



Amyotrophe Lateralsklerose, eine seltene neurodegenerative Erkrankung: Bewertung der europäischen Landschaft und politische Empfehlungen für eine verbesserte Diagnose, Pflege und Behandlung.

Lassen Sie uns jetzt gemeinsam handeln.
Die Zeit ist kostbar und läuft den mit ALS lebenden
Menschen davon.

Mitautor:innen und Mitglieder der Europäischen ALS-Koalition:

Prof. Dr. med. Julian
Großkreutz
O. Goy
S. Upadhyaya
A. Gasper
A. Montserrat Moliner
D. De Valck

Prof. F. Gianfrate
K. Koucká
L. Le Dez
M. José Arregui
Dr. M. Sheehan
M. Calzado

Prof. N. Ticozzi
Prof. O. Hardiman
Prof. PL. Canonico
S. Hoffman-Gendebien
T. Foltánová

Finanzierung und Beiträge

Dieses Papier wurde von Amylyx Pharmaceuticals B.V. in Auftrag gegeben und finanziert. Amylyx hat dieses Positionspapier hinsichtlich Genauigkeit und Einhaltung der Vorschriften überprüft. Der Aufbau und der Inhalt wurden gemeinsam von den oben genannten Autor:innen und unter Mitwirkung der folgenden Vertreter:innen von Patientenorganisationen entwickelt: Filipe Gonçalves (APELA), Kees DeJil (APV), Mia Möllberg (ALS Schweden), Mona Bahus (ALS Norge), Naomi Fitzgibbon (IMNDA), Nicoletta De Rossi (Associazione conSLAncio Onlus), Raquel Barajas Azpeleta (Fundación Luzón), Silverio Conte (Associazione conSLAncio Onlus) und Sophie Nyberg (MND Association).

Warum ALS?

ALS ist ein einzigartiges Beispiel für eine **lebensbedrohliche, neurodegenerative Krankheit**, deren Behandlung aufgrund ihres **extrem schnellen Fortschreitens** und ihrer vielfältigen Symptome sehr komplex ist. Die Erkrankung betrifft etwa **32.000 Menschen** in Europa.

Menschen, die mit ALS leben, erfahren einen unerbittlichen und irreversiblen Verlust der Muskelfunktion; **die meisten Betroffenen erliegen der Krankheit nach nur 2 - 5 Jahren**. Menschen, die mit ALS leben, stehen aufgrund des geringen Verständnisses der Erkrankung, einer **verzögerten Diagnose, suboptimaler Behandlungsabläufe und einem Mangel an Behandlungsoptionen** weiterhin vor signifikanten Problemen. Es kann viel getan werden um diese Probleme - und damit auch Probleme für andere schwerwiegende und komplexe neurologische Erkrankungen - zu lösen!

Optimierte Diagnose

Bei der Diagnose von ALS ist der **Zeitfaktor entscheidend**. Die Zeit vom ersten Auftreten der Symptome bis zur Bestätigung der Diagnose muss verkürzt werden und Fehldiagnosen müssen in ganz Europa reduziert werden. Sobald die Vermutung auf ALS besteht muss die **Diagnostik von ALS-Expert:innen begleitet werden**. Die Diagnose sollte ein kontinuierlicher Prozess sein, währenddessen das Verständnis der Krankheit weiter entwickelt wird indem Subtypen und das individuelle Fortschreiten der Erkrankung festgehalten werden.

Betroffene und ihre Familien, die eine ALS Diagnose bewältigen, müssen in diesem Prozess umfassende Unterstützung erhalten.

Adäquate Pflege

Das Leben mit ALS ist von einer **sich ständig verändernden Realität** geprägt. Die Gesundheits- und Sozialsysteme sind nur unzureichend für den Umgang mit einer so komplexen und schnell fortschreitenden Erkrankung gerüstet. Der Bedarf von Menschen, die mit ALS leben, muss aber besser gedeckt werden. Dafür sind Lösungen und Veränderungen in den Versorgungsstrukturen dringend erforderlich. Für die Betroffenen muss **pro-aktiv Pflege** zur Verfügung stehen. Lücken in der **multidisziplinären Pflege** müssen geschlossen werden und die **Sozialfürsorgedienste** müssen besser aufgestellt werden. Verbesserungen in der Pflege müssen das **bestmögliche Maß an Lebensqualität und Unabhängigkeit** für Menschen, die mit ALS leben, ermöglichen.

Mit diesen Maßnahmen würde zweifelsohne auch eine weitreichende Entlastung der Gesundheitssysteme und der Gesellschaft erreicht!

Schritte für eine bessere Prognose

Da die Forschung und Entwicklung in der ALS mit **einzigartigen Herausforderungen** verbunden ist wurde in Europa **in den letzten 25 Jahren nur eine einzige Therapie für ALS zugelassen**. Allerdings entwickelt sich das Wissen über die Krankheit weiter und die Zahl der klinischen Studien in der ALS nimmt stetig zu. Menschen, die mit ALS leben, haben jedoch keine Zeit zu warten. Daher müssen bei neu identifizierten, vielversprechenden Medikamenten **die Zulassung und der Zugang zu diesen Therapien priorisiert und Barrieren minimiert** werden. Der Zugang zu einer neuen Generation von Therapien wird weitere **Innovationen vorantreiben** und eine Zukunft ermöglichen, in der mehrere wirksame Behandlungsoptionen zur Verfügung stehen, die den enormen ungedeckten medizinischen Bedarfs von Menschen, die mit ALS leben, decken können.



Politische Empfehlungen

Im Folgenden werden zehn politische Empfehlungen zur Verbesserung des Lebens von Menschen, die mit ALS leben, vorgeschlagen. Politische Maßnahmen und bewährte Praxisbeispiele werden für jede politische Empfehlung im weiteren Papier aufgeführt.

- 1 Verbesserung der rechtzeitigen Überweisung durch Hausärzt:innen und andere Ärzt:innen der medizinischen Erstversorgung an NMD*/ALS-Spezialist:innen zur Sicherung einer durch Expert:innen begleiteten diagnostischen Abklärung, Subtyp Charakterisierung und kontinuierlichen Weiterbewertung, sobald die Vermutung einer ALS-Erkrankung besteht.
- 2 Einrichtung von Beratungsangeboten über die ALS Erkrankung und Möglichkeiten der Krankheitsbewältigung sowie Unterstützung für Menschen, die mit ALS leben, und ihren Familien im Umgang mit einer ALS-Diagnose.
- 3 Bessere Koordination, Kollaboration und Kommunikation zwischen ALS- und Nicht-ALS-Spezialist:innen und alternative Versorgungsansätzen mit Einbeziehung wichtiger multidisziplinärer Expert:innen.
- 4 Schnellerer Zugang zu vollständig erstatteten technischen Hilfsmitteln für Menschen, die mit ALS leben.
- 5 Verbesserte Verfügbarkeit von Versorgungseinrichtungen außerhalb des Krankenhauses für ALS-Betroffene, die bei fortschreitender Krankheit nicht in ihrer Wohnung bleiben können.
- 6 Anerkennung der essenziellen Rolle der Familie und Betreuungspersonen in der Versorgung von Menschen, die mit ALS leben, und Bereitstellung angemessener sozialer, psychologischer und finanzieller Unterstützung.
- 7 Verstärkte Forschung, um das Verständnis der ALS Erkrankung und die Entwicklung von Behandlungsmöglichkeiten voranzutreiben und die Bekanntheit sowie den Zugang zu klinischen Studien in der ALS zu erhöhen.
- 8 Verbesserte Abstimmung zwischen Forscher:innen, klinischen Expert:innen, Medikamentenentwicklern, Behörden und Kostenträgern über Studiendesigns (einschließlich akzeptierter klinischer Endpunkte) unter Berücksichtigung der Aussagen und der Schilderungen von Patient:innen.
- 9 Beschleunigung und Unterstützung der Zulassung für neue Therapien für Menschen, die mit ALS leben, unter Berücksichtigung der Dringlichkeit und des Umfangs des ungedeckten medizinischen Bedarfs. Sicherstellung von ALS-Expertise in der Bewertung von Medikamenten.
- 10 Rascher Zugang zu neuen Therapien für lebensbedrohliche Krankheiten mit extrem hohem ungedecktem Bedarf durch beschleunigte Verfahren und an Bedingungen geknüpfte Erstattung.