



ALS-Tag 2018

Edaravone – was ist vom neuen ALS-Medikament zu erwarten

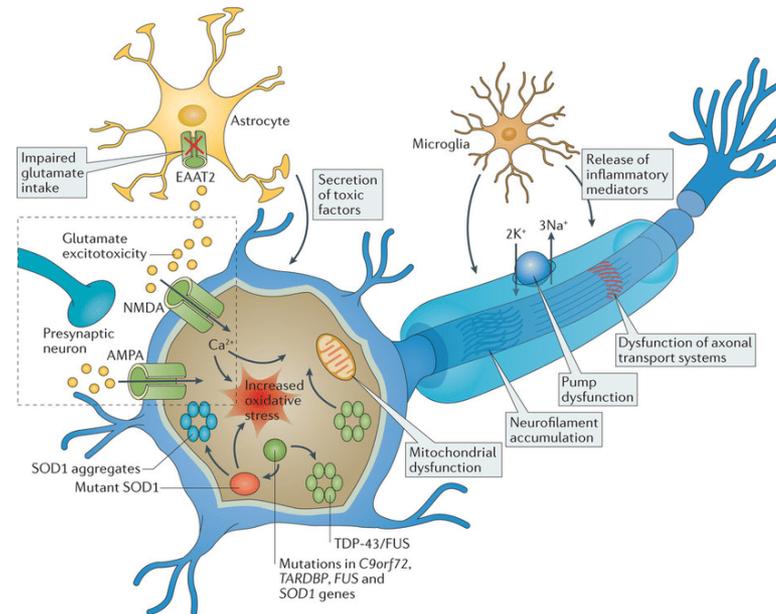
9. ALS-Tag

Samstag, 14. April 2018

Dr. André Maier, Charité – Universitätsmedizin Berlin

Edaravone: Hintergrund

- Einsatz als “neuroprotektive” Substanz als Infusionstherapie nach Schlaganfall seit 2001 in Japan
- Wirkmechanismus: unbekannt
- antioxidative Eigenschaften von Edaravone



Pathophysiological and diagnostic implications of cortical dysfunction in ALS; September 2016; Nature Reviews Neurology 12(11)

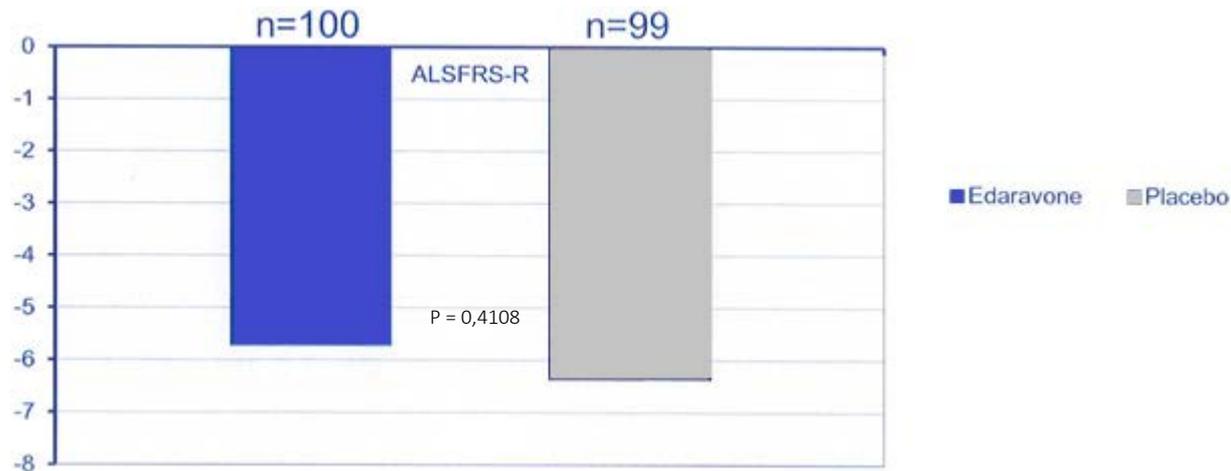


Edaravone: bei der ALS

- Seit 2006 erste Ergebnisse aus Tierversuchen und kleineren humanen Studien veröffentlicht
- Positive Effekte im Tierversuch
- Sicherheit der Anwendung und gute Verträglichkeit bei der ALS
- Uneinheitliche Aussagen über Effektivität

Edaravone: erste multizentrische Studie

- 2014: randomisierte, doppelt verblindete, kontrollierte Studie mit 206 Patienten über 24 Wochen in Kombination mit Riluzol
- Ergebnis: 0,65 ALSFRS_r-Scorepunkte Unterschied zugunsten der Edaravone Behandlungsgruppe



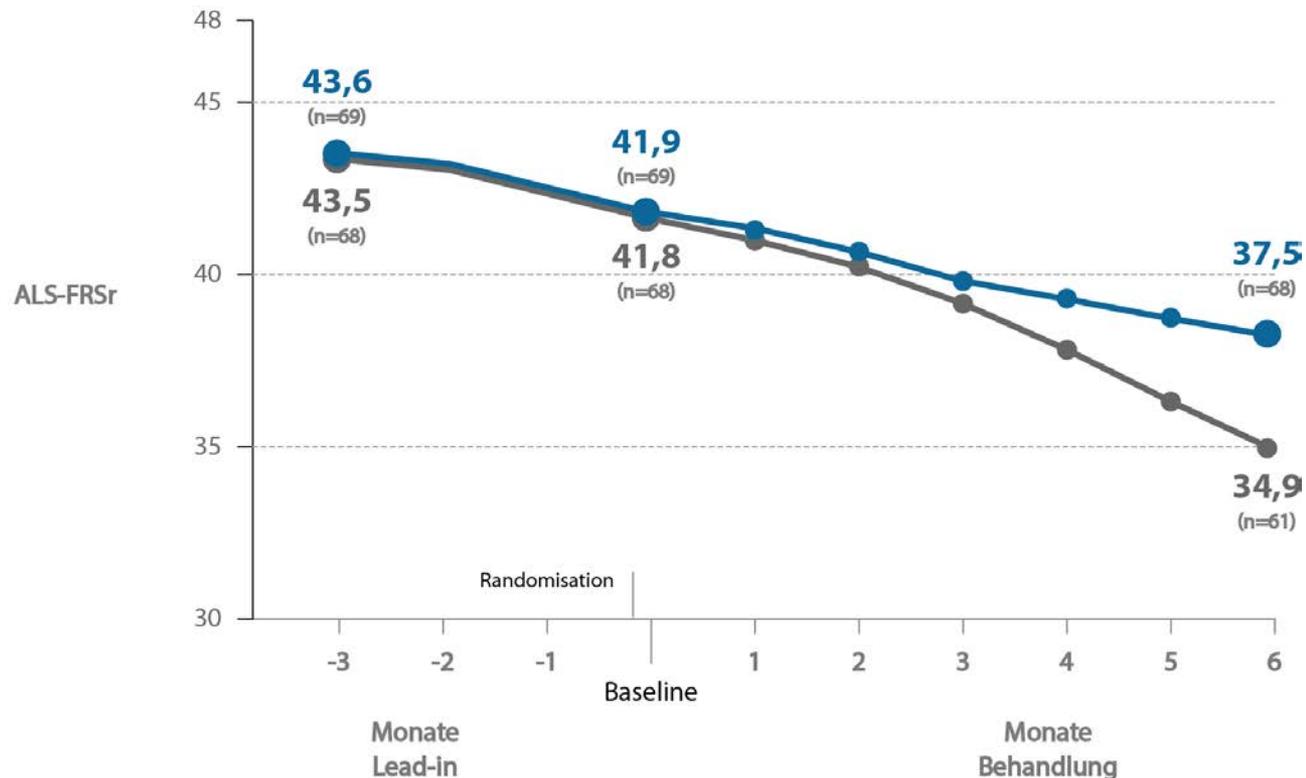


Edaravone: Kriterien der Subgruppe

- Krankheitsverlauf unter 2 Jahre
- Vitalkapazität > 80 % (Atemfunktion)
- bestimmte Punktwertkonstellation in der ALS-Funktionsskala (ALSFRS_r)
- Mittlere Erkrankungsgeschwindigkeit
(Verlust von 1 bis 4 ALSFRS_r-Punkten in 12 Wochen)

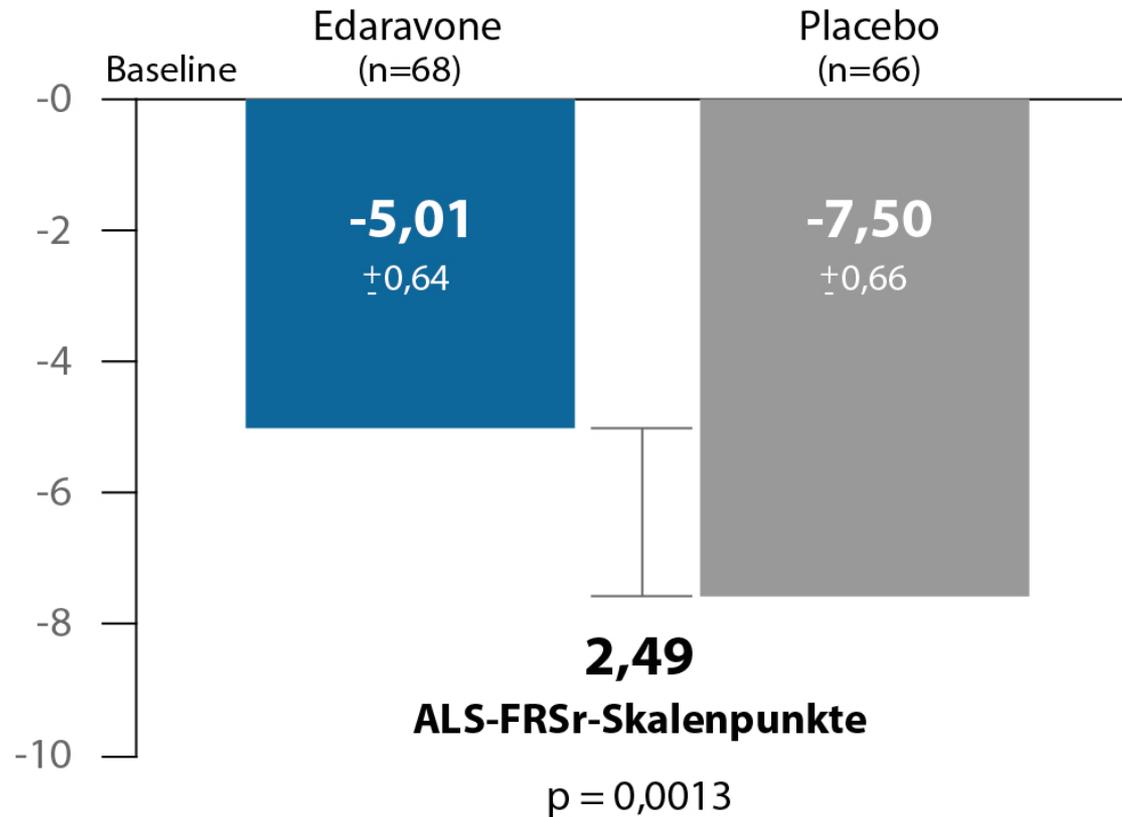
Edaravone: Wirksamkeitsnachweis

- Erneute Studie auf Grundlage der Kriterien der Subgruppe mit 137 Patienten



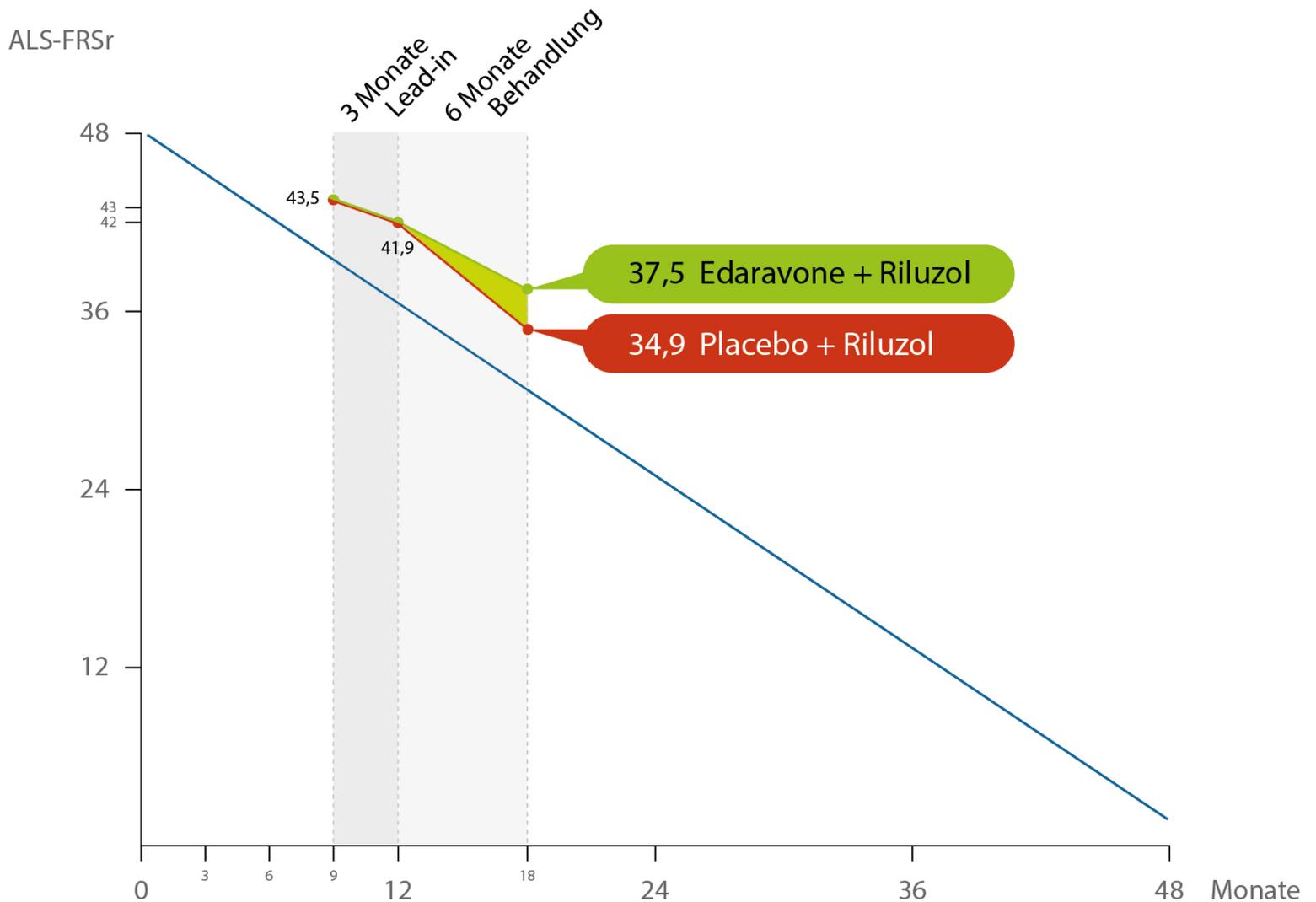
The Writing Group on behalf of the Edaravone (MCI-186) Safety and efficacy of edaravone in well defined patients with amyotrophic lateral sclerosis: a randomized, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet Neurol 2017;16:505-512.

Edaravone: Wirksamkeitsnachweis

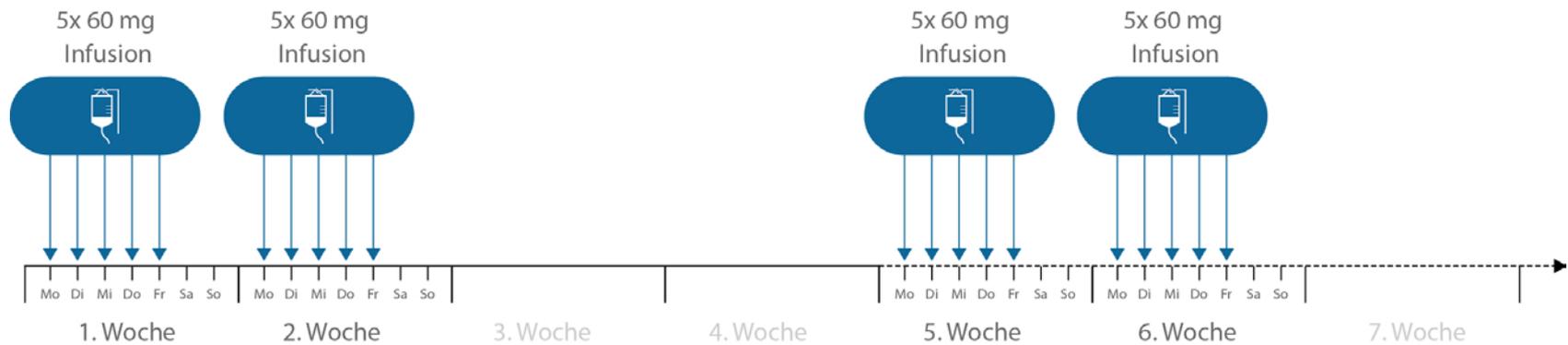


The Writing Group on behalf of the Edaravone (MCI-186) Safety and efficacy of edaravone in well defined patients with amyotrophic lateral sclerosis: a randomized, double-blind, placebo-controlled trial. Lancet Neurol 2017;16:505-512.

Edaravone: Wirksamkeitsnachweis

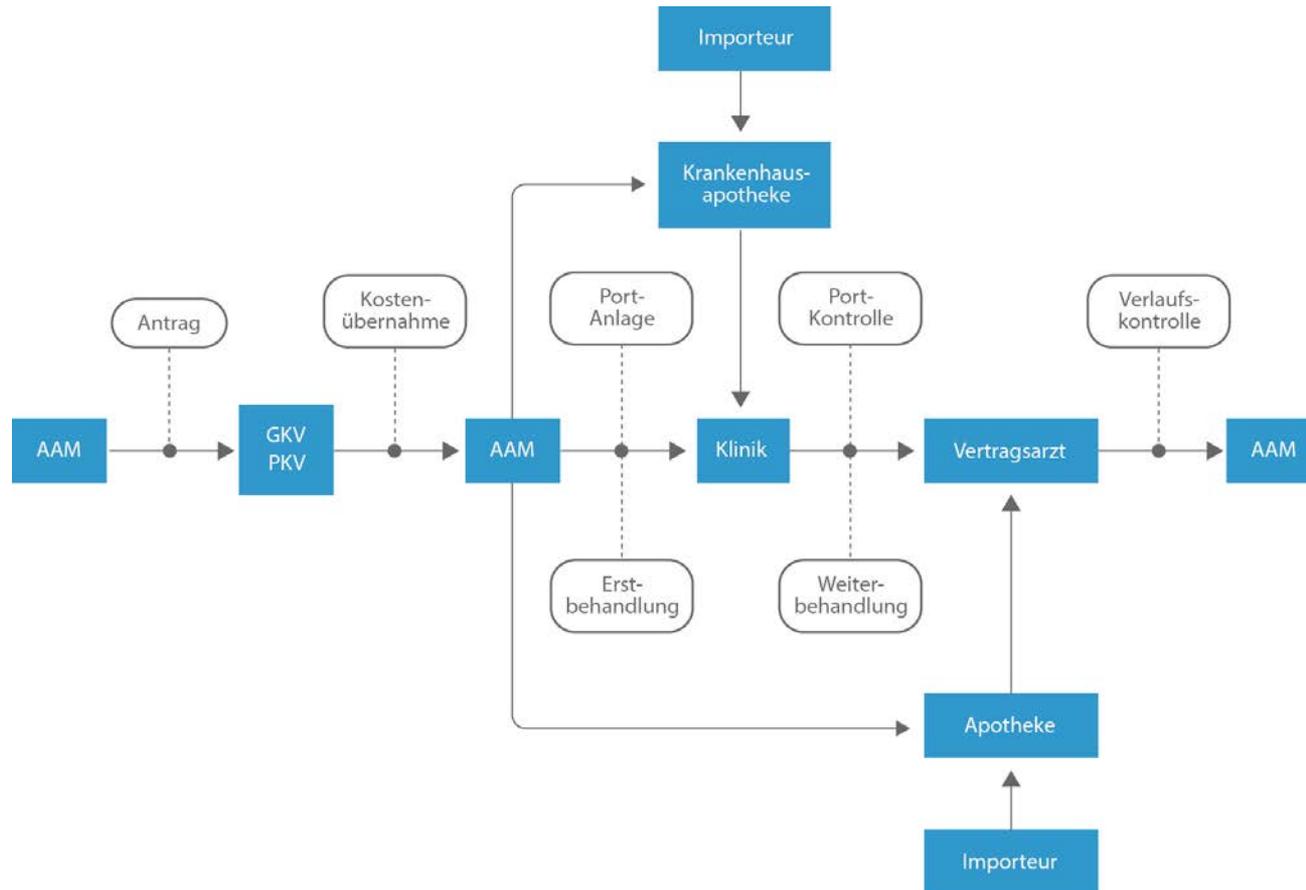


Edaravone: praktische Anwendung



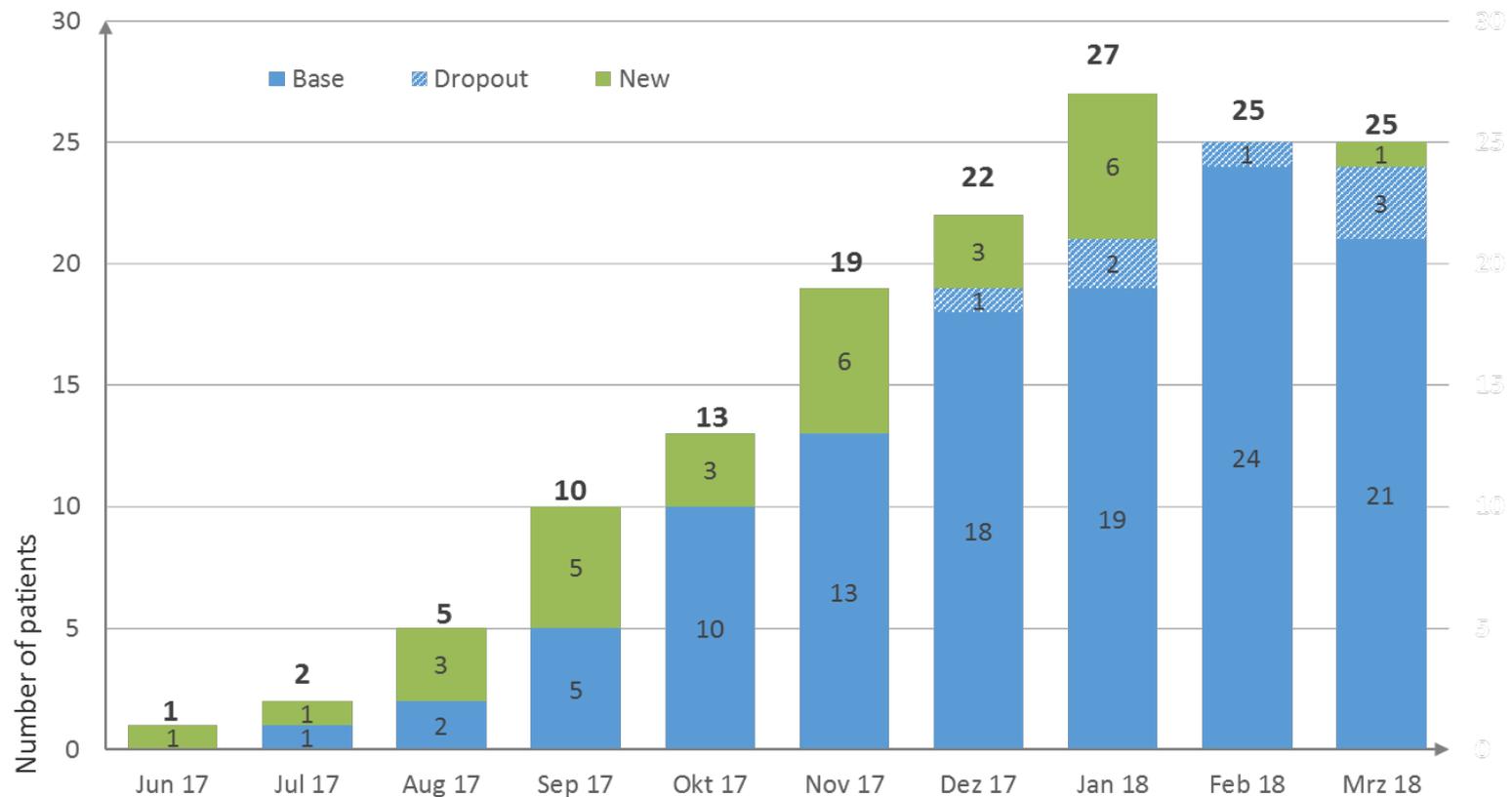
Edaravone: Situation in Deutschland

- Keine Zulassung in Deutschland
- Auswahl von Patienten nach den Kriterien der Subgruppe

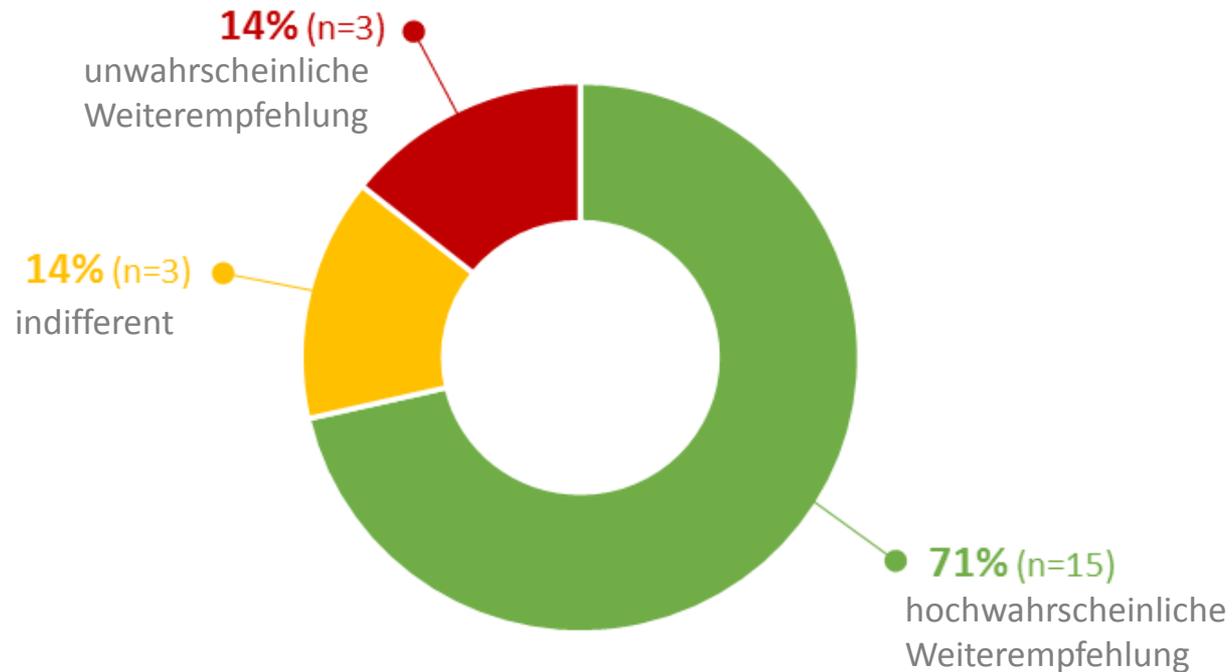


Edaravone: Versorgung durch ALS-Ambulanz Berlin

- Erste Erfahrung mit Edaravone-Behandlung seit Juni 2017



Edaravone: Patientenzufriedenheit



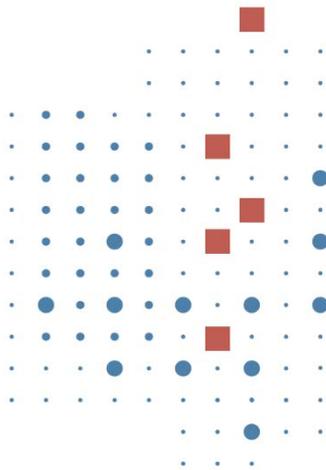
NPS
+57.1

ALS-FRS – Online-Selbstbewertung

ALS-FRS

Die Patienten-Selbstbewertungsskala

Online-Fragebogen zur Einschätzung des Krankheitsfortschritts bei der ALS



www.ambulanzpartner.de

Einladung zur Teilnahme

Menschen mit ALS, die an einem ALS-Zentrum behandelt werden, sind eingeladen, an einer regelmäßigen Patientenbefragung zu ALS-Symptomen teilzunehmen. Die Befragung nutzt die ALS-Selbstbewertungsskala (ALS functional rating scale, ALS-FRS), die online von zu Hause ausgefüllt werden kann. Die Ergebnisse sind für die ALS-Forschung von großer Bedeutung. Laufende und geplante Therapiestudien beruhen auf ihrer Auswertung. Die anonymisierten ALS-FRS-Werte werden akademischen Forschungseinrichtungen und forschenden Unternehmen zur Verfügung gestellt und helfen, Fragen zur Versorgung und Wirksamkeit unterschiedlicher Behandlungen und Medikamente zu beantworten.

ALS-FRS

Die ALS-Selbstbewertungsskala (ALS-FRS) ermittelt aktuelle Beeinträchtigungen von alltäglichen Fähigkeiten in Folge der ALS. Die ALS-FRS besteht aus 12 Fragen zu körperlichen Funktionen (z. B. Sprechen, Schlucken, Gehen). Zu jeder Frage gibt es 5 Auswahlmöglichkeiten, um einzuschätzen, ob eine Beeinträchtigung vorliegt und wie stark diese ausgeprägt ist.

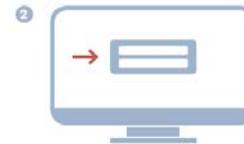
Untersuchte Symptombereiche



Wie können sie teilnehmen?



Öffnen Sie Ihren Browser (Internet Explorer, Firefox, o.ä.) und gehen Sie auf www.ambulanzpartner.de. Klicken Sie auf **Einloggen**.



Geben Sie nun **Benutzernamen** und Ihr **Passwort** ein und klicken Sie auf **Einloggen**.



Klicken Sie in Ihrem Konto in der linken Navigationsteile auf den Menüpunkt **Bewertungen**.



Klicken Sie in der Tabelle (Reiter Offene Bewertungen) auf die Zeile **ALSFRS**.



Beim ersten Einloggen erscheint ein Erklärungstext. Bitte sorgfältig lesen und anschließend auf **Weiter** klicken.



Füllen Sie den ALS-FRS-Fragebogen sorgfältig und vollständig aus und klicken anschließend auf **Absenden**.



Edaravone: Zusammenfassung

- Mit Edaravone steht ein neues erkrankungsmodifizierendes Medikament für die ALS zur Verfügung.
- Edaravone ist für eine spezielle Untergruppe von Menschen mit ALS geeignet.
- Die Behandlung mit Edaravone kann aufgrund des Behandlungsregimes sehr herausfordernd sein.
- Für den Nachweis des praktischen Nutzens von Edaravone ist die Online-Bewertung sehr hilfreich.

Vielen Dank

Für Ihre Aufmerksamkeit