

# „Gerade bei seltenen Erkrankungen ist eine Vernetzung ideal“

VON WIEBKE TOEBELMANN

Patientenregister sind Datenbanken, in denen Informationen zu Patientengruppen erfasst werden und dadurch das Spektrum und den Verlauf bestimmter Erkrankungen abbilden. Warum sie gerade bei seltenen Erkrankungen so wichtig sind, erklärt Professor Dr. Thomas Klopstock, Oberarzt am Friedrich-Baur-Institut an der Neurologischen Klinik der Ludwig-Maximilian-Universität München und Sprecher des Forschungsverbundes mitoNET.



Prof. Dr. Thomas Klopstock ist Oberarzt am Friedrich-Baur-Institut der Neurologischen Klinik der Ludwig-Maximilian-Universität München und Sprecher des Forschungsverbundes mitoNET.

## Herr Professor Klopstock, wozu dienen Patientenregister?

Einzelne Patienten zeigen immer nur einen Ausschnitt aus dem Gesamtbild einer Erkrankung. Durch die Sammlung und Dokumentation von Informationen zu Hunderten oder Tausenden Patienten ergibt sich ein tieferes Verständnis des gesamten Spektrums einer Erkrankung, je nach den im Register erfassten Merkmalen auch zu Verlauf, Risikofaktoren, Behandlungsmethoden etc. Idealerweise werden solche Register in enger Kooperation von Ärzten und Patientenorganisationen aufgesetzt. Die Erkenntnisse können für das Design von Therapiestudien relevant sein, und die erfassten Patienten

können gegebenenfalls schnell kontaktiert werden, ob sie sich bei einer Studie beteiligen möchten („trial readiness“).

## Welche Vorteile haben sie für die behandelnden Ärzte seltener Erkrankungen?

Bei seltenen Erkrankungen gilt umso mehr: Ein einzelner Arzt sieht meist nur wenige Patienten mit einer bestimmten Erkrankung. Weitergehende Erkenntnisse ergeben sich im Allgemeinen erst aus der Betrachtung vieler Betroffener. Vorteile für den behandelnden Arzt sind zudem die Möglichkeit der strukturierten Eingabe von Daten, die Beteiligung an wissensgenerierender Versorgung

und – je nach Funktion – die wissenschaftliche Bearbeitung der gesammelten Daten.

## Welche Bedeutung kommt Patientenregistern zu in Bezug auf die Entwicklung neuer Therapien bzw. klinische Studien?

Patientenregister sind ausgesprochen hilfreich für diese Zwecke, insbesondere wenn sie mit einer Kohortenstudie verbunden sind, das heißt, Informationen zu den Patienten werden nicht nur zu einem Zeitpunkt gesammelt, sondern mehrfach im Verlauf. Gerade solche Verlaufsdaten informieren das Design klinischer Studien, manchmal kann die „natural history“-Kohorte sogar als Kontrollarm einer klinischen Studie herangezogen werden.

## Wie wichtig ist die überregionale Vernetzung?

Gerade bei seltenen Erkrankungen ist eine möglichst weiträumige, idealerweise globale, Vernetzung ideal, allein schon, um auf eine kritische Masse an Daten zu kommen, aber auch, um eine Harmonisierung hin zum bestmöglichen Standard in der Versorgung der Betroffenen zu erreichen. Aus diesem Grund haben wir das Patientenregister unseres Netzwerks für mitochondriale Erkrankungen (mitoNET) inzwischen von einer nationalen Plattform (mit mehr als 2.000 Patienten) auf eine globale Plattform ausgeweitet. 