

# Pressemitteilung

Kontakt: Thomas Schaller  
[schaller@mpompe.de](mailto:schaller@mpompe.de)  
+49 7244 1230

## Neue Therapien geben Pompe-Patienten Hoffnung

Vor 25 Jahren wurde die seltene Erkrankung Morbus Pompe noch als Waisenkind der Medizin (*orphan disease*) bezeichnet. Heute blicken wir auf umfangreiche weltweite Forschungsaktivitäten, durch die der Verlauf der Erkrankung besser verstanden wird und neue Therapieansätze entwickelt werden. Bei Morbus Pompe ist das Spektrum der Symptome und damit die Auswirkungen auf den Alltag und die Lebensqualität der Betroffenen außerordentlich vielfältig: Die Krankengeschichten beginnen mit Einschränkungen von Mobilität und Beweglichkeit, führen zum Verlust körperlicher Fähigkeiten und weitgehenden Einschränkungen der Lebensqualität bis hin zur Abhängigkeit von Rollstuhl und Beatmung.

Jede neue therapeutische Möglichkeit kann das Leben der Betroffenen verändern. Bereits kleine Veränderungen können zu spürbaren Verbesserungen im Lebensalltag führen, wenn zum Beispiel der Bewegungsradius vergrößert oder die Zahl der Beatmungstunden verringert wird. Therapie, namentlich die Enzyersatztherapie, bewirkt für Pompe-Patienten nicht in erster Linie die Veränderung medizinischer Parameter, sondern die Verbesserung von Lebensqualität und sozialer Teilhabe.

Alle Patienten werden – auch unter einer Therapie – über kurz oder lang mit einer Verschlechterung der Symptome konfrontiert, so dass der Wunsch nach neuen Behandlungsoptionen geäußert wird. Eine neue Enzyersatztherapie eröffnet die Möglichkeit, auf Veränderungen in der persönlichen Situation individuell zu reagieren. Entsprechend groß ist die Freude, wenn neue Therapien verfügbar werden. Als Selbsthilfeorganisation verfolgen wir mit großen Erwartungen klinische Studien und die Zulassung neuer Therapien. Über den medizinischen Nutzen hinaus begrüßen wir auch die erhöhte Versorgungssicherheit, wenn Therapien von mehreren Unternehmen angeboten werden.

***Morbus Pompe ist erblich bedingt, bewirkt Veränderungen im Glykogenstoffwechsel und hat Auswirkungen auf die Skelett- und Atemmuskulatur. Morbus Pompe besitzt ein breites klinisches Spektrum mit individuell stark variierenden Symptomen und Verläufen der Krankheit und ist nicht heilbar.***

***Pompe Deutschland e.V. vertritt rund 140 Patienten und deren Angehörige. Als überregional tätige Selbsthilfeorganisation sind wir ein Zusammenschluss von Menschen zur gegenseitigen Hilfe und Unterstützung, für den Erfahrungsaustausch untereinander und zur gemeinsamen Bewältigung der Erkrankung.***

Weingarten/Baden, 13.07.2023