

In dieser Ausgabe

- Treffen des OPTIMISTIC Studienteams.
- Häufig gestellte Fragen
- Fokus: Fatigue in DM1



Koordiniert wird das Projekt von Baziel Van Engelen aus Nijmegen in den Niederlanden

Kontaktperson



Dr. Stephan Wenninger
Stephan.Wenninger@med.uni-muenchen.de
0049 89 5160 7470

Herzlich willkommen

zum vierten OPTIMISTIC Newsletter. Sie erhalten diesen Newsletter mit Informationen zur **OPTIMISTIC-Studie**, an der Sie teilgenommen haben.

Um weiterhin Updates über das Projekt von uns zu erhalten, bestellen Sie bitte den Newsletter auf www.optimistic-dm.eu oder kontaktieren Sie Libby Wood elizabeth.wood2@ncl.ac.uk.

OPTIMISTIC eröffnet viele verschiedene Blickwinkel. Über **Kognitive Verhaltenstherapie** und **genetische Testung** informierten wir Sie bereits in den vorausgegangenen Newslettern, die Sie alle auf folgender Webseite zum Nachlesen finden: <http://www.optimistic-dm.eu/optimisticnewsletter/>.

In dieser Ausgabe gehen wir auf häufig gestellte Fragen ein und geben Ihnen einige Informationen zu dem Thema **Fatigue** und dessen Einfluss auf Menschen mit Myotoner Dystrophie Typ 1. Wir danken Ihnen für Ihr Interesse an OPTIMISTIC!

Treffen des OPTIMISTIC-Studien-Teams

Alle Studienleiter und Forschungsmitglieder der OPTIMISTIC Studie aus Frankreich, Deutschland, den Niederlanden und Großbritannien trafen sich in Budapest im November 2015. Dabei wurden viele Aspekte der Studie diskutiert. Es war schön zu sehen, wie gut sich die Studie mit ihren mehr als 250 Teilnehmern entwickelt hatte. Alle sind auf die ersten Zwischen-Ergebnisse 2016 gespannt.



Häufig gestellte Fragen

Wann werden die ersten Ergebnisse veröffentlicht?

Das OPTIMISTIC Forschungsteam beginnt Ende 2016 die im Rahmen der OPTIMISTIC Studie erhobenen Daten auszuwerten. Im Studienzentrum München konnte die klinische Studienphase mit dem letzten Besuch des zuletzt eingeschlossenen Patienten im September 2016 beendet werden. Aufgrund der Vielzahl an Informationen wird die Auswertung voraussichtlich einige Monate beanspruchen. Sobald Ergebnisse vorliegen, werden diese zunächst in Fachzeitschriften veröffentlicht, damit andere Ärzte und Wissenschaftler mehr über die Myotone Dystrophie erfahren. Außerdem werden wir Zusammenfassungen erstellen, die von den einzelnen Patientenorganisationen in ihren Newslettern und Internetseiten aufgenommen werden können.

255
Patienten aus
Vier europäischen
Ländern,
Deutschland,
Frankreich,
Niederlande,
Groß-
britannien,
Größte
multi-nationale
Studie für
Myotone
Dystrophie

Erhalte ich Zugang zu meinen persönlichen Ergebnissen?

Wir können und dürfen Ihnen bis zum Abschluss aller studienrelevanten Verfahren keine Ergebnisse mitteilen, da dies einen Kernpunkt der objektiven klinischen Studiendurchführung darstellt. Ihre persönlichen Belange können Sie aber jederzeit mit Ihrem behandelnden Arzt, Therapeuten und/oder dem Studienteam besprechen.

Was passiert mit den von mir abgegebenen Blut- und Urinproben?

Alle Blut- und Urinproben werden in der *Biobank von Newcastle for Research of Neuromuscular Disorders* aufbewahrt. Dies erlaubt Wissenschaftlern der OPTIMISTIC Forschungsgruppe sowie Wissenschaftlern weltweit, die eine Erlaubnis für die Nutzung dieser Proben haben, mehr über die Myotone Dystrophie zu erfahren. Ein Teil der Blutproben wird in Nijmegen und Glasgow hinsichtlich Genetik und molekularer Biomarker analysiert. Weitere Informationen dazu finden Sie im Newsletter 2 auf der OPTIMISTIC Homepage. Der Beginn der Blutanalyse ist für das erste Quartal 2017 geplant.

Kann ich eine Behandlung oder Therapie nach Studienende erhalten?

OPTIMISTIC ist eine Forschungsstudie. Das heißt, wir untersuchen, ob die Kombination aus kognitiver Verhaltenstherapie und gesteigerter Aktivität einen Effekt auf das Ausmaß der Fatigue und des Wohlbefindens hat. Wir werden nicht wissen, ob das der Fall ist, bevor nicht alle Daten ausgewertet worden sind. Momentan ist es nicht möglich, diese Behandlung anzubieten. Wir werden Sie allerdings informieren, wenn sich daran etwas ändert. Falls Sie weitere Fragen dazu haben, besprechen Sie das bei Ihrem nächsten Termin.

Gibt es andere Forschungsprojekte, an denen ich teilnehmen kann?

Die Zahl an Forschung und Studien zu Myotoner Dystrophie nimmt weltweit stetig zu. Daher gibt es vielleicht schon bald die Gelegenheit, an einer weiteren klinischen Studie teilnehmen zu können. Die beste Möglichkeit, um auf dem Laufenden gehalten zu werden, besteht darin, sich in dem jeweiligen Register Ihres Landes anzumelden. Weitere Informationen über Patientenregister und persönliche Kontaktdaten finden Sie auf der TREAT-NMD Webseite (<http://www.treat-nmd.eu/dm/patient-registries/DM/>). Darüber hinaus sind auf www.clinicaltrials.gov oftmals Informationen zu klinischen Forschungsprojekten aufgeführt. Wenn Sie nach „Myotoner Dystrophie“ suchen, können Sie mehr erfahren.

Im Fokus: Fatigue und Tagesmüdigkeit

Schlafbezogene Beschwerden treten gewöhnlich bei 3 von 4 Patienten mit Myotoner Dystrophie Typ 1 auf. Dieser Bestandteil der DM hat oft einen großen Einfluss auf den Alltag und es ist nicht ungewöhnlich, dass eine erhöhte Müdigkeit oder Fatigue, die Fähigkeiten zu arbeiten oder sich um die Familie zu kümmern, beeinflussen.

Einige schlafbezogene Symptome können sein:

- Schwierigkeiten, nach Mahlzeiten wach zu bleiben
- Einschlafen während der Arbeit, im Auto oder während des

Mehr Informationen:

Derzeit gibt es weitere Untersuchungen zur Myotonen Dystrophie und Schlafbezogenen Symptomen.

Material der Stiftung Myotone Dystrophie:
<http://myotonic.org/resources/publications>

Myotone Dystrophie Video der Stiftung:
<http://myotonic.org/2013-mdf-annual-conference-daytime-sleepiness-and-dm>

Myotonie Dystrophie Selbsthilfegruppe Broschüre:
<http://www.myotonicdystrophysupportgroup.org/leaflets/>

Fernsehens

- Lange und kaum erholsame „Nickerchen“ ohne Träume
- Restless leg Syndrom
- Morgendlicher Kopfschmerz

Schlafbezogene Symptome der Myotonen Dystrophie können durch eine Vielzahl an Problemen, wie z.B. Lungen-, Herz- oder zerebralen Schwierigkeiten verursacht werden. Daher kann es sehr schwierig sein, den tatsächlichen Grund herauszufinden. Am besten besprechen Sie jegliche Art dieser Beschwerden mit Ihrem Arzt, der Sie gegebenenfalls an einen Spezialisten für Schlafstörungen oder einen Lungenfacharzt für gezielte Untersuchungen überweisen kann.

Abhängig von der Ursache, wegen der Sie sich schläfrig oder müde fühlen, stehen Ihnen mitunter mehrere Behandlungsmöglichkeiten zur Verfügung.

Stimulierende Medikamente, z.B. Modafinil oder Ritalin

Diese Medikamente sind je nach Land unterschiedlich verfügbar und die verantwortlichen Stellen für die Medikamentenzulassung in Europa haben die Nutzung im Rahmen der Myotonen Dystrophie nicht offiziell erlaubt, weshalb sie nur unter speziellen Umständen verordnet werden können. Allerdings gibt es viele Berichte darüber, dass Patienten mit Myotoner Dystrophie und deren Familien diese Medikamente als sehr nützlich empfinden. Manchmal können diese Medikamente das Herz beeinflussen, daher muss die Einnahme sorgfältig von Ihrem Arzt geprüft werden.

Nächtliche Nicht-Invasive Beatmungsgeräte (CPAP, BiPAP)

Oftmals wird Menschen mit Myotoner Dystrophie ein Schlaftest über Nacht angeboten. Wenn der Test ergibt, dass die Tagesmüdigkeit durch nächtliche Atemstörungen verursacht wird, kann den Patienten eine nicht-invasive Beatmung (CPAP, BiPAP) angeboten werden, um das Atmen zu unterstützen. Das schließt das Tragen einer Maske über Nacht mit ein und, obwohl das unangenehm sein kann, profitieren viele Patienten davon, haben einen besseren Schlaf und sind dadurch tagsüber aufgeweckter.

OPTIMISTIC und Tagesmüdigkeit

OPTIMISTIC untersucht die Auswirkungen der kognitiven Verhaltenstherapie (CBT) und der gesteigerten körperlichen Aktivität auf das Leben der Menschen mit Myotoner Dystrophie Typ 1. Eines der wichtigsten Ergebnisse wird sein, festzustellen, inwieweit es die Tagesmüdigkeit, Fatigue und das allgemeine Maß an Aktivität beeinflusst. Die Forscher werden das u.a. mithilfe der Aktometer, die Sie getragen haben, und Ihren Antworten der Fragebögen beurteilen.

Vielen Dank,

dass Sie unseren Newsletter gelesen haben und dass Sie an der OPTIMISTIC Studie teilgenommen haben.