

Internationale Standards für ein CIDP-Register und eine -Biobank

Datum: 12.-14. Mai 2017

Nummer: 231

Stadt: Naarden, Niederlande

Organisatoren:

Dr. Filip Eftimov (Amsterdam, Niederlande), Prof. Dr. Yusuf Rajabally (Birmingham, Vereinigtes Königreich), Dr. Luis Querol (Barcelona, Spanien).

Beschreibung des Workshops:

Der 231. ENMC Workshop mit der Bezeichnung "Internationale Standards für ein CIDP-Register und eine -Biobank" fand vom 12.-14. Mai 2017 in Naarden, Niederlande, statt. Eine multidisziplinäre Gruppe von 24 Personen aus 13 Ländern (Niederlande, Vereinigtes Königreich, USA, Frankreich, Italien, Spanien, Belgien, Dänemark, Malaysia, Serbien, Deutschland, Curacao und Australien) nahmen an dem Workshop teil. Zu den Teilnehmern zählten (junge) Wissenschaftler und klinische Experten auf dem Gebiet der entzündlichen Neuropathien und eine Patientenvertreterin der Patientenorganisation "Spierziekten Nederland" und der GBS/CIDP Foundation International.

Hintergrund

Die chronisch inflammatorische demyelinisierende Polyradikuloneuropathie (CIDP) ist eine immun-vermittelte Neuropathie, die zu schweren Beeinträchtigungen führt. Die CIDP ist eine bemerkenswert heterogene Erkrankung mit zahlreichen atypischen klinischen Phänotypen. Außerdem werden trotz verschiedener Diagnosekriterien nicht alle Patienten mit einer behandelbaren CIDP identifiziert. Trotz erwiesener effektiver Behandlungsmöglichkeiten, sind bislang keine klinischen oder biologischen Parameter verfügbar, die das Therapieansprechen, die Krankheitsaktivität und die Prognose vorhersagen können. Weitere Forschung ist dringend nötig, um die diagnostische klinische und elektrophysiologische Abgrenzung der CIDP und ihrer Subtypen zu definieren und um die Rolle der Biomarker (z.B. Nervenultraschall, Blutmarker) zur Unterstützung der Diagnose festzulegen, die Krankheitsaktivität zu messen und das Therapieansprechen und die Langzeitprognose vorherzusagen.

Das Angehen dieser wissenschaftlichen Fragestellung erfordert die Durchführung einer prospektiven Studie an einer großen Gruppe gut definierter CIDP-Patienten mit langfristigem Follow-up, um in höchstem Maße standardisierte klinische Daten, elektrophysiologische Daten und Biomaterialien zu gewinnen.

In den letzten Jahren wurden einige nationale Register und Biobanken entwickelt, um die systematische Datensammlung bei der CIDP zu ermöglichen. Jedoch werden diese Register

selbst in den großen Ländern nicht in der Lage sein, eine ausreichende Zahl an Patienten einzuschließen, um die wichtigsten der oben genannten Fragestellungen zu beantworten. Ein internationales Register mit einer sehr großen Anzahl an Patienten ist daher nötig, um validierte prognostische Modelle zur Vorhersage der Prognose bei einzelnen CIDP-Patienten zu ermöglichen.

Ziel des Workshops

Einen internationalen Konsens über den Einschluss von CIDP-Patienten und die Gewinnung von klinischen und diagnostischen Daten und Biomaterialien zu finden

Ergebnisse

Acht nationale CIDP-Register wurden verglichen, um die Infrastruktur und die erhobenen klinischen Daten, diagnostischen Daten und Biomaterialien zu bewerten.

- Einschlusskriterium: klinischer Verdacht auf CIDP; Ausschlusskriterium: andere Diagnosen.
- Umfassende Basisparameter zur Definition der klinischen und diagnostischen Charakterisierung von Patienten und minimale klinische Kerndaten müssen noch definiert werden. Flexible Follow-up-Visiten mit bevorzugt mindestens zweijährlichem Follow-up. Minimale Parameter zum Follow-up: a) Griffstärke, Fatigue, Behinderung (INCAT und RODS), Lebensqualität (EuroQol) bei allen Teilnehmern und b) Parameter der Einschränkungen, basierend auf individuellen Patientenmerkmalen nach Ermessen des Arztes.
- Ein Minimalprogramm für Neurographien wurde vorgeschlagen.
- Die Asservierung von Biomaterialien (Serum, Liquor, Nervenbiopsien) sollte nach standardisierten Protokollen erfolgen mit zumindest Serumasservierung bei Einschluss in das Register. Die Biomaterialien werden in den teilnehmenden Zentren oder in koordinierenden Zentren gelagert.
- Infrastruktur: es wird eine zentrale Datenbank (INCbase) erstellt werden, in die Daten der bestehenden Datenbanken hochgeladen werden können. Einige Voraussetzungen für INCbase wurden definiert. Bestehende Register und Datenbanken bestehen weiter.
- Alle Zentren bleiben Besitzer ihrer Daten und können Daten aus INCbase entfernen.
-

Vorgeschlagene Pläne:

- Eine Arbeitsgruppe um A) die Daten der bestehenden CIDP-Register zusammenzuführen; B) die bestehenden Registerprotokolle zu vereinheitlichen C) eine zentrale Datenbank einzurichten.
- Die Arbeitsgruppe hat einen Zeitplan für die Entwicklung und abschließende Einrichtung des Registers vorgeschlagen, mit dem Plan den ersten neuen CIDP-Patienten im März 2018 in das Register einzuschließen.

- Informationen zum vorgeschlagenen Konsens/Registerprotokoll werden beim kommenden PNS-Meeting präsentiert und diskutiert werden.

-

Teilnehmer:

Dr. S. Reddel (Sydney, Australien), Prof. Dr. J. Vallat (Limoges, Frankreich), Prof. Dr. J. Antoine (Saint-Etienne, Frankreich), Dr. J. Allen (Minnesota, USA), Dr. I. Basta (Belgrad, Serbien), Prof. Dr. A. Uncini (Chieti, Italien), Dr. K. Doppler (Würzburg, Deutschland), Dr. R. Hadden (London, UK), Dr. T. Harbo (Aarhus, Dänemark), Dr. H. Lehmann (Köln, Deutschland), Prof. Dr. P. Van den Bergh (Brüssel, Belgien), Prof. Dr. D. Cornblath (Baltimore, USA), Dr. S. Goedee (Utrecht, Niederlande), Dr. M. Lunn (London, UK), Dr. I. Merkies (Maastricht, Niederlande), Prof. Dr. E. Nobile-Orazio (Mailand, Italien), Prof. Dr. B. Jacobs (Rotterdam, Niederlande), Mrs. P. Blomkwist-Markens (GBS/CIDP Foundation International, Patientenvertreterin), Drs. FL. Hiew (Kuala Lumpur, Malaysia), Drs. M. Adrichem (PhD-Student Amsterdam, Niederlande), Drs. C. Bunschoten (PhD-Studentin Rotterdam, Niederlande), Prof. Dr. Y. Rajabally (Birmingham, UK), Dr. L. Querol (Barcelona, Spanien) und Dr. F. Eftimov (Amsterdam, Niederlande).

Ein kompletter Bericht dieses ENMC-Workshops wird in Neuromuscular Disorders veröffentlicht werden.