
Netherlands		
Poland		
Portugal		
Spain		
Sweden		
Switzerland		
Turkey		
UK		
Ukraine		
USA		

➤ 20 Länder aus aller Welt planen derzeit den Aufbau von TREAT-NMD Registern für Patienten mit DMD/BMD und SMA

➤ Patienten aus Ländern, die nicht auf dieser Liste sind, können sich in Registern eintragen, die das “self-report” System verwenden (z.B. UK, Deutschland)

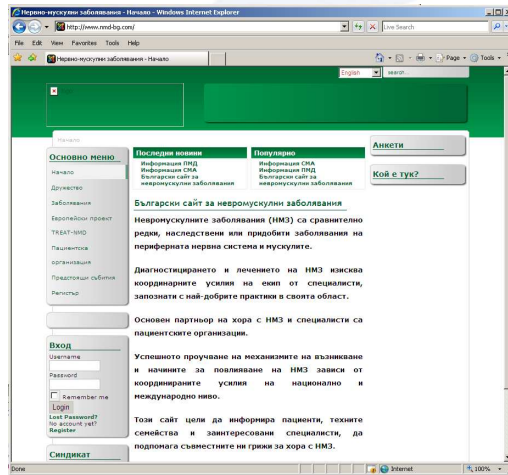
➤ Patienten sollten sich nur in einem dieser Register eintragen

30

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model

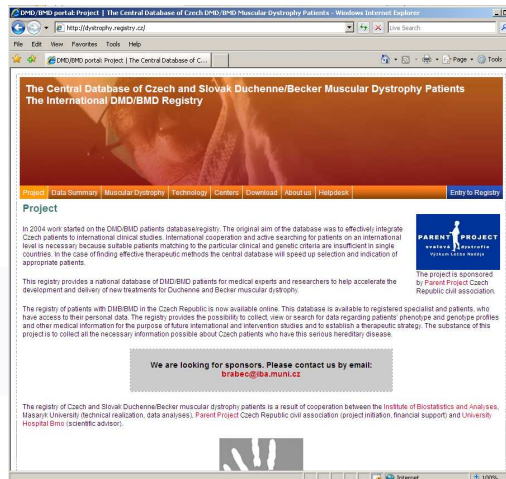


Beispiele für bereits aktive, nationale TREAT-NMD Register für DMD & SMA (Mai 2008)



Website der bulgarischen DMD/BMD und SMA Register

Website der tschechischen und slowakischen DMD/BMD Register



Website der deutschen DMD und SMA Register



31

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model



www.sma-register.de

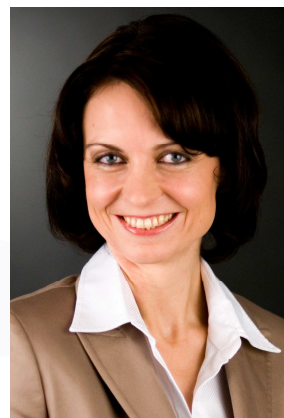


Marcel Kiel, IT

www.treat-nmd.eu/registries
www.treat-nmd.de
register@treat-nmd.de



Dr. Sarah Baumeister



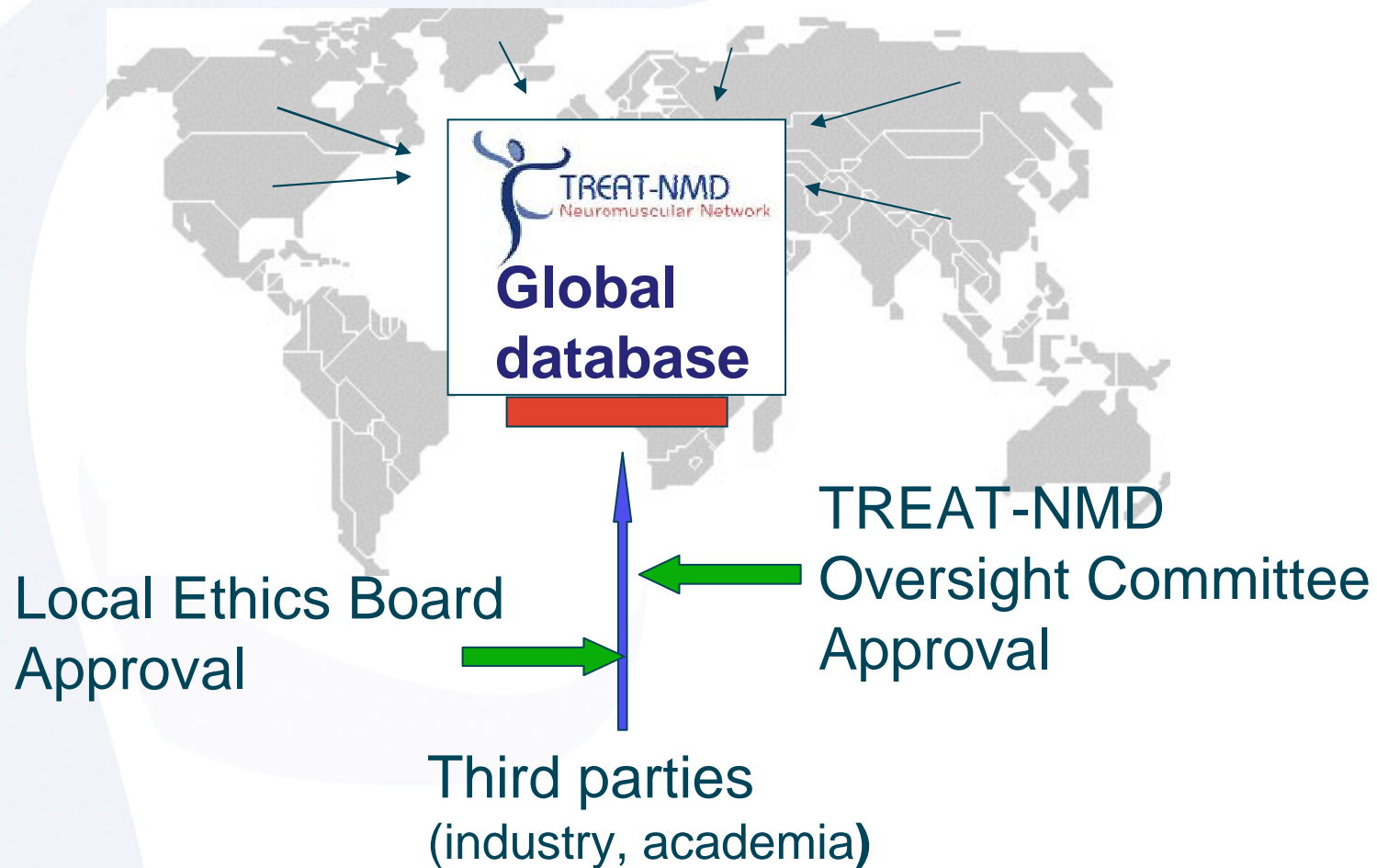
Simone Thiele
Kuratorin der deutschen Register
Ansprechpartnerin für Patienten

Rechtliche und ethische Vereinbarungen

- Feed-Back für die Patienten
- Widerrufsrecht
- Einverständniserklärung
- Pseudonymisierung der Daten
- Regelmäßige Aktualisierung der Daten

Die TREAT-NMD Register verpflichten sich dazu, diese Vereinbarungen zu befolgen, die in der „**TREAT-NMD registry charter**“ festgehalten sind

Zugang zu den Daten durch Dritte



TREAT-NMD “Network in Action”

Partner aus der Industrie sind sehr interessiert, aber vor allem auch direkt beteiligt, an den Forschungsaktivitäten von TREAT-NMD:

- Studiendesign
- Zugang zu definierten Patientengruppen
- präklinische Tests
- Produktion von Therapeutika

Zusammenarbeit besteht mit:

PTC Therapeutics
Accelaron Pharma
AVI BioPharm
Summit
Genosafe

Trophos
Prosensa
Santhera
Genethon



35

Working together to accelerate treatments for Neuromuscular Disorders -
The TREAT-NMD model



Für mehr Informationen...

www.treat-nmd.eu

Hanns.Lochmuller@ncl.ac.uk

