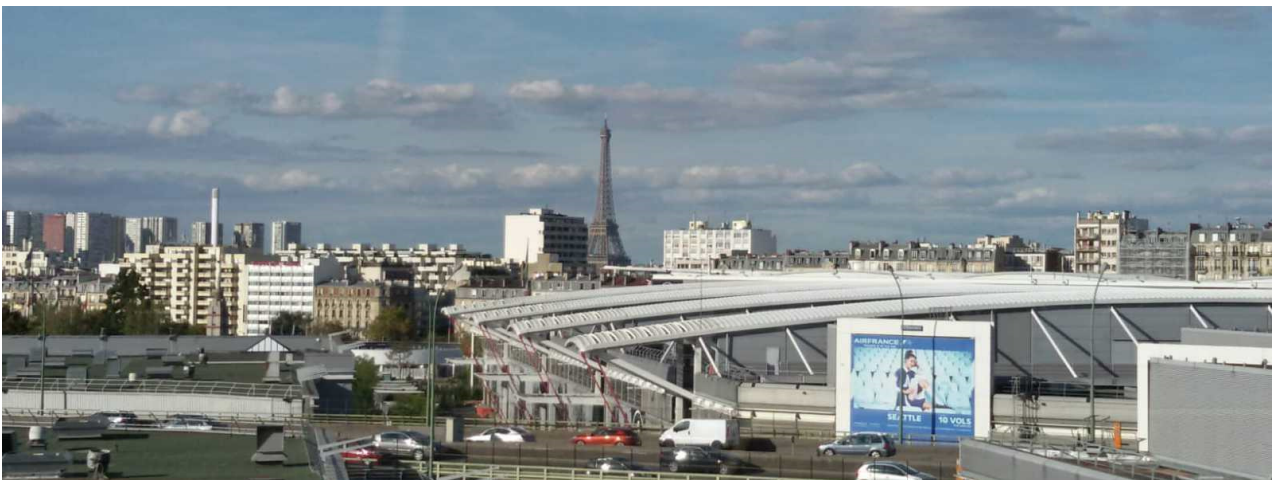


Unser Mitglied und Beisitzer im Vorstand, Ralf Schmiedel, besuchte in unserem Auftrag das ELF-Meeting (Treffen der europäischen Lungen-Stiftung) sowie den damit eng verbundenen ERS-Congress. Nachfolgend der Bericht, den er uns übermittelt hat

ELF-Meeting und ERS-Kongress Paris, 15.9. - 19.9.2018

Am 14.09.2017 ging es los. Mein Wagen mit 50 l Flüssigsauerstoff in 2 Tanks beladen und einem Sauerstoffkonzentrator als Reserve zur Sicherheit.
Die Fahrt nach Paris, immerhin ca. 560 km, gestaltete sich unkompliziert, bis, ja bis auf die letzten 12 km, die fast 1 ½ dauerten: Rushhour in Paris.

Am Samstag, den 15.9. fand der ELF-(European Lung Foundation) Networking Day statt, in dem es vor allem um die Patient- Arzt und Arzt-Patient-Kommunikation ging. Unter dem Arbeitstitel: 'Partners in Learning: Changing the culture of medical and patient education' (Partner im Lernen: Veränderung der Kultur der medizinischen und der Patienten-Edukation (Ausbildung)) wurde diskutiert und wie sich die Kommunikation zwischen Ärzten und Patienten verbessern lässt.



Es wurden verschiedene Erfahrungen und Studien vorgestellt, die zeigten, wie klein z.T. die Schnittmenge zwischen dem ist, was der Patient verstanden hat, seinem Lebenskontext und seinen Fragestellungen (etwa, wie schränkt mich eine Therapie ein, was für einen Einfluss könnte das auf die Familie, die Arbeitswelt etc. haben sowie zusätzlich die Ängste und Sorgen, die sich daraus ergeben) auf der einen Seite und dem, was der Arzt meint, was für den Patienten wichtig ist und was der Patient versteht. Hierzu wurden Projekte vorgestellt, u. A. aus den Niederlanden und Kanada, in denen jungen Ärzte in Workshops, gemeinsam mit Patienten, diese Problematik bewusst gemacht wird. Über 1000 Studenten nehmen z.B. in Montreal jährlich diese Angebote wahr. (Prof. Dr. Annie Descireaux präsentierte hierzu die Keynote: 'Das Montrealer Modell der Patienten-(Hochschul-) Partnerschaft. Anschließend wurden noch 4 Projekte von Patientengruppen vorgestellt, wie sie sich im Einzelnen an dieser Stelle einbringen.

Bemerkenswert fand ich hier das Beispiel einer italienischen Organisation, Association Respiriamo Insieme Onlus (gemeinsam atmen Selbsthilfe). Hier wird u. A. Kindern mit schwerem Asthma oder Krebserkrankungen der Diagnostikmarathon durch sehr originelle Perlen für ein Armband erleichtert. Perlen, die sie bei jeder Station einsammeln können. Etwa in dem Sinne: Wer zum Schluss die meisten Perlen gesammelt hat, ist ein Held wie aus einem Computerspiel, bei dem man irgendwelche Gadgets (nützliche Gegenstände) sammelt. (Foto1).

Über die ELF:

Die Europäische Lungen Stiftung (ELF – European Lung Foundation) wurde von der Europäischen Pneumologischen Gesellschaft (ERS – European Respiratory Society) 2000 gegründet mit dem Ziel, Patienten, die Öffentlichkeit und pneumologische Fachangestellte zusammenzubringen, um einen positiven Beitrag zur pneumologischen Medizin zu leisten. Wenn HHT auch eine multisystemische Erkrankung ist, ist doch die recht hohe Beteiligung der Lunge in Form pulmonaler (Lungen-) AVMs (arterio-venösen Malformationen) nicht unerheblich und vor allem eine wesentliche Komplikations- und Risikoquelle bei HHT-Patienten.

Daher ist es auch wichtig, dass Organisationen, die auf diesem Gebiet arbeiten, über diese Möglichkeit und als mögliche Ursache HHT für Lungen-AVMs informiert sind und so auch wiederum Ärzte informieren können. Die ELF ist ein starker europäischer Verband, auch weil in ihr Massenerkrankungen wie COPD und Asthma organisiert sind, aber auch die vielen selteneren und eben seltenen Erkrankungen. Der Vorstand der Morbus Osler Selbsthilfe hat dem Beitritt des Vereins in die ELF zugestimmt, was nicht mit Kosten verbunden ist, da seitens der ELF keine Mitgliedsbeiträge erhoben werden.

Neben HHT als seltener Erkrankung, war z.B. auch die seltene Krankheit LAM (Lymphangioliomyomatose) vertreten, eine proliferative Erkrankung, die fast ausschließlich Frauen betrifft und oft im mittleren Alter festgestellt wird. Über LAM: (Zitiert von der Website der LAM-Selbsthilfe Deutschland: „LAM betrifft hauptsächlich die Lungen. Dort verursacht sie ein übermäßiges Wachstum der so genannten glatten Muskelzellen. Obwohl diese Zellen nicht als Krebszellen angesehen werden, wachsen sie unkontrolliert. Dieses vermehrte Zellwachstum tritt entlang der Luftwege auf, sowie entlang der Blutgefäße, in den Wänden der Lymphgefäße und in bestimmten Teilen des Lungengewebes. Im Laufe der Zeit bilden diese Zellen Ansammlungen und wachsen in die Wände der Luftwege und Lymphbahnen, und bilden dort Hindernisse. Die LAM verändert das Lungengewebe, so dass blasenartige Strukturen das gesunde Lungengewebe immer mehr zerstören. Dadurch wird die Atmung stark beeinträchtigt und der Körper kann nicht mehr ausreichend mit Sauerstoff versorgt werden. [...]“

Mit HHT hat der LAM ein unkontrolliertes Wachstum im Bereich der Gefäße gemein, und seit etwa einer Woche gibt es eine zugelassene systemische Therapie für LAM: Sirolimus.

Eine der anwesenden Vertreterinnen des deutschen LAM-Selbsthilfe-Vereins erzählte, dass mit dieser Therapie z.T. (gutartige) LAM-Tumoren immenser Größe (20cm!) abgebaut wurden.

Ich erzähle, dass sich hier auch eine Verbindung zu HHT ergibt, in der Tacrolimus (eine verwandte Substanz mit leicht anderer Wirkungsweise) immer mehr als therapeutischer Ansatz für eine systemische HHT – Therapie in den Fokus rückt. Von ersten Versuchen bis zur Zulassung des Medikaments habe es 10 Jahre gedauert, so Professor Dr. Tobias Welte, (MH Hannover, und kommender ERS-Präsident), der daran maßgeblich mitgewirkt hat.

Am nächsten Tag nahm ich noch am Treffen des sog. 'Patient Advisory Council' der ELF teil, bei dem ich die Gelegenheit hatte, HHT noch ausführlicher vorzustellen und hier nochmal auf die Bedeutung der Diagnostik von PAVMs hinzuweisen.

Die ELF hat meine Teilnahme an der Tagung mit 600 € in Form eines Fahrtkostenstipendiums gefördert. Ein Dankeschön an dieser Stelle an die ELF. Weiterhin ermöglichte die ELF mir, den ELF-Kongress zu besuchen, der normalerweise für Patienten nicht zugänglich ist. Auf den ERS-Kongress gehe ich nachfolgend ein.

ERS-Kongress

Die ERS (European Respiratory Society = europäische Gesellschaft für Lungenkrankheiten) veranstaltete ihren jährlichen Kongress diesmal in Paris zusammen mit der ELF. Nun mögt ihr euch fragen, warum ich für uns HHT-Patienten dort war. Wo die Lunge doch nur ein Schauplatz von HHT ist, der aber immerhin sehr viele Patienten mit ENG-Mutation betrifft und auch Patienten mit einer ACVRL1-Mutation (HHT2) betreffen kann.

Wie ihr vielleicht wisst, bin ich dabei auszuloten, ob Tacrolimus eine mögliche zielgerichtete Therapie für HHT sein könnte. Aus meiner doppelten Betroffenheit, an HHT aber auch an PAH erkrankt zu sein, ergab sich nach 15-jährigem Lernen der Inhalte zu beiden Krankheiten auf einer fast täglichen Basis, dass dieser Wirkstoff vielleicht eine Option für HHT- Patienten sein könnte und zwar hoffentlich in einer so verträglichen Form, dass es vielleicht sogar auch leichter betroffene Patienten nehmen könnten (HYPOTHETISCH, MÜSSTE JA NOCH UNTERSUCHT WERDEN).



Das Gespräch mit weltweiten Experten auf dem Gebiet verstärkte meinen Eindruck, dass es sich lohnen könnte, die Möglichkeiten und Grenzen von Tacrolimus bei HHT zu erkunden und so habe ich es selbst bei mir ausprobiert. Nicht ich, sondern das hervorragende Team von Herrn Professor Dr. Werner Seeger, Gießen, namentlich seien hier Frau Dr. Natascha Sommer (Ambulanz für Pulmonale Hypertonie) und Frau Dr. Soni Pullamsetti (Leiterin der Molekularbiologie im Max Planck-Institut in Bad Nauheim) genannt. Das war 1/2016.

Inzwischen nehmen allein ca. 15 Patienten mit HHT, von denen ich weiß, Tacrolimus in niedriger Dosis. Von etwa 10 gibt es schon Rückmeldungen, die sehr ermutigend sind. Auch was mich betrifft, kann ich nur sagen, dass es mir sehr geholfen hat und hilft.

Inzwischen hat es einen Tierversuch gegeben, bei dem an ALK1-iKO-Mäusen (bei denen man den ALK1-Rezeptor, der bei HHT2 betroffen ist, ausschalten kann) der Nachweis erbracht wurde, dass es wirkt, zumindest in diesen Mäusen.

Auf der internationalen wissenschaftlichen HHT-Konferenz in Dubrovnik konnte ich dem versammelten Publikum erzählen, dass es auch bei mir wirkt, also im Menschen. Das sorgte durchaus für Aufmerksamkeit, wie ich an den vielen Gesprächen mit den führenden HHT-Forschern aus aller Welt feststellte.

Jetzt, ein Jahr später, und eben mit o.g. Fallberichten (noch nicht veröffentlicht) haben wir folgende Situation:

In Frankreich läuft seit Ende letzten Jahres eine Studie mit lokalem Tacrolimus als Nasensalbe und es wird nun wohl bald auch mind. eine Studie zu oralem, niedrig dosiertem Tacrolimus bei HHT geben.

Damit ist ein wichtiges Etappenziel erreicht; es wird nun systematisch untersucht, ob Tacrolimus das Potential hat, uns eine wertvolle und vielleicht vorbeugende Therapie für HHT zu sein. Ich bin da optimistisch, aber man weiß nie, daher muss es im größeren Stil untersucht werden, auch um zu wissen, für welche Patienten es ggf. wirkt, also je nach Gen oder ggf. auch Art der Mutation.

Ach ja, der Fallbericht über meine Behandlung mit Tacrolimus wurde nun zur Veröffentlichung angenommen und zwar frei zugänglich als Volltext. Er wird also bald online erscheinen und wir werden ihn sicherlich auf der Website und den weiteren Internetmedien veröffentlichen können.

Nachdem ihr diese Information habt, nun zurück zum ERS-Kongress:

Ich habe durch meine fast 20-jährige Arbeit im Bereich Pulmonale Hypertonie, einer seltenen Erkrankung, die eine gewisse Überschneidung mit HHT hat, ein ziemliches Netzwerk auch zu Unternehmen aufgebaut, die sich in diesem Bereich engagieren und inzwischen 14 verschiedene Therapien für PAH anbieten können, wirksam auf drei Wirkachsen, die man kombiniert behandeln kann.

Und diese Unternehmen habe ich im Messebereich aufgesucht. Dabei hatte ich das seltene Glück, ein ausführliches Gespräch mit einer Entscheiderin über Umsätze in Milliardenhöhe führen zu können und sie so auf unseren Therapiebedarf für eine zielgerichtete HHT-Therapie aufmerksam zu machen. Aber auch um auf die geleistete Arbeit der letzten Jahre seitens der HHT-Europe und der nationalen Vereine sowie der cureHHT in den USA hinzuweisen, die inzwischen auch die nötige Reichweite zu den Patienten haben, um z.B. Patienten auf eine Studie aufmerksam zu machen und darüber zu informieren. Eine wichtige Voraussetzung. Die Organisationen in der HHT-Europe haben zusammen Kontakt zu etwa 10.000 Patienten. Die cureHHT USA kommt zusammen mit Kanada auf nochmals 10-20.000 Patienten. Das ist eine Menge, mit der man durchaus arbeiten kann und für die sich eine Therapie lohnt. Allein wegen dieses Gesprächs hat sich der Besuch auf der Tagung schon gelohnt.

Aber ich konnte noch weitere sehr gute Gespräche mit Pulmonale Hypertonie-Experten führen, die ich so endlich mal live treffen konnte und so auch auf HHT aufmerksam machen konnte.

Eine weitere wichtige Info, die ich von der Tagung mitbringe:

Am 19.9.2018 wurde eine randomisierte Studie zu **Macitentan (Opsumit®) bei portopulmonaler Hypertonie** veröffentlicht, somit könnte es bald eine Zulassung für o.g. Indikation geben. Und was hat das mit uns zu tun? Wie ihr vielleicht noch aus dem Vortrag von Herrn Professor Dr. Grünig in Kassel (2017) erinnert, hat ein nicht unerheblicher Teil der HHT-Patienten auch einen Lungenhochdruck, also Bluthochdruck im Lungenkreislauf oder PH. Ein Teil davon hat o.g. portopulmonalen Lungenhochdruck, und wäre damit also u.U. eine Kandidatin oder ein Kandidat für Macitentan. Ich verlinke die Studie am Ende des Berichts.

Und sonst so? Paris sehen? Nicht wirklich. Ich war ganztägig auf dem Kongress und - wie ihr euch denken könnt - abends zu KO, um noch irgendetwas zu unternehmen. Aber immerhin konnte man vom Ausstellungsgelände an der Porte de Versaille den Eiffelturm sehen, für mich eine Premiere. Da ich sauerstoffpflichtig bin, habe ich morgens ca. 10-12 kg Gepäck gehabt, 2 große Sauerstofftanks. Aber es hat sich gelohnt.

Die Rückfahrt bei schönstem Wetter gestaltete sich wieder unkompliziert, bis, ja bis nach Köln zur Rushhour. ;-)

Links:

<http://www.europeanlung.org/en/>

<https://www.ersnet.org>

<http://www.LAM-info.de>

<http://morbus-osler.de>

Info zu Macitentan bei portopulmonalem Lungenhochdruck:

<https://arznei-news.de/macitentan/#a5>

Für einen Teil der HHT-Patienten mit PH wegen Lebershunts ergibt sich hieraus vielleicht bald eine neue Therapieoption, die zwar nicht die Lebershunts selbst angeht (was sicherlich besser wäre), aber doch die Lunge entlasten könnte, wenn andere Optionen versagen.

Die Form der PH bei HHT, die das betrifft, gehört zur sog. WHO-Gruppe 2 PH.

Hier ein Link zu einem Volltext-Artikel, der in Tabelle 1 zeigt, wie häufig die unterschiedlichen Formen der PH bei einer untersuchten Gruppe von HHT-Patienten gefunden wurden.

<https://www.ncbi.nlm.nih.gov/pmc/articles/PMC5628806/> (Englisch, nur für die, die sich das antun möchten ;-)