

BEAT-PCD
BETTER EXPERIMENTAL APPROACHES TO TREAT PCD



ELF

Aktuelle Forschung: Forschungsprioritäten/ Kohortenstudien

Dr. Myrofora Goutaki
Universität Bern

PCD Patientenkonferenz

21. November 2023



Forschungsprioritäten bei PCD

- Viele offene Fragen im Zusammenhang mit PCD
- Es ist wichtig, gemeinsam über Prioritäten für die künftige Forschung zu entscheiden
- Menschen mit PCD haben möglicherweise andere Meinungen als Ärzt:innen/Forschende

Unser Ziel war es:

Forschungsprioritäten aus der Perspektive von Menschen mit PCD und ihren Familien zu identifizieren

Forschungsprioritäten bei PCD

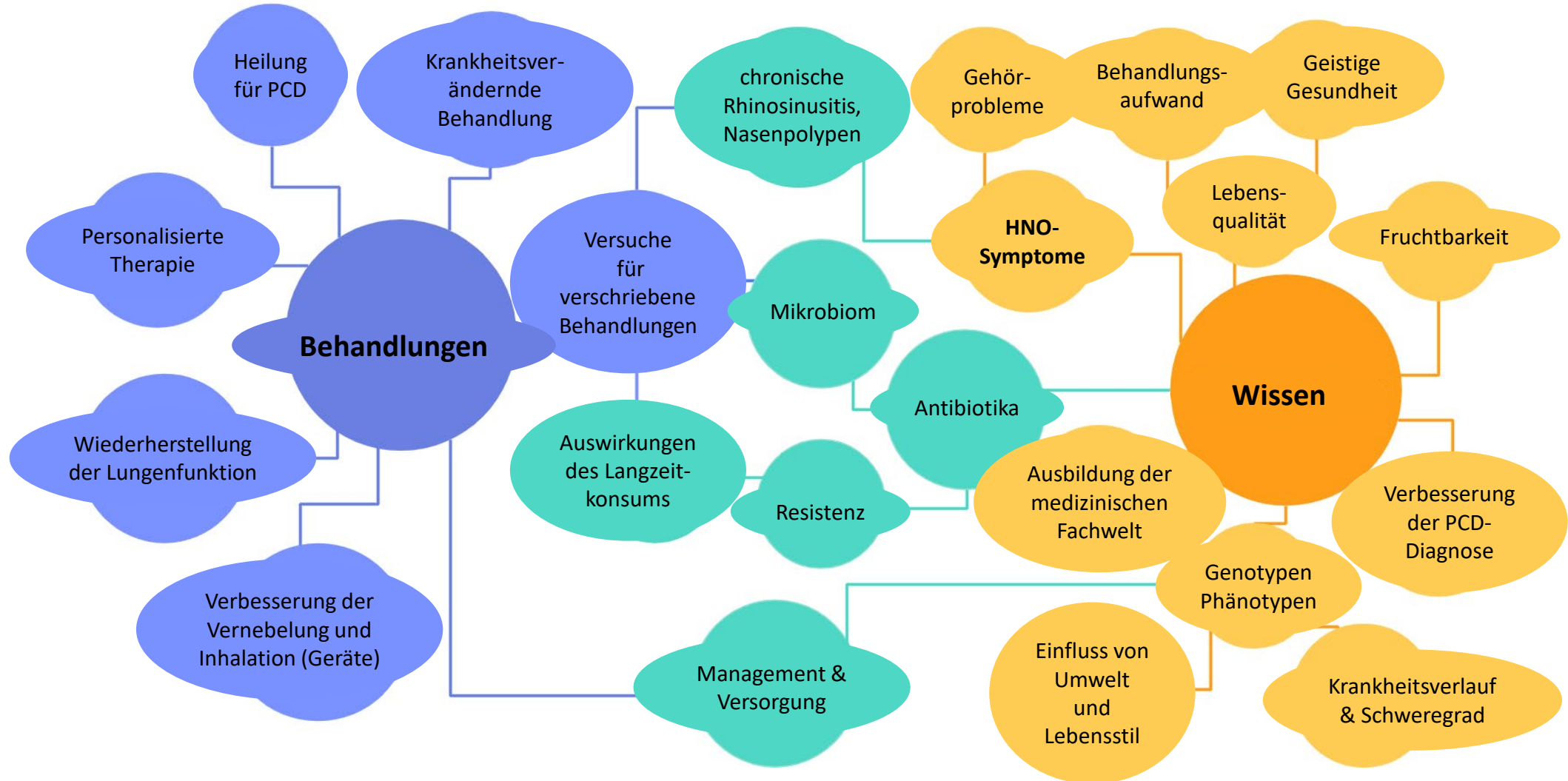
2 Studienphasen:

- **Interviews** mit Erwachsenen, Jugendlichen und Eltern von Kindern mit PCD
- Anonyme **Online-Umfrage** auf der Grundlage der Interviewergebnisse

22 Interviews (Mai 2021 bis Januar 2022):

- 9 Erwachsene
- 9 Eltern von Kindern mit PCD
- 4 Jugendliche

Forschungsprioritäten bei PCD



Forschungsprioritäten bei PCD: Online-Umfrage

- Verfügbar in 8 Sprachen:

Englisch, Französisch, Deutsch, Griechisch, Italienisch, Norwegisch, Spanisch, Türkisch

- Weit verbreitet durch Patientenorganisationen und ELF

Frankreich	71
Deutschland	66
USA	42
Schweiz	40
Italien	38
Großbritannien	23
Spanien	20
Polen	15
Schweden	14
Australien	11
Andere europäische Länder	40
Andere nicht-europäische Länder	15
Total	395

Forschungsprioritäten bei PCD

1	Neue Medikamente zur "Heilung" von PCD oder zur Verringerung der Notwendigkeit einer Behandlung
2	Behandlungen für eine bessere Lungenfunktion, weniger Infektionen, weniger Schleim
3	Die beste Methode zur Behandlung von PCD (einschließlich Lunge, Ohren und Nase) mit bestehenden Medikamenten
4	Neue Antibiotika oder andere Medikamente zur Bekämpfung der Antibiotikaresistenz
5	Wie wir mehr Ärzt:innen und Menschen mit PCD in die Forschung einbeziehen können
6	Welche alltäglichen Dinge zur Verbesserung der Symptome und der Lebensqualität beitragen können
7	Wie die psychische Gesundheit von Menschen mit PCD und ihren Familien beeinflusst wird
8	Lebenserwartung und langfristige Auswirkungen von PCD und ihren Behandlungen
9	Wie wird die Fruchtbarkeit bei Menschen mit PCD beeinträchtigt/ Bestes Fruchtbarkeitsmanagement
10	Der beste Medikationsplan für jede Patientin/jeden Patienten mit PCD
11	Wie sind Ohren, Nase und Nasennebenhöhlen betroffen und wie sind sie mit der Lunge verbunden?
12	Wie ist das Magen-Darm-System betroffen (z. B. Reflux, Verdauungsstörungen)?
13	Wie sollte PCD in verschiedenen Altersgruppen/ asymptomatisch richtig behandelt werden?
14	Werden bestimmte Gene mit bestimmten Symptomen oder einer schwereren Erkrankung in Verbindung gebracht?
15	Wie kann der Behandlungsaufwand reduziert werden, ohne die Wirksamkeit zu beeinträchtigen?

Forschungsprioritäten bei PCD: nächste Schritte

- Veröffentlichung der Ergebnisse und Weitergabe an die wissenschaftliche Gemeinschaft
- Vergleichen mit den Prioritäten von Ärzt:innen und Forschenden
- Teilen der Ergebnisse mit PCD-Selbsthilfegruppen in aller Welt
- Nutzen der Ergebnisse, um unsere nächsten Pläne als BEAT-PCD zu steuern

Unfruchtbarkeit bei Erwachsenen mit PCD



"Werde ich ein Kind bekommen können?"

"Habe ich ein höheres Risiko für eine Eileiterschwangerschaft?"

COVID-PCD:

- Internationale partizipative Online-Studie
www.covid19pcd.ispm.ch
- Fragebogen: Selbstangaben zur Fruchtbarkeit

Unfruchtbarkeit bei Erwachsenen mit PCD

74%

Haben ein Kind bekommen

56%

♀ 118

♂ 50

39%

Spontane Schwangerschaft

22%

35%

Schwangerschaft mit
Fruchtbarkeitsbehandlung

34%

Unfruchtbarkeit bei Erwachsenen mit PCD: nächste Schritte

- Veröffentlichen der Ergebnisse, teilen mit der wissenschaftlichen Gemeinschaft
- Weitergabe der Ergebnisse an die Teilnehmenden (Newsletter)
- Untersuchung der Erfahrungen und Herausforderungen von Menschen mit PCD auf ihrem Weg zur Fruchtbarkeit
- Austausch der Ergebnisse mit Fruchtbarkeitsexpert:innen



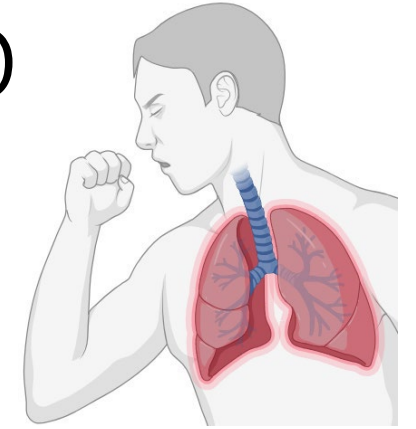
Probleme der oberen Atemwege bei PCD



EPIC-PCD:

- Prospektive internationale HNO-Kohortenstudie
- Mehr als 500 Patient:innen aus 10 Ländern (13 Zentren)
- Eingebettet in die Routineversorgung

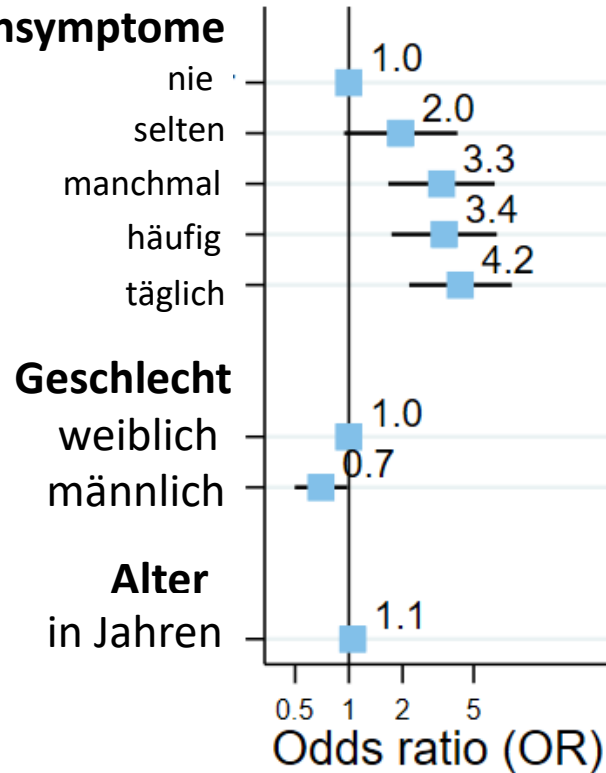
Probleme der oberen Atemwege bei PCD



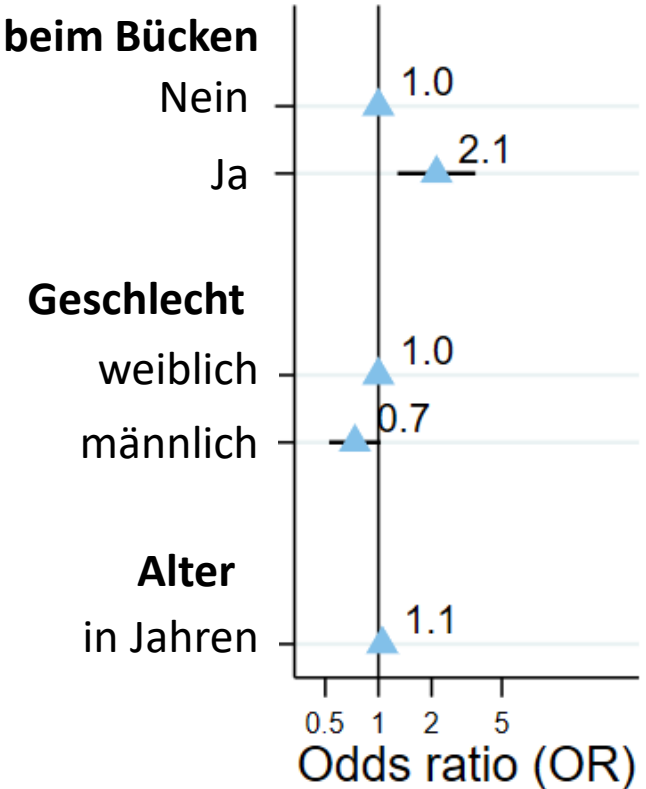
Atemnot

N = 457

Häufigkeit der Nasensymptome



Kopfschmerzen beim Bücken

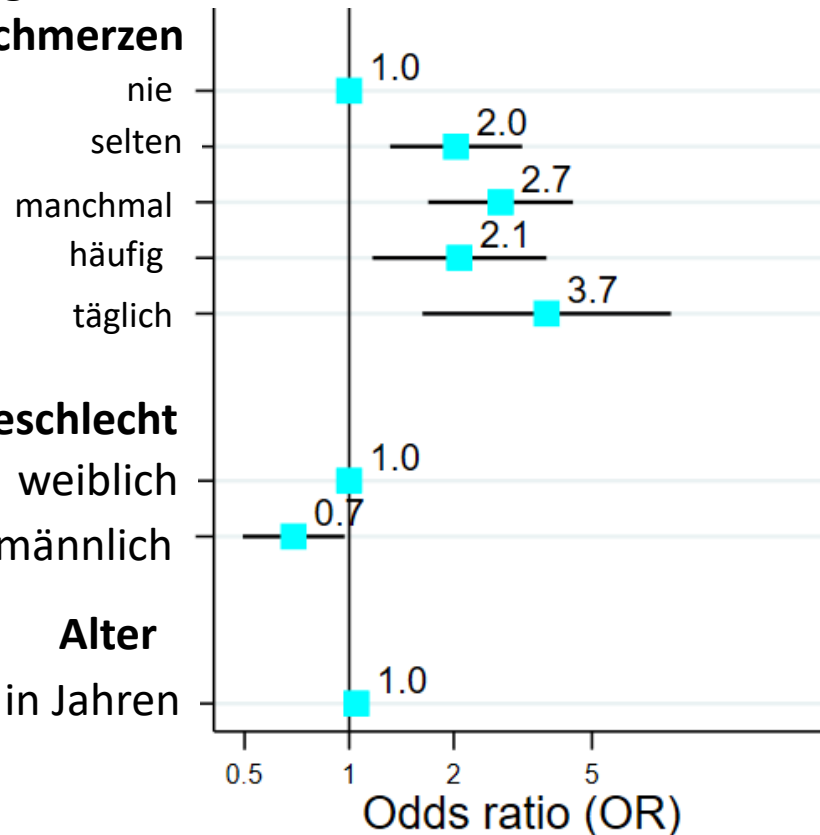


Probleme der oberen Atemwege bei PCD

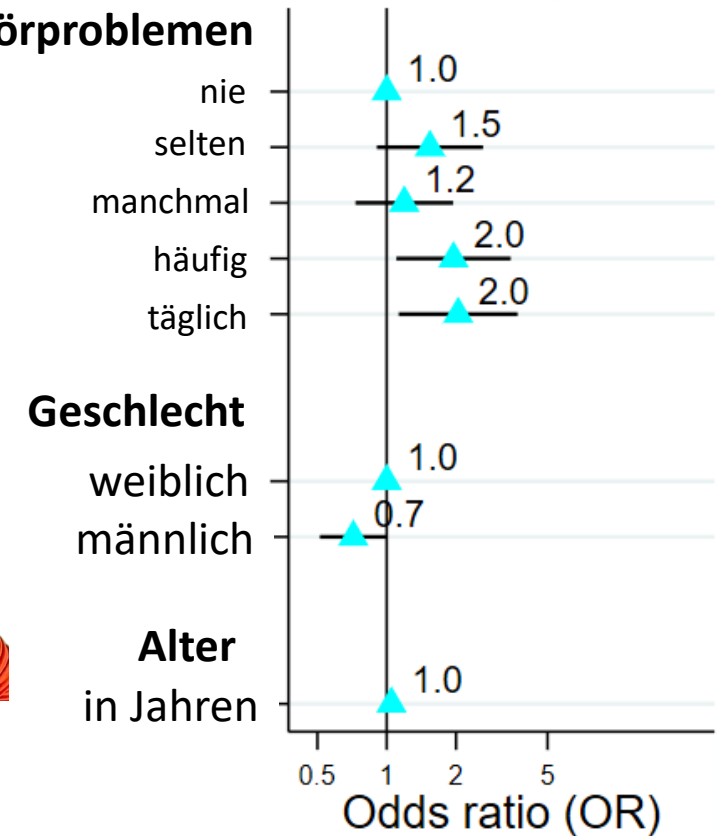
Atemnot

N = 457

Häufigkeit von Ohrenschmerzen



Häufigkeit von Hörproblemen

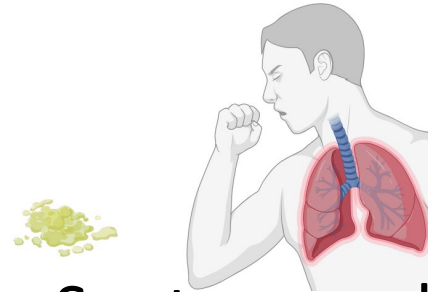


Probleme der oberen Atemwege bei PCD

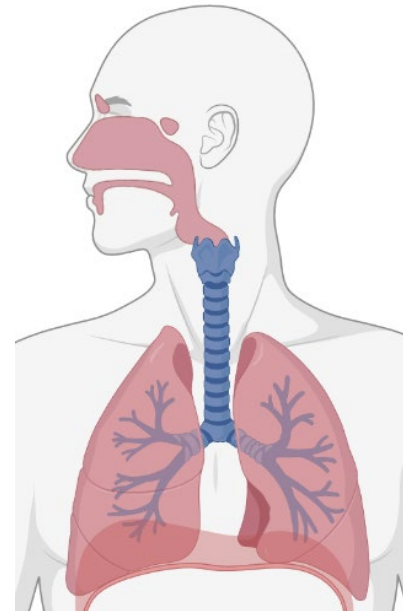


Chronische
Nasennebenhöhlen-
entzündung

Atemnot



Sputumproduktion



Lungenfunktion

(322 Menschen mit
Spirometrie)

Probleme der oberen Atemwege bei PCD

- Veröffentlichen der Ergebnisse und teilen mit der wissenschaftlichen Gemeinschaft
- Weitergabe der Ergebnisse an alle Studienteilnehmenden
- Weitere Untersuchung der Probleme der oberen Atemwege bei Menschen mit PCD

Mercé ありがとう Gracías Matondo Dankjewel Grazie Misaotra Eftaristo Rahmat Gracías Kasih
Köszönöm Dankjewel Mahalo Takk Terima Kasih
Köszönöm Takk Danke Merci Maururu Xiexie Toda Takk Kiitos
Dankie Faleminderit Sagolun Misaotra Hvala Kiitos
Merci Gracías Sagolun Obrigado
Tak Mercé ٱشكر Danke
Hvala Grazie ٱشكر
Cnaci6o Faleminderit Sagolun Obrigado
Efharisto Gracías Sagolun Rahmat Xiexie Matondo
Obrigado Gracías Sagolun Merci Takk
Toda Hvala Dankie Kiitos ٱشكر
Danke ٱشكر ありがとう Sagolun Takk
Mahalo Thank You Xiexie Cnaci6o Tak
Thank You Cnaci6o Tak
Maururu