

## Laienbericht über den Workshop „Klinisch-pathologische Klassifikation der Immunvermittelten nekrotisierenden Myopathien“ (Clinicopathological classification of immune mediated necrotizing myopathies (IMNM)).

Datum: 14.-16.10.2016

Nummer des Workshops: 224

Stadt: Zandvoort, Niederlande

Organisatoren: Prof. W. Stenzel (Deutschland), Prof. O. Benveniste (Frankreich), Dr. Y. Allenbach (Frankreich) and Dr. A. Mammen (U.S.A.)

An diesem Workshop in Zandvoort, in den Niederlanden nahm eine multidisziplinäre Gruppe von 20 Teilnehmern aus acht verschiedenen Ländern teil. Bei den Teilnehmern handelte es sich um klinische und grundlagenwissenschaftliche Forscher sowie einer Betroffenen als Repräsentantin der Patientensicht.



Teilnehmer: Dr. Y. Allenbach (Internist, Frankreich), Dr. A. Amato (Neurologe, USA), Dr. A. Aussy (Doktorandin, Frankreich), Prof. O. Benveniste (Internist, Frankreich), Prof. J. de Bleecker (Neurologe, Belgien), Dr. A. Corse (Pathologin, USA), Mrs. I. de Groot (Patientin, Niederlande), N. Fischer (Doktorandin, Deutschland), Prof. H. Goebel (Neuropathologe, Deutschland), Dr. D. Hilton-Jones (Neurologe UK), Dr. J. Lamb (Genetikerin, UK), Prof. I. Lundberg (Rheumatologin, Schweden), Dr. A. Mammen (Neurologe, USA), Prof. T. Mozaffar (Neurologe, USA), Dr. I. Nishino (Pathologe, Japan), Dr. A. Pestronk (Pathologe, USA), Prof. U. Schara (Neuropädiaterin, Deutschland), Prof. W. Stenzel (Neuropathologe, Deutschland), Prof. M. de Visser (Neurologe, Niederland)

## **Zusammenfassung des Workshops aus der Perspektive einer Betroffenen:**

Ziel des Workshops: Erreichen eines internationalen Konsens über die pathologischen und klinischen Kriterien der IMNM und seiner möglichen Unterformen. Ein weiteres Ziel war die Einigung auf Richtlinien bezüglich der Diagnose und Therapie der Erkrankung.

Als Repräsentantin der Patientensicht wurde ich schon zum vergangenen ENMC Workshop im Jahr 2015 eingeladen, in dem es um Zielparameter und Umsetzung für klinische Studien zu den Idiopathischen inflammatorischen Myopathien (IIM) ging. Das Timing für diesen Workshop 2016, indem es nun rein um die immunvermittelten nekrotisierenden Myopathien ging, war perfekt gewählt, da Wissenschaftler und Ärzte besonders in letzter Zeit mehr und mehr über diese seltenen Formen der Myositis herausgefunden haben.

Gleichzeitig besteht ein Mangel an Evidenz-basierten Richtlinien für die Therapie von Patienten mit Myositis. Demnach ist es nun erforderlich, einen internationalen Konsens für diagnostischen Kriterien und Behandlungsrichtlinien festzulegen, die allgemein verwendet werden können. Dies ist besonders wichtig, da die IMNM einen sehr schwerwiegenden Verlauf aufweisen kann.

Während der zwei Workshop-Tage präsentierten alle Teilnehmer neue Ergebnisse und Daten aus ihren Studien und ihrer Forschung. Im Anschluss an die Vorträge diskutierten die teilnehmenden Myositis-Experten angeregt über die präsentierten Ergebnisse.

Wir konzentrierten uns auf die pathologischen und klinischen Kriterien für IMNM, auf die Serologie (Detektion und Messung von Autoantikörpern in Blutproben), die Genetik (Vererbungslehre), die Pathologie (Wissenschaft der mikroskopischen Charakteristika von Geweben) und auf Behandlungsstrategien.

Mein Beitrag als Repräsentantin der Patientinnen und Patienten bestand darin, über mein Leben mit dieser chronischen und seltenen Erkrankung zu berichten: der Einfluss auf jeden einzelnen Aspekt des Lebens und die Herausforderungen und Einschränkungen, die mit der Erkrankung einhergehen. Während der Sitzungen wurde ich mehrmals um meine Meinung und Einschätzung zu verschiedenen Dingen gebeten (bspw. das Thema der Muskelbiopsien und die Bedeutung von Physiotherapie und Sport) und dazu eingeladen, aktiv an den Diskussionen teilzunehmen.

### Ergebnisse des Workshops:

- Konsens über klinische Definition von IMNM
- Einigung auf Unterteilung in verschiedene IMNM-Subtypen
- Einigung auf klinische und pathologische Diagnosekriterien
- Konsens über Richtlinien zur Therapie

Ich war beeindruckt, dass Studien von dieses Myositis-Experten aus aller Welt zu ähnlichen Ergebnissen gekommen waren. Im Verlauf des Workshops konnte sich auf Basis dieses Wissens geeinigt und entschieden werden, dass IMNM-Subtypen je nach vorhandenem Antikörper (Anti-SRP oder Anti-HMGCR) unterschieden werden müssen. Daraus folgte außerdem die Erkenntnis, sich auf pathologische, klinische und diagnostische Kriterien, als auch verschiedene Therapieoptionen für diese Unterformen zu einigen.

Was für ein schönes und vielversprechendes Ergebnis dieses einzigartigen Workshops!

Ein vollständiger Bericht des Workshops wird in dem Journal "Neuromuscular Disorders" publiziert.

Ingrid de Groot, Repräsentantin der Patienten, Niederlande

Norina Fischer, Doktorandin, Deutschland

