

FIN ATHEN, 19. – 20. 05.2017

5th FIN Fabry Expertmeeting, jährliches Meeting von Fabry International FIN

von Beate Krenn, Teilnehmerin und Vorstandsmitglied Fabryuisse

Teilnehmende

24 Nationen

Gastgeber ist Griechenland Athen, weitere Teilnehmer sind UK, USA, Belgien, Ungarn, Österreich, Norwegen, Dänemark, Schweden, Israel, Japan, Schweiz, Westschweiz, Türkei, Australien, Canada, Slowenien, Finnland, Litauen, Irland, Polen

Das 6th jährliche FIN Meeting findet in Vilnius, Lithuania (Litauen) im 2018 statt, gemäss Boardmitglied FIN Martynad Davidobis von Lithuania.

Anwesende Pharmafirmen

Shire, Sanofi Genzyme, Amicus, Protalix, Actelion und Freeline

Zusammentreffen FIN Board mit drei relativ neuen Firmen Protalix, Actelion und Freeline um ihre Programme für neue Therapien kennenzulernen. Sobald eine öffentliche Publikation für weitere neue Therapien stattfindet, wird diese auf der Website von FIN publiziert. Seit kurzem sind nun bereits Infos unter Newsletter Juli 2017 dazu auf der FIN Website www.fabrynetwork.org.uk publiziert worden.

Motto

Leben mit allen Aspekten von Fabry und deren Behandlung. Frühes Herausfinden der Krankheit und frühes Behandeln, früh mit den Therapien beginnen für beste Resultate. 10 Jahre Rückblick von ERT. Es verlängert und verbessert das Leben der Patienten.

Hauptorgan Die Nieren

Feldstudien haben ergeben, bereits junge Patienten leiden schon mit ca. 10 Jahren an Microalbuminuria, und später dann an Proteinuria. Empfehlung früh testen und früh behandeln verlängert und erhält die Nieren länger gesund. Es kann sie vielleicht vor der Dialyse oder vor dem Endstation der Nieren bewahren. Auch schwangeren Frauen sind davon betroffen und sollten behandelt werden.

Griechenland 20 Jahre Fabry

Zurzeit schätzungsweise 200 Fälle

Therapie frei ohne Kosten, wird vom Staat getragen (Budget) auch wenn der Patient keine Krankenkasse besitzt. Familien Screening kostet. Patienten haben keine Heimtherapie (IPV) sie müssen dafür ins Spital. Neue Patienten müssen vielleicht warten, wenn das Geld gerade nicht reicht, obwohl sie die Medikamente günstiger einkaufen können als andere Länder. Griechenland ist wirtschaftlich nicht so gesund. Studierende Fabry Pat. können kostenfrei studieren.

Verbesserungen in Zukunft in Griechenland

Fortführen und Registrieren der Pat. sowie auch eine aktivere Rolle von den Patienten ist gewünscht. Heimtherapie und psychologische Betreuung anbieten, eine Versicherung für die Patienten.

Mehr Ärzte und med. Personal und Training verbessern. Ein nationales Komitee für seltene Krankheiten, ein Zentrum für Expertisen, sowie einen Heimplatz für Waisenkinder.

Prof. Atul Mehta Clinical Management / UK

Sie streben nach neuen und besseren Techniken zum Feststellen und sichtbar machen sowie auch für neue Therapien.

Rückblick Japan Meeting vom letzten Jahr

New born screening ist als Frage aufgetaucht in den abgegebenen Unterlagen.

Bis jetzt nur in den USA in drei Staaten und in Taiwan. In der Schweiz bislang auch nicht, denn das Kinderspital lehnt es ab, so erfahren von Frau Dr. Nowak.

Familien Survey von Shire Research von 500 Personen in England

Sie möchten mehr Personen und mehr Details dazu erfahren.

Persönlicher Eindruck

Sehr schönes Hotel mit gutem Essen und Unterbringung sowie ein grossartiger Blick auf die Akropolis in Athen, Griechenland. Auch die Organisation, der ganze Ablauf vom Programm alles ist sehr gut herübergekommen. Mir hat es gut gefallen und es gab auch ein gutes Feedback von den Teilnehmenden. Zu finden auf der Fabry Website www.fabrynetwork.org.uk.

Patiententreffen in Ungarn

Sie haben 2 bis 3 Tage übers Wochenende an einem schönen Ort mit einem tollen Programm, gratis für die Fabry Patienten. Österreich, Wien lädt auch Pharmafirmen an ihr jährliches Patiententreffen.

Feedback Athen FIN Website

Vortrag Clinical Management wurde oft erwähnt auf der FIN Website als Feedback.

Neue Therapien

Am Vortrag selber kam als neues Medikament nur Migalastat Chaperon von Amicus zur Sprache, welches seit kurzem bei uns zugelassen ist. Es ist oral als Tablette alle zwei Tage einzunehmen und ersetzt die Infusionen. Geeignet ist der neue Wirkstoff bei Vorliegen bestimmter Mutationen, die bei 35 bis 50 Prozent der Patienten mit Morbus Fabry nachzuweisen sind. Scheinbar ist es gut verträglich sowie einige darüber berichteten. Die häufigste Nebenwirkung unter Migalastat waren Kopfschmerzen.

Pharma Forschung

Infos von anwesenden Pharmafirmen über neue Produkt konnte ich im persönlichen Gespräch von Protalix und Freeline erfahren. Von Protalix Biotherapeutics Israel gibt es eine interessante Info über eine neue Fabry Therapie genannt Pegunigalsidase alfa (PRX-102).

Protalix Pegunigalsidase alfa (PRX-102)

Ist aus Pflanzenzellkulturen hergestellt und enthält auf einer chemischen Version das Protein alpha Glactosidase A. Ihre Tests dazu sind sehr gut, das Pegunigalsidase alfa scheint viel länger aktiv zu bleiben, (14 Tage) und besser verträglich zu sein als die herkömmliche ERT. In der Schweiz bis jetzt nicht zugelassen. Anwendung eines ähnlichen Medikament Alfataliglucerase zurzeit in Brasilien an 700 Gaucher Patienten.

Frau Dr. Nowak kann sicher noch mehr dazu sagen. Sie soll auch schon davon gehört haben.

Website www.protalix.com ist empfehlenswert, sie forschen auch in anderen Bereichen.

Freeline Biopharmaceutical Firma

Ihre Forschung basiert mittels Blutzellen als Virusträger, welches das fehlende Protein in die Leber bringen soll. Bis jetzt haben sie das bei der Hämophilie B (Bluterkrankheit) eingesetzt. Gemäss Website vom 10.07.2017 Publikation von einer Forschung Gentherapie für Hämophilie und anderen seltenen Krankheiten welche den Körper und sein System schwächen und ein Durcheinander in den Zellen verursachen. Im persönlichen Austausch mit Freeline am FIN Athen haben sie es auch erwähnt.

Website www.freelinetx.com

Actelion bringt eine neue orale Therapie Namens Lucerastat für Lysosomal und Fabry

Ein kleines Molekül, glucosylceramide synthase, eine Substrate Reduktionstherapie, zugelassen ab 2018 in den USA und der EU. Weitere Infos siehe FIN Website unter Newsletter im Juli 2017.

Sigilon Therapeutics technology Afibromer™ (afibrotic polymers) hat auch eine neue Therapie für Lysosomal disorder storage

Verkapselte Zelltherapeutika ohne Immununterdrückung. Ermöglicht zum ersten Mal dauerhaft zellgesteuerte Biologika, die als lebende Therapeutika fungieren, welche keine fibrotischen Antworten auslösen und die eine natürliche Kontrolle bieten. Scheinbar sollte es die Infusionen ersetzen und gut verträglich sein für seine breite Wirkungsweise. Weitere Infos siehe FIN Website unter Newsletter im Juli 2017.

Beate Krenn, 2017