



Leben mit CMT

Die Mitgliederzeitung von CMT-Austria – der Interessensgemeinschaft für Patienten mit vererbter Polyneuropathie (Charcot-Marie-Tooth-Syndrom)

Hotline: 0676/6601851
www.cmt-austria.at

Ausgabe 04
März 2020

Internationaler Austausch von CMT-Betroffenen

Bei der CMT-Austria Herbsttagung in Bregenz durften wir CMT-Betroffene aus Österreich, Deutschland, der Schweiz und aus Frankreich begrüßen.



*Einige CMT-Vorstandsmitglieder mit Partner*innen und der Präsident der ECMTF mit Gattin beim abendlichen Spaziergang am Bodenseehafen in Bregenz.*

Die CMT-Austria Herbsttagung ist alljährlich der große Höhepunkt des Vereinsjahres. Die Organisation und Abwicklung dieser Veranstaltung ist jedes Mal eine Herausforderung für die Vorstandsmitglieder und nimmt viel Zeit und Kraft in Anspruch.

Umso mehr freuen wir uns über die Annahme, den zahlreichen Besuch und das positive Feedback.

2019 fand die Herbsttagung in Bregenz statt. Durch die geographische Lage am Dreiländereck

VORANKÜNDIGUNG!

*CMT-Herbsttagung 2020
am Samstag, 03. Oktober in
der Klinik Wilhering in Linz!*

TERMIN VORMERKEN!

bot sich hier eine gute Möglichkeit sich mit Betroffenen aus den Nachbarländern zu vernetzen. So nahmen bei der Tagung auch Betroffene aus Deutschland und der Schweiz teil. Besonders freuten wir uns über den Besuch aus Frankreich. Daniel Tanesse ist der Präsident der Europäischen CMT Föderation (ECMTF), die nationale CMT-Selbsthilfvereine in einer europäischen Dachorganisation vereint. Tanesse, der auch Vizepräsident der französischen Vereins CMT-France ist, war mit seiner Frau Marina angereist, um über die Projekte und Öffentlichkeitskampagnen der ECMTF zu berichten. CMT-Austria ist seit 2019 auch ordentliches Mitglied der Europäischen CMT Föderation.

Vorwort der Obfrau



Liebe Mitglieder von CMT Austria!

Der Kalender zeigt heute den 29. Februar. Ein Datum, das „selten“ ist. Es kommt nur alle vier Jahre vor und in Österreich feiern aktuell 5574 Personen an diesem Tag ihren Geburtstag.

Genau dieser Tag wurde europaweit zum Tag der „rare diseases“ ausgerufen. Zur „häufigsten“ dieser „seltenen Erkrankungen“ zählt CMT. In Österreich entspricht die Zahl der (diagnostizierten) Betroffenen in etwa genau der Zahl der Geburtstagskinder. (Die Dunkelziffer ist um ein Vielfaches höher.) Mit diesem Tag bekommt auch CMT eine Stimme!

Es tut sich einiges! CMT Austria ist als Mitglied von ECMTF vernetzt. Es wurde eine europaweite Kampagne gestartet, um CMT bekannt zu machen. Mit dieser neuen Ausgabe der CMT-Zeitung können Sie sich davon in den folgenden Seiten überzeugen. Erinnern Sie sich an eine sehr bunte informative Herbsttagung in Bregenz zurück. Probieren Sie die vielen praktischen Anregungen aus, treten Sie mit den Fachärzten und Therapeuten in Kontakt. Tauschen Sie sich bei den Stammtischen aus, besuchen Sie unsere Homepage, verteilen Sie unsere Folder. Informieren Sie sich bei unserer Hotline.

Eines ist bereits bei vielen Typen von CMT erwiesen: Je früher die Diagnose, desto früher und gezielter kann auch mit entsprechenden Therapien begonnen werden und das Fortschreiten der Krankheit oft über Jahre hinausgezögert werden.

Deshalb: Seien auch Sie eine „Stimme“! Denn nur „gemeinsam sind wir stark!“.

In diesem Sinne einen guten Start in den Frühling und auf Wiedersehen bei der Herbsttagung 2020 in Wilhering.

Silvia Kandler

CMT Herbsttagung in Bregenz

Konkrete Tipps, CMT-spezifische Fachvorträge und informative Präsentationen, 100 Interessierte aus Nah und Fern, mit dem Feedback: Wollt ihr nicht das nächste Mal zwei Tage daraus machen? – Das war die CMT-Herbsttagung in Bregenz.

Die Vorbereitungen für die Herbsttagung begannen bereits ein Jahr davor.

In Bregenz trifft sich, unter der Leitung von Jasna Vučan, seit vielen Jahren regelmäßig eine sehr aktive Gruppe beim „Stammtisch“. Auch aus dem angrenzenden Deutschland und der Schweiz gibt es einige Mitglieder, deren Anliegen es ist, verstärkt mit CMT Austria in Verbindung zu treten. Das war der Anlass, als Austragungsort unserer Herbsttagung, den westlichsten Teil von Österreich zu wählen. Als besondere Gäste durften wir auch den Leiter des europäischen Dachverbandes ECMTF, Danielle Tanesse und eine Gruppe der Selbsthilfe Polyneuropathie Tirol begrüßen.

Gentests

Großer Dank gilt unserer Schirmherrin Prof. Michaela Auer-Grumbach. Sie forscht seit Jahrzehnten und steht „ihren“ CMT Patienten mit Rat und Tat zur Seite. Nicht zuletzt, dank ihrer Arbeit, ist das Abklärungsverfahren - von früher zwei Wochen - auf mittlerweile einen Ambulanzbesuch gesunken.

Sie berichtet in ihrem Beitrag, dass auf das EMG (ein schmerzhafter Test mit Nadeln) bzw. Biopsien durch die Gentests mittlerweile weitestgehend verzichtet werden kann. Sehr wichtig sei die Diagnostik aber nach wie vor, da man nur so eine gezielte und richtige Behandlung einleiten kann. Unnötige Operationen, wie z.B. am Karpaltunnel könnten vermieden werden.



Der bis zum letzten Platz gefüllte Veranstaltungssaal im Hotel Lamm in Bregenz!

Prof. Auer Grumbach betonte, dass CMT sehr heterogen ist, also ganz unterschiedliche Verläufe und Beeinträchtigungen zeigt. Jeden Monat werden ein bis zwei neue Formen gefunden. Einige davon zeigen erst einen sehr späten Beginn.

Ein Rat unserer Redakteurin Barbara Chaloupek:

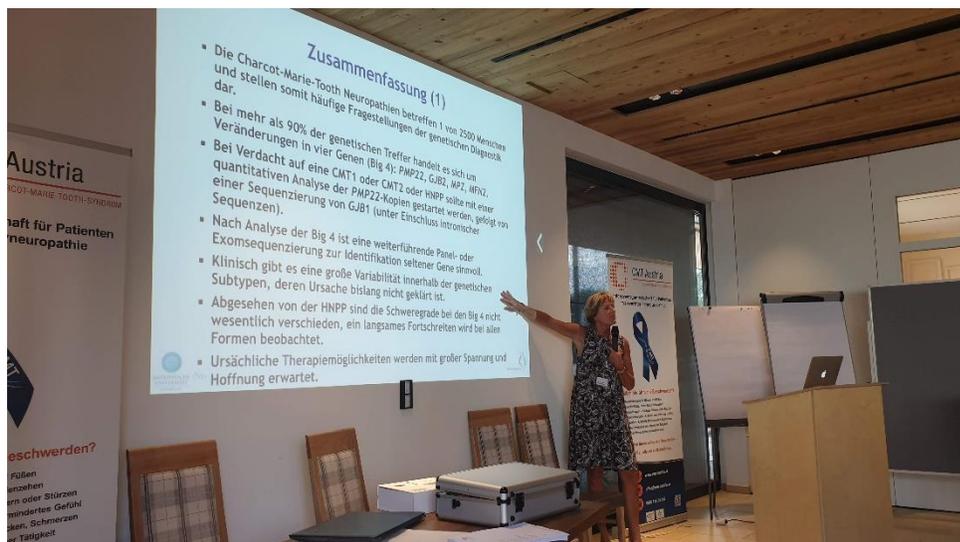
„Gerade ältere Menschen hören oft, dass sie bei Polyneuropathie-Symptomen „damit leben“ müssen und man nichts machen könne. Wir wollen Menschen motivieren, auch wenn sie schon 60+ sind, einen Gentest zu machen und sich frühzeitig, in einer spezialisierten Rehaklinik, Unterstützung zu holen: Kraft lässt sich durch Training erhalten. Gleichgewicht lässt sich üben. Sensibilität lässt sich üben bzw. locken. So bleiben Funktion und Lebensqualität lange erhalten!“

CMT 1A häufigster Typ

Der häufigste Subtyp ist CMT 1A, mit einem Anteil von 50 bis 60 Prozent. CMT 1A kann im Alter zwischen fünf und 20 Jahren auftreten. Die Nervenbahnen verdicken sich, bis, im besonderen Fall, bei der NLG (Nervenleitgeschwindigkeitsmessung) nichts mehr darstellbar ist. Auch hier gilt: Die genetische Disposition kann, muss aber nicht zu Beeinträchtigungen führen. Prof. Auer-Grumbach berichtete von Familien, bei deren Gentests an älteren Familienmitgliedern sehr wohl die genetische Veränderung CMT 1A nachweisbar, aber kaum Symptome sichtbar waren.

CMT-Sprechstunden ausgebaut

Die CMT-Sprechstunden in Innsbruck wurden ausgebaut. In Feldkirch werden sie jetzt angeboten. Mit dieser guten Nachricht leitete Prof. Dr. Sabine Rudnik ihren Vortrag ein.



Mittlerweile sind über 80 Genstellen erforscht und die genetische Aufklärungsrate liegt somit bei 50 bis 70 Prozent. Die Forschung geht nun dahin, auch die Zwischenräume der Gene zu betrachten. Ziel ist, für die häufigsten Varianten (gen)therapeutische Maßnahmen zu finden. Diese gibt es bereits (z.B. durch eine Spritzen Therapie ins Nervenwasser des Rückenmarks) für andere neurologische Erkrankungen.

Anmerkung der Redaktion: *„Bitte unterstützen Sie die Forschung, indem Sie sich in Forscherdaten-banken registrieren lassen und bei passendem Typ auch so mitwirken können. Voraussetzung ist ein Gentest mit positivem Ergebnis.“*

Eine genauere Vorstellung der „Big 4“ anhand der Präsentation von Frau Prof. Rudnik planen wir für die nächste Ausgabe.

CMT und Schwangerschaft

Eine weitere wissenschaftliche Arbeit, an der Prof. Rudnik mitwirkte, betraf CMT und Schwangerschaft. Sie brachte ein erfreuliches Ergebnis: Es gibt keine Parameter, die darauf hinweisen, dass es erhöhte Risiken in Bezug auf Frühgeburten oder Komplikationen bei Schwangerschaft und Geburten gibt. Untersucht

wurden 100 Schwangere, 60 % davon führten zu Spontangeburt (also nicht Kaiserschnitt), was dem gleichen Prozentsatz der Gesamtgeburtenszahl entspricht. Rudnik sprach wörtlich von „mutmachenden Eindrücken“. Ein Satz einer Mutter fiel besonders auf: „Im Umgang mit der Erkrankung wächst das Selbstbewusstsein!“

Schmerz und Nahrungsergänzung

Bei der Fragenbeantwortung ging es u.a. um Schmerz und um den Wirkstoff Lecithin. Prof. Auer-Grumbach konnte zum Thema Schmerzen beruhigen: „In den meisten Fällen gelingt es bei CMT gut, neuropathische Schmerzen in den Griff zu bekommen, z.B. mittels Bioresonanz oder Hochtontherapie.“ Wichtig sei, einen individuellen Weg zu suchen.

Zum Thema „Lecithin“ antwortete Prof. Rudnik: „Im Versuch mit Mäusen konnten gute Erfolge erzielt werden. Aber Mäuse sind eben keine Menschen...“. Bezüglich Nahrungsergänzung insgesamt gab es folgende Antwort: „Bei einer Überversorgung sei nicht mit Verbesserung zu rechnen. Wichtig sei, nerventoxische Substanzen zu meiden.“

Hilfe in Therapiezentren

Am Nachmittag ging es um konkrete Hilfsangebote. Raphaela Borg stellte das Therapiezentrum Bregenz vor und präsentierte einen ganzheitlichen Behandlungsansatz. Gemeinsam vereinbaren Patienten und Betreuer ein Therapieziel. Dies soll realistisch und erreichbar sein und vom Patienten seine positive Zustimmung finden. Danach wird gemeinsam mit z.B. Physiotherapeuten, Psychologen und Orthopädie-Schuhmachern ein Therapieplan entwickelt.

Gehen eine komplexe Sache

Der Prozess „Gehen“ ist eine äußerst komplexe Sache, an dem viele Muskelgruppen und Hebelgesetze, gesteuert durch unser Gehirn, ihren Anteil haben. Das zeigte sich sehr eindrucksvoll bei der Ganganalyse von Barbara Linert, Physiotherapeutin und leitende Therapeutin für die Neurologie im RHZ Münster. Die gute Nachricht: Man kann an vielen „Schräubchen“ drehen, um das Gangbild zu verbessern.

Voraussetzung ist natürlich die Muskulatur, wobei nicht nur das Anspannen, sondern auch das Nachlassen ein wichtiger Prozess ist. Selbstverständliches Gehen (ohne Nachdenken) ist übrigens eine

Gleichgewichtsreaktion des Körpers. Man unterscheidet acht „Gangphasen“. Es gibt z.B. Schwungphasen und Katapulte („explosiv nach oben“) und man muss sich eigentlich erst zum Bremsen wieder anstrengen.

Trainingsziel: „Etwas anstrengend“

Physiotherapeutin Barbara Linert riet auch zum Einsatz von Orthesen und zeigte in einem Video, dass damit in vielen Fällen „einfach mehr möglich“ sei. Um die Fatigue (Ermüdung der Nerven durch Übertrainieren) in Zaum zu halten, gab sie diese „Regel“ für jede Art Training aus: Das Ziel ist „etwas anstrengend“.

Anmerkung der Redaktion:

„Das Video ist in der CMT-Erfahrungsdatenbank für registrierte Mitglieder abrufbar, der Prozess ist profund analysiert und sehr lebendig vorgebracht, ein wirklicher Linktipp!“

Allgemeines Wohlbefinden

Apotheker Rudi Pfeiffer zeigte durch einfache Muskeltests, wie hoch das Potential an Störfaktoren ist, die das Befinden zusätzlich zur CMT beeinträchtigen. Die Zigarettenpackung, das Handy direkt am Körper getragen, raffinierter weißer Zucker - sie sind Energieräuber und können erheblich schwächenden



Mag. Rudolf Pfeiffer (rechts) bei einer Austestung mit Muskeltest

Einfluss haben. Es gibt wirksame Hilfen aus dem Pflanzenreich, wie zum Beispiel die Rosenwurzel. Sie hilft dem Körper, mit Stress „richtig“ umzugehen.

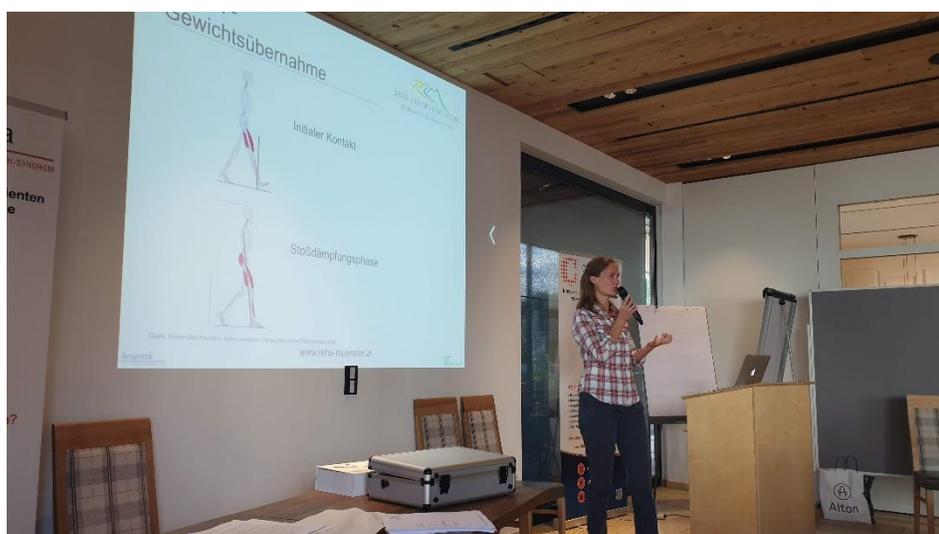
Doch auch hier gilt es, die Substanz, die individuell hilft, zu finden. Zum Beispiel geschieht dies durch einen Muskeltest.



v.l.: Marina Brocca und Daniel Tanesse von der ECMTF mit Dolmetscherin Anita Töchterle

Europäischer Dachverband für CMT (ECMTF)

Gegen Ende der Veranstaltung gab es noch einen Ausblick über den Zusammenschluss der CMT-Selbsthilfegruppen auf europäischer Ebene. CMT Austria ist seit 2019 Mitglied und hat dazu den Präsidenten Daniel Tanesse eingeladen. Er stellte die verschiedenen Ziele des Dachverbandes, CMT weltweit bekannter zu machen, vor. Eine professionelle Awareness-Kampagne, wird auch österreichische Ärzte informieren. ■



Neues CMT-Austria Erklärvideo

„Unser Video geht durch die Decke“ - Binnen weniger Stunden nach der Veröffentlichung war das Video über 70x geteilt und an die 3.000 Mal angeklickt. Üblicher Weise sehen ca. 100 - 200 Menschen unsere Beiträge auf Facebook an.

Information für Ärzt*innen und Therapeut*innen:

Sie erfahren, was die Krankheit CMT bedeutet und dass es wirksame Hilfen gibt. Oft müssen Betroffene auch von Fachärzt*innen nur ein Schulterzucken hinnehmen. Das lässt viele Betroffene verzweifeln oder die schlechte Nachricht einfach von sich schieben. Dabei ist aktiver Umgang mit der Krankheit wichtig. Wird die Krankheit am Beginn diagnostiziert, kann man aktiv dagegenwirken, Muskeln erhalten und das Fortschreiten eventuell verlangsamen.

Motivation für Betroffene und Angehörige

Für Betroffene, Angehörige und Menschen mit „Verdacht“ auf CMT soll das Video motivieren, den Kontakt mit der Selbsthilfegruppe zu suchen. Es stellt nicht die Defizite in den Vordergrund, sondern die Möglichkeiten und Aktivitäten, mit der Krankheit „gut“ zu leben.

Wir haben uns dazu an wirklichen Personen (mit geänderten Namen) aus dem Vorstand orientiert. Drei Protagonist*innen - Susanne, Robert und Doris - haben unterschiedliche Ausprägungen und gehen unterschiedlich mit der Krankheit um.

Professionisten am Werk

2019 wurde uns vom österreichischen Dachverband der Selbsthilfegruppen (ÖKUSS), dankenswerterweise die finanzielle Unterstützung zur Herstellung des Videos gewährt.

In der Folge wurde im Vorstand intensiv am Skript gearbeitet.



Der Auftrag zur visuellen Umsetzung ging schließlich an Adnan Popovic,



einen Trickfilmer, der auch künstlerisch tätig ist. Er gewann beim BEST

AUSTRIAN ANIMATION

2011-2016 TOUR-PROGRAMM mit einem seiner

Filme den Publikumspreis und ist auch in der Vermittlung von Medienkompetenz für Schüler tätig. Zur Umsetzung des Videos nahm er sich sehr viel Zeit, um z.B. die Gangart von CMT-Patienten genau zu studieren und dafür mögliche Bildvarianten zu wählen. Wir danken ihm für die gut strukturierte und angenehme Zusammenarbeit.

Als „Stimme“ konnten wir Johanna Machart gewinnen, die ihre Schauspielausbildung bei Elfriede Ott absolvierte und aktuell als Logopädin arbeitet. Ihre Herzlichkeit und Lebensfreude sind hörbar.

Kommentare zum Video

Unni: „Sehr informativ!“

Veronika: „Super gemacht!“

Herwig: „Jetzt verstehe ich besser, was du hast!“

Renate: „Das ist sehr bildhaft und eingängig erklärt - die Optik spricht mich auch sehr an und verstärkt die Stimme.... Man bekommt in ganz kurzer Zeit ein Bild von dieser Krankheit. Es wirkt auch sehr positiv!

Großartig!“ 😊

Bitte teilen

Das Video findet bereits Anwendung im Arbeitskreis Neuro-Physiotherapie und im Lehrbetrieb für angehende Physiotherapeuten der Fachhochschule St. Pölten. Man findet es außerdem auf der Informationsplattform des Allgemeinmediziners Dr. Rebhandl für „seltene Erkrankungen“. Bilder aus dem Video sind wirksame Ankündigungen für CMT Veranstaltungen.

Das Video wird auch beim aktuellen - von ÖKUSS unterstütztem Projekt - zur Information von Schulärzten, helfend zum Einsatz kommen.

Bitte teilen auch Sie das Video bei vielen Gelegenheiten!

Link zum Video: <https://youtu.be/m2Fnm6gkM8> oder auf www.cmt-austria.at

GRUPPENTREFFEN

Oberösterreich:

Im März, Juni, September und November jeweils am 2. Freitag um 18:00 Uhr im Verein Proges in 4600 Wels, Carl-Blum-Straße 3, E-Mail: oberoesterreich@cmt-austria.at

Graz:

Auf Ankündigung in den Räumen der Selbsthilfe Steiermark, 8020 Graz, Lauzilgasse 25/3, Telefon: 0664/9622104, E-Mail: graz@cmt-austria.at

Vorarlberg:

Jeden vorletzten Dienstag im Monat Lebensraum Bregenz, Clemens-Holzmeister-Gasse 2, Telefon 05574/52700, E-Mail: vorarlberg@cmt-austria.at

Wien:

Zweimal jährlich auf Ankündigung 1220 Wien, Anmeldung Tel. 0699/17 00 00 86 oder E-Mail: wien@cmt-austria.at

Kärnten:

Auf Ankündigung in Klagenfurt und Wolfsberg, Anmeldung unter Tel. 0676/7450616 od. E-Mail: kaernten@cmt-austria.at

Obersteiermark:

Auf Ankündigung, Anmeldung unter Tel. 0676/6601851, E-Mail: anton.schmedler@cmt-austria.at

Wenn auch Sie einen Stammtisch in Ihrer Nähe gründen wollen, melden Sie sich bitte unter Tel. 0676/6601851 oder

office@cmt-austria.at

Spielerisch trainieren - Spieletipps

*Für Menschen mit CMT macht spielen gleich viel Spaß und noch mehr Sinn!
Ein Erfahrungsbericht von Barbara Chaloupek:*

Auf Reha haben wir jeden Abend genutzt, um ausgiebig zu spielen. Dabei haben sich Neuro- und Pulmo-Patientinnen zusammengefunden. Leichte Defizite in der Bewegung gegenüber den „Lungenkranken“ haben sich durch Taktik, Gelassenheit oder die Glücksfaktoren ausgeglichen. Obwohl ich nur zwei Einheiten „richtige“ Ergotherapie hatte (ich habe das gegen Cranio-Behandlungen getauscht) hat Kraftgrad und Greifsicherheit der Hände in den vier Wochen Reha deutlich zugenommen. Und immer war Bauchmuskeltraining dabei - weil es so viel zum Lachen gab...

Stampfen weckt die Lagewahrnehmung. Wer also die **Twister**-Variante „**Hannah Montana**“ mit seinen Enkeln oder Kindern oder etwas ähnliches spielt, hat damit auch gleich eine Therapieeinheit erledigt.



Fotoquelle: Amazon.de

Ebenfalls gut: **Carabande** oder **Pitch Car** (Autorennen, bei dem die Boliden durch eine Holzbahn per Fingerschnipp bewegt werden) oder Geschicklichkeitsspiele wie **Chairs** oder **Jenga**, wenn sie im Stehen gespielt werden.



Fotoquelle: Amazon.de

Für die Hände gibt es drei Spieleempfehlungen:



Ligretto: Jeder hat 40 Karten, durchnummeriert von eins bis zehn und in vier unterschiedlichen Farben. Von den Karten hat man zu Beginn 27 in der Hand. Die müssen immer wieder in 3er Päckchen runter gelegt werden. Und dann gibt es da noch den 10er Stapel auf dem Tisch... Rasch zugreifen, denn alle Mitspieler spielen gleichzeitig! Eine Schachtel kostet ca. 10 €

Das Spiel ist einfach zu lernen und extrem lustig, man kann auch zu zweit spielen. Richtig rasant wird es, wenn es drei oder mehr Spieler sind (bis zu 12 Spieler sind möglich, je nach Tischgröße und Erweiterungspackungen)

Make n`break ist für mich ein absolutes „must have“, man kann es auch allein spielen. Es geht darum, in limitierter Zeit mit zehn Bauklötzchen in unterschiedlichen Farben zu bauen. Wie das Bauwerk auszusehen hat und wie viele Punkte man dafür bekommt gibt ein Aufgabenkärtchen vor. Je mehr Kärtchen man in der Zeit schafft, desto besser: Das Schönste ist das Umschmeißen!

Ich nehme lieber die Taschenversion, da sind die Steine kleiner, also etwas herausfordernder und einer der Mitspieler ist mit Würfeln beschäftigt.

Sehr lustig und fordernd ist auch die Party-Variante. Sie hat nicht nur Quader, sondern auch andere Formen und man baut man zum Teil mit verbundenen Augen, was noch viel mehr Energie in die Hände schickt.

Kostenpunkt: je nach Variante zwischen 6 und 44€

Haben Sie Spieleanregungen für uns? Bitte in der Erfahrungsdatenbank teilen oder per mail an barbara.chaloupek@cmt-austria.at



Make'n brake Party - Fotoquelle: Amazon.de

TIPPS

aus der Erfahrungsdatenbank

Qi-Gong Kugeln

gepostet von Gerfried
in Kategorie Physiotherapie /
Bewegungstherapie / Strom & Klang

Bei meiner letzten Reha konnte ich Erfahrungen in der Ergotherapie mit Qi Gong - Klangkugeln machen. Die Übungen sind sehr rasch erklärt, aber umso wirkungsvoller: zwei Klangkugeln in die Handfläche nehmen und im bzw. gegen den Uhrzeigersinn drehen, wobei alle Finger bei den Drehbewegungen mithelfen sollen. Zuerst die Drehungen so ausführen, dass sich die Kugeln noch berühren dürfen, nach diesem "Aufwärmen" soll versucht werden, die Drehungen so durchzuführen, dass sich die Kugeln nicht mehr berühren. Neben der fühlbaren Erwärmung und guten Durchblutung der Hände (die Übungen sollten abwechselnd mit der linken und der rechten Hand gemacht werden) wirkt diese Übung auch meditativ, vor allem beim ersten Teil, wenn durch das gegenseitige Berühren der Kugeln Klänge entstehen.



Fotoquelle: Amazon.de

Weitere nützlich Erfahrungsberichte finden sie im Mitgliederbereich von www.cmt-austria.at. Wir freuen uns auch auf Ihre Berichte. Gerne können Sie Ihre Tipps auch an postmaster@cmt-austria.at senden.

Neues von der CMT-Forschung

Neuigkeiten über internationale Forschungsprojekte aus dem Internet - KM

Update zu PXT3003

In der Pressemitteilung vom 06.01.2020 von der Firma Pharnext, welche das Medikament PXT3003 für CMT1A entwickelt, wurden die vielversprechenden Ergebnisse der offenen Fortsetzungsstudie veröffentlicht, in welcher alle Patienten aus der Phase-3-Studie mit der Wirksubstanz weiter behandelt werden sollten bzw. konnten.

Es wurden international 185 Patienten eingeschlossen und die Ergebnisse ausgewertet. In allen Untergruppen wurde im Durchschnitt eine Verbesserung des zugrundeliegenden ONLS-Scores (Overall Neuropathy Limitations Scale) erreicht.

Diese Ergebnisse sollen nicht überbewertet werden, da es sich um keine kontrollierte, sondern um eine offene Studie handelte. Dennoch unterstützen diese Daten den Eindruck, dass die Prüfsubstanz PXT3003 über einen längeren Zeitraum eine Wirksamkeit bei CMT1A zeigen könnte.

Pharnext weist in der Mitteilung darauf hin, dass es einer kontrollierten klinischen Studie bedarf, um die Marktzulassung zu erreichen. (Die amerikanische Zulassungsbehörde FDA hatte dies im letzten Jahr gefordert.) Die bestätigende Zulassungsstudie soll in der 2. Jahreshälfte 2020 starten. Es muss abgewartet werden, ob und wie viele Zentren es in Europa geben wird.

Dies bedeutet, dass die Zulassung von PXT3003 als Medikament auf Rezept noch mindestens 3 Jahre dauern kann.

Quellen:
Dr. Werner; Medical Solutions GmbH, Göttingen;
https://www.pharnext.com/images/2020.01.06_PXT3003_extension_study_EN.pdf

Studie über Fuß-OPs bei Kindern mit CMT

In einer Studie untersuchte ein Forscherteam der australischen Universität von Sydney die Auswirkungen der orthopädischen Fußchirurgie auf körperliche Merkmale, Fußkraft, Funktion und allgemeine Lebensqualität bei einer Gruppe von Kindern mit CMT.

Die Studie umfasste 21 Kinder mit CMT, die sich einer orthopädischen Operation unterzogen hatten, um Fußdeformitäten im Durchschnitt im Alter von 12,5 Jahren zu korrigieren.

Alle Kinder wurden vor und nach der Operation (ca. 15,7 Monate danach) untersucht und ihre Ergebnisse mit Daten aus einer Studie verglichen, an der 206 Kinder mit CMT teilnahmen, die keine Operation erhielten. Die Ergebnisse zeigten, dass sich die Fußausrichtung und die Knöchelflexibilität nach der Operation verbesserten und sich beide signifikant von Kindern unterschieden, die keinen Eingriff erhielten.

Ebenso verbesserte sich der Gang (höherer Druck unter der Ferse und der Mitte des Fußes) nach einer orthopädischen Operation signifikant. Darüber hinaus verringerte sich die Anzahl der selbst gemeldeten täglichen Stürze von 60% zu Studienbeginn auf 13% nach der Operation, was auf eine Verbesserung der selbst berichteten Symptome zurückzuführen ist.

Die orthopädische Fußchirurgie hatte jedoch keinen Einfluss auf die Fußstärke, Fußfunktion oder die

allgemeine Lebensqualität der Kinder. Ihre klinischen Ergebnisse waren identisch mit denen von Kindern aus der Naturkundestudie, die keine Intervention erhielten.

„Unsere Ergebnisse zeigen, dass eine Kombination aus Knochen- und Weichteiloperationen die Fußausrichtung, die Knöchelflexibilität, selbst berichtete Stolperfallen und Stürze und die Belastung des Plantardrucks verbessert. Die Operation hatte jedoch keine Auswirkungen auf Kraft, Funktion oder Lebensqualität, was im Allgemeinen den natürlichen Krankheitsverlauf widerspiegelte“, erklärten die Forscher.

Quelle: <https://charcot-marie-toothnews.com/2019/05/30/orthopedic-surgery-fails-to-ameliorate-foot-function-in-cmt-children/>

Impressum:
CMT-Austria e.V. -
Interessensgemeinschaft für
Patienten mit vererbter
Polyneuropathie

8785 Hohentauern, Kirchgasse 2

E-Mail: office@cmt-austria.at
Redaktion: Barbara Chaloupek
und Klaus Mannsberger



Gefördert aus Mitteln der
Sozialversicherung