



## Myasthenia gravis:

# Wege zur optimalen Patientenversorgung

**Claudia Schlemminger, Judith Gruber, Tim Florian Frick** | Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.

**Prof. Dr. Andreas Meisel** | Charité Berlin

**Dr. Andreas Funke** | Neurologie am Funckerberg, Königs Wusterhausen

**Johannes Heuckeroth, Kathrin Ludwig** | UCB Pharma GmbH

# Inhalt

1. Executive Summary / Kurzfassung.....	2
2. Zielsetzung und Methodik des White Papers.....	4
3. Hintergrund zur Erkrankung: Was ist Myasthenia gravis und was macht sie besonders?... 5	
4. Mit welchen Herausforderungen sehen sich Betroffene in der Versorgungslandschaft in Deutschland konfrontiert?.....	9
5. Die Versorgung von Myasthenia gravis aus unterschiedlichen Perspektiven .....	19
5.1. Perspektive der Betroffenen.....	19
5.2. Perspektive aus der medizinischen Wissenschaft.....	20
5.3. Perspektive aus der niedergelassenen Praxis.....	22
5.4. Perspektive der forschenden pharmazeutischen Industrie.....	23
6. Fazit: Handlungsempfehlungen auf den Punkt gebracht .....	24

**Hinweis:** Im White Paper wird eine inklusive Sprache verwendet. Im Plural wird mit Doppelpunkt gegendert. Im Singular wird zwischen männlicher und weiblicher Form gewechselt. Hier sind jeweils beide Geschlechter mitgemeint.

Die Inhalte des vorliegenden White Papers wurden von den Autor:innen gemeinsam erarbeitet und thematisiert. Die Ausarbeitung erfolgte mit freundlicher Unterstützung des biopharmazeutischen Unternehmens UCB Pharma GmbH.

# 1. Executive Summary / Kurzfassung

Dieses White Paper befasst sich mit der Versorgungssituation der Seltenen Erkrankung Myasthenia gravis (MG) in Deutschland. Es ist das Ergebnis der Zusammenarbeit der Deutschen Myasthenie Gesellschaft e. V. (DMG), Prof. Dr. Andreas Meisel, Oberarzt der Klinik für Neurologie und Leiter des integrierten Myasthenie-Zentrums an der Charité Berlin, Dr. Andreas Funke, niedergelassener Facharzt für Neurologie, und dem biopharmazeutischen Unternehmen UCB Pharma.

Ziel des Vorhabens ist es, die Aufmerksamkeit für die MG zu steigern und eine gemeinsame, starke Basis zur nachhaltigen Verbesserung der Versorgungsstrukturen zu schaffen, die derzeit an einigen Punkten noch Defizite erkennen lässt. Hierfür haben wir zahlreiche Expert:innen und Betroffene über Experteninterviews und zwei Roundtables in das Projekt eingebunden.

Myasthenia gravis ist eine chronische und unheilbare Seltene Erkrankung. Sie wird charakterisiert durch eine teils schwere Muskelschwäche, deren Ursache eine fehlgesteuerte Immunreaktion gegen körpereigene Strukturen der Muskulatur ist. Bei der so genannten myasthenen Krise handelt es sich um eine lebensbedrohliche Verschlechterung der MG. Sie tritt bei bis zu 20 Prozent der Betroffenen im Laufe des Krankheitsverlaufs mindestens einmal auf.

Eine besondere Komplexität des Krankheitsbildes bei MG stellt ihr fluktuierender Charakter dar. Er erschwert und verlängert die Diagnosefindung und sorgt im Umfeld der Patient:innen für Unverständnis und Unsicherheit im Umgang mit den Betroffenen. Für Betroffene bedeutet die Diagnose MG meist eine lebenslange ärztliche Behandlung und Medikation, die teils mit starken Nebenwirkungen einhergeht.

Die Erfahrungen der Betroffenen und der medizinischen MG-Expert:innen zeichnen ein einheitliches Bild: Die Aufmerksamkeit für und das Wissen über die Seltene Erkrankung MG ist in der Öffentlichkeit nicht in ausreichendem Maße vorhanden. Die MG ist im Vergleich zu anderen Seltenen Erkrankungen wie der Amyotrophen Lateralsklerose (ALS) oder der Spinalen Muskelatrophie (SMA) eine weitestgehend unbekannte Erkrankung, die bisher kaum öffentliche Aufmerksamkeit erfahren hat. Das hat ernste Folgen für die Patient:innen: Unverständnis und fehlendes Wissen über Erkrankung und Krankheitslast.

Insbesondere die Patientenorganisation Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V. (DMG) leistet einen unverzichtbaren (ehrenamtlichen) Beitrag an der Schnittstelle zwischen Ärzte- und Patientenschaft, ist aber in der öffentlichen Wahrnehmung noch nicht ausreichend sichtbar.

MG-Patient:innen sehen sich konfrontiert mit erheblichen ungedeckten medizinischen Bedarfen: Der Weg zu einer Diagnose kann lang und umständlich sein, ein Zugang zur Versorgung ist noch nicht flächendeckend sichergestellt und eine nur punktuell ausgerichtete Behandlung kann zu Unter- oder Fehlversorgung führen. Da in der Gesamtzahl zu wenige spezialisierte Zentren existieren und regionale Unterschiede bestehen, müssen Betroffene zum Teil monatelange Wartezeiten und lange Anreisen zu Spezialzentren in Kauf nehmen.

Zur Behandlung komplexer, schwerwiegender und organübergreifender Krankheitsbilder wie der MG ist eine interdisziplinäre medizinische Versorgung unabdingbar. Eine koordinierte fach- und sektorenübergreifende Zusammenarbeit zwischen ambulanten, stationären und rehabilitativen Leistungserbringern sowie nicht-ärztlichen Heilberufen ist demzufolge für einen optimalen Therapieprozess von großer Bedeutung. Versorgungsmodelle wie die Ambulante Spezialfachärztliche Versorgung (ASV) können ein erster richtiger Schritt zur Optimierung der MG-Versorgung sein.

Der Bedarf an Unterstützung entlang eines optimalen Patientenpfades ist für Patient:innen sehr groß. Sie wünschen sich daher einen Patientenlotsen, der ihnen entlang des Behandlungspfades zur Seite steht und die wichtigsten Informationen zu Therapie und Sozialleistungen zur Verfügung stellt sowie die Koordination zwischen unterschiedlichen Leistungserbringern übernimmt. MG verläuft in vielen Fällen chronisch und schwerwiegend, daher sind nichtärztliche therapiebegleitende Leistungen für Betroffene von großer Bedeutung. Dazu gehört auch die schnelle Vergabe einer Pflegestufe, die Chancen auf Rehabilitationsmaßnahmen sowie kürzere Wartezeiten bei der psychosozialen Versorgung.

Die Selbsthilfe ist für Betroffene eine wichtige Anlaufstelle. Aufgrund der Seltenheit der Erkrankung spielt die medizinische, psychologische und soziale Patientenschulung eine größere Rolle als bei anderen Erkrankungen, da keine Ärzteschaft vorhanden ist, die bereits weitestgehend sensibilisiert und geschult ist.

Ein weiterer zentraler Baustein für eine bessere Versorgung der MG ist die Therapie. Die Therapielandschaft befindet sich derzeit im Umbruch und zunehmend stehen den Patient:innen innovative, zielgerichtete Therapien zur Verfügung. Mit dem vorhandenen Werkzeug müssen bestehende Therapiekonzepte weiter optimiert werden. Hier kommt insbesondere Real World Evidence (RWE) und der Versorgungsforschung eine wichtige Rolle zu. Das Register der Patientenorganisation DMG<sup>1</sup> dient nicht nur der Qualitätssicherung, sondern ist auch Treiber für die so wichtige Versorgungsforschung.

---

<sup>1</sup> Das Deutsche Myasthenie-Register (MYAREG). | <https://dmg.online/myasthenie-register>

## 2. Zielsetzung und Methodik des White Papers

### Ziele des White Papers

Menschen mit Seltenen Erkrankungen fühlen sich oft vergessen, ungehört oder missverstanden. Aufgrund der Seltenheit der Erkrankungen sind betroffene Patient:innen regelmäßig mit den Herausforderungen der unzureichenden Erforschung, langwierigen Diagnose und limitierten, zielgerichteten Therapieoptionen konfrontiert. Häufig werden die medizinischen und sozialen Bedarfe dieser Patient:innen nicht adressiert.

Die medizinische Versorgung von Patient:innen mit Myasthenia gravis stellt besondere Anforderungen an alle Beteiligte im Gesundheitswesen. Die Erkrankung wird auch heute noch meist erst mit mehrjähriger Verzögerung diagnostiziert und häufig nicht bedarfsgerecht behandelt. Die defizitäre Versorgungssituation macht es notwendig, die Bedarfe von Patient:innen mit MG genau zu verstehen sowie Stärken und Schwächen entlang des Behandlungspfads darzustellen. Die Veröffentlichung dieses White Papers zielt darauf ab, die öffentliche und politische Aufmerksamkeit für die Erkrankung zu erhöhen und Maßnahmen sowie Initiativen zur Verbesserung der Versorgungssituation für Betroffene anzustoßen.

Als Beteiligte an der Versorgung haben sich Vertreter:innen der Deutschen Myasthenie Gesellschaft e. V. (DMG), Vertreter:innen der medizinischen Wissenschaft und der niedergelassenen Praxis sowie das biopharmazeutische Unternehmen UCB Pharma GmbH an einen Tisch gesetzt und auf ein gemeinsames Ziel hingearbeitet: zu diskutieren und Vorschläge zu erarbeiten, wie eine optimale Versorgung erreicht werden kann.

### White Paper-Konzeption

Um eine möglichst umfassende und vielseitige Sichtweise auf das Versorgungsgeschehen im Bereich der MG zu erhalten, wurden unterschiedliche Akteure in Experteninterviews befragt. Für das halbstrukturierte Interview wurden drei Fragebögen entwickelt, die jeweils auf einen bestimmten Empfängerkreis (öffentliche Organisationen und Politik, Leistungserbringer und Patient:innen) zugeschnitten waren. Zur Gewährleistung der Vergleichbarkeit war der Großteil der Fragenkomplexe bei den befragten Gruppen identisch. Diese wurden zusätzlich durch gruppenspezifische Fragen ergänzt. Ziel der Befragung bei Patientenorganisationen war die Evaluation der Erfahrungen Betroffener. Die Befragung von Politik einerseits und Leistungserbringern andererseits diente der Evaluation der Versorgungsstrukturen sowie der generellen Wissenslage.

In einem ersten Schritt wurden Experteninterviews durchgeführt. Dadurch sollten aus der Sicht von Leistungserbringern, Patientenorganisationen und Politik differenzierte Perspektiven auf die Versorgungssituation abgeleitet werden. Darauf aufbauend wurde in einem ersten Roundtable am 07.03.2023, an dem sowohl medizinische Expert:innen als auch Patient:innen mit MG teilnahmen, der Handlungsbedarf ermittelt und entsprechend der Herausforderungen priorisiert. In einem zweiten Roundtable am 13.06.2023, an dem zusätzlich auch politische Entscheidungsträger:innen teilnahmen, wurden gemeinsam Handlungsempfehlungen zur Verbesserung der Versorgungssituation erarbeitet.

Die Ergebnisse der Experteninterviews und der beiden Roundtables finden sich in diesem White Paper wieder. Das Ziel der Autor:innen ist es, die Aufmerksamkeit für die Herausforderungen bei der Versorgung von Menschen mit einer Seltenen Erkrankung wie MG zu erhöhen und eine gemeinsame, starke Basis zur nachhaltigen Verbesserung der Versorgungsstrukturen zu schaffen.

## 3. Hintergrund zur Erkrankung: Was ist Myasthenia gravis und was macht sie besonders?

### Eigenschaften Seltener Erkrankungen

Der Begriff Seltene Erkrankungen meint diejenigen Erkrankungen, von denen nur eine vergleichsweise kleine Zahl von Menschen betroffen ist. In Europa wird eine Krankheit als selten klassifiziert, wenn höchstens eine unter 2.000 Personen von ihr betroffen ist. Studienergebnisse sowie Entwicklungen auf europäischer Ebene haben zur Gründung des Nationalen Aktionsbündnisses für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) geführt, welches 2013 einen Nationalen Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAP) veröffentlichte. Eine Vielzahl von Maßnahmen und Projekten wurde seitdem umgesetzt, mit dem Ziel, zur Verbesserung der Versorgungssituation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen beizutragen.<sup>2</sup>

### Definition der Myasthenia gravis

MG ist eine chronische und unheilbare Seltene Erkrankung. Sie führt klinisch zu einer teils schweren Muskelschwäche, deren Ursache eine fehlgesteuerte Immunreaktion, d. h. eine Bildung von Abwehrstoffen (Antikörpern) gegen körpereigene Strukturen der Muskulatur ist.<sup>3</sup> Die Inzidenz<sup>4</sup> der MG bewegt sich zwischen 0,25 und 3,0 pro 100.000 Einwohner:innen. Die Prävalenz<sup>5</sup> von 10-36 pro 100.000 Einwohner:innen<sup>6</sup> ist aufgrund erfolgreicher Therapie und einer normalen Lebenserwartung bei angemessener Behandlung ansteigend.

### Entstehung und Entwicklung

Bei der MG blockieren Antikörper die Erregungsübertragung am Acetylcholin-Rezeptor-Molekülkomplex des Skelettmuskels. Diese Antikörper lassen sich bei einem Großteil der Patient:innen mit geeigneten Methoden im Serum nachweisen. Initiale Bildungsstätte der Antikörper-produzierenden Zellen ist bei den meisten Patient:innen der Thymus. Bis zu 80 Prozent der Patient:innen weisen eine Thymusveränderung (Hyperplasie oder Thymom) auf.

---

<sup>2</sup> BMG (2023): 6

<sup>3</sup> Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V: Myasthenia gravis – Was ist das? | <https://dmg.online/myastheniagravis>

<sup>4</sup> Die Inzidenz gibt Aufschluss über neu auftretende Fälle.

<sup>5</sup> Die Prävalenz gibt Aufschluss über bestehende Fälle.

<sup>6</sup> Wiendl, Meisel et al. (2022): 14

## Symptomatik und Unterscheidung unterschiedlicher MG-Formen

Da es sich bei MG um eine neurologische Erkrankung mit gestörter Impulsübertragung an der Kontaktstelle zwischen Nerv und Muskel handelt, kann sich die Krankheit auf die Muskelkapazität an unterschiedlichen Stellen des Körpers auswirken. Daher kann bei der Indikation zwischen einer okulären und generalisierten Myasthenie, leichter, mittlerer und schwerer Ausprägung unterschieden werden. Bei der okulären Myasthenie betrifft die Hauptsymptomatik die äußeren Augenmuskeln.

**Tabelle 1: Die Schweregradeinteilung der Myasthenie gemäß der Myasthenia Gravis Foundation of America (MGFA)**

Schweregrad	Symptomatik
I: Okuläre Myasthenie	Äußere Augenmuskulatur betroffen
II-V: Generalisierte Myasthenie	Beteiligung von Skelettmuskulatur, Gesichtsmuskulatur und Schlundmuskulatur möglich II: leichtgradig III: mäßiggradig IV: schwergradig V: intubationsbedürftig

Quelle: Eigene vereinfachte Darstellung nach MGFA-Klassifikation

Okuläre Symptome sind häufig Initialsymptome einer später generalisierten MG, denn nur bei 10–20 Prozent der Patient:innen bleibt die Muskelschwäche lediglich auf die Augenmuskeln beschränkt. Als Zeitraum bis zur Generalisierung werden zwei bis drei Jahre angenommen. Die generalisierte MG ist hier als jegliche Beteiligung von Gesichts-, Schlund-, Hals/Nacken- und Skelettmuskulatur definiert, unabhängig von den betroffenen Körperregionen und relativer Ausprägung. Dabei sind Patient:innen mit einer deutlichen Beteiligung der Schlund- und Atemmuskulatur stärker gefährdet, eine kritische Verschlechterung im Sinn einer myasthenen Krise zu erleiden.

Bei der Alters-Form bzw. „Late-onset Myasthenia gravis“ (LOMG) beträgt der Anteil der über 50-Jährigen etwa 60 Prozent und betrifft überwiegend Männer. Die „Early-onset“-Manifestierung der MG tritt zumeist zwischen dem 20. und dem 40. Lebensjahr auf und betrifft in erster Linie Frauen. Bei Männern tritt die Erkrankung häufig erst ab dem 60. Lebensjahr auf. Die juvenile Form der MG tritt bereits im Kindes- bzw. Jugendalter auf. Rund 10 Prozent aller MG-Patient:innen sind Kinder und Jugendliche im Alter unter 16 Jahren.

Zur Einschätzung der Auswirkungen des myasthenen Syndroms auf die Aktivitäten des täglichen Lebens können unterschiedliche Scores herangezogen werden. Einer dieser Scores ist der MG-ADL (Myasthenia Gravis Activities of Daily Life Score), bei dem die Patient:innen mittels Fragebogen eine Selbsteinschätzung vornehmen.<sup>7</sup>

<sup>7</sup> Wiendl, Meisel et al. (2022): 29

Zur Evaluation werden diverse Items betrachtet. Eines der Items bezieht sich auf die Symptomatik des hängenden Augenlides. Die weiteren Items sind Sprechvermögen, Kauen, Schlucken, Atmung, Beeinträchtigung der Fähigkeit zum Zähneputzen oder Haare kämmen, Beeinträchtigung der Fähigkeit, sich von einem Stuhl zu erheben, und Doppelsichtigkeit.<sup>8</sup>

Mittel- bis langfristig geht man bei bis zu 75 Prozent der Patient:innen von einem günstigen Verlauf mit einer dann zumeist kompletten Remission oder minimaler Krankheitsmanifestation aus. Dennoch kann die MG immer wieder reaktiviert werden. Die potenziellen Auslöser/Krankheitsverstärker sind dabei Infektionen, Operationen, Schwangerschaften und bestimmte Medikamente.<sup>9</sup> Auch Stress und Anspannung können sich auslösend bzw. verstärkend auswirken.

## Myasthene Krise

Die myasthene Krise ist eine lebensbedrohliche Verschlechterung der MG mit respiratorischer Insuffizienz und Aspiration. Sie tritt bei bis zu 20 Prozent der Betroffenen im Laufe des Krankheitsverlaufs mindestens einmal auf. Die häufigsten Auslöser sind Infektionen und Medikationsfehler sowie eine unzureichende immunsuppressive Therapie.<sup>10</sup> In Deutschland liegt die Mortalität bei einer myasthenen Krise auch heute noch bei 12 Prozent.<sup>11</sup>

## Diagnose

Wichtige Hinweise auf das Vorliegen der MG gibt die körperliche Untersuchung. Zunächst ist jedoch vor allem die Anamnese einer belastungsunabhängigen Muskelschwäche wichtig. Betroffene Patient:innen ermüden bei Durchführung repetitiver Handlungen (z. B. häufiges Öffnen und Schließen der Hand) schnell. Im Simpson-Test<sup>12</sup> zeigt sich bei einem längeren Blick nach oben eine Zunahme der Lidmuskelschwäche. Im sogenannten Tensilontest wird ein kurzwirksamer Acetylcholinesterasehemmer gegeben. Eine Besserung der Symptomatik ist für die MG typisch, jedoch nicht spezifisch. Wichtig für die Diagnose sind die elektrophysiologische Untersuchung mit einer Serienstimulation des motorischen Nervs sowie der labormedizinische Antikörpernachweis gegen den Acetylcholinrezeptor im Blutserum, der jedoch aus verschiedenen Gründen nicht immer möglich und für die Diagnose einer MG nicht zwingend erforderlich ist.<sup>13</sup> Es gibt zudem Antikörpernachweise, die LRP4<sup>14</sup> oder die muskelspezifische Rezeptor-Tyrosinkinase (MuSK) betreffen.<sup>15</sup> Diese sind jedoch weitaus seltener.

## Therapie und neue Therapieansätze

Ziel der Therapie ist die bestmögliche Krankheitskontrolle der MG. In den vergangenen Jahren wurden neue Therapietargets und vollständig neue Therapiestrategien entwickelt, welche in einer neuen S2k-Leitlinie der Deutschen Gesellschaft für Neurologie (DGN) dargestellt sind.<sup>16</sup>

---

<sup>8</sup> Muppidi et al. (2021): 631

<sup>9</sup> Wiendl, Meisel et al. (2022): 21

<sup>10</sup> Wiendl, Meisel et al. (2022): 26

<sup>11</sup> Neumann et al. (2019): 308

<sup>12</sup> DocCheck Flexikon: Simpson-Test. | <https://flexikon.doccheck.com/de/Simpson-Test>

<sup>13</sup> DocCheck Flexikon: Myasthenia gravis. | [https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia\\_gravis](https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia_gravis)

<sup>14</sup> Lipoprotein receptor-related protein

<sup>15</sup> Gasperi, C. (2015): 4

<sup>16</sup> Ärzteblatt (2023)



Im Rahmen der nicht-medikamentösen Behandlung der MG bei Patient:innen mit nachgewiesenem Thymom wird, unabhängig vom Schweregrad der Erkrankung, die Thymusdrüse operativ entfernt. Diese Thymektomie sollte möglichst frühzeitig im Krankheitsverlauf erfolgen. Die Thymektomie weist Erfolgsraten von etwa 70 Prozent auf, die Besserung der Symptomatik tritt jedoch meistens erst ab ca. neun Monaten nach der Operation ein. Die ergänzende Pharmakotherapie besteht hauptsächlich in einer Immunsuppression.

Die neue Leitlinie unterscheidet die hochaktive von der milden/moderaten Verlaufsform und empfiehlt eine Stufentherapie. Das kann bei der hochaktiven MG beispielsweise zusätzlich zum Therapie-Standard (Pyridostigmin, Steroid, Langzeitimmunsuppression, Thymektomie) eine Add-on-Therapie mit modernen Immunmodulatoren sein.

Rein symptomatische Linderung verschafft die Gabe von Acetylcholinesterasehemmern. Dabei ist zu beobachten, dass sich zwar insgesamt die Symptomatik bessert, die typischen klinischen Erscheinungen am Auge jedoch häufig kaum Veränderung zeigen. Zudem ist diese rein symptomatische Therapie ausschließlich in der Lage, die Beschwerden zu lindern, kann aber weder die Krankheit ursächlich noch ihren Verlauf beeinflussen

Die Therapielandschaft befindet sich jedoch derzeit im Umbruch: Zunehmend stehen den Patient:innen innovative, zielgerichtete Therapien zur Verfügung. In den letzten Jahren haben sich sukzessive spezifisch auf das Immunsystem wirkende Substanzen zur Behandlung von MG etabliert. Diese zeichnen sich durch einen schnellen Wirkeintritt und ein gutes Nutzen-Nebenwirkungs-Profil aus.<sup>17</sup> Dazu gehören C5-Komplement-Inhibitoren sowie FcRn-Blocker.

Eine wichtige Rolle bei der Therapie nimmt auch die Behandlung von mit der Myasthenie assoziierten Komorbiditäten (z. B. Fatigue, Depression, Angststörung, Schlafstörung) ein. Zur weiteren Verbesserung der Versorgung ist es essenziell, dass das Verständnis für diese Symptome bei Mediziner:innen und Patient:innen gestärkt wird.<sup>18</sup>

## **Auswirkungen auf den Alltag von Patient:innen (Burden of Disease)**

Die meisten Behandler:innen gehen bei einer Standardbehandlung von hinreichenden Verbesserungen der Beschwerden bei den Patient:innen aus. Aus Perspektive der Patient:innen ist die Wahrnehmung oft jedoch eine andere, da die derzeitigen Standardtherapien häufig nicht ausreichend wirken bzw. zu lange für eine ausreichende Wirkung brauchen. Erschwerend kommt hinzu, dass diese zu oft intolerable Nebenwirkungen mit sich bringen. Grundsätzlich bleibt für viele Patient:innen eine Erkrankung mit MG mit schweren körperlichen und sozialen Einschränkungen verbunden.

Die Diagnose MG bedeutet eine meist lebenslange ärztliche Behandlung und Medikation, die teils mit starken Nebenwirkungen einhergeht. Betroffene müssen ihren Alltag an ihren eigenen Belastungsgrenzen ausrichten und die Unvorhersehbarkeit der Symptome und die damit einhergehenden psychischen und physischen Komorbiditäten machen die Lebensgestaltung weniger planbar und erschweren eine gesellschaftliche Teilhabe sowie die Erwerbsfähigkeit. Die Krankheitssymptome und die fehlende Anerkennung der Erkrankung sowie Unverständnis von Seiten der Familie, des Freundeskreises oder des Arbeitgebers führen zu erheblichen Belastungen im alltäglichen Leben.

---

<sup>17</sup> Informationsdienst Wissenschaft (2023): Neue Therapieoptionen bei Myasthenia gravis. | <https://idw-online.de/de/news814440>

<sup>18</sup> Wiendl, Meisel et al. (2022): 85

Aktuelle Studien zeigen, dass sich die Krankheitslast durch Myasthenien negativ auf die gesundheitsbezogene Lebensqualität auswirkt: 45,8 Prozent der Patient:innen geben an, aufgrund ihrer MG arbeitsunfähig zu sein.<sup>19</sup> Ebenso berichten Patient:innen, dass sich die Krankheit negativ auf soziale Kontakte und die individuelle Familienplanung auswirke. In diesem Zusammenhang stellen insbesondere die fehlende Planbarkeit und Durchführung von gemeinsamen Aktivitäten eine erhebliche Herausforderung dar, die bei den Patient:innen zu Gefühlen der wahrgenommenen und/oder realen Einsamkeit führen können.<sup>20</sup>

## 4. Mit welchen Herausforderungen sehen sich Betroffene in der Versorgungslandschaft in Deutschland konfrontiert?

### Wenig Anerkennung und Verständnis in der Öffentlichkeit

Die Erfahrungen Betroffener und von MG-Expert:innen zeichnen ein einheitliches Bild: Die Aufmerksamkeit für und das Wissen über die Seltene Erkrankung MG ist in der Öffentlichkeit nicht vorhanden. Die MG ist im Vergleich zu anderen Seltenen Erkrankungen wie der Amyotrophen Lateralsklerose (ALS) oder der Spinalen Muskelatrophie (SMA) eine weitestgehend unbekannte Erkrankung, die bisher auch kaum mediale Aufmerksamkeit erfahren hat.

Die fehlende Aufmerksamkeit in der Gesellschaft ist neben der Seltenheit auch auf die eingeschränkte äußerliche Sichtbarkeit der Erkrankung und ihrer Krankheitslast zurückzuführen. Der fluktuierende Charakter ist kennzeichnend für die Erkrankung und sorgt bei den Betroffenen für ein fortwährendes Auf und Ab im Alltag, sodass Veränderungen jenseits der Belastungsfähigkeit schwer vorhersehbar sind. Die Ausprägung und das Auftreten der Muskelschwäche sind individuell und können sich tagesform- und belastungsabhängig sehr unterschiedlich äußern. Die Individualität der Symptomatik erschwert somit auch das Eintreten eines Wiedererkennungseffekts.

Insgesamt ist die Myasthenie in der Ärzteschaft weitestgehend unbekannt; Neurolog:innen hingegen sollte MG bekannt sein. Dennoch scheint sich in letzter Zeit auch die Sensibilisierung für die Diagnose in der Ärzteschaft zu verbessern. Das therapeutische Wissen ist jedoch außerhalb spezialisierter Zentren stark begrenzt.

Nichtdestotrotz haben Patient:innen häufig das Gefühl, dass ein gewisses Unverständnis zwischen ihnen und den behandelnden Ärzt:innen herrscht. Dieses Gefühl wird unter anderem durch eine unterschiedliche Wahrnehmung der Krankheitsbeschwerden und der Behandlungslast sowie unterschiedliche Behandlungsziele hervorgerufen.<sup>21</sup> Ein besseres Verständnis sowie eine gesteigerte Sensibilität von Seiten der Ärzteschaft wäre generell für Betroffene wünschenswert, damit auf die individuellen Bedürfnisse in ausreichendem Maße eingegangen werden kann.

---

<sup>19</sup> Lehnerer et al. (2021): 3055

<sup>20</sup> Law et al. (2021): 1110 ff.

<sup>21</sup> Law et al. (2021): 1108

Durch die fehlende Aufmerksamkeit für MG haben Patient:innen mit schwerwiegenden Folgen zu kämpfen: Unverständnis und fehlendes Wissen über Erkrankung und Krankheitslast bei Arbeitgebern, Leistungserbringern und Kostenträgern und selbst unter Angehörigen, im Familien- und Freundeskreis führen zu Versorgungsdefiziten, Stigmatisierung und fehlender sozialer Unterstützung bei der Bewältigung des Alltags. Viele Patient:innen ziehen sich in der Folge zurück, über- oder unterfordern sich selbst und erhalten nicht die angemessene Versorgung, die für eine Verbesserung des Krankheitsverlaufs notwendig wäre.

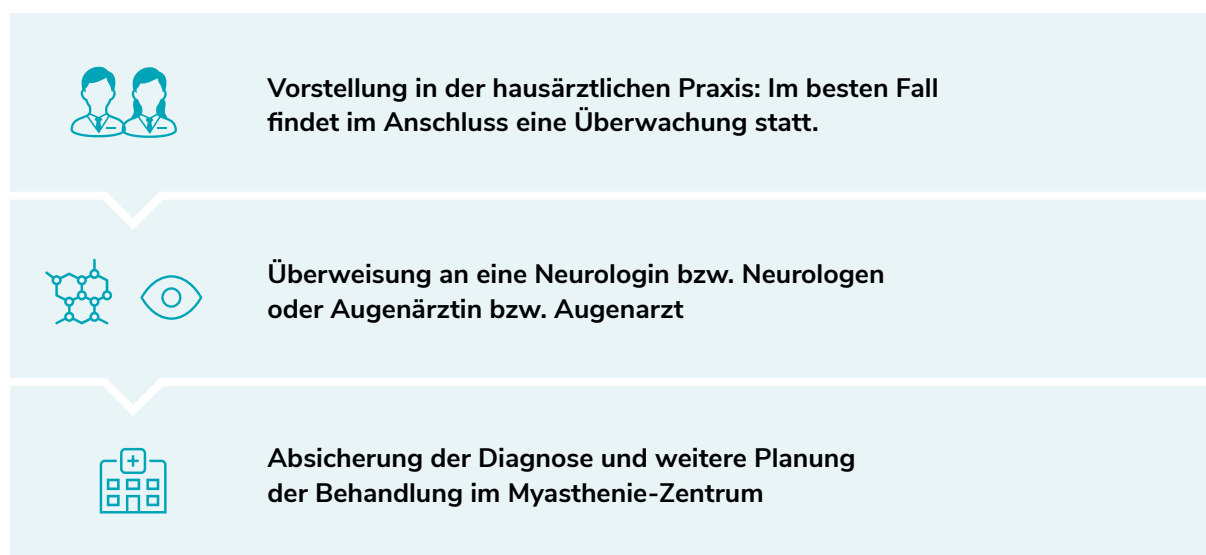
## Der lange Weg zur Diagnose

Insgesamt erschweren die Unterschiede des Erkrankungsbildes je nach Ausprägung und Symptomatik kombiniert mit der Seltenheit und dem geringen Bekanntheitsgrad der Erkrankung die Diagnose der MG erheblich. Patient:innen und ihre Behandler:innen berichten von mehrjährigen Diagnoseodysseen, Konsultationen bei verschiedensten Fachärzt:innen, von Fehldiagnosen, verschleppten Diagnosen und falschen Behandlungen.<sup>22</sup>

Auf dem Weg zur richtigen Diagnose leiden viele Patient:innen durch die Ungewissheit und starke Beeinträchtigung des alltäglichen Lebens, durch Probleme z. B. bei der Motorik, Sprache, Nahrungsaufnahme, Atmung, durch Kontrollverlust und der damit einhergehenden Arbeitsunfähigkeit. Nicht selten bricht für Betroffene in der Folge das familiäre und soziale Umfeld ein.<sup>23</sup>

Der typische Diagnoseweg beginnt mit der Vorstellung in der Hausarztpraxis. Er setzt sich bestenfalls mit der Überweisung zur niedergelassenen Neurologin oder dem Augenarzt bei Verdachtsdiagnose zur Basisdiagnostik fort und mündet im Myasthenie-Zentrum zur Absicherung der Diagnose und zur weiteren Behandlungsplanung. Insbesondere Augenärzt:innen spielen eine entscheidende Rolle bei der Diagnose der okulären Onset-MG.

### Abbildung 1: Der idealtypische Diagnoseweg bei einer MG-Erkrankung



Quelle: Eigene Darstellung

<sup>22</sup> Law et al. (2021): 1108ff.

<sup>23</sup> Lehnerer (2021): 3060 ff.

Im Optimalfall wird aber sowohl von den Hausärzt:innen als auch Augenärzt:innen beim Auftreten von Doppelbildern bei beiden Augen eine augenärztliche Erkrankung von vornherein ausgeschlossen.

Dass die Seltene Erkrankung von Hausärzt:innen häufig nicht erkannt wird, ist jedoch erwartbar und grundsätzlich nicht problematisch, solange MG-Symptome ernst genommen werden und eine Überweisung an die Neurologie oder eine Augenarztpraxis stattfindet. Eine umfassende Schulung von Hausärzt:innen für einzelne Indikationen wäre bei etwa 8.000<sup>24</sup> Seltene Erkrankungen nicht abbildbar.

Bei Patient:innen mit einem „leichten Auftakt“, z. B. Fatigue-Beschwerden, kann die Diagnose besonders lange dauern. Dies ist darauf zurückzuführen, dass Ärzt:innen betroffene Patient:innen in überwiegend symptomfreien Zuständen bzw. unspezifischen Erschöpfungssyndromen ohne akute physische Ausfälle wahrnehmen. Die gegenwärtig zur Verfügung stehenden klinischen Untersuchungen können die belastungsunabhängige Muskelschwäche, insbesondere bei vermeintlich leichteren Fällen nur unzureichend erfassen bzw. objektivieren.

Zudem kann es vorkommen, dass es dem Patienten zum Zeitpunkt des Arztbesuchs vergleichsweise gut geht. Das kann mit dem fluktuierenden Charakter der Erkrankung, aber auch mit psychischen Komponenten zusammenhängen: Patient:innen sammeln oft ihre ganze Energie für diesen einen Besuch bei einer Ärztin und sie fühlen sich in dem Moment entsprechend fit. Oft wird die beschwerliche Zeit davor ausgeklammert, um eine Überdramatisierung, auch im Vergleich mit anderen Patient:innen, denen es noch schlechter geht, zu vermeiden.

Es kann jedoch auch vorkommen, dass ein demonstrativ zur Schau gestelltes Verhalten an den Tag gelegt wird mit dem Ziel, der Ärztin bzw. dem Arzt die Schwere der Erkrankung zu verdeutlichen. Dies kann allerdings einen gegenteiligen Effekt hervorrufen, indem eine „psychogene“ bzw. „funktionelle“ Diagnose vorgenommen wird und von Neurolog:innen die Diagnose MG ausgeschlossen wird.

Auch Unsicherheiten bei der Interpretation bestimmter Symptome bzw. fehlende Erfahrung im Umgang mit Patient:innen mit MG von Seiten der behandelnden Ärzt:innen kann sowohl die Diagnosestellung als auch den Behandlungsbeginn verzögern. Nicht selten wird zunächst eine psychosomatische Ursache vermutet, bevor die korrekte Diagnose MG getroffen wird.

Fachärzt:innen berichten außerdem von einem Gender-Gap bei der Diagnosestellung. Die Zeit bis zur korrekten Diagnose ist bei Frauen im Schnitt deutlich länger: Eine Diagnoseverzögerung von mehr als 24 Monaten ist bei Frauen deutlich häufiger als bei Männern,<sup>25</sup> da Erschöpfungssymptome bei ihnen anders interpretiert werden als bei Männern. Ähnliches gilt für die Alters-MG, da die Abgrenzung zwischen der MG-bedingten Erschöpfbarkeit und einer altersbedingten Gebrechlichkeit schwierig ist. Auch das Vorliegen von Komorbiditäten wie chronischen Erkrankungen oder Behinderungen kann die Diagnosestellung zusätzlich verzögern.

Besonders betroffen von langen Diagnosestellungen sind Patient:innen mit seronegativer MG. Durch den fehlenden Antikörpernachweis wird dieser Patientengruppe besonders häufig eine psychische Erkrankung diagnostiziert. Antikörpernegative Patient:innen werden daher selten außerhalb von spezialisierten Zentren diagnostiziert.

---

<sup>24</sup> ACHSE (Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen): Seltene Erkrankungen.  
[https://achse-online.de/de/die\\_achse/Seltene-Erkrankungen.php](https://achse-online.de/de/die_achse/Seltene-Erkrankungen.php)

<sup>25</sup> Myllynen, Tuulasvaara et al. (2022): 8

Bei ausgeprägtem Symptombild erfolgt meist eine stationäre Aufnahme über eine Rettungsstelle. Eindeutige Symptome wie massive Schluck- oder Sprachstörungen sowie Atemnot sind messbar und erleichtern die Diagnose im stationären Setting.

Zusammengefasst ist der Diagnoseweg das Ergebnis eines komplexen Zusammenspiels aus Krankheitsschwere, persönlichem Umgang betroffener Patient:innen mit ihren Symptomen und der Kompetenz von Ärzt:innen, aus den Erkrankungsmustern die richtigen Rückschlüsse zu ziehen. Myasthenie-Spezialist:innen empfehlen, die finale Abklärung in einer Myasthenie-Ambulanz zu ersuchen, um die Verdachtsdiagnose abzusichern und die anschließende Behandlung zu planen. Derzeit wird nur etwa ein Drittel der Patient:innen in Zentren diagnostiziert. Lange Wartezeiten bei der Überweisung zu MG-Expert:innen verzögern die ohnehin schwierige Diagnosestellung zusätzlich.

## **Zugang zur Versorgung**

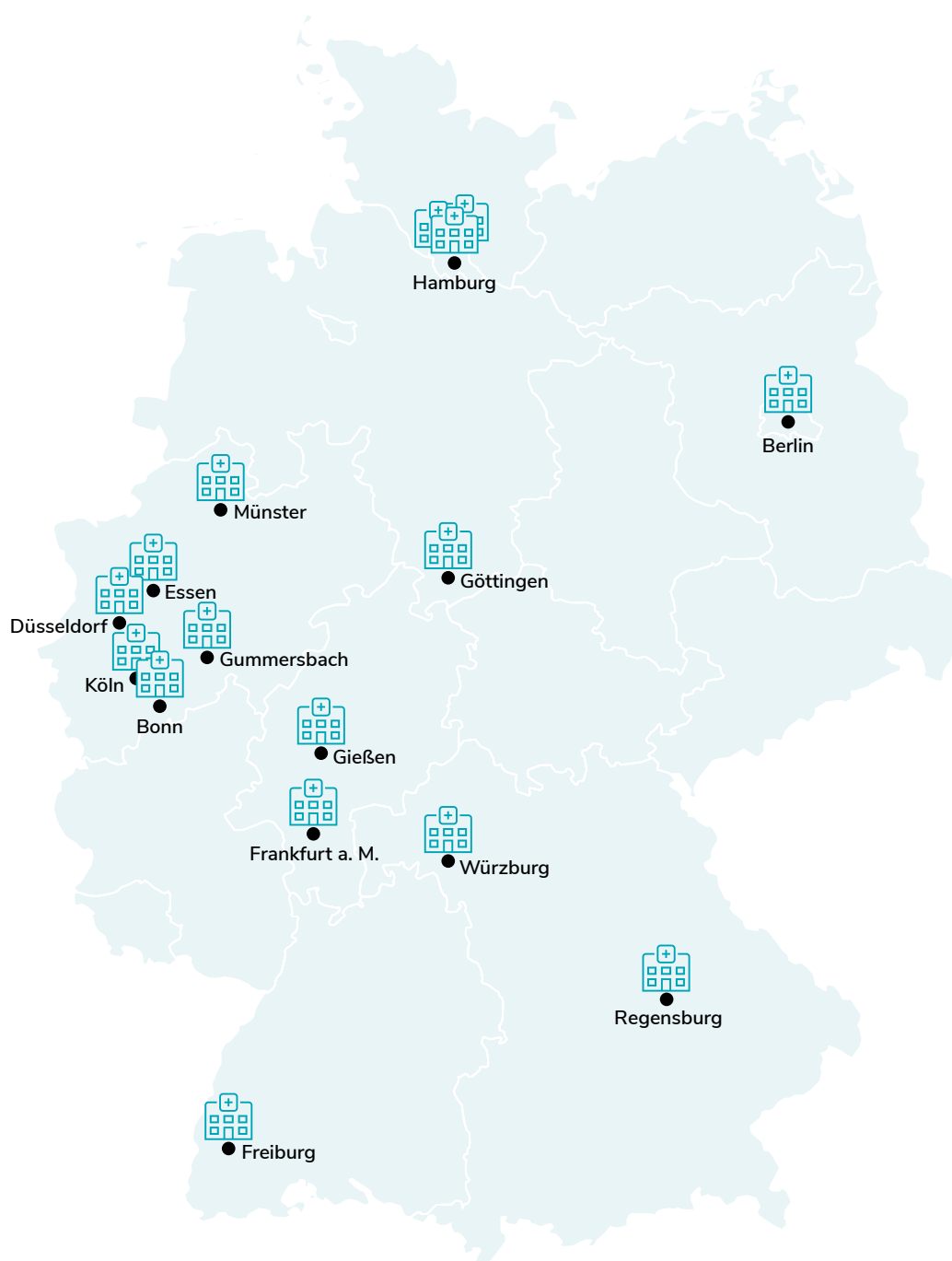
In der Gesamtbetrachtung gibt es immer noch zu wenige spezialisierte Myasthenie-Zentren. Wie auch bei anderen Seltenen Erkrankungen sind diese zumeist an der Universitäts-Neurologie angesiedelt. Darüber hinaus existieren die wichtigen iMZ (integrierte Myasthenie-Zentren). Sie sind Teil eines Modellprojekts der DMG und werden von der DMG zusammen mit dem BQS Institut für Qualität und Patientensicherheit zertifiziert. Sie umfassen zudem auch nicht-universitäre Zentren.

Im Zugang zu einer flächendeckenden Versorgung zeigen sich bei der MG wichtige Unterschiede in der regionalen Verteilung. Während im Nordwesten des Landes und insbesondere im Nordrhein-Gebiet mit mehreren Myasthenie-Zentren sogar von einer Vollversorgung gesprochen werden kann, ist die Lage im Süden oder im Nordosten der Republik weitaus kritischer. MG-Patient:innen müssen zum Teil monatelange Wartezeiten und lange Anreisen zu Spezialzentren für Termine in Kauf nehmen. Auch Familienmitglieder oder Freunde werden zur Unterstützung eingebunden. In diesen Fällen müssen in Vollzeit arbeitende Patient:innen und Angehörige manchmal extra Urlaub nehmen. Für Patient:innen ist die Versorgung gerade während aktiver Therapiezyklen mit großer Anstrengung und einem erheblichen logistischen Aufwand verbunden. Für eine Therapie werden die Transport- und Wegekosten nur bei stationären Behandlungen übernommen; bei ambulanten Behandlungen nur mit einem entsprechenden Merkzeichen und als Einzelfallentscheidung vorab. Die Antragstellung zur Kostenübernahme ist jedoch mit einem hohen administrativen Aufwand verbunden, der für die Patient:innen eine zusätzliche Mehrbelastung darstellt.

Es lässt sich im Allgemeinen beobachten, dass die Gesamtzahl spezialisierter Behandler:innen in Deutschland abnimmt. Für viele stationäre oder ambulante Einrichtungen fehlt der ökonomische Anreiz, sich auf die aufwendige Versorgung von Seltenen Erkrankungen mit geringen Patient:innenzahlen zu fokussieren. Die Expertise wird daher häufig durch einzelne Ärzt:innen als „Steckenpferd“ etabliert. Gleichzeitig kritisieren Expert:innen, dass eine Anerkennung als MG-Zentrum außerhalb universitätsklinischer Strukturen kaum umsetzbar ist.

Gerade diese MG-Zentren außerhalb universitärer Strukturen sind insbesondere im ländlichen Raum zur Sicherstellung der Versorgung in der Fläche sehr wichtig. Im Idealfall gibt es eine Verknüpfung zwischen niedergelassenen Strukturen und einem Zentrum. Dadurch kann ein sinnvoller, sektorenübergreifender Austausch stattfinden.

Abbildung 2: Verteilung der Myasthenie-Zentren in Deutschland



Von der DMG zertifizierte integrierte Myasthenie-Zentren (iMZ)

Quelle: Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.: Myastheniezentren im Überblick. | <https://dmg.online/imz>

## Defizite durch Unter- und Fehlversorgung

Medizinische Expert:innen berichten, dass viele Patient:innen sich in einem unzureichenden Therapiezustand befinden<sup>26</sup>, obwohl die Kontrolle der Erkrankung bei den meisten Patient:innen mit der richtigen Therapie gelingen würde. Die Gründe hierfür liegen in der derzeit stark reaktiv und punktuell ausgerichteten Behandlung der MG. Dem fluktuierenden Charakter der Erkrankung geschuldet, sind häufig kurzfristige Rücksprachen mit der Behandlerin oder Therapieanpassungen notwendig. In der Praxis sehen Therapieprotokolle für Patient:innen jedoch regelmäßige, zum gegebenen Zeitpunkt teils aber gar nicht notwendige, persönliche Kontroll- und Folgetermine vor. Die Möglichkeit einer ad-hoc-Versorgung bei akutem Bedarf ist hingegen oft schwierig. Digitale Tools oder flexible Kommunikationsarten zur kontinuierlichen telemedizinischen Betreuung wären für Patient:innen und Behandler:innen das Mittel der Wahl, um die Belastung durch lange Anfahrten und Wartezeiten auf das Nötigste zu reduzieren. Patient:innen berichten jedoch, dass sie für Überweisungsscheine oder Folgerezepte in Zentren vorstellig werden müssen und telemedizinische Konzepte aus finanziellen und datenschutzrechtlichen Gründen kaum Anwendung finden. Es lässt sich an dieser Stelle konstatieren, dass trotz einer angekündigten Digitalisierungsoffensive im Gesundheitswesen für diese Herausforderung bisher keine kostendeckende und datenschutzrechtlich sichere Lösung gefunden werden konnte.

Patient:innen werden nach gängigem Vorgehen gemäß der geltenden Vorgaben behandelt. Der Therapieerfolg wird daraufhin alle drei oder sechs Monate überprüft. Dabei kann es vorkommen, dass auch teure, hochtechnologisierte Leistungen eingesetzt werden, die Patient:innen im Einzelfall keinen Nutzen bringen, während kurzfristig auftretende Bedarfe von Patient:innen aufgrund fehlender Kapazitäten nicht schnell genug adressiert werden können. Wünschenswert wäre diesbezüglich eine fortlaufende Prüfung und ggf. eine Anpassung.

Wissenslücken in der nicht MG-spezialisierten Ärzteschaft führen außerdem dazu, dass die Erkrankung und die Komorbiditäten aus Unsicherheit nicht angemessen therapiert werden. Viele Neurolog:innen sind alarmiert, wenn sich diagnostizierte Patient:innen in ihrer Praxis vorstellen, da sie befürchten, bei falschen Therapieentscheidungen eine myasthene Krise auszulösen. Dies führt dazu, dass notwendige Medikamentengaben und Operationen nicht durchgeführt werden und Patient:innen unterversorgt sind.

## Falsche Anreize bestehender Vergütungsmechanismen

Die Unter- und Fehlversorgung ist zudem maßgeblich falschen Anreizen in der aktuellen Vergütungsstruktur geschuldet. Eine umfassende longitudinale Versorgung, die sich bedarfsgerecht über das gesamte Versorgungsspektrum erstreckt, ist im derzeitigen System nicht möglich. Zum einen werden erbrachte Leistungen nur quartalsweise durch Kostenträger vergütet, zum anderen sind notwendige ad-hoc Behandlungen und insbesondere auch die „sprechende Medizin“<sup>27</sup> im ambulanten Setting nicht angemessen abgebildet. Für den persönlichen Kontakt zwischen Ärzt:innen und Patient:innen, ob digital, telefonisch oder vor Ort, fehlen finanzielle Mittel. Ärzt:innen beklagen, dass Minderleistung in der Versorgung finanziell

---

<sup>26</sup> Law et al. (2021): 1108

<sup>27</sup> Sprechende Medizin ist ein Sammelbegriff für alle ärztlichen Interventionen, welche die Kommunikation zwischen Arzt/Ärztin und Patient:in als Wirkfaktor nutzen.

honoriert, während die Erbringung komplexer Leistungen in der Vergütung abgestraft wird – dies hat besonders bei Multimorbidität und Seltenen Erkrankungen einen wesentlichen Einfluss auf die Versorgungsqualität, da hier die ganzheitliche Betreuung von Patient:innen absolut notwendig ist.

Die Infusionsmedizin ist im Prinzip rein ambulant, spielt bei der Behandlung der MG aber eine zunehmend entscheidende Rolle. Erlöstechnisch wird sie jedoch praktisch gar nicht abgebildet, ist damit letzten Endes defizitär und stellt somit eine Herausforderung für die Versorgung dar.

Spezialuntersuchungen für die Diagnose der MG werden teilweise nicht erstattet und verzögern die Diagnosestellung. Expert:innen berichten, dass insbesondere MG-Zentren untervergütet sind, da sie Patient:innen mit einer höheren Fallschwere versorgen und dadurch deutlich mehr Ressourcen binden. Für Zentren sprechen sich Ärzt:innen daher für eine zusätzliche finanzielle Anerkennung aufgrund der höheren durchschnittlichen Schwere der Erkrankungsfälle aus.

Auf individuell unterschiedliche Patientenbedarfe muss bei der Versorgung passgenau eingegangen werden.

Zusammenfassend entsprechen weder die Vergütung noch der Behandlungsplan dem fluktuierenden Krankheitsverlauf der Erkrankung. Wie auch bei vielen anderen Seltenen Erkrankungen bedarf es bei der Versorgung der MG einer Abkehr vom „Schema F“ in Diagnose und Therapie hin zu einer stärker individualisierten Versorgung, die die besonderen Bedarfe berücksichtigt.

## **Rolle spezialisierter Versorgungsformen**

Zur Behandlung komplexer, schwerwiegender und organübergreifender Krankheitsbilder wie der MG ist eine interdisziplinäre medizinische Versorgung unabdingbar. Eine koordinierte fach- und sektorenübergreifende Zusammenarbeit zwischen ambulanten, stationären und rehabilitativen Leistungserbringern sowie nicht-ärztlichen Heilberufen ist demzufolge für einen optimalen Therapieprozess von großer Bedeutung.

Versorgungsmodelle wie die Ambulante Spezialfachärztliche Versorgung (ASV) können ein erster richtiger Schritt zur Optimierung der MG-Versorgung sein, da eine umfassende, qualifizierte und arztbezogene Versorgung erfolgt und gleichzeitig komplexe Behandlungsleistungen und Therapien besser vergütet werden.

Neben den bürokratischen Herausforderungen bei der Beantragung und Umsetzung der ASV ist mitunter problematisch, dass die ASV zwar die gesamte Bandbreite neuromuskulärer Erkrankungen abdeckt, ASV-Erbringer:innen jedoch nicht immer gleichzeitig auch MG-Expert:innen sind. Daher ist es vom behandelnden Arzt abhängig, wie sinnvoll die ASV für MG im Einzelfall tatsächlich ist. Zudem ist zentral, dass die Vergütung des Aufwandes – vor allem für die oben genannte flexible, bedarfsgerechte Kommunikation – sich im Erlös abbildet.

Andererseits deckt die ASV auch nicht alle Bereiche ab, die durch persönliche Ermächtigungen von Krankenhausärzt:innen möglich sind. Vielen MG-Spezialist:innen wird eine ambulante Behandlung durch persönliche oder institutsbezogene Ermächtigungen ermöglicht. Diese werden vom jeweiligen Zulassungsausschuss zeitlich und fachlich befristet an eine Krankenhausärztin oder eine Fachabteilung vergeben. Leistungen außerhalb der persönlichen Ermächtigung führen in der Praxis zu bürokratischen Hürden und Schnittstellenproblemen,



da spezialisierte Ärzt:innen einfache therapiebegleitende Rezepte (z. B. Magenschutz) oder Blutabnahmen nicht selbst erbringen dürfen, sondern eine Überweisung in den ambulanten Bereich tätigen müssen. Eine Koordination findet vielfach nicht statt, sodass sich viele Niedergelassene nicht in der Verantwortung sehen und Betroffenen der Zugang zu regelmäßigen, therapiebegleitenden Kontrollterminen erschwert wird.

## **Arzneimittelversorgung**

Insgesamt sind die Entwicklungen der letzten Jahre in der Arzneimitteltherapie für MG erfreulich. Beigetragen hat dazu auch die EU-Regulierung für Orphan Drugs mit ihrem speziellen Anreizsystem für Therapien bei Seltenen Erkrankungen. Der Arzneimittelbereich bei MG hat sich dadurch von einem anfänglichen Solistenmarkt hin zu einem sich dem Specialitysegment annähernden Markt mit verschiedenen Alternativen für Behandler:innen und Patient:innen entwickelt. Neue Arzneimittel wirken heute schneller und können bei früher Gabe einen deutlich besseren Verlauf und erheblichen Therapieerfolg ermöglichen. Für die nächsten Jahre wird eine noch stärkere Ausdifferenzierung der Arzneimitteltherapien erwartet.

Im Off-Label Bereich ist der Zugang zu Arzneimitteln bei der MG wie auch bei vielen anderen Seltenen Erkrankungen erschwert. Nur wenige Therapeutika, die in der Praxis seit vielen Jahren mit Erfolg eingesetzt werden, sind explizit auch für die Therapie der MG zugelassen. Die Folge sind langwierige bürokratische Genehmigungsprozesse durch Krankenkassen und Medizinische Dienste und damit lange Wartezeiten und erschwerte Planbarkeit für die Betroffenen.

Bisher war die Erstattung von innovativen Arzneimitteln an die Voraussetzung der „Austherapiertheit“ gebunden, was jedoch für neu zugelassene Medikamente nicht mehr pauschal zutreffend ist. Selbst in begründeten Einzelfällen und auf Empfehlung von Expert:innen weichen Krankenkassen selten von den Vorgaben ab. Anträge werden aus formalen Gründen abgelehnt, ohne dass für Ärzt:innen die Möglichkeit besteht, Entscheidungen fachlich zu diskutieren.

## **Betroffene fallen durchs Raster der Sozialsysteme**

MG verläuft in vielen Fällen chronisch und schwerwiegend, daher sind nichtärztliche therapiebegleitende Leistungen für Betroffene von großer Bedeutung. Diese berichten jedoch, dass Kranken- und Rentenkassen bei Ausfällen oder bei der Vergabe einer Pflegestufe oft nicht schnell genug reagieren. Besonders Patient:innen, die keine Unterstützung durch ihr familiäres Umfeld erhalten, führt diese Verzögerung in eine prekäre Lage.

Expert:innen zufolge ist die defizitäre Situation auf die Systematiken in Fragebögen zurückzuführen, in der die MG nicht adäquat abgebildet ist. Die Folge sind falsche Gutachten, eine fehlerhafte Pflegestufe-Einordnung oder die Benachteiligung bei der Beantragung von Leistungen aus der Rentenversicherung, z. B. eines Schwerbehindertenausweises.

Als unzureichend empfinden Betroffene und Behandler:innen auch die Rehabilitationsmöglichkeiten für die MG. Viele Betroffene werden von Reha-Einrichtungen abgewiesen, da diese keine Erfahrung im Umgang mit der Erkrankung und ihren besonderen Anforderungen an die rehabilitative Therapie haben. Andere Einrichtungen nehmen MG-Patient:innen auf, ohne spezielle Therapiekonzepte vorzuhalten. Aufgrund der Unwissenheit kommt es immer wieder zu falschen Behandlungsplänen, die die belastungsabhängigen Symptomverschlechterungen nicht angemessen berücksichtigen.

Die Beeinträchtigungen der physischen, psychischen oder sozialen Funktionsfähigkeit führen bei Betroffenen zu erheblichen psychosozialen Belastungen. Daher ist es wichtig, ihnen umfassende psychosoziale Unterstützungsangebote anzubieten. Das Betreuungsangebot ist jedoch begrenzt und die Wartezeit für psychotherapeutische Therapieplätze ist lang. Betroffene wünschen sich hier eine Verbesserung der Betreuung.

## **Leitlinien und Patientenpfade**

Für die Zeit nach der Diagnose berichten Betroffene auf der Suche nach den richtigen Spezialist:innen, optimalen Behandlungsprogrammen und innovativen Arzneimitteltherapien von Überforderung. Sie wünschen sich einen Patientenlotsen<sup>28</sup>, der ihnen entlang des Behandlungspfads zur Seite steht und die wichtigsten Informationen zu Therapie und Sozialleistungen zur Verfügung stellt.

Gleichzeitig spielen Leitlinien eine wichtige Rolle. Zum einen stehen regelmäßig neue Arzneimittel zur Verfügung und zum anderen benötigen gerade auch nicht-spezialisierte Ärzt:innen eine Orientierung in der Regeltherapie von MG im ambulanten Bereich.

## **Die Rolle der Selbsthilfe und die Notwendigkeit des ärztlichen Erfahrungsaustauschs**

Die Selbsthilfe ist für Betroffene eine wichtige Anlaufstelle. Aufgrund der Seltenheit der Erkrankung spielt die medizinische, psychologische und soziale Patientenschulung eine größere Rolle als bei anderen Erkrankungen, da keine Ärzteschaft vorhanden ist, die bereits weitestgehend sensibilisiert und geschult ist.

Die Möglichkeit des Austauschs auf Augenhöhe und die Thematisierung der Alltagsbewältigung wird von Patient:innen und Angehörigen als besonders wertvoll eingestuft. Den Befragten zufolge steht Betroffenen mit der Deutschen Myasthenie Gesellschaft e. V. (DMG)<sup>29</sup> eine kompetente Selbsthilfeorganisation zur Seite, die mit ihren 3.400 Mitgliedern selbst im europäischen Vergleich hervorragend aufgestellt ist.

Die DMG führt mit ihrem ärztlichen Beirat eine Vielzahl an Projekten durch, generiert hochwertige medizinische Informationen, bietet Fortbildungen und persönliche Treffen im Rahmen von regionalen Selbsthilfegruppen an, gibt telefonisch Auskunft und engagiert sich im Bereich der Qualitätssicherung.

---

<sup>28</sup> Patientenlotsen übernehmen die Aufgabe, Patient:innen über ihre Krankheiten zu informieren, die Versorgung zu organisieren und als kontinuierliche Ansprechpartner:innen bereitzustehen.

<sup>29</sup> Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V. | <https://dmg.online>

Die Selbsthilfe für MG in Deutschland kann vor allem im Bereich der Sichtbarkeit noch verbessert werden. Die Bekanntheit der Patientenorganisation DMG hängt maßgeblich davon ab, ob Praxen, Kliniken und Zentren Interesse an der Zusammenarbeit haben. Zudem ist der Begriff der Selbsthilfe in der öffentlichen Wahrnehmung häufig noch antiquiert, sodass manche Patient:innen mit einer bestimmten Krankheitsausprägung vor einem Kontakt mit der DMG zunächst zurückschrecken. Hier kann pragmatische Aufklärungsarbeit das Image der Selbsthilfe aufwerten.

## **Erfahrungsaustausch unter Ärzt:innen**

In der Indikation MG ist zwar eine langsam zunehmende Institutionalisierung der Zusammenarbeit zwischen spezialisierten Zentren oder mit Niedergelassenen in Form von Fortbildungen und Netzwerken festzustellen. Regelmäßige Fall-Konferenzen oder fachgruppenübergreifende MG-Boards finden jedoch bisher nicht statt. MG ist laut Expert:innen zufolge auf Neurologentagungen und Symposien immer noch unterrepräsentiert und Fortbildungen in diesem Bereich konzentrieren sich auf neue Therapiemöglichkeiten. Eine tiefergehende fachliche Kooperation, jenseits von informellen Netzwerken, bspw. durch gemeinsame Fallkonferenzen, wäre jedoch wünschenswert, um auch auf interpersoneller Ebene Kompetenzen und Erfahrungen zu teilen und dadurch einen Mehrwert für die Versorgung zu schaffen.

## **In den vergangenen Jahren haben sich neue Forschungsfelder eröffnet**

Durch neue Therapien und zunehmendes Interesse von Pharmaunternehmen an der Indikation, hat die MG in den letzten Jahren einen neuen Schub in der Forschung erhalten. Aus diesem gesammelten Wissen ergeben sich viele neue Detailfragen, z. B. zum genauen Einsatz von Therapieregimen, zu Dosierungsschemata, Kombinationstherapien und Subgruppendifferenzierung.

Mit dem vorhandenen Werkzeug müssen bestehende Therapiekonzepte weiter optimiert werden. Hier kommt insbesondere Real World Evidence (RWE) und der Versorgungsforschung<sup>30</sup> eine wichtige Rolle zu. Das Register der Patientenorganisation DMG dient nicht nur der Qualitätssicherung, sondern ist auch Treiber für die Versorgungsforschung. Im klinischen Bereich sollte speziell der Einsatz von Kombinations- und Begleittherapien tiefergehend untersucht werden.

Eine größere Wissenslücke besteht dagegen noch in der Frage, wie das Entstehen der Krankheit verhindert werden kann. Daher muss der Fokus in Zukunft auf der Erforschung von kausalen Therapien, Biomarkern, Immun-Target-Therapien, B-Zell-Therapien, antikörperspezifischen sowie CAR-T-Zell-Therapien liegen. Die DMG und ihr ärztlicher Beirat setzen sich dafür ein, die Translation der Forschung und den Wissenstransfer zu fördern und mithilfe der MG-Exzellenzzentren in den iMZ Therapieinnovationen schnell in die Versorgung zu bringen.<sup>31</sup>

---

<sup>30</sup> Das Deutsche Myasthenie-Register (MYAREG). | <https://dmg.online/myasthenie-register>

<sup>31</sup> Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.: Vereinsprofil. | <https://dmg.online/vereinsprofil>

## 5. Die Versorgung von Myasthenia gravis aus unterschiedlichen Perspektiven

Im Folgenden legen Vertreter:innen von Patientenorganisationen, der medizinischen Wissenschaft, der niedergelassenen Ärzteschaft und der forschenden pharmazeutischen Industrie ihre individuelle Perspektive auf die Versorgungssituation der MG dar und setzen eigene Schwerpunkte hinsichtlich gewünschter Verbesserungen.

### 5.1. Perspektive der Betroffenen

#### Über die Autor:innen

**Claudia Schlemminger, Tim Florian Frick** und **Judith Gruber** setzen sich bei der Patientenorganisation DMG e. V. für Hilfe, Unterstützung und Austausch rund um die Erkrankung MG ein.

Aus unserer Sicht verfügt Deutschland nicht über eine ausreichende Anzahl an Myasthenie-Zentren, um eine flächendeckende und wohnortnahe Versorgung von MG-Patient:innen sicherzustellen. Besonders im süd- und ostdeutschen Raum existiert nur eine überschaubare Anzahl an Zentren, die in unseren Augen allerdings für eine leitlinienkonforme Therapie notwendig wären. So kommt es vor, dass Patient:innen durch eine schlechte Abdeckung eine lange, beschwerliche und kostenintensive Anreise auf sich nehmen müssen, um eine bestmögliche Behandlung zu erhalten. Um allen Betroffenen deutschlandweit gleichermaßen einen wohnortnahen Zugang zur Versorgung in einem Zentrum zu ermöglichen, ist ein flächendeckendes Versorgungsnetz essenziell. Konkret geholfen werden kann Patient:innen, durch eine Entbürokratisierung der Erstattung der Anreise zu Behandlungszentren. Eine Änderung des § 60 SGB V („Fahrtkosten“) könnte dieses Ziel erreichen.

Ergänzend zur flächendeckenden und wohnortnahen Versorgung spielt auch die psychosoziale Versorgung eine immens wichtige Rolle. Aus eigener Erfahrung wissen wir, dass es bei Betroffenen immer wieder zu einer rapiden Verschlechterung des Zustands, Problemen bei der Nahrungsaufnahme, gar einer teilweisen Querschnittslähmung kommen kann. Diese teils extremen Erfahrungen stellen die Betroffenen regelmäßig vor große Herausforderungen in ihrem Alltag. Besonders hervorzuheben sind auch die Lebensrealitäten von betroffenen Frauen und insbesondere jungen Frauen. Bei dieser Personengruppe kann sich die Erkrankung stark auf eine wichtige Phase der beruflichen Karriere oder die individuelle Familienplanung auswirken. Diese psychische Belastung macht sich beispielsweise durch das Auftreten von Angstzuständen bei einer Atemnot bemerkbar. Eine auf diese Personengruppe zugeschnittene soziale und psychotherapeutische Betreuung könnte hier unterstützend wirken. Gleichzeitig jedoch ist die psychosoziale Versorgung in Deutschland reformbedürftig, was sich momentan und vor allem seit der Corona-Pandemie an den sehr langen Wartezeiten rund um psychotherapeutische Plätze zeigt. Wir plädieren daher für intensivere Anstrengungen auf Seiten der Politik, umfassende psychosoziale Versorgungsstrukturen verstärkt in den Fokus zu rücken.

Der Umgang mit MG geht über das bilaterale Verhältnis zwischen Ärzt:in und Patient:in weit hinaus. Für die Betroffenen ist es essenziell, mit den Folgen der Erkrankung nicht allein gelassen zu werden. Wir von der DMG organisieren daher nicht nur ärztliche Vorträge, sondern thematisieren ebenso die Alltagsbewältigung von MG-Betroffenen und interpretieren die Selbsthilfe als eine Plattform, die einen gegenseitigen Austausch ermöglicht. Aus persönlicher Erfahrung kennen wir den hohen Bedarf an Beratung von MG-Patient:innen in den ersten Monaten und Jahren nach der Diagnose. Die DMG informiert beispielsweise zu Sprachtherapie oder über sozialrechtliche Themen, wie die Beantragung eines Schwerbehindertenausweises.

In manchen Fällen ist es den behandelnden Ärzt:innen aufgrund begrenzter zeitlicher Kapazitäten nicht möglich, auf den spezifischen Beratungsbedarf der Patient:innen in vollumfänglicher Form einzugehen und entsprechende Aufklärungsarbeit zu leisten. An dieser Stelle stehen wir von der Patientenorganisation DMG e. V. den Betroffenen und deren Angehörigen beratend zur Seite – und dies im Rahmen eines Ehrenamtes. Die Ausübung dieses Ehrenamts sollte dabei von Verantwortlichen im Gesundheitssystem nicht als Selbstverständlichkeit betrachtet und zudem angemessen honoriert werden. Eine Aufwertung des Ehrenamts wäre aus unserer Sicht unbedingt notwendig. Dies kann beispielsweise durch höhere finanzielle Zuwendungen oder eine Anerkennung in Form von zusätzlichen Rentenpunkten geschehen.

## 5.2. Perspektive aus der medizinischen Wissenschaft

### Über den Autor

**Prof. Dr. Andreas Meisel** ist seit 2007 Oberarzt an der Klinik für Neurologie und leitet das integrierte Myasthenie-Zentrum der Charité Universitätsmedizin Berlin.

Aus meiner ärztlichen Perspektive möchte ich explizit auf den individuellen Charakter der Myasthenie hinweisen. Patient:innen leiden besonders unter einer Art „Jo-Jo-Effekt“, also den mit der Erkrankung einhergehenden fluktuierenden Symptomen. Abwechselnde Verbesserungen und Verschlechterungen des Krankheitsbildes, teilweise innerhalb kürzester Zeit, sind für die MG charakteristisch und erschweren einen adäquaten, situationsangepassten Umgang mit ihr, auch für uns Ärzt:innen.

Die Erkrankung ist für Außenstehende häufig nicht sichtbar und daher nur schwer zu diagnostizieren. Zudem können sich die initialen Symptome von Fall zu Fall stark voneinander unterscheiden, was sich zusätzlich erschwerend auf die Diagnose auswirkt. Die Schwierigkeiten bei der Diagnosefindung zeigen sich auch dadurch, dass bei Erkrankungen am Auge oder bei einem frühen Auftreten myasthener Krisen eine Diagnose weitaus schneller gestellt wird, als dies beispielsweise bei einer Fatigue-Symptomatik der Fall ist.

Die Diagnosesicherung erfolgt unter anderem über den Nachweis krankheitsspezifischer Antikörper. Bei ca. 10-20 Prozent der Betroffenen<sup>32</sup> sind Autoantikörper im Serum jedoch nicht nachweisbar. Das Wissen darüber ist für Fachärzt:innen unabdingbar, um Fehldiagnosen zu vermeiden. Wir als Ärzte sollten daher rund um die Symptome von Seltenen Erkrankungen eine vollumfängliche Weiterbildung und Aufklärung erhalten können. Hier leistet die DMG bereits einen wichtigen Beitrag und sollte vor diesem Hintergrund noch stärker gefördert werden.

In der Forschung rund um die MG konnten zum Beispiel bei den neuen Immunmodulatoren<sup>33</sup> große Fortschritte erreicht werden. Von großer praktischer Bedeutung ist die Entwicklung valider Biomarker zur Messung der Krankheitsaktivität, um zukünftig die Therapie besser steuern zu können. Ein großer medizinischer Bedarf besteht allerdings bei der Frage, wie man das Fortschreiten der Krankheit zu einem möglichst frühen Zeitpunkt verhindern kann. Forschungsbedarf besteht vor allem bei der gezielten Manipulation des Immunsystems, um die Krankheit effektiver bekämpfen zu können. Zudem sollte geprüft werden, ob die Anwendung der bereits bestehenden Arzneimittel bei seronegativen Patient:innen<sup>34</sup> positive Effekte haben kann. Wichtig ist auch die Krankheitslast der Betroffenen („burden of disease“) systematischer zu erfassen, um die Effekte der modernen Therapeutika besser einschätzen zu können.

Die Digitalisierung kommt, wenn auch langsam, immer stärker im deutschen Gesundheitswesen an. Eine noch viel stärkere Nutzung digitaler Angebote ist für mich einer der zentralen Hebel, wie in Zukunft eine effektive Kommunikation zwischen Patient:innen bzw. Angehörigen und den unterschiedlichen Leistungserbringern auf stationärer und ambulanter Ebene gelingen kann. Informationsbasierte und partizipative Kommunikationswerkzeuge, z. B. mithilfe von Apps, können dahingehend einen wertvollen Beitrag leisten. Entscheidend ist dabei eine breite Netzbildung. Grundsätzlich braucht es neben der Bereitstellung technischer Lösungen eine durchdachte Incentivierung, um das Potenzial dieser Hilfsmittel voll entfalten zu können. Ich bin überzeugt davon, dass diese Lösungen entscheidend dazu beitragen werden, das große Potenzial von Case Managern und/oder Lotsen, wie im Koalitionsvertrag der Bundesregierung vereinbart, zu nutzen. Durch diese moderne, bedarfsgerechte Kommunikation wird einerseits direkt die Behandlung der Patient:innen verbessert und andererseits werden umfassende Real-World-Daten für eine ambitionierte Versorgungsforschung geschaffen. Diese helfen, eine optimale Versorgung von MG-Patient:innen in Zukunft zu verbessern.

---

<sup>32</sup> DocCheck Flexikon: Myasthenia gravis. | [https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia\\_gravis](https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia_gravis)

<sup>33</sup> Verbindungen, die das Immunsystem beeinflussen. Die Modulation ist abhängig vom Wirkstoff und der Dosierung und kann entweder stimulierend (Immunistimanzien) oder unterdrückend (Immunsuppressiva) sein.

<sup>34</sup> Personen, bei denen mit Hilfe serologischer Untersuchungsmethoden keine Antikörper gegen spezifische Antigene nachweisbar sind.

## 5.3. Perspektive aus der niedergelassenen Praxis

### Über den Autor

**Dr. med. Andreas Funke** ist Facharzt für Neurologie. Er ist seit 2018 in eigener Praxis tätig, zunächst in Wildau und seit Januar 2020 in der „Neurologie am Funckerberg“ in Königs Wusterhausen.

Die meisten MG-Patient:innen kommen aus der Klinik und erhalten dort die Empfehlung, große spezialisierte Zentren wie die Berliner Charité zur weiteren Behandlung aufzusuchen. Durch das dadurch entstehende hohe Patientenaufkommen kann es jedoch vorkommen, dass mehrmonatige Wartezeiten entstehen, was für Betroffene eine teils erhebliche Belastung darstellt. Therapieentscheidungen finden jedoch in der Regel nicht ohne Einbindung dieser Einrichtungen statt. Für die Betroffenen können die dadurch entstehenden Wege einen gravierenden Mehraufwand bedeuten.

In meinem beruflichen Alltag zeigt sich die Notwendigkeit einer wohnortnahen Versorgung besonders stark: Dadurch, dass es im Berliner Umland eher wenig Niedergelassene gibt, die MG-Patient:innen behandeln, hat unsere Praxis ein großes Einzugsgebiet. Oft kommt es vor, dass Patient:innen weite Fahrtwege auf sich nehmen müssen, um auch aus peripheren Regionen zu uns zu gelangen. Die Möglichkeit, näher am eigenen Wohnort die spezifische medizinische Versorgung zu erfahren, steht ihnen häufig nicht zur Verfügung. An politische Entscheider:innen möchte ich hier den Appell richten, sich verstärkt für eine flächendeckende Versorgung, bspw. durch eine stärkere Fokussierung auf komplementäre Versorgungsangebote, stark zu machen.

Seit 2014 gibt es für Patient:innen, die an einer komplexen, schwer therapierbaren und/oder Seltenen Erkrankung leiden das spezielle Behandlungsangebot der Ambulanten Spezialfachärztlichen Versorgung (ASV). Die Behandlung erfolgt dabei durch interdisziplinäre Teams aus Ärzt:innen in Praxen und Kliniken. Vertragsärzt:innen und Krankenhausärzt:innen übernehmen die ambulante und hochspezialisierte Versorgung gemeinsam und zu gleichen Rahmenbedingungen. Durch ein kooperierendes Modell bestehend aus Spezialambulanz und Niedergelassenen kann hier ein niederschwellig zugängliches Versorgungsangebot gemacht werden. Zum jetzigen Zeitpunkt sehe ich jedoch einige Hürden, die einer vertieften und deutschlandweiten Nutzung im Weg stehen.

Bisher ist die Umsetzung dieses Versorgungsmodells mit einem hohen bürokratischen Aufwand verbunden. Anzeigeverfahren sind zu aufwändig und komplex. Auch der eng definierte Entfernungsradius von maximal 30 Minuten<sup>35</sup> steht einer breiten Akzeptanz der ASV entgegen. Als niedergelassener Neurologe möchte ich in der Politik anregen, durch das Setzen von strukturellen Leitplanken die Weiterentwicklung des Versorgungsmodells ASV zu begünstigen. Konkret helfen würde bspw. ein Bürokratieabbau durch ein weniger aufwändiges Antragsverfahren für die ASV oder abgestufte Anforderungen für niedergelassene Leistungserbringer und Ambulanzen, die die Kriterien für ein iMZ nicht erfüllen können. Einzelnen Leistungserbringern ist es manchmal nicht möglich, die Kriterien für ein iMZ zu erfüllen.

<sup>35</sup> Kassenärztliche Vereinigung Bayern: Ambulante Spezialfachärztliche Versorgung. | <https://kvb.de/mitglieder/patientenversorgung/asv>

## 5.4. Perspektive der forschenden pharmazeutischen Industrie

### Über die Autor:innen

**Johannes Heuckeroth** und **Kathrin Ludwig** sind bei dem belgischen forschenden pharmazeutischen Unternehmen UCB tätig und für die gesundheitspolitische Arbeit sowie die Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen zuständig.

Als forschendes pharmazeutisches Unternehmen ist es unser Ziel, die Versorgung der Patient:innen kontinuierlich und nachhaltig zu verbessern. Dabei richtet UCB seine Forschungsanstrengungen insbesondere auch auf Arzneimittel zur Versorgung von Patient:innen mit Seltenen Erkrankungen wie der MG aus. Seltene Erkrankungen sind aufgrund der vergleichsweise geringen Fallzahlen oft wenig bekannt – auch bei behandelnden Ärzt:innen. Das kann negative Folgen für die Versorgung der Betroffenen haben. Daher wollen wir als Unternehmen dazu beitragen, die Aufmerksamkeit für MG zu erhöhen und auf Versorgungsdefizite aufmerksam zu machen. Zu diesem Zweck möchten wir eine Plattform bieten, um eine Debatte über bestehende Versorgungslücken anzustoßen und alle Beteiligten an einen Tisch zu holen. Wir unterstützen Patient:innen, aber auch behandelnde Ärzt:innen dabei, ihre Erfahrungen mit der Erkrankung zu teilen, mit Akteuren aus Versorgung und Politik in den Austausch zu treten und so eine nachhaltige Verbesserung der Versorgung zu erreichen.

Neben fehlender Bekanntheit zeichnet sich eine Seltene Erkrankung auch dadurch aus, dass im Vergleich zu Indikationen mit einer größeren Anzahl von Betroffenen weniger Therapiealternativen zur Verfügung stehen. UCB möchte deshalb genau für diese Patient:innen bessere und zielgenauere Medikamente entwickeln, für die bisher nur unzureichende Therapieoptionen zur Verfügung stehen.

Um insbesondere bei kleinen Patientenpopulationen erfolgreich neue Arzneimittel entwickeln und in die Versorgung bringen zu können, sind verlässliche politische Rahmenbedingungen und wirtschaftliche Anreize essenziell. Mit der Orphan Drug-Regulierung auf EU-Ebene wurde eine Erfolgsgeschichte geschrieben, die dazu beiträgt, dass immer mehr Patient:innen mit Seltenen Erkrankungen Zugang zu innovativen Medikamenten erhalten. Auch die sogenannte Orphan Drug-Schwelle in Deutschland, die bei Markteintritt eine freie Preissetzung bis zur Erreichung einer gewissen Umsatzschwelle ermöglicht, ist in diesem Zusammenhang zu nennen. Für forschende pharmazeutische Unternehmen im Bereich der Seltenen Erkrankungen ist es entscheidend, sich auf diese Rahmenbedingungen verlassen zu können, um weiterhin neue Therapieoptionen als Behandlungsalternativen für Menschen mit Seltenen Erkrankungen entwickeln und den Betroffenen so schnell wie möglich zur Verfügung stellen zu können.

Forschende pharmazeutische Unternehmen sehen sich bei Seltenen Erkrankungen mit einer weiteren Herausforderung konfrontiert: Im Vergleich zu Indikationen mit einer größeren Anzahl von Patient:innen ist es schwieriger, ausreichend Teilnehmende für klinische Studien zu gewinnen. Zur Weiterentwicklung der Gesundheitsversorgung rund um Seltene Erkrankungen ist daher die systematische Erfassung und Auswertung von Gesundheitsdaten von höchster Relevanz. Auf der Grundlage dieser Daten kann ein umfassenderes Bild der Bedürfnisse der Betroffenen gewonnen und mithilfe von Real World Evidence (RWE) bessere und



zielgerichtetere Arzneimittel entwickelt werden. Für eine effektive Nutzung von Registerdaten sind zwei Komponenten entscheidend: Zum einen ist eine möglichst große Datengrundlage notwendig. Dazu kann eine stärkere Kooperation auf EU-Ebene bei medizinischen Registern beitragen, um auf möglichst viele Patient:innen zurückgreifen zu können. Zum anderen sollten diese Daten, selbstverständlich unter Berücksichtigung und Einhaltung aller relevanten Datenschutzstandards, allen zur Verfügung stehen, die mit ihrer Forschung einen Beitrag zur Verbesserung der Gesundheitsversorgung leisten – auch forschenden pharmazeutischen Unternehmen. Sowohl für die Verbesserung der Versorgung als auch für die Forschung sehen wir in Registerdaten ein enormes Potenzial. Das von der Bundesregierung geplante Registergesetz sowie das Gesundheitsdatennutzungsgesetz (GDNG) begreifen wir daher als Chance, einen Mehrwert bei der Entwicklung von hochinnovativen Arzneimitteln im Bereich der Orphan Drugs zu schaffen. Es ist sicherzustellen, dass alle beteiligten Akteure, auch forschende pharmazeutische Unternehmen, auf Daten des Forschungsdatenzentrums zurückgreifen können.

## 6. Fazit: Handlungsempfehlungen auf den Punkt gebracht

Die MG stellt die Betroffenen und deren familiäres und soziales Umfeld aufgrund ihrer Seltenheit und gleichzeitig hohen Komplexität vor Herausforderungen bei der Bewältigung des Alltags. Die Versorgungsverbesserung für die Patient:innen ist daher nicht nur eine versorgungstechnische Frage, sondern auch eine versorgungspolitische Aufgabe. Die Frage nach aktuellen Herausforderungen und nachhaltigen Verbesserungsmöglichkeiten wurden in zahlreichen Experteninterviews und zwei Experten-Roundtables erarbeitet.

Eine öffentliche Awareness für MG ist in Deutschland nicht ausreichend vorhanden, was neben der Seltenheit der Erkrankung auch auf deren eingeschränkte Erkennbarkeit für Außenstehende zurückzuführen ist. Betroffene sehen sich dadurch mit Unverständnis oder gar Stigmatisierung konfrontiert. Der ohnehin lange und beschwerliche Weg zur Diagnose kann sich in manchen Regionen durch die Abwesenheit einer flächendeckenden Versorgungsstruktur zusätzlich hinauszögern. Für eine niedrigschwellig zugängliche und wohnortnahe Versorgung können Versorgungsmodelle wie die ASV herangezogen werden. Patient:innen wünschen sich zudem Ansprechpartner:innen und Hilfsangebote sowie Informationen zu ihrem Krankheitsbild. Hier leistet die Patientenorganisation DMG einen unverzichtbaren Beitrag, da sie neben Aufklärungs- und Informationsangeboten auch den so wichtigen Erfahrungsaustausch ermöglicht.

Schließlich können neue Forschungserkenntnisse zu einem besseren Verständnis der Erkrankung beitragen. Durch eine systematische Erfassung und Auswertung von Gesundheitsdaten kann auch für die kleine Patientenpopulation der MG eine nachhaltige Verbesserung erreicht werden.

Auf Grundlage der thematisierten Herausforderungen und der genannten Vorschläge für Verbesserung lassen sich sechs zentrale Empfehlungen zur Optimierung der Versorgung der MG in Deutschland formulieren, die sich an gesundheitspolitische Entscheidungsträger:innen sowie Vertreter:innen der Selbstverwaltung richten.

### Öffentlichkeit schaffen

Auf das Krankheitsbild und den speziellen Charakter der MG muss konstant und öffentlichkeitswirksam aufmerksam gemacht werden.

### Flächendeckende Versorgung gewährleisten

Eine flächendeckende und wohnortnahe Versorgung muss für Patient:innen in allen Regionen gewährleistet sein. Neben einer Förderung der Zentrumsbildung und der sektorenübergreifenden Vernetzung kann eine Stärkung von komplementären Strukturen wie bspw. der ASV einen wertvollen Beitrag leisten.

### Ehrenamtliches Engagement würdigen

Die ehrenamtliche Arbeit von Selbsthilfe- und Patientenorganisationen, besonders bei der aufwändigen Beratungsleistung, muss in ausreichender Form finanziell und ideell anerkannt werden.

### Digitale Lösungen umsetzen

Die Chancen, die sich durch die Digitalisierung des Gesundheitswesens auftun, müssen im Sinne einer effektiven Kommunikation sukzessive umgesetzt und unter Einbeziehung möglichst vieler Akteure weiterentwickelt werden.

### Vernetzung von Leistungserbringern fördern

Therapieentscheidungen müssen interdisziplinär eingebettet sein. Politische Entscheider:innen sollten hier die Vernetzung von Ärzt:innen und Einrichtungen fördern.

### Registerdaten zur Verfügung stellen

Registerdaten sollten auch der forschenden Industrie zur Verfügung gestellt werden, da durch Real World Evidence (RWE) ein wichtiger Beitrag zur Entwicklung von hochinnovativen und zielgerichteteren Arzneimitteln geleistet werden kann.

# Literatur

**ACHSE (Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen):** Seltene Erkrankungen.

[https://achse-online.de/de/die\\_achse/Seltene-Erkrankungen.php](https://achse-online.de/de/die_achse/Seltene-Erkrankungen.php) (abgerufen am 08.11.23)

**BMG (2023):** Die gesundheitliche Situation von Menschen mit Seltene Erkrankungen in Deutschland – Ein Gutachten des Fraunhofer Institut für System und Innovationsforschung ISI durchgeführt im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit.

[https://bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5\\_Publikationen/Gesundheit/Berichte/seltene\\_erkrankungen\\_bf.pdf](https://bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5_Publikationen/Gesundheit/Berichte/seltene_erkrankungen_bf.pdf) (abgerufen am 08.11.23)

**Das Deutsche Myasthenie-Register (MYAREG):** <https://dmg.online/myasthenie-register> (abgerufen am 08.11.23)

**Deutsches Ärzteblatt (2023):** Neue Leitlinie zur Diagnostik und Therapie myasthener Syndrome; erschienen am 07.02.2023.

<https://aerzteblatt.de/nachrichten/140834/Neue-Leitlinie-zur-Diagnostik-und-Therapie-myasthener-Syndrome> (abgerufen am 08.11.23)

**Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.:** <https://dmg.online> (abgerufen am 08.11.23)

**Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.:** Myastheniezentren im Überblick. <https://dmg.online/imz> (abgerufen am 08.11.23)

**Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.:** Myasthenia gravis – Was ist das? <https://dmg.online/myastheniagravis> (abgerufen am 08.11.23)

**Deutsche Myasthenie Gesellschaft e. V.:** Vereinsprofil. <https://dmg.online/vereinsprofil> (abgerufen am 08.11.23)

**DocCheck Flexikon:** Simpson-Test. <https://flexikon.doccheck.com/de/Simpson-Test> (abgerufen am 08.11.23)

**DocCheck Flexikon:** Myasthenia gravis. [https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia\\_gravis](https://flexikon.doccheck.com/de/Myasthenia_gravis) (abgerufen am 08.11.23)

**Gasperi, C. (2015):** Anti-Agrin-Autoantikörper in Seren von Myasthenia gravis Patienten; Dissertation zum Erwerb des Doktorgrades der Medizin an der Medizinischen Fakultät der Ludwig-Maximilians-Universität zu München.

[https://edoc.ub.uni-muenchen.de/18863/1/Gasperi\\_Christiane.pdf](https://edoc.ub.uni-muenchen.de/18863/1/Gasperi_Christiane.pdf) (abgerufen am 08.11.23)

**Informationsdienst Wissenschaft (2023):** Neue Therapieoptionen bei Myasthenia gravis. <https://idw-online.de/de/news814440> (abgerufen am 08.11.23)

**Kassenärztliche Vereinigung Bayern:** Ambulante spezialfachärztliche Versorgung.

<https://kvb.de/mitglieder/patientenversorgung/asv> (abgerufen am 08.11.23)

**Law et al. (2021):** The Lived Experience of Myasthenia Gravis: A Patient-Led Analysis; erschienen in: *Neurology and Therapy* 10: 1103-1125. DOI: <https://link.springer.com/article/10.1007/s40120-021-00285-w> (abgerufen am 08.11.23)

**Lehnerer et al. (2021):** Burden of disease in myasthenia gravis: taking the patient's perspective; erschienen in: *Journal of Neurology* (2022) 269: 3050-3063. DOI: <https://link.springer.com/article/10.1007/s00415-021-10891-1> (abgerufen am 08.11.23)

**Muppidi, S. et al. (2021):** Utilization of MG-ADL in myasthenia gravis clinical research and care; erschienen in: *Muscle & Nerve* 2022; 65: 630-639. <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/epdf/10.1002/mus.27476> (abgerufen am 08.11.23)

**Myllynen et al. (2021):** Effect of gender on symptoms at onset, diagnostic delay and response to thymectomy in patients with myasthenia gravis. Department of Neurosciences, University of Helsinki.

[https://rcfm.dk/wp-content/uploads/sites/2/2022/10/Chris-Myllynen\\_Effect-of-gender-on-symptoms.pdf](https://rcfm.dk/wp-content/uploads/sites/2/2022/10/Chris-Myllynen_Effect-of-gender-on-symptoms.pdf) (abgerufen am 08.11.23)

**Neumann, B. et al. (2019):** Myasthenic crises demanding mechanical ventilation: A multicenter analysis of 250 cases; erschienen in: *Neurology*, 2020 Jan 21;94(3): 299-313. DOI: <https://n.neurology.org/content/94/3/e299>

(abgerufen am 08.11.23)

**Wiendl, H.; Meisel, A. (2022):** Diagnostik und Therapie myasthener Syndrome, S2k-Leitlinie, DGN, erschienen in: Deutsche Gesellschaft für Neurologie (Hrsg.), Leitlinien für Diagnostik und Therapie in der Neurologie.

Online: [https://dnvp9c1uo2095.cloudfront.net/cms-content/030087\\_LL\\_Myasthenia\\_gravis\\_2023\\_V1.2\\_1685089357760.pdf](https://dnvp9c1uo2095.cloudfront.net/cms-content/030087_LL_Myasthenia_gravis_2023_V1.2_1685089357760.pdf) (abgerufen am 01.08.2023)



Foto: Shutterstock.com/Andrii Vodolazhskiy; Shutterstock.com/sruilk  
Stand: 12/23

## **Kontakt**

Pivot Regulatory GmbH  
Sonnenstraße 19 / Eingang 1  
80331 München  
mail@pivot.re  
www.pivot.re

DE-DA-2300212