

Registernetz.de Antrag beim BMBF im Rahmen der Ausschreibung „Instrumentenentwicklung“

Thomas Wagner
Pneumologie / Allergologie
Goethe-Universität Frankfurt am Main
Achse e.V., Dachorganisation der
Patientenorganisationen für die Seltenen
Erkrankungen

Ziele/Vision

Alle Seltenen Erkrankungen haben ihre eigenen Register

Alle Register für Seltene Erkrankungen erfüllen die gleichen hohen Anforderungen an Sicherheit und Qualität der Daten

Alle Daten zu allen Seltenen Erkrankungen sind nach den gleichen Regeln für die Forschung zugänglich

Begründung der Nicht- Förderung (Antragstellung Dez. 2009)

... Es handelt sich um ein primär versorgungsrelevantes Projekt ohne nachvollziehbaren, belegten Forschungsbezug. Unklar sind weiterhin die Aussagen zur Nachhaltigkeit des Registers. ...

Beide Punkte sind sicher Stärken der Projektidee, offensichtlich müssen wir das besser „rüber“ bringen...

Seltene Erkrankungen (SE)

Europäische Definition: 5 oder weniger
Betroffene von 10.000

Viele genetisch bedingte Erkrankungen

In Deutschland Gruppen von max. 40.000 bis zu
einzelnen Betroffenen

Man unterscheidet mehr als 7.000 SE

Insgesamt ca. 4 Millionen Betroffene

Register für Seltene Erkrankungen (SE in der EU \leq 5 : 10.000)

- Je seltener die Erkrankung, desto wichtiger ist ein Register für die Forschung
- Wer hat ein (nachhaltiges) Interesse?

Patienten	+++	immer
Wissenschaftler	+++	für eigene Projekte
Politik	zunehmend	EU
Pharmaindustrie	+++	Markt/Studien

Register für Seltene Erkrankungen

www.pneumo-frankfurt.de



WORKSHOP ON PATIENTS' REGISTRIES FOR RARE DISORDERS

Need for data collection to increase knowledge on rare diseases and foster research has been widely recognized...

18-19 March 2009
FPS Employment, Labour and Social Dialogue
Brussels, Belgium

Weshalb Register für Seltene Erkrankungen?

(Gutachten Maßnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland, BMG)

-systematischer Aufbau bzw. ein Ausbau bestehender Register könnte die Versorgung von Patienten mit Seltenen Erkrankungen im Zuge einer Wissenserhöhung verbessern...
- ...Konstitutive Elemente eines europäischen Referenznetzwerkes sind eine Netzwerkadministration, Patientenregister, Biobanken, Informationsservice, eine Vernetzung für klinische Studien sowie Schnittstellen zur Grundlagen- und translationalen Forschung...

Wissenschaftlicher Nutzen von Registern

Epidemiologie

Articles

Comparative demographics of the European cystic fibrosis population: a cross-sectional database analysis



*Jonathan McCormick, Gita Mehta, Hanne V Olesen, Laura Viviani, Milan Macek Jr, Anil Mehta, on behalf of the European Registry Working Group**

Summary

Background Country-specific patients' registries are rarely used to make international comparisons because of protocol discrepancies in data collation. We present data from a European cystic fibrosis registry that is dedicated to collection of demographic data, and assess whether the resources available in countries with and without European Union (EU) membership affects care and survival of patients.

Lancet 2010; 375: 1007-13

*Members listed at end of paper

Centre for Academic Clinical Practice, Division of Clinical

Wissenschaftlicher Nutzen von Registern

Outcomefaktoren nach Lungentransplantation



NIH
Author

JAMA. Author manuscript; available in PMC 2008 August 29.

Published in final edited form as:

JAMA. 2001 December 5; 286(21): 2683–2689. doi:10.1001/jama.286.21.2683.

Survival Effect of Lung Transplantation Among Patients With Cystic Fibrosis

Theodore G. Liou, MD, Frederick R. Adler, PhD, Barbara C. Cahill, MD, Stacey C. FitzSimmons, PhD, David Huang, DPH, Jonathan R. Hibbs, MD, and Bruce C. Marshall, MD

Ziele/Vision

Für alle Seltenen Erkrankungen gibt es Register

Alle Register für Seltene Erkrankungen erfüllen die gleichen hohen Anforderungen an Sicherheit und Qualität der Daten

Alle Daten zu allen Seltenen Erkrankungen sind nach den gleichen Regeln für die Forschung zugänglich

Mukoviszidose als Modell

- Mukoviszidose-Register
 - ZQ LÄK Niedersachsen
 - Seit 1995
 - 7.560 Patienten dokumentiert
 - Aggregierte Daten → ECFS registry
 - Benchmarking
 - Clinical trials network
 - Eingebunden in KIS und in den normalen Workflow

Unterstützende Organisation

Achse e.V.

Bundesweit tätiger Dachverband der
POs (ca. 100 Mitgliedsverbände)

Weitere Partner:

zwei Patientenorganisationen

Fanconi-Hilfe (n= 180)

Sarkoidose (n= 12.000)

ZSE Tübingen mit 8 Spezialambulanzen

Zwei Projektteile:

I. Entwicklung eines verpflichtenden „code of conduct“ für die Register Seltener Erkrankungen

- Zugang/Nutzung/Pseudonymisierung
- Besitzrecht/Nachhaltigkeit etc.

II. Entwicklung einer generischen Software und IT-Infrastruktur

- Kostenlose Nutzung für POs
- Geringer krankheitsspezifischer Anpassungsaufwand

Fragen für heute (1)

1. Kann man überhaupt eine generische Lösung realisieren?
2. Wo ist die Klippe: Umwandlung oder krankheitsspezifische Anpassung?
3. „Öffentliche“ versus „KIS-integrierte“ Lösung?
Vorteile/Nachteile/Kosten
4. Gibt es eine bessere Lösung als DPV2/muko.dok?

Fragen für heute (2)

5. Schnittstelle zu Biomaterialien?
6. Anpassung an künftige Entwicklungen/Anforderungen?
7. Anpassung an spezifischen Workflow (Integration von Arztbriefmodul etc.) sehr aufwändig?
8. Wie geht es weiter?
Generische Software mit geringem krankheitspez. Anpassungsaufwand und integrierten Komfortfunktionen?