

Positionspapier

Heimtherapie / Heiminfusion

Thomas Schwagenscheidt, Thomas Schaller

Juli 2021

Morbus Pompe

Morbus Pompe (Glykogenose Typ II, Saure-Maltase-Mangel) ist eine seltene, genetisch bedingte Stoffwechselerkrankung, die sowohl zur Gruppe der sogenannten Glykogenspeicherkrankheiten als auch zu den lysosomalen Speicherkrankheiten zählt. Die Inzidenz für alle Verlaufsformen variiert für verschiedene ethnische Gruppen und geografische Regionen; Schätzungen reichen von 1:40.000 bis 1:300.000. Damit gehört die Krankheit zu den sogenannten seltenen Krankheiten (*Orphan Diseases*).

Verursacht wird Morbus Pompe durch eine genetische Mutation, die eine Reduzierung der Aktivität des Enzyms α -Glukosidase (Saure Maltase) bewirkt, welches für den Abbau von Glykogen (einer Speicherform des Zuckermoleküls Glukose) in den Lysosomen verantwortlich ist. Die Folge ist eine zunehmende Einlagerung von Glykogen in den Lysosomen und Zellen (vor allem in den Muskeln), was bei Menschen aller Altersgruppen zu einer fortschreitenden Muskelschwäche und zur Beeinträchtigung von Muskelfunktion und Atmung, bei Säuglingen auch der Herzfunktion führt.

Versorgungslage der Patienten

In Deutschland sind von Morbus Pompe schätzungsweise rund 400 Menschen betroffen. Patienten werden nach Diagnose der Krankheit im Rahmen einer Enzymersatztherapie lebenslang behandelt. Die Enzymersatztherapie wird alle 14 Tage in Form einer Infusion verabreicht. Diese Art der Substitutionstherapie wird üblicherweise in speziellen Kliniken, onkologischen Schwerpunkt- bzw. Tagespraxen, Dialysezentren und gelegentlich auch bei engagierten Internisten oder Hausärzten durchgeführt.

Der Verlauf von Morbus Pompe ist fast immer chronisch progredient, das heißt im Laufe der Zeit tritt eine Verschlechterung des Zustands ein. Die Enzymersatztherapie verbessert die Situation der Betroffenen erheblich. Studien belegen, dass der Gesundheitszustand durch die Enzymersatztherapie verbessert und stabilisiert werden kann. Individuell kann eine deutliche Steigerung der Lebensqualität erreicht werden.

Die meisten Patienten sind durch den 14-tägigen Infusionsrhythmus organisatorisch an ein festes Schema gebunden. Der Tag beginnt für viele schon sehr früh, die Anfahrt zum Infusionsort ist oft sehr weit und beschwerlich. Für Rollstuhlfahrer und beatmete Patienten bedeutet dies einen erheblichen logistischen, finanziellen und möglicherweise auch personellen Aufwand. Aber auch Patienten, die noch aktiv in das

Pompe Deutschland e.V.
Höhefeldstr. 26, 76356 Weingarten
Web: www.mpompe.de
Facebook: www.facebook.com/pompedeutschland

Bankverbindung:
IBAN: DE39 5606 2227 0000 1580 51
BIC: GENODED1RBO (Volksbank Rheinböllen)

Der Verein ist unter der Nummer VR 701421 beim Registergericht Mannheim eingetragen und gemäß Bescheid des Finanzamts Karlsruhe-Durlach vom 16.06.2020 als gemeinnützig anerkannt.
Vorstandsmitglieder im Sinne des §26 BGB: Thomas Schaller (Vorsitz), Thomas Schwagenscheidt (Stellvertreter), Friedhelm Borniger (Schatzmeister). Geschäftsführung: Daniela Roll.

Arbeitsleben integriert sind, sind diesem Infusionsrhythmus unterworfen. Entweder muss das Arbeitsverhältnis entsprechend gestaltet werden oder man hat häufig Fehltage.

Für viele Patienten ist deshalb der Aufwand, den Ort der Infusionsgabe zu erreichen, mit immensen Kraftanstrengungen verbunden. Mit Rüstzeiten, Anfahrt und Abfahrt, Dauer der Infusion vor Ort einschließlich Nachbeobachtungszeit kann sich der zeitliche Aufwand auf 8 bis 10 Stunden summieren.

Oft müssen Patienten begleitet werden, was außerdem einen erheblichen Aufwand für die Angehörigen bedeutet. Berufstätige Angehörige müssen dafür Urlaub oder Gleitzeit nehmen. Wenn Angehörige den Transport und die Begleitung nicht durchführen können, kommen weitere organisatorische Komplikationen hinzu. Welcher Transportdienst fährt den Patienten, wer begleitet den Patienten, wann muss man unter Berücksichtigung der Wetterverhältnisse und der Jahreszeiten losfahren? In vielen Fällen verursachen die anfallenden Kosten und der damit zusammenhängende Klärungs- und Antragsbedarf weitere Belastungen. Wer übernimmt beispielsweise die Kosten für den Transport oder eine externe Begleitperson? Das bedeutet Stress und viel Kraft, die viele Betroffene nicht mehr aufwenden können und die der Verschlechterung der Erkrankung Vorschub leisten.

Wie kann eine sinnvolle und effiziente Alternative aussehen?

Heimtherapie – eine Alternative zur herkömmlichen ambulanten Enzyersatztherapie?

Es gibt eine Alternative zur herkömmlichen ambulanten Infusion in Kliniken und Praxen: die Heimtherapie, das heißt die Durchführung der Enzyersatztherapie im heimischen Bereich. In vielen Ländern (zum Beispiel Großbritannien und den Niederlanden) ist die Heimtherapie bereits seit längerem Standard. Bedingt durch die Unterschiede in den Sozialsystemen, ist es in diesen Ländern kostengünstiger, die Infusion zu Hause durchzuführen als beispielsweise in einer Klinik.

Die Möglichkeit der Heimtherapie wird seit einigen Jahren auch in Deutschland angeboten. Nach anfänglichen Unsicherheiten seitens der Ärzte und Patienten und der Klärung einiger Fragen wie Kosten, Durchführung und Sicherheit stellte sich heraus, dass die Heimtherapie für viele Pompe-Patienten eine echte Alternative zur sonst üblichen ambulanten und teilstationären Enzyersatztherapie darstellt.

Wo liegen die Vorteile der Heimtherapie?

- Der logistische, zeitliche und häufig auch der personelle Aufwand entfällt.
- Es fallen keine Transportkosten mehr an.
- Der Patient befindet sich in seinem vertrauten Umfeld.
- Berufstätige Patienten, aber auch betroffene Schüler, Auszubildende und Studenten können die Therapie so planen, dass sie nicht mit den Arbeits-, Studien- oder Schulzeiten kollidiert, oder sie können von zu Hause arbeiten.
- Es entstehen dem Patienten keine Kosten durch die Heimtherapie.
- Während der Corona-Pandemie und ähnlicher Gefährdungslagen müssen keine Kliniken und Arztpraxen aufgesucht werden, was die Ansteckungsgefahr für Patienten und Angehörige reduziert.
- Während der gesamten Dauer der Heimtherapie ist eine Fachkraft (Krankenschwester/Krankenpfleger) anwesend, die aufgrund ihrer Ausbildung und regelmäßiger spezieller intensivmedizinischer Schulungsmaßnahmen auf dem aktuellen Stand ist und Notfallsituationen beherrschen kann.
- Durch die Heimtherapie fällt in der Regel kein Infusionstermin aus. Somit ist die Kontinuität in der Behandlung gegeben, was den langfristigen Erfolg der Therapie sichert.

- Der Patient erfährt durch die Heimtherapie eine deutliche Steigerung der Lebensqualität.
- Angehörige werden deutlich entlastet. Das bedeutet auch eine Verbesserung im psychosozialen Umfeld des Patienten.

Gibt es Nachteile der Heimtherapie?

Direkte Nachteile der Heimtherapie sind nach unserer Auffassung nicht vorhanden. Von Pompe-Patienten in Heimtherapie erhielten wir nur positive Rückmeldungen. Da aber, wie bei allen Menschen, auch die Bedürfnisse der Pompe-Patienten sehr unterschiedlich sind, möchte nicht jeder eine Heimtherapie durchführen. Es gibt Patienten, die Privates und Therapie getrennt halten möchten, sich deshalb lieber unter klinischen Randbedingungen infundieren lassen und keine Heimtherapie wünschen.

Für welche Pompe-Patienten kommt die Heimtherapie in Frage?

Diese Entscheidung liegt immer bei dem behandelnden Arzt. Eine pauschale Antwort ist nicht möglich. Gemeinsam mit dem Patienten ist zu klären, ob eine Heimtherapie aus medizinischer Sicht ratsam, sinnvoll und durchführbar ist. Führende Pompe-Spezialisten haben hierzu 2021 eine Konsensusempfehlung veröffentlicht, welche die aktuelle Situation sehr gut darstellt:

- Andreas Hahn, Christina Lampe, Matthias Boentert, Thomas Hundsberger, Wolfgang Löscher, Stephan Wenninger, Andreas Ziegler, Florian Lagler, Diana Ballhausen, Thomas Schlegel, Benedikt Schooser: **Heiminfusionstherapie bei Morbus Pompe: Konsensusempfehlungen für den deutschsprachigen Raum.** Fortschr Neurol Psychiatr, DOI: 10.1055/a-1365-8977

Fazit

Aus Sicht von Pompe Deutschland e.V. bedeutet die Durchführung der Enzyersatztherapie im heimischen Bereich eine deutliche Verbesserung der Versorgungslage. Sie ist geeignet, die Therapietreue zu erhöhen. Für Patienten, die sich in Absprache mit ihrem behandelnden Arzt für die Heimtherapie entscheiden, bedeutet sie in aller Regel eine erhebliche Entlastung und spürbare Steigerung der Lebensqualität.

Unser Wunsch als Selbsthilfeorganisation ist, dass diese Art der Versorgung Eingang in die sozialversicherungsrechtlichen Strukturen findet. Für Patienten wäre dies mit einer Erleichterung organisatorischer Abläufe verbunden, und die Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen könnte deutlich verbessert werden.

Pompe Deutschland e.V.

– Der Vorstand –

Die in diesem Text gewählte männliche Form bezieht sich immer zugleich auf weibliche, männliche und diverse Personen.