

Fünfte EB-Clinet Konferenz in Wien: Zwei innovative Therapien zur Behandlung von Schmetterlingskindern im Fokus

Wien, 21. Oktober 2024 – Die 5. EB-Clinet Konferenz fand von 17. bis 18. Oktober 2024 im Vienna Marriott Hotel in Wien statt und brachte rund 270 TeilnehmerInnen aus 31 Ländern zusammen, um sich über die neuesten Entwicklungen im Bereich klinischer Studien und der Behandlung von PatientInnen mit Epidermolysis bullosa (EB) auszutauschen. Im Blickpunkt standen besonders zwei innovative Therapien, die unter Beteiligung von PatientInnen bzw. PatientenvertreterInnen entwickelt wurden und eine spezifische Behandlung von „Schmetterlingskindern“ ermöglichen.

Österreichische Initiative EB-Clinet vernetzt ExpertInnen weltweit

Epidermolysis bullosa (EB) ist eine angeborene, folgenschwere und derzeit (noch) nicht heilbare Hauterkrankung. Bei den so genannten „Schmetterlingskindern“ ist eine Genveränderung Ursache für die extrem verletzbare Haut. Schon geringste mechanische Belastungen führen zu Blasenbildung, Wunden und Schmerzen.

Aufgrund der Seltenheit der Erkrankung und der Vielfalt an Symptomen ist der Erfahrungsschatz einzelner KlinikerInnen und anderer Gesundheitsdienstleister weltweit begrenzt. „Schmetterlingskinder“ machen mitunter einen jahrelangen Leidensweg durch, weil es nur vereinzelt medizinische SpezialistInnen für Diagnose, Behandlung und Betreuung gibt. Der internationale Austausch ist deshalb entscheidend, um die Erfahrung der wenigen EB-ExpertInnen weltweit zu bündeln und die Versorgung der PatientInnen zu verbessern.

Damit diese Herausforderung bewältigt werden kann, wurde 2011 am EB-Haus Austria – der Spezialklinik für „Schmetterlingskinder“ – eine einzigartige Initiative gestartet: das weltumspannende klinische Netzwerk EB-Clinet. Von Anfang an wurde die Initiative von der Patientenorganisation DEBRA Austria finanziert.

Aktuell verfügt das EB-Clinet Netzwerk über 125 aktive Kontakte in 56 Ländern. Dazu zählen vor allem ÄrztInnen und anderes medizinisches Personal. „Langfristiges Ziel ist es, in jedem Land der Welt zumindest einen Erstansprechpartner für EB-PatientInnen und -Patienten zu haben, um Betroffene ohne aufreibende Reisen, Sprachbarrieren oder finanzielle Hürden im eigenen Land mit hoher Qualität auf ihrem oftmals beschwerlichen Lebensweg zu begleiten“, kennt Dr.ⁱⁿ Sophie Kitzmüller, Leiterin von EB-Clinet und der EB-Akademie am EB-Haus Austria, die Ziele. Außerdem liegt ein Schwerpunkt auf dem Angebot von Weiterbildungsmöglichkeiten, um durch gut geschulte MedizinerInnen und Gesundheitsdienstleister neben bestmöglicher Patientenbetreuung auch klinische Forschung und Innovation voranzutreiben. Regelmäßige Konferenzen sind dabei ein zentraler Bestandteil des Netzwerks.

Neue Medikamente im Fokus der Konferenz

Der Fokus der heurigen 5. EB-Clinet Konferenz in Wien lag auf den neuesten Entwicklungen im Bereich der klinischen Studien und der Behandlung von EB-PatientInnen. Wichtige MeinungsbildnerInnen und ExpertInnen aus Klinik und Pflege sowie VertreterInnen der Pharmaindustrie und Patientenorganisationen konnten sich in spannenden Vorträgen und offenen Diskussionsrunden austauschen. Langjährige EB-SpezialistInnen ließen GesundheitsexpertInnen der nächsten Generation an ihrem Fachwissen teilhaben. So soll auch in Zukunft die bestmögliche Versorgungsqualität bei EB sichergestellt werden.

Besonders im Blickpunkt standen zwei neue und vielversprechende Medikamente. Eines fördert – basierend auf einem Birkenrindenextrakt – die Wundheilung und wurde von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) sowie von der US Food and Drug Administration (FDA) zur Behandlung von EB zugelassen. Das andere, eine Getherapie zur Anwendung auf Wunden, ist das erste Medikament,

das in den USA für EB-PatientInnen zugelassen wurde und sich derzeit im Prüfprozess in der EU befindet. Das Gel wird direkt auf die Haut aufgetragen und bringt dort funktionsfähige Kopien eines fehlerhaften oder fehlenden Gens ein. Dadurch wird die genetische Ursache der Erkrankung kurzfristig behoben. Diese Anwendung bietet jedoch keine dauerhafte Heilung und das Gel muss immer wieder angewendet werden.

Die Konferenz bot nicht nur Raum für Austausch zu Best-Practice-Ansätzen und aktuellen Behandlungsstandards, sondern gab ExpertInnen auch die Möglichkeit, persönliche Gespräche über Versorgungslücken zu führen und Ideen für deren Überwindung zu entwickeln. Die Vernetzung im Bereich der klinischen Forschung ist von entscheidender Bedeutung, um die besten Behandlungsmethoden für EB-PatientInnen zu identifizieren und zu implementieren.

„Die Entwicklung neuer Behandlungsoptionen ist gerade bei seltenen Erkrankungen wie EB im Alleingang unmöglich. Deshalb ist es wichtig, Plattformen zu bieten, die Austausch und Ideenentwicklung fördern. Die EB-Clinet Konferenz bietet dafür die ideale Möglichkeit und sichert die Aus- und Weiterbildung der nächsten Generation von Expertinnen und Experten“, so Sophie Kitzmüller.

Auswirkung bei Behörden, Erstattem und Pharmaindustrie

Die Entwicklungen in der medizinischen EB-Community zeigen, dass der gemeinsame Einsatz aller Beteiligten auch bei seltenen Erkrankungen zur erfolgreichen Zulassung neuer Medikamente führen kann. Die 5. EB-Clinet Konferenz bot eine ideale Plattform, um den Fortschritt weiter voranzutreiben und zur Beschleunigung in der Entwicklung neuer Behandlungsansätze beizutragen: Dieses sichtbare Zeichen aus dem Bereich seltener Erkrankungen wird seine Wirkung auch bei Zulassungsbehörden, Sozialversicherungen und in der Pharmaindustrie entfalten.

www.eb-clinet.org

Rückfragen & Kontakt:

DEBRA Austria
Sabine Schmid
+43 1 876 40 30 - 12
sabine.schmid@debra-austria.org
www.debra-austria.org

Epidermolysis bullosa (EB) zählt zu den seltenen Erkrankungen

In Österreich leben rund 500 Menschen, in Europa rund 30.000 Menschen mit der Erkrankung Epidermolysis bullosa (EB). Betroffene werden als „Schmetterlingskinder“ bezeichnet, da ihre Haut so verletzlich wie die Flügel eines Schmetterlings ist. EB bewirkt, dass die Haut bei der kleinsten Berührung Blasen bildet oder sogar reißt. Aufgrund einer Genveränderung werden bestimmte Proteine fehlerhaft oder gar nicht ausgebildet, dadurch fehlt der Zusammenhalt der Hautschichten.

DEBRA Austria, Hilfe bei Epidermolysis bullosa:

DEBRA Austria wurde 1995 als Selbsthilfegruppe von Betroffenen, Angehörigen und ÄrztInnen mit dem Ziel gegründet, Erfahrungsaustausch und Hilfe für Menschen mit EB zu organisieren. Der Verein hat sich zum Ziel gesetzt, kompetente medizinische Versorgung für die „Schmetterlingskinder“ zu ermöglichen und durch gezielte, erstklassige Forschung die Chance auf Heilung zu erhöhen. Auf Initiative von DEBRA Austria und mit Spenden wurde 2005 die weltweit einzige Spezialklinik für „Schmetterlingskinder“ – das EB-Haus Austria – am Salzburger Universitätsklinikum eröffnet und kommt seither für den

laufenden Betrieb auf. 2017 wurde diese Einrichtung zum ersten österreichischen Expertisezentrum für seltene Erkrankungen designiert.