

Zpráva z pracovní cesty

Markéta Ondračková

Brno, 2024

Zasedání Evropské asociace pro myastenii gravis (EuMGA)



Výroční zasedání Evropské asociace pro myasthenia gravis (EuMGA – European Myasthenia Gravis Association) se uskutečnilo v Amsterdamu 10.-11. listopadu 2024. Zasedání EuMGA spojilo pacientská sdružení, vědecké odborníky a další zúčastněné strany z celé Evropy na dva dny spolupráce, strategie a inspirace. Zasedání sloužilo jako platforma pro sdílení úspěchů, diskusi o výzvách a formování budoucnosti advokacie myasthenie gravis (MG).

EuMGA je nezisková organizace, která slouží jako zastřešující sdružení evropských národních asociací MG, poskytuje informace a podporu jednotlivcům postiženým tímto onemocněním a zvyšuje povědomí o MG a myastenických syndromech. V současné době je EuMGA vůdčím hlasem komunity myasthenia gravis v Evropě. Poskytuje cenné zdroje, usnadňuje a podporuje komunikaci a spolupráci mezi evropskými národními asociacemi, a formou sdílení informací pomáhá osobám postiženým MG a jejich rodinám

1.1. Program zasedání

Dvoudenní program akce zahrnoval sérii prezentací a workshopů. Hlavní slovo měla prezidentka EuMGA Lut Allard, sekretář Dimitris Zaftis, členka představenstva Liselotte Shirakow a předsedkyně výboru pro patientskou advokacii Maya Uccheddu. Mezi nejzajímavější události zasedání patřily

- pokračující příprava kampaně „Hlas pro MG“ (A Voice for MG)
- oficiální představení Vědeckého poradního výboru a nové Vědecké pracovní skupiny
- inspirativní prezentace 19 evropských patientských asociací, které představily inovativní projekty a úspěchy v celé Evropě
- série interaktivních workshopů zaměřených na klíčová témata, jako je diagnóza, přístup a role mladých pacientů a patientských advokátů při řízení změn
- prezentace strategie a plánu EuMGA pro rok 2025

1.2. Kampaň „Hlas pro MG“

EuMGA pokračuje v přípravách nové komplexní kampaně pro zvýšení všeobecného povědomí o MG, kterou nazvala „Hlas pro MG“ (v originále „A Voice for MG“). Hlavními cíli, mimo již zmíněného zvýšení povědomí o MG, jsou ustanovit jasnou strategii advokátní politiky s jednoznačně definovanými cíli k ovlivnění politiky zdravotnictví, udržovat a posilovat vztahy se současnými poslanci Evropského parlamentu a navazovat nové kontakty, zapojit se přímo do Parlamentu a udržovat myastenii jako jednu z priorit politického programu, dostat nové jméno kampaně do světa, zajistit zapojení mladých pacientů do kampaně prostřednictvím iniciativy „žádné vedlejší účinky, pouze vedlejší informace“.

Tato iniciativa je zaměřena zejména na

- nenaplněné potřeby v oblasti MG
- prosazování specifických potřeb mladých pacientů
- důležitost zvyšování povědomí o MG a myastenických syndromech
- spojení s tvůrci politických rozhodnutí
- lepší přeshraniční spolupráci

1.3. Vědecký poradní výbor a vědecká pracovní skupina

Významnou událostí listopadového zasedání EuMGA bylo ustanovení a oficiální představení **vědeckého poradního výboru** (Scientific Advisory Board) a nové **vědecké pracovní skupiny** (Scientific Working Group).

Posláním Vědeckého poradního výboru je poskytovat odborné poradenství a podporovat organizaci v pokroku ve výzkumu, podpoře inovací a zlepšování kvality života pacientů postižených MG, CMS (kongenitální myastenické syndromy) a LEMS (Lambert-Eaton myastenický syndrom).

Vědecký poradní výbor je složený z renomovaných neurologů, kteří jsou celosvětově uznávaní pro své odborné znalosti v oblasti MG, pro jejich významný příspěvek k vědeckému výzkumu a jejich silné spojení s komunitou MG a patientskými organizacemi.

Předsedou Vědeckého poradního výboru byl zvolen **Dr. Renato Mantegazza** z Itálie, který se dlouhodobě zabývá MG a dalšími neuromuskulárními onemocněními. Svými zkušenostmi přispívá k pochopení patogenních mechanismů, které jsou základem těchto onemocnění a při jejich léčbě. Dalšími členy byli zvoleni **Dr. Elena Cortes** ze Španělska, která pracuje jako neuroložka a výzkumná pracovníce na oddělení neuromuskulárních onemocnění v Hospital de la Santa Creu i Sant Pau v Barceloně, **Dr. Nils Erik Gilhus** z Norska, profesor neurologie na univerzitě v Bergenu a hlavní konzultant na klinice neurologie v Haukeland University Hospital, a **Dr. Marc De Baets** z Belgie, klinický neuroimunolog, který se zabývá hledáním nových patologických mechanismů u neurologických onemocnění včetně MG na Univerzitě v Maastrichtu.

Členové Vědeckého poradního výboru se krátce představili a formálně podepsali chartu nastiňující cíle a strukturu poradního výboru. Tím potvrdili svůj závazek vůči cílům EuMGA.

Vědecký poradní výbor úzce spolupracuje s Vědeckou pracovní skupinou, která zahrnuje zastánce pacientů a jednotlivců žijících s MG, kteří jsou také zdravotnickými profesionály, což zajišťuje rozmanitý a holistický pohled na výzvy a potřeby komunity MG. Členy Vědecké poradní skupiny jsou Charlotte Campbell z Velké Británie, zastupující patientskou organizaci Myaware, Diana Sufragiu a Maya Ucheddu z Itálie, zastupující Associazione Italiana Miastenia, Liselotte Shirakow z Dánska, zastupující MG Group of Muskelsvindfonden, Lut Allard z Belgie, prezidentka EuMGA, a Marguerite Friconneau z Francie, zastupující Association des Myasthéniques Isolés ☑ Solidaire.



Hlavní cíle Vědeckého poradního výboru a Vědecké pracovní skupiny EuMGA

Nově ustanovený Vědecký poradní výbor a Vědecká pracovní skupina EuMGA budou zejména:

- poskytovat vědeckou a klinickou expertízu, která bude informovat o strategii výzkumu jednotlivých organizací a úsilí o prosazování zájmů pacientů
- řídit stanovení priorit financování výzkumu a partnerství s výzkumnými institucemi
- pomáhat při zjišťování nenaplněných potřeb v oblasti onemocnění MG a myastenických syndromů a podporovat rozvoj iniciativ k řešení těchto nedostatků
- poskytovat poradenství při navrhování, provádění a hodnocení výzkumných programů, včetně vědeckých výstupů zaměřených na pacienta
- podporovat spolupráci mezi organizacemi, výzkumnými orgány a průmyslem s cílem urychlit vývoj nových způsobů léčby nebo péče o pacienty
- zajistit, aby pohledy pacienta a pečovatele byly začleněny do vědecké a výzkumné agendy
- organizovat a koordinovat vědecká setkání, konference a sympozia za účelem podpory výměny zkušeností a znalostí mezi pacienty, zdravotnickými profesionály a vědci
- zajišťovat, aby vědecké materiály poskytované členskými organizacemi byly přesné a použitelné pro různá použití, včetně projektů, informačních materiálů, prosazování politiky založené na vědeckých důkazech a budování vztahů s různými zúčastněnými stranami

1.4. **Představení národních patientských organizací**

Během dopoledne druhého dne zasedání se představily patientské organizace z 19 Evropských zemí. Většina představených patientských organizací je zároveň členem nebo partnerem EuMGA. Pozvánku ale dostaly i tři patientské organizace, které nejsou členy EuMGA, včetně MYGRA-CZ z.s. Protože jedním z hlavních cílů EuMGA je podporovat spolupráci mezi jednotlivými národními asociacemi, bylo zástupcům těchto tří organizací doporučeno zvážit aktivní členství v EuMGA.



Seznam patientských organizací prezentovaných na zasedání EuMGA

Členové EuMGA

Bulharsko, Bulgarian MG Foundation
Dánsko, MG Group of Muskelsvindfonden
Finsko, Finnish MG Association Suomen MG-yhdistys ry
Francie, Association des Myasthéniques Isolés ☒ Solidaire, AMIS
Holandsko, MG group of Spierziekten
Itálie, Associazione Italiana Miastenia, AIM
Kypr, Myasthenia Gravis Association Cyprus
Polsko, Face to Face
Rumunsko, Asociatia Nationala Miastenia Gravis
Řecko, Hellenic Myasthenia Gravis Association (H-MGA)
Španělsko, Asociación Miastenia de España
Velká Británie, Myaware

Další partneři EuMGA

Belgie, ABMM
Francie, AFM Telethon
Island, MG-Félag Íslands – Independent organisation, Iceland
Norsko, Forening for muskelsyke FFM Norway
Švédsko, MG Group of Neuro

Hosté

Česká Republika, MYGRA-CZ z.s.
Německo, Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V. (DMG)
Slovinsko, Slovenia Association
EAMDA (European Alliance of Neuromuscular Disorders Associations)

Společným cílem všech patientských organizací bylo zvyšovat povědomí o MG a zlepšovat životní podmínky pacientů žijících s MG a přidruženými syndromy. S ohledem na možnosti současné moderní doby byl kladen velký důraz na využití nových informačních technologií a médií. Jednotlivé patientské organizace se liší délkou své existence, počtem aktivních členů i zaměřením (některé organizace sdružují více onemocnění), což významně ovlivňuje možnost podpory pro MG pacienty i množství aktivit, kterým se tyto organizace věnují. Velmi dobře zavedená a fungující organizace je například v Německu (DMG) nebo ve Španělsku (AMES). Zajímavým způsobem je také řešena spolupráce patientských organizací ze Skandinávských zemí. Tyto země například pořádají jednou za dva roky jednodenní konferenci shrnující nové poznatky pro zástupce pacientů i zdravotnických profesionálů.

MYGRA-CZ byla se svými aktivitami ohodnocena pozitivně. Řada cílů a aktivit naší organizace je v naprostém souladu s cíli dalších evropských asociací i EuMGA, například výroba kartiček mimořádného pacienta, seznam rizikových léčiv nebo tvorba centrálního registru. Zejména mladší pacienty pak inspirovala víkendová setkání členů asociace, s nadšením se také setkala vydávání časopisu Myastenický Kurýr. Na druhou stranu se ale MYGRA-CZ ukázala jako jediná z prezentujících organizací, která aktivně nepracuje se sociálními médii. Naše organizace se také zdá být jako jedna s nejmenší členskou základnou i po přepočítání na počet obyvatel, resp. počet pacientů.

MYGRA-CZ byla představena následující prezentací:

Czech Republic

MYGRA-CZ

<p>Mission</p> <ul style="list-style-type: none"> • To obtain and disseminate information about MG for the general lay and professional public • Contribute to improving the living conditions of patients with MG 	<p>Facts</p> <ul style="list-style-type: none"> • Founded in 2009 • 3 Board Members • Around 100 members 	<p>Most Important Goals 2025</p> <ul style="list-style-type: none"> • <u>Presentation</u> of the association on the U lekare.cz portal • Reprint and distribution of the brochure Risky drugs in MG • Assessment of innovative medicines and support of their inclusion in the Reimbursement Decree
---	--	---

Next big milestones 2024/2025

- Expanding the membership base
- Resumption of publication of the original magazine „Myasthenic courier“
- Involvement in international activities related to MG
- Weekend meeting for members in spring 2025

Contact

- Speaker name - Markéta Ondračková
- Email ; ondrackova@ivb.cz
- Site; Brno, Czech Republic
- Phone ; +420 606 943 738

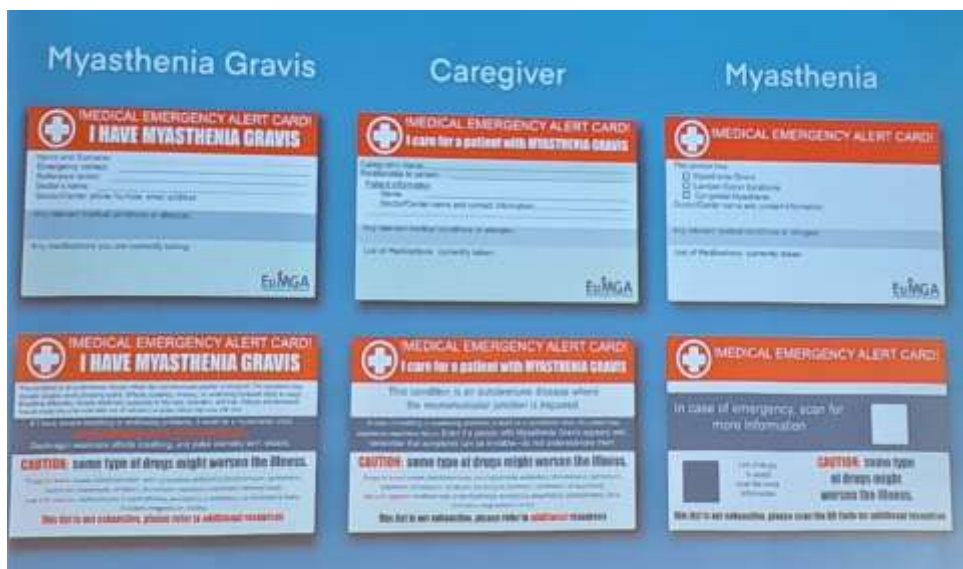
What we are proud about / Our achievements to date

- Production of patient cards "extraordinary patient"
- Production and distribution of the brochure „Risky drugs in MG“
- Direct support of the national registry project MY REG (MYasthenia gravis REGistry)
- Participation on the inclusion of patients with MG in the list for spa medical rehabilitation care

1.5. Plány pro rok 2025

Dokončení výroby kartičky pro mimořádné situace („Emergency card“)

- hlasováním byla předběžně vybrána varianta jednoduché kartičky se základními informacemi v tištěné podobě a s detailními informacemi dostupnými pomocí QR kódu
- dále byla zvažována možnost dvou typů kartiček, zvlášť pro pacienty a zvlášť pro pečovatele



Vytvoření celoevropské mapy zahrnující zdravotnická pracoviště zaměřená na myastenii a základny patientských organizací

Spuštění kampaně „Hlas pro MG“

Posílení a rozšiřování naší přítomnosti v online prostředí: pokračující úsilí napříč sociálními médii, webovými stránkami a zpravodaji

- neustále posilovat a rozšiřovat online přítomnost asociace prostřednictvím aktivního úsilí na sociálních sítích, pravidelných aktualizací webových stránek a poutavých newsletterů
- zvýšit povědomí o MG posílením našeho digitálního dosahu a zajištěním dostupnosti našich sdělení pro širší veřejnost
- pokračovat v iniciativách pro rok 2024, zachovat dynamiku a důslednost v našem úsilí
- implementovat kampaně, jako je „Hlas pro MG“, abychom do aktivit dále zapojili naši komunitu a zvýšili povědomí o našem poslání a cílech

Podpora pro naše členy a pro evropské země bez patientských organizací

- hlavním cílem je pomoci zemím po celé Evropě, aby měly patientskou organizaci, m.j. i formou sdílení zdrojů a znalostí
- vytvářet sdílené nástroje a osvědčené postupy pro všechny potřebné
- pomoci malým skupinám pacientů lépe se zorganizovat
- poskytnout školení a vzdělávání pro patientské advokáty
- sdílet a šířit mezi členy výboru pro zastupování pacientů všechny dostupné školicí kurzy a vzdělávací programy pro patientské advokáty a odborníky, které jim umožní efektivně zastupovat potřeby pacientů

Strategie vytvoření Evropského registru MG pacientů

- zmapovat existující registry
- definovat plán spolupráce pro rok 2025
- identifikovat a sdílet klíčová data relevantní pro snahu patientské advokacie v Evropě

Posílení spolupráce s dalšími organizacemi

- posílit stávající spolupráci s dalšími organizacemi v rámci Evropy (EURORDIS - Evropská organizace pro vzácná onemocnění, EFNA – Evropská federace neurologických asociací)
- navázat na předchozí spolupráci s EAMDA (Evropská aliance asociací neuromuskulárních poruch)
- navázat spolupráci s EBC (European Brain Council) a EAN (European Academy of Neurology)
- navázat spolupráci s organizacemi mimo Evropu (kontakt s organizacemi v USA, Japonsku, Austrálii a Izraeli)
- získat větší vliv jako Evropská asociace, podílet se na společných akcích a projektech, partnerských programech, sdílení informací, webinářích a on-line setkání

Spolupráce s ERN-NMD (European Reference Network for Neuromuscular Diseases)

- pokračovat ve spolupráci s evropskou referenční sítí pro nervosvalová onemocnění (ERN-NMD) a zajistit, aby na každém kroku byla zpětná vazba členů EuMGA integrována tak, aby byla v souladu se strategickými cíli
- zajistit zapojení hlasů pacientů do výzkumu a politických rozhodnutí
- spolupráce na vytváření ERN-NMD registru

Zapojení EuMGA do aktivit Evropské lékové agentury (EMA) a světové zdravotnické organizace (WHO) s cílem

- posílit poradenské vztahy s EMA a WHO
- ovlivnit širší iniciativy týkající se standardů péče o pacienty
- aktivně se zapojovat do hodnocení zdravotnických technologií, aby bylo zajištěno, že v souladu s novými předpisy budou do hodnocení začleněny i pohledy pacientů

1.6. Sponzoři

Uspořádání této akce by nebylo možné bez finančního příspěvku sponzorů, kterými byli zejména farmaceutické firmy zabývající se vývojem léčiv pro MG. Každá z firem měla na zasedání minimálně jednoho zástupce, kteří se aktivně zapojili do interaktivních workshopů společně s pacienty. Zajímali se zejména o potřeby pacientů s MG, kterým není věnována dostatečná pozornost, a také o možnosti, jak mohou farmaceutické firmy přispět, mimo vývoj nových léků, k lepší kvalitě života pacientů. Příkladem byl například vývoj vhodné aplikace pro vyhodnocování každodenních aktivit. Průběh zasedání byl moderován zástupcem firmy Admedicum, specializované na navrhování, umožňování a provádění činností zaměřených na pacienta v každodenní praxi.

Seznam firem, které podpořily EuMGA summit:



Konference „Rare Disease Connect in Neurology“ & „MG Community Connect meeting“



Rare Disease
Connect
in Neurology

Konference Rare Disease Connect in Neurology (RDCN) Annual Meeting & Global MG Community Connect meeting, zaměřená na vzácná onemocnění v neurologii, zejména na myasthenia gravis (MG), proběhla 13.-16. listopadu 2024 v Amsterdamu. Toto vzdělávací setkání bylo organizováno a sponzorováno společností UCB Biopharma SRL.

RDCN bylo určeno pro praktikující zdravotníky se zájmem o MG a péči o pacienty s tímto onemocněním. Konference se zúčastnilo více než 100 lékařů a odborných zdravotních sester pracujících v oboru neurologických a neuromuskulárních poruch. Součástí konference bylo také setkání 23 zástupců patientských organizací z 15 zemí Evropy a Severní Ameriky. Během setkání proběhla sada přednášek a vzdělávacích seminářů zaměřených na aktuální nebo opomíjená témata důležitá pro pacienty s MG. Česká republika měla na této akci zástupce z řad pacientů i lékařů.



2.1. Program pro zástupce patientských organizací

Pro zástupce pacientů s myastenii gravis a myastenickými syndromy byl připraven čtyřdenní program, který se částečně prolínal s programem pro lékaře a zdravotnické specialisty. Vybraných přednášek se tak zúčastnili společně lékaři, zdravotní sestry i pacienti, což umožnilo všem zúčastněným stranám sledovat problematiku MG z různých perspektiv. Součástí konference byla také prezentace posterů a společenský večer, na kterém mohli zástupci patientských organizací diskutovat se zdravotnickými profesionály o potřebách pacientů s MG.

Tematicky se prezentované příspěvky dotýkaly jak aktuálních, tak opomíjených oblastí problematiky MG. Jedno z témat bylo věnováno **včasné, respektive zpožděné diagnostice MG**. Včasné stanovení diagnózy významně ovlivňuje prognózu onemocnění, ale zejména u starších pacientů často dochází k záměně diagnózy kvůli dalším obtížím přicházejícím s věkem. Pro nově diagnostikované pacienty je velmi důležitá **dostupnost informací** o daném onemocnění. Také problematika **psychologické podpory pacientů s MG** zazněla jak v programu pro pacienty, tak pro zdravotníky. Další téma, kterému byla věnována velká pozornost, se týkalo **patientských registrů**. V plánu je příprava celoevropského centrálního registru pacientů s MG, který by mohl přispět k lepší koordinaci a dostupnosti léčby v evropských zemích. Zajímavou přednáškou společnou pro všechny zúčastněné strany byla **Únava a unavitelnost pacientů s MG**, kterou představili Dr. Sarah Hofmann a Dr. Henry Kaminsky. Významná část programu byla věnována také interaktivním seminářům, které byla zaměřené na **zapojení pacientů do výzkumu** a na **výzkum orientovaný na pacienty**.

2.2. Rychlá a včasné stanovená diagnóza, dostupnost informací

V souvislosti s tématem včasné stanovené diagnózy MG přednesla Dr. Pushpa Narayanaswami prezentaci o současném vývoji nových doporučených postupů (guidelines) pro rychlou a jednoznačnou diagnostiku MG, připravovaném mezinárodní odbornou skupinou. Příprava doporučených postupů pro diagnostiku a terapii je obecně složitý proces, který vyžaduje zapojení specializovaných odborníků, ale i zdravotníků, kteří se o pacienty s danou diagnózou starají.

Pro nově diagnostikovaného pacienta je velmi důležité mít dostatek informací o své nemoci, léčbě a omezeních, která mu tato nemoc přináší. Výsledky globální studie EURORDIS Rare Barometer, dotazníkového šetření iniciovaného EURORDIS-Rare Diseases Europe zaměřeného na zpoždění v diagnostice vzácných onemocnění však ukázaly, že 66% pacientů s MG se nedostalo pomoci, kterou potřebovali, aby našli nezbytné informace související s nemocí, nebo neměli přístup k lidem, kteří by jim takovéto informace poskytli. Zde se nabízí příležitost pro patientské organizace, aby tyto informace a podporu nově diagnostikovaným pacientům poskytli. Patientské organizace také mohou zprostředkovat kontakt s dalšími pacienty se stejnou diagnózou, což se ukázalo jako významná potřeba obzvláště u mladších pacientů.

2.3. Psychopatologie MG a psychologická podpora u pacientů s MG

Autoři Messina a kolektiv prezentovali formou posteru výsledky výzkumu týkající se psychopatologie MG v Itálii. Na základě předpokladu, že pacienti s MG jsou náchylnější k psychiatrickým komorbiditám, jako deprese a úzkost, které negativně ovlivňují kvalitu života pacientů i jejich pečovateli, byla provedena studie sledující prevalenci deprese, úzkosti a dalších psychiatrických projevů u pacientů s MG.

Testováním pacientů s MG a zdravých osob, které sloužily jako kontrola, bylo zjištěno, že deprese, úzkost a nespavost jsou významně častější u pacientů s myastenií než v běžné populaci. Pacienti s MG mají také vyšší riziko rozvoje kognitivní poruchy. Výsledky studie ukázaly, že myasthenia gravis není onemocněním postihující pouze nervosvalové spojení, ale jde o složitější a generalizovanou poruchu. Autoři studie dále navrhují, že léčba myastenie by měla směřovat ke zlepšení nejen svalových symptomů, ale i psychiatrických komorbidit.

Problematika psychologické podpory pacientů s MG rezonovala v několika tematicky různých seminářích a přednáškách. Fakt, že psychologická podpora pacientů s MG je velmi podhodnocená a obecně nedostatečná byla podpořena i výsledky již zmíněné studie EURORDIS Rare Barometer. V případě myastenie bylo zjištěno, že téměř 85% pacientů nebyla po stanovení diagnózy nabídnuta žádná psychologická podpora.

2.4. Význam patientských registrů

Přetrvávající překážkou pro výzkum vzácných onemocnění a možností jejich terapie je, že úsilí jednotlivých výzkumných projektů, genetické informace, dostupnost biomateriálu, podrobné klinické informace a soubory dat z výzkumu/testů často nejsou systematicky propojeny. Propojení jednotlivých národních registrů pacientů s myastenií s širšími iniciativami (např. centrální registr pacientů s vzácným neuromuskulárním onemocněním, viz níže), jejichž cílem je harmonizovat sběr dat neuromuskulárních onemocnění, je zásadní pro pokrok ve výzkumu a identifikaci nových možností léčby.

Jak mohou být patientské registry v budoucnu propojeny?

Evropskou referenční sítí pro vzácná neuromuskulární onemocnění (ERN-NMD; European Reference Network for rare neuromuscular diseases) bylo zřízeno **interoperabilní centrum registrů zaměřené na pacienty s vzácným neuromuskulárním onemocněním**, kde jsou zařazeny i registry pacientů s MG. Centrum plánuje shromažďovat údaje o pacientech od zdravotnických profesionálů, kteří jsou součástí ERN-NMD, s cílem podporovat péči o pacienty a zaručit poskytování nejvyšších standardů diagnostiky a léčby v celé Evropě a zároveň poskytovat sledování a lepší management pro nediodagnostikované pacienty. Centrální registr zároveň nabízí možnost výzkumných příležitostí pro klinické studie, translační výzkum a epidemiologické studie, čímž zvyšuje přístup pacientů k výzkumu a získávání znalostí. Sběr demografických údajů také pomáhá vytvořit jasnější epidemiologický obraz neuromuskulárních poruch v Evropě.

Možnosti využití dat jsou stanoveny v Zásadách přístupu k datům, shromažďování dat je pseudoanonymizované a v souladu s GDPR. Data jsou spravována podle principů FAIR, tedy jsou naležitelná (Findable), dostupná (Accessible), interoperabilní (Interoperable) a opětovně využitelná (Reusable).

2.5. Únava a unavitelnost pacientů s MG

Přednáška byla věnovaná rozdílům mezi únavou a unavitelností pacientů. Lékaři by měli být schopni vyhodnotit, zda je únava pacienta přirozená (například z důvodu věku, jiné nemoci, apod.), nebo jestli jde únavu jiného typu (např. unavitelnost svalů). Někteří pacienti trpí únavou, která není klasickými metodami měřitelná jako unavitelnost, potenciálně z důvodu neurologické atrofie. V praxi také často existuje rozpor mezi omezeními popisovanými pacienty a objektivně měřenou svalovou slabostí. Unavitelnost pacientů s MG se může lišit mezi různými subtypy MG (ACHR+, Musk+, LRP4+, seronegativní, apod.).

V druhé polovině přednášky byly předneseny závěry studie zabývající se měřením unavitelnosti v klinické praxi. Z jejich výsledků vyplývá, že včasné diagnóza do 1 roku a zavedení vhodné léčby je hlavním ochranným faktorem proti únavě a unavitelnosti pacientů s MG.

U pacientů s myastenii je proti únavě a unavitelnosti doporučováno:

1/ Cvičení

Cvičení může být tím nejúčinnějším lékařským doporučením, musí se ale cvičit „s rozumem“. Pokud je pacientovi doporučeno cvičení, je nezbytné, aby byl stabilizovaný.

2/ Zdravé stravování

Vhodné stravování je dalším doporučením, které může zmírnit unavitelnost i únavu. Je doporučováno jíst vhodná jídla, ne příliš velké porce, ale pravidelně, a zejména potravu rostlinného původu.

3/ Sociální vazby

Neméně významným doporučením je udržování sociálních vazeb. Významnou úlohu hraje zejména rodina.

Na úrovni zástupců patientských organizací byly stanoveny následující priority týkající se problematiky únavy a unavitelnosti pacientů s MG:

1/ správná definice obtíží pacientů s MG týkající se únavy

- nutné nalézt společný jazyk
- zjistit, co potřebují zdravotníci vědět k pochopení obtíží pacientů s MG
- specifikovat zjednodušené znění těchto obtíží
- identifikovat rozdíly mezi zeměmi a kulturami v definování obtíží spojených s únavou

2/ mezery ve vzdělávacích zdrojích

- propojit odborníky (lékaře, laboratorní specialisty, zdravotní sestry) s pacienty
- motivovat a vzdělávat zdravotní sestry
- využít hlasu pacientů ve vzdělávání specializovaných zdravotníků
- identifikovat nejvhodnější formu vzdělávání v jednotlivých zemích

3/ optimalizace doporučení ke specialistům

- integrovaná péče jako ideál
- minimalizace chybného doporučení k psychoterapeutům

4/ prodloužit čas u lékaře pro dialog s pacientem

2.6. Zapojení pacientů do výzkumu

Možnosti zapojení pacientů do výzkumu byly představeny formou prezentací a interaktivních workshopů, které připravili zástupci firmy Admedicum (www.admedicum.com). První část byla věnována **výzkumu zaměřeného na pacienta**, který představuje aktivní, smysluplnou a kolaborativní interakci mezi pacienty a vědci ve všech fázích výzkumného procesu, kde se rozhodování o výzkumu řídí příspěvky pacientů jako partnerů se svými specifickými zkušenostmi, hodnotami a odbornými znalostmi. Po úvodní obecné přednášce byly předneseny konkrétní příklady výzkumných projektů, které pocházely z prostředí Španělska, Itálie a Francie.

Ve druhé části byly představeny možnosti **zapojení pacientů do klinického výzkumu** a zdůrazněny hlavní důvody, proč je účast pacientů v přípravném procesu klinických studií důležitá.

Výzkum zaměřený na pacienta

a) BioPsychoSociologická studie zaměřená na sociální a zdravotní dopady MG na pacienty ve Španělsku byla prezentovaná Raquel Contreras. Hlavním cílem studie bylo popsat sociální a zdravotní potřeby lidí žijících s MG ve Španělsku a identifikovat mezery ve znalostech sociálních, biologických a psychologických aspektů onemocnění. Studie se také pokusila analyzovat dopad myastenie na každodenní aktivity pacientů a pečovatелů a v neposlední řadě pak rozšířit znalosti o kvalitě života související se zátěží nemocí. Do studie byli zapojeni různí partneři, jako neurologové, psychologové, sociální pracovníci, pečovatелé a pacienti žijící s MG.

Hlavní výsledky studie ukázaly, že 60% pacientů omezuje myastenie nezávislost a brání jim v normálním životě. Otázky týkající se diagnózy poukázaly na nedostatečný přístup pacientů ke specifickým informacím pro nově diagnostikované pacienty s MG (61%) a k informacím o možnostech psychologické léčby (74%). Dobrým výsledkem ale bylo, že 77% pacientů považovalo své neurology za dostatečně erudované a většina pacientů (asi 70%) byla spokojená s léčbou a péčí. Ze sociálního hlediska však pacienti nebyli spokojeni (asi v 75% případů) s podporou poskytovanou jejich rodinám a/nebo pečovatелům.

b) Výsledky studie věnované kvalitě života a finančním nárokům pacientů žijících s MG v Itálii prezentoval Flavio Normando. Cílem studie bylo popsat kvalitu života lidí žijících se všemi typy MG v Itálii, bez ohledu na dobu diagnózy tohoto onemocnění, a posoudit přímé a nepřímé finanční náklady spojené s MG v minulém roce.

Pro získání dat využili autoři webový dotazník pro jiné onemocnění, který upravili pro potřeby pacientů s MG. Informace o možnosti zapojit se do studie byly distribuovány prostřednictvím webových stránek, newsletterů, sociálních kanálů a letáků v čekárnách tří nemocnic. Do studie byly zahrnuty patientské organizace, zdravotničtí profesionálové, centrum ekonomického výzkumu ve zdravotnictví a observatoř vzácných onemocnění Omer.

Hlavním výsledkem bylo očekávatelné zjištění, že kvalita života je u pacientů s MG nižší než u průměrné populace. Také byly zjištěny regionální rozdíly v kvalitě života mezi severní a jižní

Itálii. Obecně velkým problémem byla dlouhá cesta k diagnóze, řada pacientů s MG prošla mnoha konzultacemi u různých odborníků, než jim byla MG diagnostikována. Tento problém ale ukázal výrazné zlepšení u pacientů diagnostikovaných v posledních pěti letech. Oba studované parametry se ukázaly být více zatěžující pro ženy. MG měla větší vliv na kvalitu života žen, a ženy také měly v souvislosti s onemocněním mnohem vyšší životní náklady než muži (např. za hlídání dětí, úklid, apod.).

Během přípravy studie autoři také došli k závěru, že dotazník může dlouhý (v tomto případě trvalo zodpovězení 60 otázek asi 30 minut), ale musí být jednoduchý a srozumitelný, a otázky musí být položeny jasně a jednoduše.

c) Studii zaměřenou na Vnímání a očekávání lidí žijících s MG ve Francii představila Elsa Epron. Cílem studie bylo charakterizovat kontrolu onemocnění z pohledu pacienta a popsat dopad myastenie na pacienty (~ jak žít s nemocí) a identifikovat očekávání pacientů ohledně kontroly onemocnění a porozumět očekáváním pacientů ohledně zapojení do léčby (~ co pacient od léčby očekává).

Také tato studie byla připravena formou online dotazníku, který navrhli zástupci patientských organizací a zdravotničtí profesionálové. Otázky byly s předem danou odpovědí a možnostmi výběru (uzavřené otázky), i s možnostmi napsat vlastní text (otevřené otázky). Vhodnost dotazníku byla ověřena prostřednictvím pilotního průzkumu pacientů.

Nábor účastníků studie proběhl přes patientské asociace, MG specializovaná centra, čekárny v nemocnicích, ale i skrze pacienty, kteří se do studie navzájem zvali.

Výsledky studie jsou v současné době připravovány pro publikaci. Ze studie je zřejmé, že hlavní očekávání pacientů s MG se týkají léčby. Především jde o to mít léčbu s méně vedlejšími účinky, než nabízí současná terapie, dále pak léčbu, která je účinnější ve smyslu časově delšího účinku, a také léčbu, která je podávána v delších časových intervalech.

Zapojení pacientů do klinického výzkumu

Proč je účast pacientů na klinickém výzkumu důležitá?

Klinický výzkum se zabývá mnoha směry, ve kterých může pacient přispět vlastní zkušeností. Několik příkladů je uvedeno v následujícím textu:

- Zlepšení relevance a účinnosti léčby: Pacienti mohou poskytnout přehled o tom, které příznaky onemocnění jsou nejčastější, které jsou zatěžující a které výsledky léčby jsou pro pacienta nejdůležitější. Tyto znalosti pak mohou vést k výzkumu více zaměřeného na pacienta a lépe přizpůsobené terapii.
- Zlepšení designu studie: Pacienti mohou přispět k návrhu klinických studií tím, že pomohou výzkumníkům porozumět, jaké aspekty studie jsou z pohledu pacienta proveditelné nebo naopak nepraktické.
- Identifikace a stanovení priorit výzkumných potřeb: Životní zkušenosti pacientů MG mohou upozornit na nenaplněné lékařské potřeby, které by výzkumníci a kliničtí lékaři mohli přehlédnout, a zajistit tak, aby se výzkum zabýval nejpálčivějšími problémy.

- Zajištění etických ohledů: Pacienti mohou pomoci zajistit, aby rizika a přínosy účasti ve studii byly zohledněny a aby byli pacienti dostatečně informováni o svých právech.
- Posílení komunity pacientů: Účast na výzkumu posiluje postavení pacientů tím, že jim dává možnost vyjádřit svůj názor na vývoj nových terapií. Podporuje pocit vlastnictví a zapojení do postupu léčby MG, což může být psychologicky prospěšné a zvyšuje zapojení do probíhajícího výzkumného úsilí.
- Usnadnění lepší komunikace a šíření výsledků: Pacienti mohou pomoci výzkumníkům komunikovat o výsledcích studie způsobem, který je srozumitelný a relevantní pro širší komunitu pacientů. To může vést k lepšímu šíření informací a rychlejšímu přijímání nových způsobů léčby pacienty a poskytovateli zdravotní péče.

Pro zapojení pacientů do klinického výzkumu je však nutná proaktivita. Farmaceutické společnosti ne vždy oslovují patientské organizace s žádostí o podporu při navrhování a provádění klinických studií. Proto je třeba takovéto akce hledat online a zjišťovat, která farmaceutická společnost provádí průzkum u pacientů s MG a tuto společnost pak oslovit s nabídkou spolupráce.