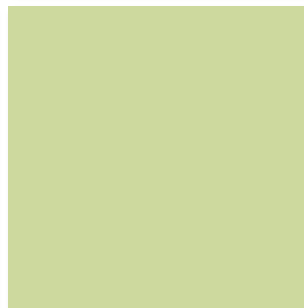


# SMA-TREFFEN IM HOTEL AM SEE HAUS RHEINSBERG 14.-17.05.2015

Patientenregister

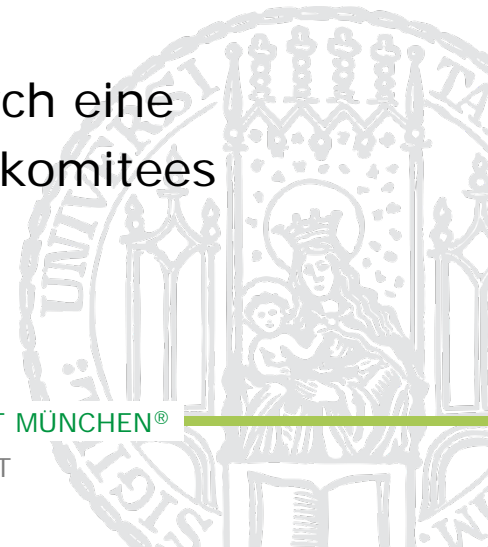
16. Mai 2015



# SMA-PATIENTENREGISTER: DIE IDEE...



- Start des EU Netzwerks TREAT-NMD am 01.01.2007
- Ende der Förderphase am 31.12.2011 (Weiterbestehen als TREAT-NMD Alliance)
- Ursprünglicher Plan: 5 nationale Register für Spinale Muskelatrophie
- Stand am Ende der Förderphase: 41 nationale Register für SMA (> 2.500 registrierte Patienten), eine globale Datenbank mit anonymisierten Daten
- Wahrung ethisch-rechtlicher Rahmenbedingungen durch eine „Charter“ und ein globales / sowie nationale Aufsichtskomitees



# PATIENTENREGISTER - DER WEG ZU TRANSLATIONALER FORSCHUNG

## Machbarkeit klinischer Studien:

- Planung, Patientenrekrutierung; multizentrisch – international, Infrastruktur und Vernetzung, Abbau der Datenfragmentation

## Förderung der Wissenschaft:

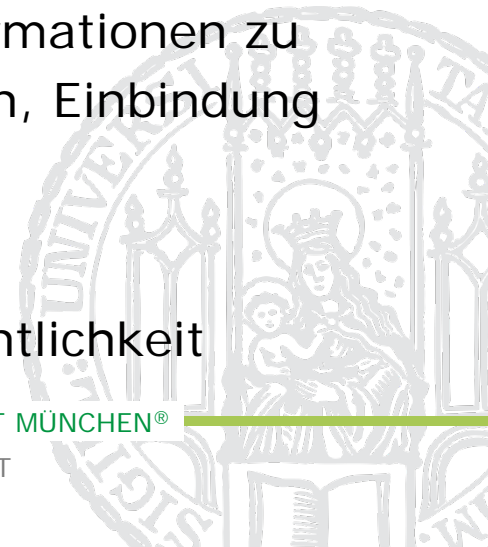
- Epidemiologische Daten, Genotyp-Phänotyp-Korrelationen, Erkrankungsverlauf, beeinflussende Faktoren, longitudinale Daten

## Verbesserung der Patientenversorgung:

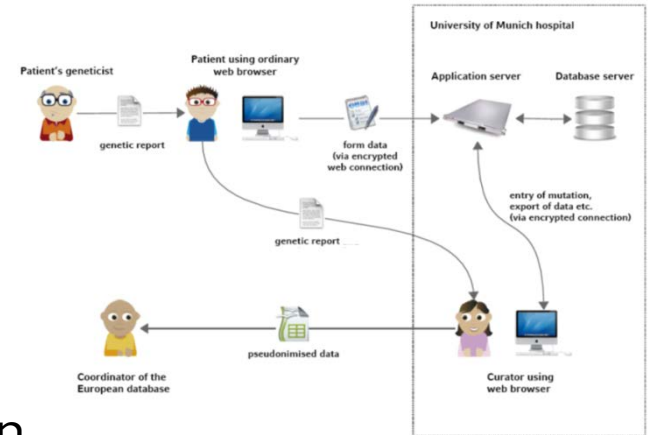
- Diagnostik- und Behandlungsstandards, aktuelle Informationen zu wissenschaftlichen Ergebnissen und klinischen Studien, Einbindung in eine Gemeinschaft, Ansprechpartner

## Interessenvertretung in Politik und Gesellschaft:

- mehr Sichtbarkeit / größeres Bewusstsein in der Öffentlichkeit

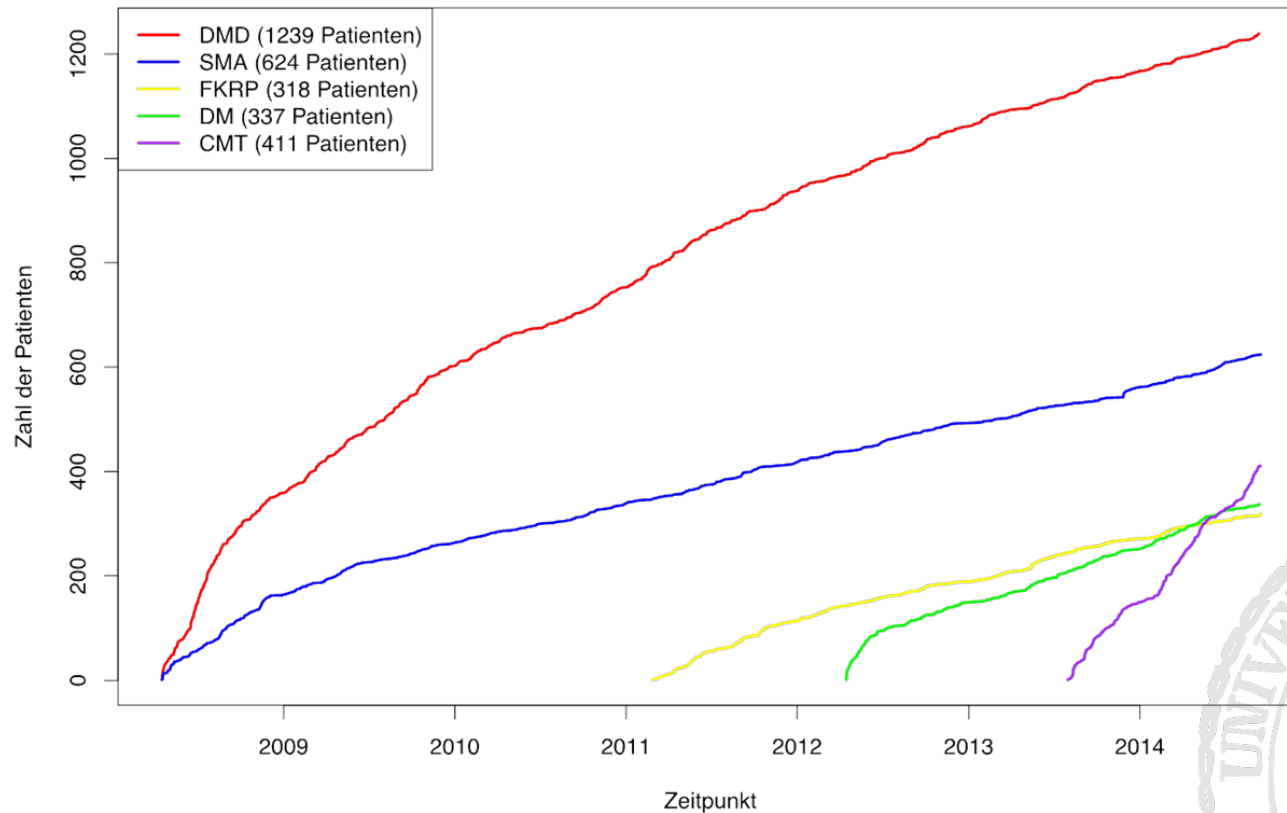


# WWW.TREAT-NMD.DE/REGISTER ODER WWW.SMA-REGISTER.DE

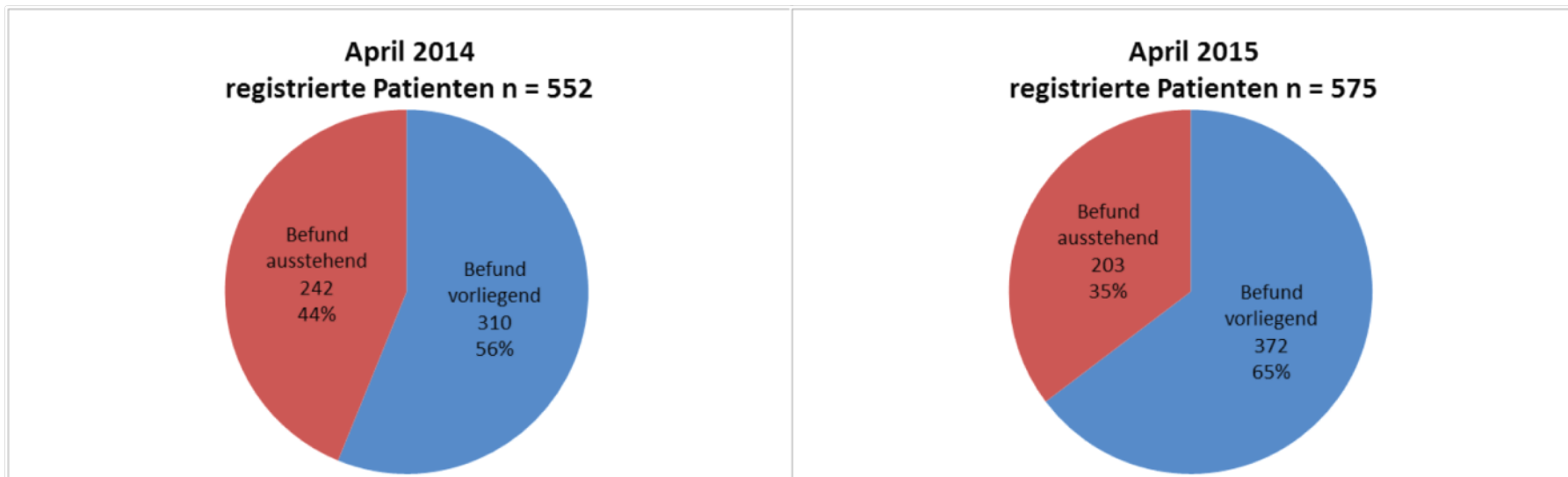


- Online Selbstreportsystem durch die Patienten
- Anlegen eines passwortgeschützten Benutzerkontos
- Online Einverständniserklärung
- Genetische und Biopsie-Befunde werden zur Verifizierung per Post an den Kurator gesendet
- Wahrung einer hohen Datenqualität und Erhebung von longitudinalen Daten durch jährliche Aktualisierung
- Pseudonymisierte Weitergabe der Daten an die krankheitsspezifische globale Datenbank zur Planung internationaler Studien

# ZAHLEN I – PATIENTENREGISTER ENTWICKLUNG (STAND ANFANG 2015)



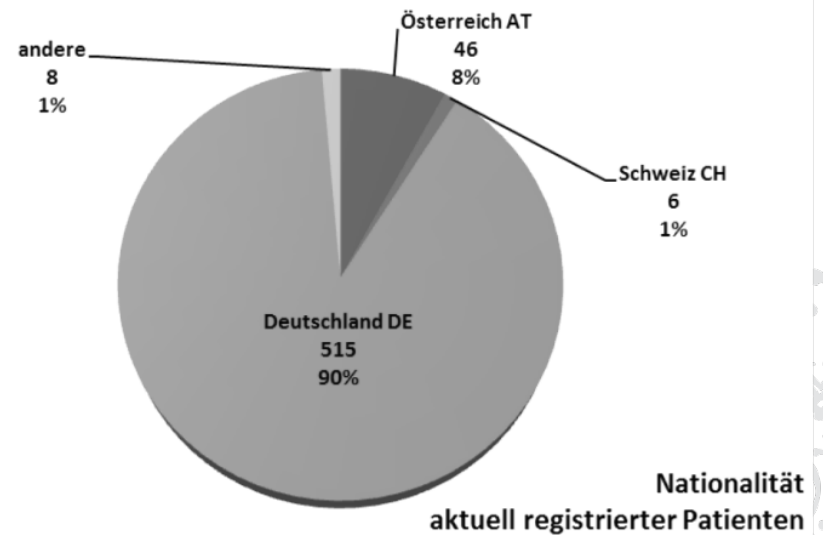
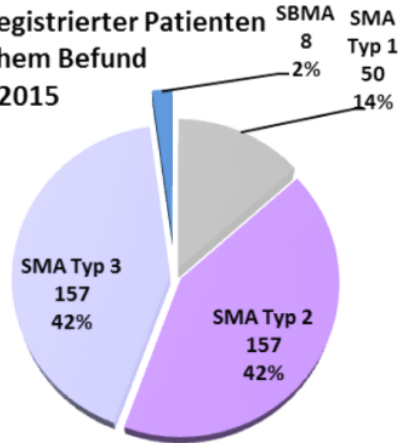
# ZAHLEN II – SMA-PATIENTENREGISTER



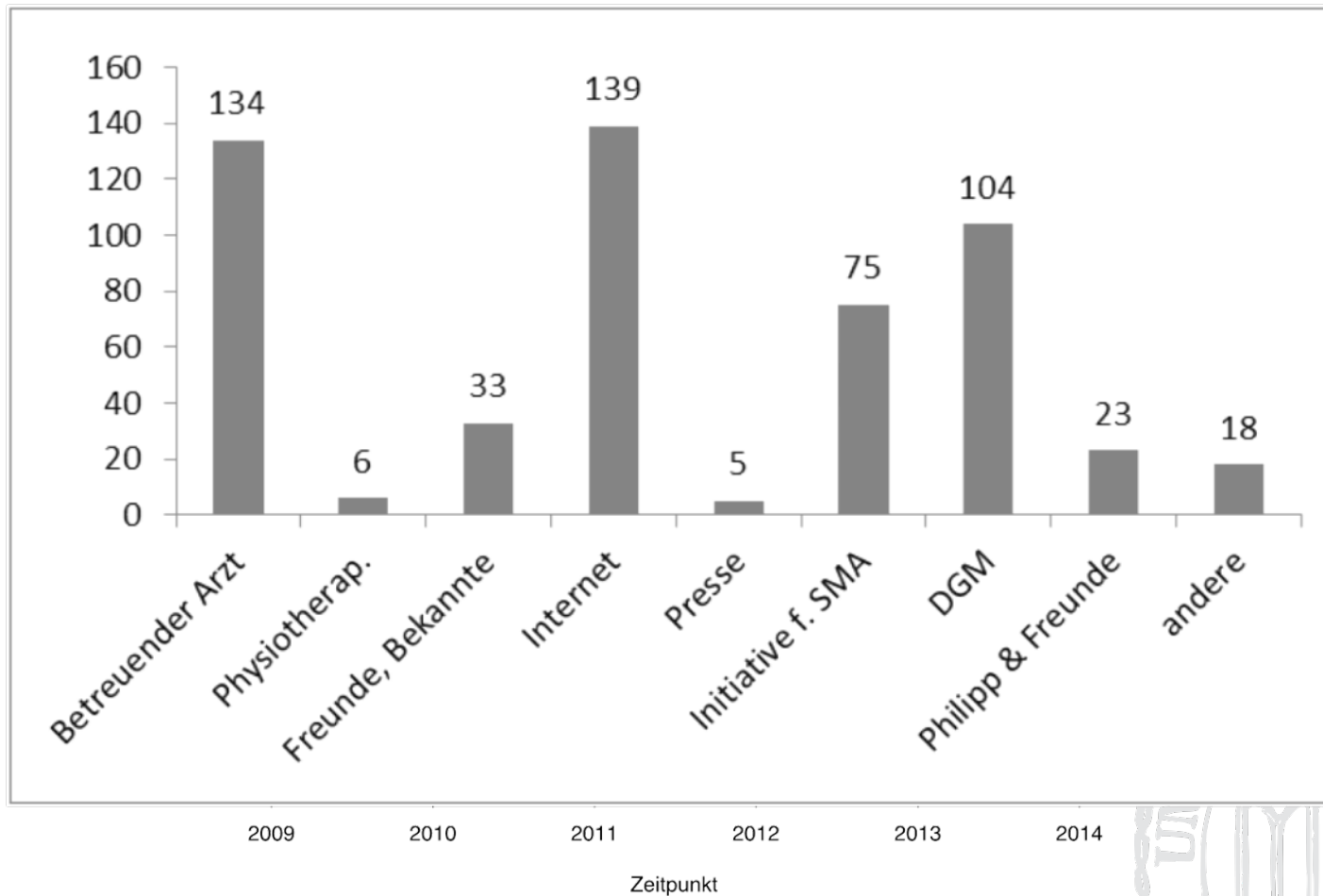
2014 wurden alle Patienten mit noch fehlendem genetischem Befund von uns persönlich kontaktiert, ebenso Patienten mit unvollständigen Datensätzen oder einer Änderung der Kontaktdaten. Hierbei konnte eine Verbesserung der Datenqualität durch eine größere Anzahl an Patienten mit durch einen Befund gesicherter Diagnose erreicht werden.

# ZAHLEN III – SMA- PATIENTENREGISTER 2015

Subtypen innerhalb registrierter Patienten  
mit genetischem Befund  
April 2015



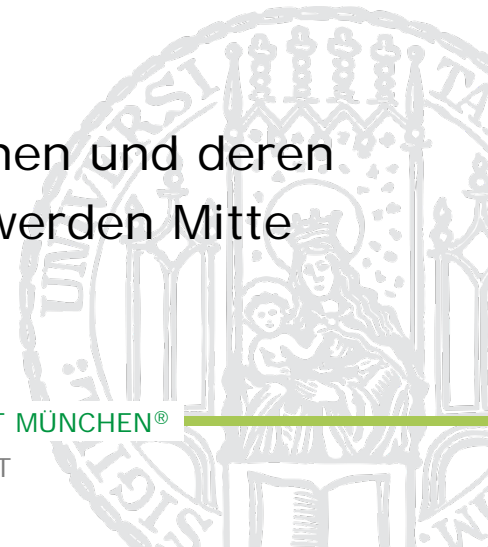
# WIE HABEN DIE PATIENTEN VOM REGISTER ERFAHREN? (N=417)





# AKTIVITÄTEN 2014

- Newsletter für registrierte Patienten mit Informationen zu Ergebnissen der europäischen Multicenterstudie mit Olesoxime (TRO19622)
- Information zur Gripeschutzimpfung
- PR-Aktionen über Patientenorganisationen, TREAT-NMD, Kongresse, Fachgesellschaften und Fachzeitschriften
- Verbesserung der Datenqualität durch persönlichen Kontakt zu registrierten Patienten
- Durchführung der Studie „Auswirkungen von Spinalen Muskelatrophien auf die Lebenssituation von Betroffenen und deren Umfeld“ über das SMA-Patientenregister, Ergebnisse werden Mitte 2015 erwartet



# AKTIVITÄTEN 2014

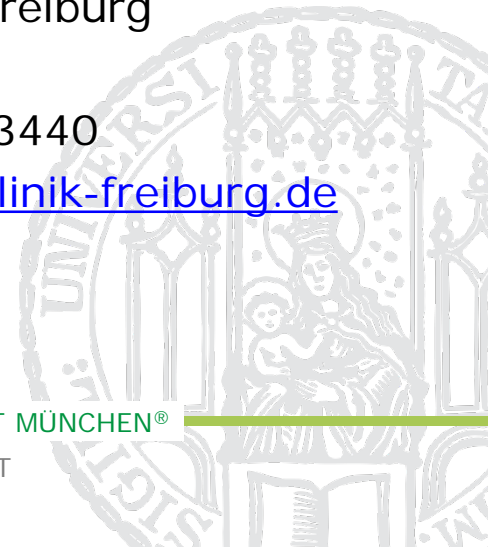
Anfrage zur Durchführbarkeit von Studien (globales Register)  
Firma ISIS Pharmaceuticals im September 2014

Ergebnis: Zwei Phase-III Zulassungsstudien in Deutschland  
für Säuglinge mit SMA Typ I (bis 7 Monate) und Kinder mit SMA Typ II  
(2-12 Jahre)

Ansprechpartner:

Universitätsklinik Essen  
Frau Nicole Weyandt  
Tel +49(0)201/723-84779  
[nicole.weyandt@uk-essen.de](mailto:nicole.weyandt@uk-essen.de)

Universitätsklinik Freiburg  
Frau Sabine Wider  
Tel +49 761 270 43440  
[sabine.wider@uniklinik-freiburg.de](mailto:sabine.wider@uniklinik-freiburg.de)



# WAS KANN JEDER EINZELNE PATIENT TUN?

Fragen Sie Ihren Arzt nach Ihrem genetischen Befund!  
Unterstützen Sie das Patientenregister durch Ihre Online-Registrierung!

**Unterstützen Sie die Erforschung neuer Therapien und die Durchführung Klinischer Studien!**

Kontakt: [register@treat-nmd.de](mailto:register@treat-nmd.de)  
Registerkuratorin: Frau S. Thiele, Tel. 089-4400-57451  
[www.sma-register.de](http://www.sma-register.de)  
[www.treat-nmd.de](http://www.treat-nmd.de)



[www.verticalresponse.com](http://www.verticalresponse.com)



<http://de.fotolia.com>