

Protokoll der Mitgliederversammlung des Friedreich Ataxie Fördervereins e.V.

Datum: 20. November 2021

Ort: Online (Zoom-Meeting)

Anwesend: 27 Mitglieder und 5 Gäste

Versammlungsleitung: Vorstandsvorsitzender Bart-Jan Schuman; ließ die 16 Punkte umfassende Tagesordnung allen Mitgliedern im Voraus per E-Mail bzw. Post zukommen.

Protokollführung: Daniëlle Schuman

1. Eröffnung der Versammlung und Begrüßung

Die Vize-Vorstandsvorsitzende Marleen Schuman eröffnet um 15:12 Uhr die Mitgliederversammlung und begrüßt die Teilnehmer¹. Sie erklärt die Funktionalitäten von Zoom und stellt die Tagesordnung vor.

2. Bestimmung der ordnungsgemäßen Einladung und Beschlussfähigkeit

Die Mitgliederversammlung wurde satzungsgemäß vom Vorstand des Vereins schriftlich unter Einhaltung einer Frist von mindestens 14 Tagen einberufen. Dies beinhaltete den Gegenstand der Beschlussfassung (Tagesordnung). Die Mitgliederversammlung ist ohne Rücksicht auf die Anzahl der erschienenen Mitglieder beschlussfähig.

3. Genehmigung der Tagesordnung

Die Tagesordnung wird von der Mitgliederversammlung genehmigt.

4. Bericht des Vorstands

Aufgrund der Anwesenheit einiger neuer Mitglieder stellt die Vize-Vorsitzende Marleen Schuman den Vorstand sowie den Kassenprüfer kurz vor: Der Vorstand besteht aus dem Vorsitzenden Bart-Jan Schuman, der Vize-Vorsitzenden Marleen Schuman, dem Kassenwart Thomas Schneider, der Schriftführerin Daniëlle Schuman, sowie den Beisitzern Deborah Kiepe und Ulrich Brunner. Der Kassenprüfer ist Florian Wechselberger.

Anschließend berichtet Marleen Schuman von den Aktivitäten des Vorstands in den Jahren 2020 und 2021:



Abbildung 1: Kyra (vorne Mitte, rote Hand), Bart-Jan (hinten Mitte, hellgrüne Hand) und Marleen Schuman (vorne rechts, blaue Hand) mit Assistenzhündin Emma bei Pfizer in Wien, anlässlich des Rare Disease Days 2020.

¹ Aus Gründen der besseren Lesbarkeit wird bei Personenbezeichnungen und personenbezogenen Hauptwörtern in diesem Protokoll die männliche Form verwendet. Entsprechende Begriffe gelten im Sinne der Gleichbehandlung grundsätzlich für alle Geschlechter.

Im Februar 2020 besuchten die beiden Vorsitzenden, zusammen mit ihrer von der Friedreich Ataxie (FA) betroffenen Tochter Kyra und deren Assistenzhündin Emma, die Pharma-Firma Pfizer in Wien, die unter anderem nach FA-Medikamenten forscht. Dort fanden zum Anlass des internationalen Tages der Seltenen Erkrankungen („Rare Disease Day“) am 29. Februar einige Vorträge zu seltenen Erkrankungen statt. Unter anderem stellten Kyra und Emma die Friedreich Ataxie vor.

Durch die wiederholten Lockdowns im Zusammenhang mit COVID-19, das auch für FA-Patienten ein erhöhtes Risiko darstellt, fanden die weiteren Aktivitäten des Vereins ab März 2020 online statt. So organisierte der Verein im Herbst 2020 ein Webinar mit dem Neurologen und Ataxie-Spezialisten Prof. Dr. med. Jörg Schulz der Uniklinik RWTH Aachen, der den Anwesenden Fragen zum Fortschritt der Studien FRAMES, EFACTS und NICOFA beantwortete. Weitere Webinare des Vereins sind derzeit in Planung.

Auch die Jahreshauptversammlung des Vereins fand im Jahr 2020 erstmalig online via Zoom statt.

Weiterhin war der Verein in den Jahren 2020/21 zusammen mit der neu gegründeten niederländischen „Stichting FAN“ und der US-amerikanischen „Friedreich’s Ataxia Research Alliance (FARA)“ an der Organisation der „rideATAXIA Europe – De Fantastische fietstocht!“ in den Niederlanden beteiligt. Diese Veranstaltung stellt den Nachfolger der vom Verein zusammen mit der FARA organisierten „rideATAXIA Europe – Die FA-Radtour“ dar, die 2019 in der Nähe von München stattfand, sowie der „rideATAXIA Europe – Le Peloton de l’Espoir“, welche in den Vorjahren von der „Association Française Ataxie de Friedreich (AFAF)“ und der FARA organisiert wurde. Obwohl die Veranstaltung aufgrund der Pandemie erst im September 2021 – und nicht, wie ursprünglich, geplant in 2020 – stattfinden konnte, war sie ein voller Erfolg (vgl. Abbildung 2). Weiterhin ist – insofern das Pandemie-Geschehen dies zulässt – geplant, die „rideATAXIA Europe“ ab jetzt jährlich stattfinden zu lassen – jedes Jahr in einem anderen Land. Vereinsmitglieder, die die Organisation eines solchen Events (nur von zuhause aus, oder ggf. am Tag der Veranstaltung auch vor Ort) unterstützen möchten, sollen sich bitte beim Vorstand melden.



Abbildung 2: Teilnehmer der „rideATAXIA Europe“ in den Niederlanden. (Quelle: <https://stichting-fan.nl/2021/09/18/3723/#>, aufgerufen am 26.03.2022)

Im Folgenden erzählt Bart-Jan Schuman, dass mittlerweile viele Studien zur Suche nach FA-Therapien in Europa stattfinden. An diesen nehmen jeweils auch Mitglieder unseres Vereins. Hierbei handelt es sich unter anderem um die MOXIe- und die FRAMES-Studie, sowie um Studien zu den Wirkstoffen Interferon- γ , Etravirine und Vatiqunone (auch bekannt als PTC-473 bzw. ehemals EPI-743).

Besonders bei der MOXIe-Studie hat der Verein gute Fortschritte erzielen können: Im Januar 2021 stützten wir eine Petition, die von der US-amerikanischen „Food and Drug Administration (FDA)“

die Zulassung des Wirkstoffs Omaveloxolone als Medikament in den USA fordert. Diese Petition unterschrieben über 74.000 Menschen aus 118 Ländern, wovon knapp 17.600 aus Europa und fast 3.000 aus Deutschland. Über 71 MOXIE-Teilnehmer sowie 148 Familienmitglieder trugen ihre persönlichen Geschichten, inwiefern Omaveloxolone ihnen bzw. ihren Familienmitgliedern hilft, bei. Und die FDA hat im Folgenden ihre Forderung nach einer dritten Phase der MOXIE-Studie aufgegeben, sodass nun mit der Stellung einer „New Drug Application (NDA)“ durch die Firma Reata im ersten Quartal 2021 das Zulassungsverfahren für Omaveloxolone in den USA beginnen kann. Eine Zulassung in den USA würde eine Zulassung in Europa deutlich wahrscheinlicher machen, und das Verfahren dazu würde unkomplizierter. Die Petition ist aber auch deshalb ein großer Erfolg, weil sich durch diese Menge an Interessenten (knapp 18000 in Europa) an FA forschende, amerikanische Pharma-Firmen auf Europa und speziell Deutschland als zukünftigen Studienstandort festlegen. Thomas Schneider hebt hervor, dass diese Petition also zeigt, dass wir als Verein etwas bewegen können und uns nun auf der „FA-Landkarte“ etabliert haben. Er bedankt sich herzlich bei allen Mitgliedern, die an der Petition teilgenommen und sie weiterverbreitet haben.

Bart-Jan Schuman geht weiterhin auf die europäische Zusammenarbeit ein, die jährlich wächst: In immer mehr Ländern werden auf Friedreich Ataxie spezialisierte Vereine gegründet. Deshalb steht aktuell die Idee im Raum, neben dem sich mit allen Ataxien beschäftigenden Dachverband Euro-Ataxia auch einen Dachverband „FA Europe“ speziell für Vereine, die sich mit Friedreich Ataxie beschäftigen, zu gründen.

Die Mitgliederzahlen unseres Vereins wachsen zum Zeitpunkt der Versammlung hingegen stetig, aber recht langsam: Von 15 Mitgliedern im Gründungsjahr 2015 ist unser Verein mittlerweile auf über 85 Mitglieder angewachsen. Jedoch ist es wichtig, weiter zu wachsen und ist das Ziel, bis Ende des Jahres 2021 über 100 Mitglieder zu sammeln. Dies ist nämlich die Grenze, ab der ein Verein in internationalen Gemeinschaften wie der Euro-Ataxia eine Stimme hat. Hierbei zählt vor allem, wie viele FA-Patienten der Verein repräsentiert.

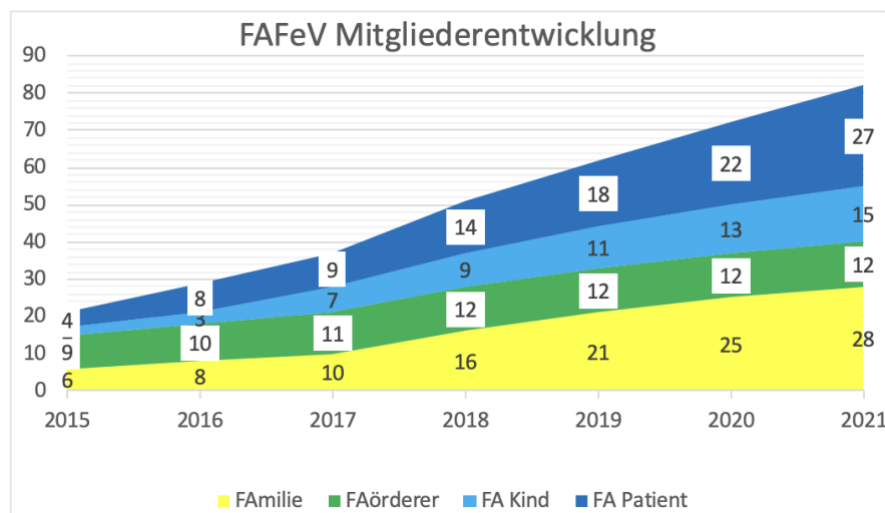


Abbildung 3: Entwicklung der Mitgliederzahlen des Friedreich Ataxie Fördervereins e.V. in den Jahren 2015 bis 2021, aufgeteilt nach Verhältnis zu FA-Betroffenen (Autor: Thomas Schneider).

Thomas Schneider hat die Mitgliederentwicklung in den letzten Jahren analysiert (vgl. Grafik in Abbildung 3) und festgestellt, dass unser Verein aktuell etwa 40 FA-Patienten repräsentiert, inklusive der Kinder, deren Eltern Vereinsmitglied sind. Hierbei handelt es sich insgesamt um 28 betroffene Familien. Auch hat er festgestellt, dass, während anfangs die meisten Mitgliedern aus Bayern stammten, wo der Verein gegründet wurde, in letzter Zeit auch immer mehr Mitglieder aus anderen Bundesländern hinzugekommen sind. Diese Entwicklung sollte gestärkt werden, damit sich auch in den nördlicheren Bundesländern mehr Infrastrukturen für FA-Betroffene ansiedeln, wie etwa auf Ataxie spezialisierte Ärzte.

Weiterhin berichtet Thomas Schneider, dass der Verein mittlerweile schon über 300 € an Spenden über Amazon Smile eingenommen hat. Hierbei handelt es sich um eine Initiative der Firma Amazon, die 0,5 % des Umsatzes, den sie bei einem Einkauf gemacht hat, an eine vom Kunden gewählte gemeinnützige Organisation spendet, sofern der Kunde über www.smile.amazon.de bestellt. Auf dieser Seite kann man fast alles kaufen, was man auch über www.amazon.de bestellen kann, und dem Kunden entstehen keine zusätzlichen Kosten durch seine Veranlassung der Spende. Der Link zur einfachen Auswahl des Vereins als gemeinnütziger Zweck lautet <https://smile.amazon.de/ch/143-215-74697>. Dass Mitglieder immer mehr Bekannte überzeugen, Amazon Smile zu verwenden, scheint sehr effektiv zu sein, denn unsere quartalsweise Spendeneinnahmen aus dieser Quelle haben sich von 8,66 € Mitte 2019 auf 65,85 € Anfang 2021 gesteigert (vgl. Abbildung 4).

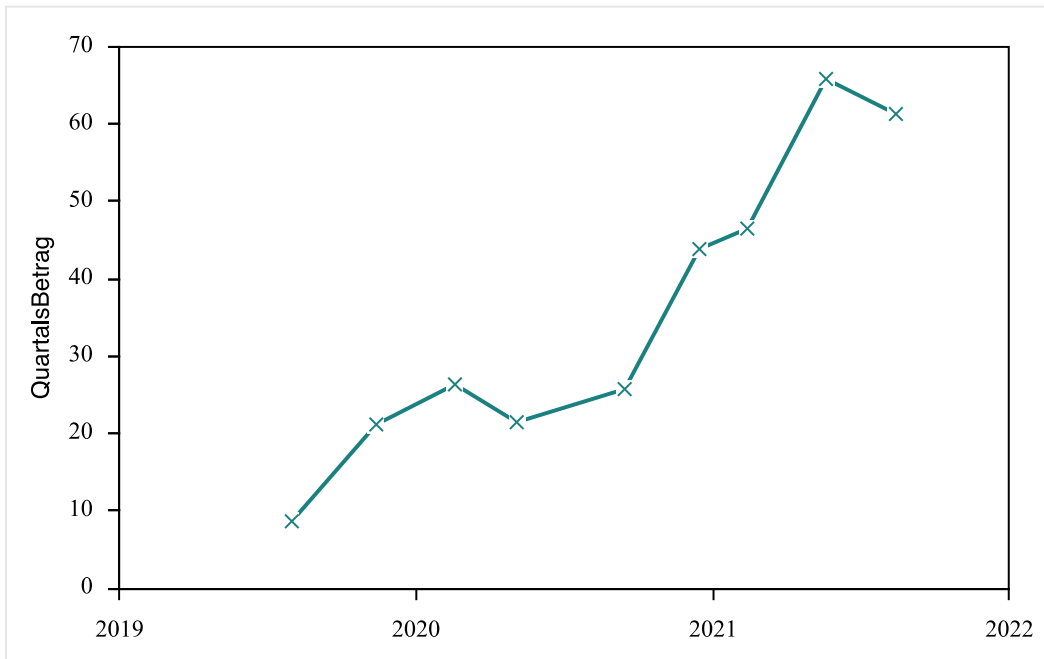


Abbildung 4: Quartalsweise Spenden von Amazon Smile an den Verein im Zeitraum von Mitte 2019 bis Mitte 2021, in Euro (Autor: Thomas Schneider).

5. Bericht des Kassenwarts Thomas Schneider

Der Kassenwart Thomas Schneider bedankt sich bei seiner Vorgängerin Marleen Schuman und der restlichen Familie Schuman für ihr Engagement und betont, dass der Verein mehr Mitglieder braucht, die sich aktiv in die Vereinsarbeit einbringen – auch außerhalb des Vorstands. Im Folgenden präsentiert er den Kassenbericht des Vereins für das Vorjahr:

Im Jahr 2020 hatte der Verein Einnahmen bestehend aus 1.720,00 € an Mitgliedsbeiträgen, 190,00 € Rückerstattung der Umsatzsteuer von 2017 und 52,55 € aus Erstattungen von Pfandflaschen der in 2019 organisierten „rideATAXIA Europe – Die FA Radtour“, die sich nun in Bar in der Vereinskasse befinden. Hinzu kommen 5.707,43 € an Spenden. Dem gegenüber stehen Kosten von 224,16 € für die Haftpflichtversicherung, die der Verein gesetzlich verpflichtet ist, zu haben, 227,09 € an Betriebs- bzw. Bürokosten – hauptsächlich zum Druck von neuen Flyern – sowie 83,00 € an Retoure-Kosten, die daraus entstanden sind, dass Abbuchungen von Mitgliedsbeiträgen aufgrund eines zu niedrigen Kontostandes der betroffenen Mitglieder nicht durchgeführt werden konnten. Schneider bittet die Mitglieder, mitzuhelfen, solche Kosten künftig zu vermeiden, indem sie einen ausreichenden Kontostand der von ihnen für die Abbuchung des Mitgliedsbeitrages angegebenen Konten sicherstellen. Weiterhin weist Schneider darauf hin, dass Mitglieder jederzeit vom Vorstand Flyer zugeschickt bekommen können, wenn sie diese benötigen – etwa für eine (Spenden-) Aktion, die sie organisieren, oder um sie im Krankenhaus, in dem sie für FA behandelt

werden, auszulegen. Hierzu müssen sie nur ein Vorstandsmitglied fragen. Weiterhin können Flyer auch in digitaler Form von der Webseite heruntergeladen und ggf. selbst gedruckt werden, wenn man dies möchte. Der Flyer ist zu finden unter <http://www.friedreichataxie.de/resources/FAFVeV-Flyer-2020.pdf>. Ein weiterer Kostenpunkt sind die 75,40 € Kontoführungsgebühren für das Spendenkonto des Vereins bei der Bank für Sozialwirtschaft. Wie bereits angekündigt, wurde dieses nun jedoch gekündigt, und die dort vorhandenen Spenden wurden auf das neuere Spendenkonto bei der VR Bank München Land übertragen. Letzteres hat nun per 31.12.2020 einen Kontostand von 36.275,40 € an Spenden. Zum 31.12.2020 hat das Girokonto des Vereins 3.425,09 € an Vereinsvermögen und es befinden sich 54,74 € in der Vereinskasse.

Insgesamt stehen im Zeitraum von 01.01.2020 bis 31.12.2020 also den Einnahmen aus Mitgliedsbeiträgen, Rückerstattungen und Spenden von 7.669,98 € Ausgaben von 609,65 € gegenüber, sodass sich das Vermögen des Vereins seit dem 31.12.2019 um 7.060,33 € erhöht hat.

Schneider gibt weiterhin bekannt, dass sich die Menge an Mitgliedsbeiträgen, die der Verein jährlich einnimmt, zum Zeitpunkt der Versammlung – Ende 2021 – bereits auf ca. 2.000 € jährlich erhöht hat. Für die Spenden, die der Verein sammelt, prognostiziert er, dass wir bis Ende 2022 auf knapp 50.000 € an insgesamt gesammelten Spenden kommen könnten. Starke Anstiege in der Menge an eingenommenen Spenden – wie wir sie brauchen, um diese Grenze zu erreichen und überschreiten – erreichen wir als Verein allerdings nur, wenn wir aktiv Spenden sammeln und Spendenaktionen veranstalten. Vergangene Beispiele für solche Aktionen sind etwa die „rideATAXIA Europe“ und Spendenläufe mit dem Verein als guten Zweck, wie zuletzt der „Vitanium Bodoc Lauf“. Weitere Beispiele wären Verabschiedungen und diverse andere (Firmen-) Feiern, wo eine Spende an den Verein an die Stelle eines Geschenkes trat. Und ein letztes Beispiel wären Aktionen auf lokalen (Weihnachts-) Märkten u.Ä., wie die Kerzenverkäufe der Katholischen Jugendbewegung St. Leonhard. Da selbst 50.000 € aber noch sehr wenig Geld ist, um ein Forschungsprojekt zu unterstützen – geschweige denn es selbstständig zu finanzieren – fordert Schneider die Mitglieder dringend auf, aktiv zu werden und solche kleineren und größeren Spendenaktionen zu veranstalten bzw. sich daran zu beteiligen – und sei es auch nur eine Geburtstagsfeier. Wie bereits erwähnt, können zu solchen Zwecken auch Flyer vom Vorstand zugeschickt werden.

Außerdem erklärt Schneider, dass jegliche Beiträge und Spenden an den Verein steuerlich absetzbar sind, als sogenannte Sonderausgaben. Für Spenden ab 200 € stellt der Verein dafür gerne im ersten Quartal des Folgejahres der Spende eine Spendenbescheinigung aus. Hierfür können sich Spender einfach mit Name und Adresse beim Kassenwart (aktuell Schneider selbst) unter kassenwart@friedreich-ataxie.de melden. Bei Spenden unter 200 € reicht eine Kopie eines Kontoauszugs des Spenders oder eines ggf. genutzten Überweisungsträgers als Nachweis für das Finanzamt aus.

6. Bericht des Kassenprüfers Florian Wechsberger

Unser Kassenprüfer Florian Wechsberger bescheinigt dem Verein eine korrekte Kassenführung, womit die Mitgliederversammlung sich einverstanden erklärt. Der Kassenprüfungsbericht für das Jahr 2020 befindet sich in schriftlicher Version im Anhang.

7. Entlastung des Vorstandes

Florian Wechsberger stellt Antrag auf Entlastung des Vorstandes. Dieser wird mit 15 Ja-Stimmen, keinen Gegenstimmen und 3 Enthaltungen angenommen². Damit sind Kassenwart und Vorstand per Mehrheitsstimme entlastet. Bart-Jan Schuman bedankt sich hierfür.

Florian Wechsberger erklärt sich bereit, auch im nächsten Jahr allein die Kassenprüfung zu übernehmen, da sich keine weiteren Freiwilligen zu seiner Unterstützung bereiterklären.

² Drei der Mitglieder, die an der Versammlung teilgenommen haben, stießen erst nach der Pause um 16:30 Uhr dazu, und haben entsprechend nicht an der Abstimmung zur Entlastung des Vorstandes teilgenommen.

8. Neues Vorstandsmitglied: Beisitzerin Nicole Kürten

Nicole Kürten (Abbildung 5) möchte gerne den Vorstand als Beisitzerin unterstützen und stellt sich deshalb kurz vor: Die Bonner Hausärztin und Internistin ist verheiratet und Mutter von zwei Kindern, Paul (13) und Marie (11). Bei ihrem Sohn Paul wurde Friedreich Ataxie diagnostiziert, eine Krankheit, die sie selbst als Ärztin vorher nicht so gut kannte. Wie Marleen Schuman erwähnt, hat sie aber in letzter Zeit bereits in mehrere Vorstandssitzungen „hineingeschnuppert“ und möchte nun die Arbeit des Vorstands auch offiziell als Beisitzerin aktiv unterstützen. Da es keine weiteren Kandidaten für einen Beisitz im Vorstand gibt, ist ein Abstimmung nicht nötig, und der Vorstand heißt Kürten als Mitglied herzlich willkommen.



Abbildung 5: Die neue Beisitzerin Nicole Kürten mit Sohn Paul und Hund Keksi.

9. Satzungsgemäß gestellte Anträge

Es wurden keine Anträge gestellt. Es wird jedoch ein Gruppenfoto der Anwesenden, die dies möchten und eine Kamera für Zoom besitzen, aufgenommen.

Um 15:56 Uhr beschließt die Versammlungsleitung, eine Pause einzulegen. Die Sitzung wird um 16:30 Uhr fortgesetzt.

10. Stand der Forschung - ein ereignisreiches Jahr

Bart-Jan Schuman berichtet vom aktuellen Stand der Forschung zu möglichen Therapien und Medikamente für FA, denn die Jahre 2020 und 2021 waren hier sehr ereignisreich:

So erzielte die „MOXIe“-Studie große Fortschritte: Hierbei handelt es sich um eine klinische Studie der Firma Reata, in der der Wirkstoff Omaveloxolone (Kurz: „Omav“) bezüglich seiner Eignung zum Einsatz bei FA erforscht wurde. Der Wirkstoff aktiviert den Prozess rund um den Transkriptionsfaktor Nrf2. Dies ist ein Protein, das bei erhöhtem oxidativen Stress die Transkription von Genen zu Proteinen ermöglicht, die diesen Stress verringern. Bei FA-Patienten ist die Nrf2-Aktivität in den Zellen trotz erhöhtem oxidativen Stress aber erniedrigt statt erhöht. Somit hilft Omaveloxolone unter anderem, den oxidativen Stress bei Patienten mit FA zu verringern. Um festzustellen, dass dieser Effekt bei FA-Betroffenen auch einen positiven Einfluss auf den Fortschritt der Erkrankung und die zugehörige Symptomatik hat, haben über 100 Patienten an der MOXIe-Studie teilgenommen. Von diesen hat zuerst die Hälfte ein Placebo bekommen und die Hälfte den Wirkstoff, und anschließend – in einer sogenannten „Extension Phase“, die immer noch läuft – bekommen alle Teilnehmer den Wirkstoff. Einer dieser Teilnehmer ist Kyra Schuman, die für ihre Studienteilnahme regelmäßig an den Standort Innsbruck fährt, um dort ihre neurologischen

Funktionen mit dem modified-Friedreich-Ataxia-Rating-Scale (mFARS)-Test untersuchen zu lassen.

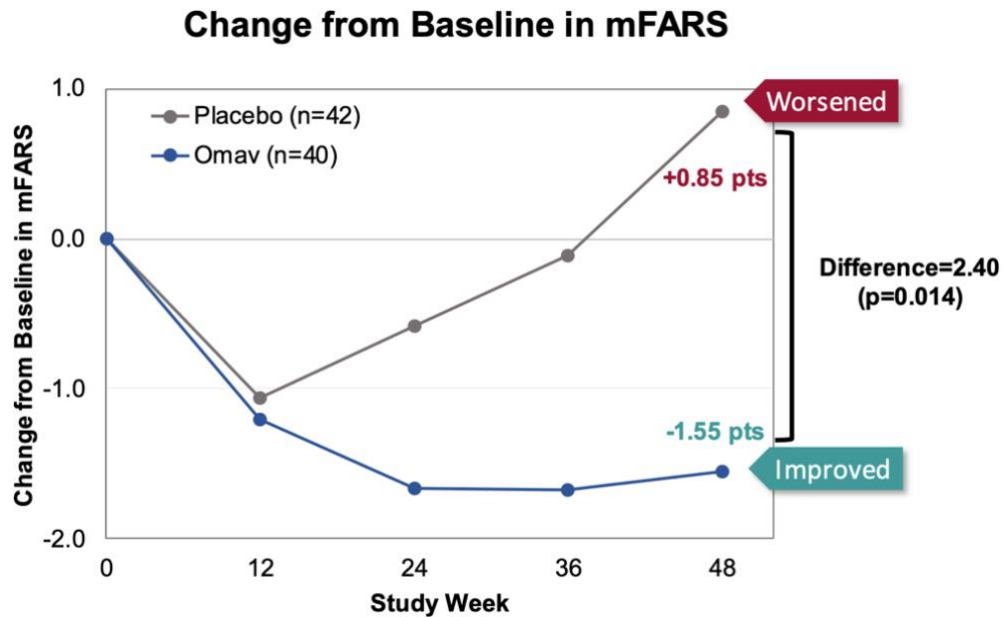


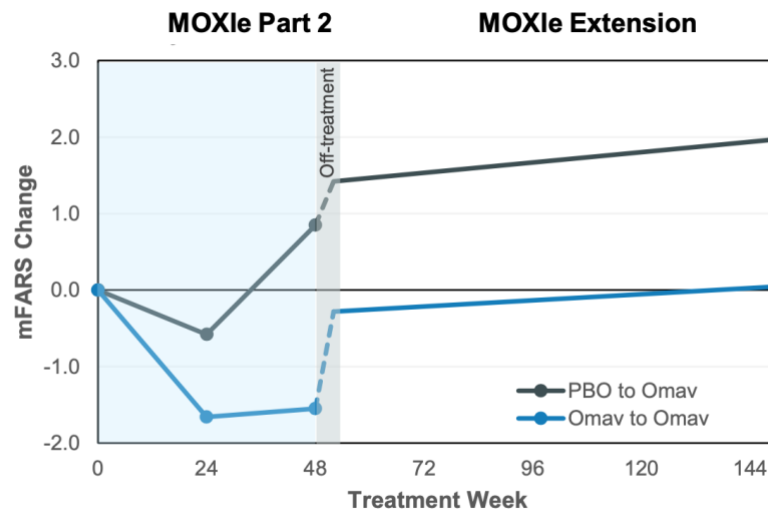
Abbildung 6: Veränderung im mFARS-Score der Placebo-Gruppe (grau) und der Gruppe, die Omav nimmt (blau) gegenüber ihrem Zustand zu Studienbeginn, aufgetragen über die 48 Wochen Studienzeit. (Quelle: Lynch, David et al. 2021. *Efficacy of Omaveloxolone in Patients with Friedreich's Ataxia: Delayed-Start Study*. [Poster]. International Congress of Parkinson's Disease and Movement Disorders, September 17-22, online.)

Die Ergebnisse solcher Tests im Hauptteil der Studie waren bereits sehr vielversprechend: Nach dem Abebben des anfänglichen Placebo-Effekts in der Placebo-Gruppe, zeigte sich bei dieser Gruppe eine annähernd durchschnittliche Progression von 0,85 mFARS-Punkte über den 48-wöchigen Studienverlauf³, während sich der Score bei der Gruppe, die den Wirkstoff nahm, um 1,55 mFARS-Punkte verbesserte (!) gegenüber ihrem Zustand am Beginn dieser Studienphase. Damit stand diese Gruppe um 2,4 Punkte besser da wie ihre Vergleichsgruppe mit Placebo (vgl. Abbildung 6). Dieser positive Trend setzte sich auch in der Extension-Phase fort: Hier glich sich die Progression der beiden Gruppen, die nun beiden den Wirkstoff bekamen, an, und das unterdurchschnittliche Level an Progression führte bei der Gruppe, die von Anfang an den Wirkstoff bekam, dazu, dass sich der Zustand dieser Patienten über den gesamten Studienverlauf von fast 2,5 Jahren kaum bis gar nicht verschlechterte (vgl. Abbildung 7)⁴. Zudem wurden auch nur milde Nebenwirkungen des Wirkstoffes festgestellt (etwa manchmal leichte Kopfschmerzen), für die meisten Patienten war er gut verträglich.

³ Der Durchschnitt liegt bei 1,9 mFARS-Punkte Verschlechterung im Jahr.

⁴ Das vollständige englischsprachige wissenschaftliche Poster mit den Ergebnissen der MOXIE-Studie befindet sich im Anhang.

Annualized mFARS Slopes



PBO-Omav	42	41	41	27	22	13	5
Omav-Omav	41	36	34	28	18	17	7

Abbildung 7: Auf das Jahr umgerechnete Steigung des mFARS-Scores bei der Gruppe, die zuerst Placebo und dann Omav genommen hat (dunkelgrau) und der Gruppe, die die ganze Zeit Omav genommen hat (blau). Dargestellt ist die oben erläuterte MOXie Phase 2 Studie (Behandlungswochen 0 bis 48), eine 4-wöchige Pause ohne Behandlung sowie die Extension Phase (Behandlungswochen 53 – 144). (Quelle: Lynch, David et al. 2021. *Efficacy of Omaveloxolone in Patients with Friedreich's Ataxia: Delayed-Start Study*. [Poster]. International Congress of Parkinson's Disease and Movement Disorders, September 17-22, online.)

Diese Ergebnisse sorgten insgesamt für große Begeisterung, sodass insgesamt 70 Studienteilnehmer sowie über 100 Familienmitglieder von Studienteilnehmern, die auch subjektiv das Gefühl hatten, dass der Wirkstoff hilft, eine Petition an die US-amerikanische Zulassungsbehörde „Food and Drug Administration (FDA)“ unterschrieben, in der sie um eine Zulassung des Wirkstoffes baten. Wie bereits erwähnt, wurde diese Petition mit über 74.000 Unterschriften sehr erfolgreich, und bewegte die FDA dazu, die Extension-Phase der MOXie-Studie als dritte Phase anzuerkennen und dem Zulassungsverfahren von Omaveloxolone einen sogenannten „Fast-Track-Status“, also eine bevorzugte Behandlung, zu gewähren. Dies bedeutet, dass Reata die „New Drug Application“ (übersetzt etwa „Antrag auf die Zulassung eines neuen Medikaments für eine bisher nicht behandelbare Krankheit“) bereits im ersten Quartal 2021 stellen konnte. Die Entscheidung der FDA über eine Zulassung in den USA ist somit bereits innerhalb des kommenden Jahres zu erwarten, und die Chancen auf eine positive Entscheidung stehen durch die Tatsache, dass Omav das erste („absolute first“) Medikament für Friedreich Ataxie sein würde, gut. Eine positive Zulassungsentscheidung in den USA würde wiederum den Prozess bei der europäischen „European Medicines Agency (EMA)“, mit der Reata auch bereits in Kontakt steht, ebenfalls deutlich beschleunigen. Diese würde dann ggf. eine Zulassungsempfehlung für die einzelnen europäischen Länder geben, welche wiederum eine positive Zulassungsentscheidung in Deutschland sehr wahrscheinlich macht. Eine Einschätzung bezüglich der Dauer bis zu dieser Zulassungsentscheidung kann Schuman leider nicht geben. Er weiß jedoch, dass Entscheidungen der EMA meist ein halbes bis zwei Jahre nach entsprechenden Entscheidungen der FDA erfolgen, und die Firma Reata mit Hochdruck an weltweiten Zulassungsbestrebungen arbeitet. Sie hat extra hierfür sogar zusätzliche Mitarbeiter eingestellt. Auf die Frage Thomas Schneiders, ob eine Zulassung in Deutschland das Medikament dann auch direkt für Kinder zugänglich machen würde, antwortet Schuman, dass eine Zulassung voraussichtlich zuerst nur für Personen ab 18 Jahren gelten würde. Da allerdings bereits Jugendliche ab 16 Jahren an der Studie teilgenommen haben, wären nach einer Zulassung für

Erwachsene die Chancen gut, dass man Ärzte überzeugen könnte, das Medikament „off-label“⁵ an Jugendliche zu verschreiben. Nicole Kürten ergänzt, dass es in einem solchen Fall aufgrund der Nicht-Existenz eines anderen zugelassenen Medikaments für Kinder sogar relativ wahrscheinlich ist, dass die Krankenkassen die Kosten für diese Off-Label-Einnahme des Medikaments übernehmen. Auf die Nachfrage Ulrich Brunnens, ob man Omav denn bereits vor der Zulassungsempfehlung der EMA für eine Off-Label-Benutzung aus den USA importieren könne, wenn es dort zugelassen werde, antworten Schuman und Kürten, dass sich dies wahrscheinlich schwierig gestalten würde: Zum einen werde der Wirkstoff voraussichtlich genau entsprechend der Nachfrage, also der Menge an Verschreibungen durch (i.d.R. US-amerikanische) Ärzte, produziert werden, und zum anderen würde sich selbst bei Verschreibung durch einen deutschen Arzt der Import über eine Auslandsapotheke für eine Off-Label-Nutzung schwierig gestalten, und die Krankenkasse würde die Kosten voraussichtlich nicht übernehmen. Marleen Schuman ergänzt, dass Minderjährige allerdings in dieser Zeit an einer Studie zum Einsatz des Medikaments bei Kindern und einer ggf. anschließend stattfindenden Extension Phase teilnehmen könnten, sollte eine solche Studie stattfinden.

Bart-Jan Schuman berichtet weiterhin vom Fortschritt der Studie „FRAMES“ der Firma Minoryx, die den Einsatz des Wirkstoffes Leriglitazone (MIN-102) bei Patienten mit FA untersucht. Die Phase 2 dieser Studie, deren Organisation vom Verein unterstützt wurde und an der auch Mitglieder des Vereins teilgenommen haben, wurde nun abgeschlossen. Sie fand in Europa an den Standorten Aachen, Paris, Brüssel und Barcelona statt, und weist vielversprechende Ergebnisse vor, die darauf hindeuten, dass der Wirkstoff bei FA gut hilft. Aktuell finden deshalb Gespräche mit der EMA und der FDA zur Planung einer Phase 3 dieser Studie statt. Sollte die Beantragung dieser Teilstudie erfolgreich sein, können hieran viele Vereinsmitglieder teilnehmen. Der Vorstand wird die Mitglieder informieren, sobald es Neuigkeiten zu diesem Thema gibt. Die geplante Phase 3 Studie wird dabei direkt auf eine Zulassung bei der EMA ausgelegt, diese sollte bei erfolgreichem Studienverlauf also relativ zeitnah erfolgen können. Auf die Nachfrage Zoë Gräfs, wie denn Leriglitazone genau wirkt, erläutert Schuman, dass der Wirkstoff – wie auch Omaveloxolone – eine der Folgen der Tatsache, dass FA-Betroffene zu wenig Frataxin produzieren, in Angriff nimmt: Es greift als sogenannter PPAR- γ -Antagonist in den PPAR- γ -Prozess ein. Wie in früheren Vereinsversammlungen erklärt wurde, erreicht Leriglitazone durch das Andocken an sog. PPAR- γ -Rezeptoren der Zellkerne eine Erholung der Zellen, da hierdurch oxidativer Stress verringert wird und die Funktion und Reproduktion der Mitochondrien verbessert wird. Dies verbessert die Energieproduktion. Außerdem wird der „Schutzschicht“ um die Nervenzellen geholfen, sich zu erholen. Hierdurch schützt Leriglitazone die Nervenzellen vor Degeneration, und schützt somit die Struktur von Nervenbahnen. Vor allem die sog. DRG-Nervenzellen im Rückenmark und in den Armen und Beinen, welche für die Lagewahrnehmung verantwortlich sind und bei Patienten mit FA beschädigt werden, werden hier vor weiterem Schaden bewahrt, und es werden sogar Veränderungen im Gehirn rückgängig gemacht. Wie Marleen Schuman ergänzt, soll Leriglitazone also – genau wie Omav – das Zellensterben bei FA und daraus resultierende Symptome wie Einschränkung in der Bewegungsfähigkeit verhindern. Auf die Frage Georg Kierners, ob man dann nach Zulassung der beiden Wirkstoffe als FA-Betroffener beides einnehmen werde, antwortet Bart-Jan Schuman, dass dies wahrscheinlich schon der Fall sein werde: In der internationalen FA-Community herrsche die Einschätzung vor, dass sich aus der Forschung vorerst ein „Medikamentcocktail“ zur Behandlung von FA ergeben werde, während das Finden einer tatsächlichen Heilung für die Krankheit ein eher längerfristiges Ziel sei. Auf die Frage Thomas Schneiders, ab wie alt Patienten an der Phase 3 der FRAMES-Studie teilnehmen dürfen werden, antwortet Schuman, dass dies aktuell noch unklar ist. Eine weitere Frage Schneiders ist, ob Leriglitazone auch eine Chance auf eine verkürzte Zulassungsprozedur habe, wie aktuell Omav in den USA. Hierzu sagt Schuman, dass eine dritte Phase der Studie auf jeden Fall stattfinden muss, und die EMA gerade entscheidet, ob dies für die

⁵ „Off-label“ bedeutet, dass man für eine Krankheit ein bestimmtes Medikament einnimmt, was verschreibungspflichtig ist, und (noch) nicht für die Personengruppe, der man angehört, zugelassen ist – sondern etwa nur für die Verwendung bei anderen Krankheiten oder nur für die Verwendung bei Erwachsenen. Die Haftung für eventuelle Nebenwirkungen trägt in einem solchen Fall i.d.R. der verschreibende Arzt.

Beantragung einer Zulassung ausreichen wird. Und auch hier gibt es vergleichbare Mittel zur Verkürzung einer Zulassungsprozedur wie die NDA und der Fast-Track-Status in den USA, welche man auch beantragen möchte. Ob dies erfolgreich sein wird, kommt allerdings auf den Verlauf der Phase-3-Studie an.

Weitere Wirkstoffe bzw. Therapie-Ansätze, die für FA klinisch erforscht werden bzw. werden sollen, sind aktuell Etravirine von Fratagene Therapeutics, Vatiquinone (auch bekannt als PTC-473 bzw. ehemals EPI-743) von PTC Therapeutics, sowie Co-Enzym Q10, Vitamin B1 und Vitamin B3 (u.a. in der gerade auf Eis gelegten NICOFA-Studie). Kurzfristig kommen TAT-Frataxin (CTI-1601) von Larimar Therapeutics sowie Calcitriol von unserem Verein in Kooperation mit weiteren europäischen Vereinen hinzu, und mittelfristig RT001 (dPUFAS) von Retrotope. Langfristig ist die Erforschung von Therapien geplant, die die Gen-Expression des bei FA betroffenen FXN-Gens verbessern oder es sogar bearbeiten bzw. ersetzen. Hierbei sind zu nennen: Gene-TACs von Design Therapeutics, XCUR-FXN von Exicure, VY-FXN01 von Voyager Therapeutics sowie ANN-003 von AAALife in Zusammenarbeit mit Avalanche und Adverum. Mehr zu diesen Therapie-Ansätzen nachlesen können Mitglieder in englischer Sprache unter <https://www.curefa.org/pipeline> bzw. teilweise auch in deutscher Sprache unter <http://www.friedreichataxie.de/forschung/Studien/>.

Zum Thema „Neue Therapieansätze“ warnt Schuman die Anwesenden jedoch auch davor, alles zu glauben, was sie hören bzw. lesen: So gibt es neuerdings Betrüger, die gegen sehr viel Geld die Heilung von FA versprechen, meistens mithilfe sog. „Stammzelltherapien“ oder unter ähnlichen Schlagworten wie „Therapie mit GCSF“. Zwar werden Stammzelltherapien durchaus für den Einsatz bei FA erforscht, z.B. von Dr. Wilkins der Universität Bristol. Jedoch befindet sich diese Forschung noch im Laborstadium und entsprechende Therapien sind noch lange nicht auf dem Markt verfügbar. Die FA-Betroffenen, die in Ost-Europa oder Asien angeblich mit solchen Methoden behandelt wurden, haben nur viel Geld verloren und teilweise gesundheitliche Schäden davongetragen.

Eine weitere, ernstzunehmende Studie, die aktuell stattfindet, ist die [Sprachstudie der Universität Tübingen](#), bei der unser Vorstandsvorsitzender „Associate Investigator“ ist. Die Studie hat zum Ziel, Sprechen als „Biomarker“ in FA zu untersuchen, also festzustellen, ob man das Sprechen eines FA-Patienten verwenden kann, um die Progression seiner Krankheit und deren Auswirkungen auf sein tägliches Leben zu messen. Im Laufe der Studie stellten die Forscher allerdings fest, dass die in der Studie verwendeten Sprechübungen bei regelmäßiger Anwendung auch das Sprechen von FA-Patienten *verbessern*. Die Studie sucht weiterhin noch nach neuen Teilnehmern, wobei man für eine Teilnahme zwar zuerst ein paar Mal nach Tübingen fahren muss, der Großteil der Studie (und vor allem der Sprechübungen) aber dann corona-konform mithilfe eines iPads von zuhause aus durchgeführt wird. Vereinsmitglieder, die Schwierigkeiten mit dem deutlichen Sprechen haben und gerne an der Studie teilnehmen würden, melden sich bitte beim Vorstandsvorsitzenden unter vorstand@friedreich-ataxie.de oder direkt bei Frau Annalena Wehner der Universität Tübingen unter annalena.wehner@med.uni-tuebingen.de.

Abgesehen von der (Mit-) Organisation von Studien selbst gibt es noch weitere Dinge, die Patientenorganisationen weltweit tun, um die FA-Forschung voranzubringen. So haben Patientenorganisationen auf der „Euro-Ataxia 2016“ das „Friedreich Ataxia Global Patient Registry“ (kurz „Global Registry“) gegründet. Hierbei handelt es sich um ein Patientenregister von und für FA-Patienten, das von mittlerweile 22 Patientenorganisationen weltweit verwaltet wird, einschließlich unseres Vereins, der einen Sitz im „Governance Board“ sowie einen Sitz im „Steering Committee“ hat. Das Register soll – als eine Art globaler Patientenorganisation – Pharma-Unternehmen den Einstieg in die FA-Forschung erleichtern, indem es ein realistisches Bild vermittelt, wo sich auf der Welt wie viele FA-Patienten befinden und wo somit geeignete Standorte für eine neue Studie wären. So soll mehr Forschung zum Thema FA entstehen. Natürlich erhalten die Firmen dabei keinen direkten Zugriff auf die Daten des Registers. Diesen haben ausschließlich die Patientenorganisationen, die ggf. benötigte Teile der Daten anonymisiert an interessierte Firmen weiterleiten und sehr gut auf Datenschutz achten. Mittlerweile haben sich im Global Registry FA-

Betroffene aus 51 Ländern registriert, jedoch sind hierunter nur ganz wenige Menschen aus Deutschland. Dies erzeugt ein unrealistisches und für zukünftige Studienorganisatoren möglicherweise abschreckendes Bild des Standortes Deutschland, welches wir dringend berichtigen sollten. Schließlich sind in Deutschland viele FA-Betroffene zuhause – allein unser Verein repräsentiert zum Zeitpunkt der Versammlung bereits 42 Personen, und schätzungsweise gibt es über 1.500 Betroffene in Deutschland. Deshalb bittet Schuman alle Mitglieder, die FA oder minderjährige Kinder mit FA haben, dringend, sich bzw. ihre Kinder unter <https://fapatientregistry.org> zu registrieren, wenn sie dies noch nicht getan haben. Sollten dabei Schwierigkeiten mit der englischen Sprache⁶ des Registers oder sonstige Schwierigkeiten auftauchen, bittet er, sich diesbezüglich beim Vorstand zu melden (etwa unter info@friedreich-ataxie.de oder auch gerne via WhatsApp oder telefonisch). Die Vorstandsmitglieder helfen gerne, und so kann man in einem solchen Fall die Registrierung unkompliziert z.B. zusammen in einem Zoom-Meeting ausfüllen.

Eine weitere Ressource der globalen FA-Community ist die vor kurzem im App Store und Google Playstore veröffentlichte „FA-App“ (Abbildung 8). Dies ist eine App von und für FA-Betroffene, die mittlerweile in 9 Sprachen – worunter Deutsch – existiert und diverse Funktionen bietet: So verteilt sie FA-News an ihre Nutzer, wie Informationen zu Studien, Alltagshilfen, Events, etc. Außerdem bietet sie eine Möglichkeit zum Austausch über den Community-Chat, mit dem man auch andere FA-Betroffene in seiner Umgebung finden kann, wenn diese die Funktion aktiviert haben. Eine weitere Funktion ist das Tagebuch, mit dem man seine Arzttermine, Einnahme von Nahrungsergänzungsmitteln und auch klassisch seine Gemütszustände festhalten kann. Außerdem kann man hier an seine FAmilie (so nennen sich die Freunde aus dem Community-Chat) bloggen. Ein weiteres spannendes Feature, das demnächst hinzukommen soll, ist die Möglichkeit zur Teilnahme an virtuellen Studien zum Leben mit FA: Ab voraussichtlich Anfang nächsten Jahres kann man hier an Umfragen und Ähnlichem teilnehmen, um dazu beizutragen, dass die Krankheit besser verstanden wird. Wofür die App jedoch nicht verwendet werden kann und soll, ist die Sammlung von Spenden für die FA-Forschung.



Abbildung 8: Icon der FA-App (Quelle: <https://www.thefaapp.org>)

11. Aktivitäten in 2021

Der Punkt 11 der Tagesordnung wird übersprungen, da die entsprechenden Inhalte großteils schon in „4. Bericht des Vorstands“ und „10. Stand der Forschung – ein ereignisreiches Jahr“ abgedeckt wurden. Erste Aktivitäten des Vorstands hinsichtlich der selbstständigen Organisation einer Studie zum Wirkstoff „Calcitriol“ sowie die nun startende Mitgliederwerbeaktion werden unter „13. (Spenden-) Aktionen in 2022“ und „12. Mitgliederwerbeaktion“ zusammen mit zukünftigen Plänen für das Jahr 2022 zu diesen Themen besprochen.

13. (Spenden-) Aktionen in 2022 (vorgezogen)

Bart-Jan Schuman betont, dass kommende Studien – wie die viele gerade vorgestellten – auch einiges an Geld benötigen. Deshalb möchte der Vorstand die Vereinsmitglieder dabei unterstützen, Spendenaktionen zu organisieren. Er übergibt das Wort an Thomas Schneider, der dies näher erläutern soll.

⁶ Eine deutsche Übersetzung der Register-Webseiten ist bereits in Arbeit, wurde jedoch zum Zeitpunkt der Versammlung noch nicht veröffentlicht.

Schneider betont daraufhin, dass zur Organisation solcher Studien wie den gerade Gesehenen vor allem zwei Dinge wichtig sind: Köpfe und Geld. Köpfe im Sinne von Vereinsmitgliedern, die als potenzielle Studienteilnehmer zur Verfügung stehen und ein mögliches Medikament nachfragen würden, und Geld – unter anderem aus Spenden – zur Finanzierung einer Studie. Dabei geht die Menge an benötigten Geldern zur Finanzierung einer Studie teilweise in den Millionen-Bereich. Deshalb hat der Verein die bisher gespendeten knapp 50.000 € auch noch nicht für die Finanzierung einer Studie verwendet, denn dieser Betrag ist noch viel zu niedrig. Außerdem möchte der Vorstand nicht etwa irgendeine Studie in den USA co-finanzieren, sondern eine Studie hier, in Europa und Deutschland, fördern, an der dann auch Vereinsmitglieder teilnehmen können. Aktuell steht hierfür die Idee im Raum, zusammen mit anderen europäischen Vereinen, die über ähnliche Mengen an Geld verfügen, selbst eine Studie zu organisieren, und zwar zum Wirkstoff Calcitriol. Calcitriol, auch bekannt als „aktives Vitamin D3“, ist ein Produkt der Verstoffwechslung von Vitamin D3 im menschlichen Körper, welche bei FA-Betroffenen möglicherweise eingeschränkt sein könnte. Die Gabe von Calcitriol erhöht den Frataxin-Gehalt in Zellen mit FA. Allerdings sind ernsthafte Gespräche über die Organisation einer eigenen Studie zum Thema erst dann möglich, wenn wir als Verein mindestens 40.000 € mehr zur Finanzierung dieser Studie zur Verfügung stellen können. Deshalb müssen wir als Verein nun aktiver bei der Sammlung von Spenden werden.

Schneider betont, dass „der Verein“ nicht als gleichbedeutend mit dem Vorstand zu verstehen ist. Alle Mitglieder sind zusammen der Verein, und deshalb sollten auch möglichst viele Mitglieder aktiv werden und Spendenaktionen organisieren. Hierfür gibt es verschiedene Möglichkeiten: Etwa kann man als Gruppe von Vereinsmitgliedern vom Verein aus ein eigenes Event organisieren, wie dies bei der „rideATAXIA Europe – Die FA-Radtour“ getan wurde. Eine solche größere Veranstaltung hat, abgesehen vom Generieren von Spenden, den Vorteil, dass hiermit auch öffentliche Aufmerksamkeit für die Krankheit erzeugt wird (Stichwort „Awareness-Raising“) und die FA-Community gestärkt und ausgebaut wird. Jedoch muss es nicht immer eine selbstständig organisierte Veranstaltung sein, man kann den Verein auch bei wiederkehrenden Events „anmelden“, die einen guten Zweck unterstützen wollen. Dies tat Schneider selbst etwa kürzlich beim „Vitanium Bodoc Lauf“ und im Vorjahr war dies auch schon einmal der Fall, beim jährlichen Spendenmarathon der Feuerwehr „Red Knights MC 14 Berlin“. Neben Spendenläufen wären hier auch Weihnachtsmärkte von Schulen oder kirchen-nahe Veranstaltungen als „nutzbare“ Events denkbar. Hier wären ein Beispiel die Kerzenverkäufe der Katholischen Jugendbewegung St. Leonhard. Und letztendlich muss es auch keine große Veranstaltung sein: So ist es etwa auch möglich, sich bei Firmen- oder privaten Feiern Spenden an den Verein statt Geschenken zu wünschen. Beispiele aus den letzten Jahren sind hier die Abschiedsfeier des ehemaligen Geschäftsführers der Firma Finanz Informatik, bei deren Tochter-Firma Bart-Jan Schuman arbeitet, und die Geburtstagsfeier von Helga Kierner. Es ist also nicht so wichtig, ob es etwas „Großes“ ist, was man tut, Hauptsache, man wird aktiv. Dabei unterstützt der Vorstand jegliche Arten von Aktionen jederzeit gerne mit Material wie Flyern, Tipps oder was auch immer die organisierenden Mitglieder benötigen. Hierfür kann man sich jederzeit bei Thomas Schneider melden (unter kassenwart@friedreich-ataxie.de). Schneider betont noch einmal, dass zwar *unser Vorstandsvorsitzender Bart-Jan Schuman* bisher bei der Organisation von Studien und dem Aufbau einer internationalen Community sehr aktiv war, doch es nun an der Zeit ist, dass auch *wir restlichen Vereinsmitglieder* aktiv werden, um *hier in Deutschland* Fortschritte zu erzielen. Schuman erklärt, dass der Vorstand hierfür ein Webinar plant, das als „Tutorial“ für die Organisation von Spendenaktionen dienen soll. In dieser Online-Veranstaltung, die unter der Leitung von Thomas Schneider stattfinden wird, werden Vorstandsmitglieder ihre bisherigen Erfahrungen beim Organisieren von Spendenveranstaltungen weitergeben, und die anwesenden Mitglieder können Aktionsideen brainstormen und sich für die gemeinsame Organisation von Spendenaktionen zu Projektgruppen zusammenfinden. Thomas Schneider ergänzt noch, dass auch Mitglieder, die aktuell keine zeitlichen bzw. energetischen Kapazitäten haben, um selbst eine Aktion zu organisieren, aber z.B. gute Kontakte zu Leuten bei der Presse oder in der Verwaltung haben, auch herzlich eingeladen sind, zum Webinar zu kommen und diese Kontakte an die anderen Mitglieder weiterzugeben. Sollte man am Tag des Webinars verhindert sein, ist dies natürlich auch per E-Mail an den Vorstand (info@friedreich-ataxie.de) gerne gesehen. Dieser wird solche Kontakte sammeln und an andere Mitglieder weiterleiten.

Auf die Nachfrage Florian Wechsbergers, ob wir nicht durch das Finanzamt verpflichtet seien, die von uns gesammelten Spenden bereits jetzt auszugeben, meint Schneider, dass die Corona-Pandemie ein gutes Argument dafür sei, dass die Forschung im Bereich FA aktuell etwas langsamer vorangehe. Es werde deshalb schon in Ordnung sein, die gesammelten Gelder noch etwas länger aufzubewahren.

12. Mitgliedergewinnaktion - Die Magische Zahl 101

Schneider berichtet weiter, dass der Vorstand gerade aktiv dabei ist, über Facebook zu versuchen, mehr Mitglieder zu gewinnen. Eine hohe Mitgliederanzahl ist nämlich, wie bereits erwähnt, wichtig, um als Verein international Einfluss ausüben zu können – etwa auf Pharma-Firmen, Behörden wie die EMA oder bei Patientenorganisations-Dachverbänden. Dies führt dazu, dass die Chancen, in Deutschland erfolgreiche Studien zu potenziellen FA-Medikamenten zu organisieren und auch deren Zulassung zeitnah erwirken zu können, besser werden. Des Weiteren ergibt sich durch das Gewinnen neuer Mitglieder ein Snowball-Effekt: Der Verein wird größer und einflussreicher, und dadurch bekannter, wodurch mehr Menschen auf den Verein aufmerksam werden, die möglicherweise Mitglied werden wollen etc. Um unsere Mitgliederzahl zu stärken ist es deshalb wichtig, dass nicht nur FA-Patienten selbst und ihre Eltern, sondern die komplette Familie – also auch Großeltern, erwachsene Geschwister, etc. – Mitglieder im Verein werden. Weiterhin ist es schwierig für den Vorstand, neue Mitglieder zu finden, indem man Personen auf gut Glück über soziale Medien anspricht: Dies erfordert teilweise einiges an Zeit und Überzeugungsarbeit, denn einige potenzielle Mitglieder ziehen zwischenzeitlich ihre Absicht, Mitglied werden zu wollen, wieder zurück oder müssen häufiger daran erinnert werden, bis sie schließlich Mitglied werden, etc. Im Gegensatz dazu ist es viel einfacher, als Mitglied Menschen, die man persönlich kennt, zu überzeugen, dem Verein beizutreten oder als Betroffener Personen in derselben Situation zu überzeugen. Deshalb bittet Schneider im Namen des Vorstandes alle Mitglieder, bei der Suche nach neuen Mitgliedern aktiv mitzuhelfen: Ziel ist es, bis Ende des Jahres 2021 die Marke „100 Mitglieder“ zu überschreiten. Dafür soll jede Person, die aktuell Mitglied ist, mindestens ein weiteres Mitglied finden. „101 Mitglieder“ ist deshalb die „magische Zahl“, da Behörden wie die EMA Patientenorganisationen wie die unsere daran messen, wie viele von der Krankheit betroffene Personen der Verein repräsentiert, und dies an der Mitgliederzahl abschätzen. Eine Organisation, die nicht mindestens eine dreistellige Anzahl an Mitgliedern hat, bekommt dabei kein Mitspracherecht bei Entscheidungen u.Ä. Dies würde unseren Verein also mit Mitgliederzahlen wie den zum Zeitpunkt der Versammlung gegebenen von der Teilhabe an einem Zulassungsprozess ausschließen. Deshalb veranstaltet der Vorstand nun folgende Aktion, um allen Mitgliedern einen Anreiz zu setzen, aktiv zu werden:

Unter den Sachspenden, die bei der Organisation der „rideATAXIA“ im Jahr 2019 eingegangen sind, waren auch einige Gutscheine für die „[Therme Erding](#)“, welche bisher noch nicht verwendet wurden. *Die drei Personen, die, bis wir die 200-Mitglieder-Marke „knacken“, die meisten Mitglieder werben, bekommen einen Gutschein für dieses wohl größte Spa der Welt (vgl. Abbildung 9).*



Abbildung 9: Fotos von der Therme Erding (Quelle: <https://shop.therme-erding.de/1-urlaubstag-therme>).

Thomas Schneider rät Mitgliedern, dafür auf Social Media und im Bekanntenkreis nach anderen Mitgliedern zu suchen. In Letzterem könne man sowohl Freunde und Familie als auch andere potenzielle Förderer – also Personen, die vielleicht gerne einen guten Zweck unterstützen möchten – ansprechen. Zweiteres ist dabei durchaus üblich unter Vereinen. Florian Wechsberger betont nochmal, dass man also nicht nur FA-Patienten, sondern jeden Bekannten als Mitglied anwerben sollte. Schneider ergänzt, dass sich allerdings, wenn wir viele Patienten repräsentieren, auch Ärzte leichter überzeugen lassen, mit dem Verein zusammen zu arbeiten (und z.B. Studien zu organisieren) oder sogar Mitglied zu werden. Er gibt weiterhin als Tipp, Leuten bei der Mitgliedersuche zu sagen, dass es ihnen als Mitgliedern vollkommen freisteht, ob sie im Verein aktiv werden wollen oder nicht: Sie *müssen* nichts tun, nirgendwo hin kommen, sie müssen nicht einmal die Forschungsnachrichten zugeschickt bekommen. Die einzige Verpflichtung als Vereinsmitglied ist das jährliche Zahlen des Mitgliedsbeitrages. Nur Fördermitglied zu sein ist also eine vollkommen legitime Option, den Verein zu unterstützen. Umgekehrt hilft jemand, der nur Mitglied in einer WhatsApp-Gruppe wie „FA Deutsch“, aber nicht im Verein ist, weder uns Vereinsmitgliedern noch sich selbst damit.

14. Pläne für 2022 und danach

Dieser Tagesordnungspunkt wird mit dem folgenden Tagesordnungspunkt „15. Verschiedenes, Diskussion, ...“ vereinigt.

15. Verschiedenes, Diskussion, ...

Bianca Lässig schlägt vor, den Verein in die sog. Bußgeldlisten von Gerichten eintragen zu lassen. Hierbei handelt es sich um Listen mit gemeinnützigen Vereinen, an die mittelgroße Geldstrafen aus Strafverfahren gespendet werden.

Ulrich Brunner bemerkt, dass in den WhatsApp-Chatgruppen, an denen unsere Vereinsmitglieder beteiligt sind, viel sehr hilfreiches und interessantes Wissen ausgetauscht wird, das teilweise auch Ärzte nicht haben. Um sicherzustellen, dass dieses Wissen auch zukünftigen Mitgliedern der FA-Community zur Verfügung steht, schlägt er vor, die Informationen in einem Dokument o.Ä. zu sammeln oder aber eine Liste mit Vereinsmitgliedern, die sich mit einem bestimmten Thema auskennen, sowie deren Kommunikationsdaten zusammen zu stellen und diese Betroffenen zur Verfügung zu stellen. Bart-Jan Schuman wendet ein, dass wir als Verein aus rechtlichen Gründen keinen medizinischen Rat geben dürfen und man deshalb bei solchen Ideen vorsichtig sein müsse. Des Weiteren sei die Kommunikation über unsere aktuellen Kanäle manchmal recht schwierig: Etwa werde die Liste mit Ärzten auf unserer Webseite nicht so viel genutzt. Das Problem der Schnellebigkeit der WhatsApp-Gruppen erkenne er aber auch. Er würde die Ideen, die Informationen in Form eines Stichwortregisters oder auch von Erfahrungsberichten zu sammeln, gerne auf der nächsten Vorstandssitzung detaillierter besprechen. Brunner schlägt dazu vor, bei einer Veröffentlichung solcher Dokumente auf etwa der Vereinswebseite diese mit einem rechtlichen Disclaimer zu versehen. Daniëlle Schuman merkt zum Thema an, dass viele der in den WhatsApp-Gruppen besprochenen hilfreichen Informationen – „Selbsthilfe-Informationen“ zu etwa Hilfsmitteln, Pflegestufen, etc. – auch bereits in ähnlicher Form auf der Webseite des Selbsthilfe-Vereins [„Deutsche Heredo-Ataxie-Gesellschaft e.V. \(DHAG\)“](#) zu finden seien. Eine Alternative könnte also sein, die Webseiten der beiden Vereine besser zu vernetzen und auch generell unsere Zusammenarbeit mit der DHAG zu verstärken. Zoë Gräf schlägt vor, dass man die Informationen auch vereinsintern und inoffiziell sammeln könnte, etwa in einem Google-Docs-Dokument, das man in der Vereins-WhatsApp-Gruppe verlinken würde und in das dann jeder reinschreiben könne. Florian Wechsberger hätte hierfür eine Vorlage. Bart-Jan Schuman wendet ein, dass gerade die Verwendung von Produkten von Google und Microsoft, die es für solche Anwendungen gäbe, aus Datenschutzgründen schwierig sei, aber dass man eine solches geteiltes Dokument gerne besprechen können, insofern man dafür ein anderes Tool nutze. Man könne sich hierfür z.B. Dropbox einmal näher anschauen. Über weitere Vorschläge bezüglich Tools würde er sich freuen.

Thomas Schneider bittet die Vereinsmitglieder, mit dem Vorstand Kontakt aufzunehmen bezüglich der Frage, bei welchen Ärzten (Neurologen, Kardiologen, ...) sie bzw. ihre Angehörigen wegen der Friedreich Ataxie in Behandlung sind und als wie gut sie diese Behandlung empfinden. Der Vorstand würde nämlich einerseits seinen Mitgliedern gerne mehr gute Ärzte verschiedener Fachbereiche und aus verschiedenen Regionen empfehlen können. Andererseits würde er die Vereinsmitglieder gerne bitten können, bei ihren jeweiligen Ärzten Flyer des Vereins auszulegen, damit weitere Patienten, die dort für FA behandelt werden, den Verein entdecken und Mitglied werden können.

Im Folgenden stellt Carolin Hartmann sich und ihr Buch (vgl. Abbildung 10) kurz vor: Die Autorin ist aktuell 38 Jahre alt und bei ihr wurde im Alter von 13 Jahren Friedreich Ataxie diagnostiziert. Nun hat sie ihre Autobiografie „Goldregen – Liebeserklärung an die Freiheit“ veröffentlicht. Diese erzählt ihre Lebensgeschichte von ihrer Diagnose über ihr Jura-Studium bis zu ihrer Entdeckung von Yoga. Der Lebensstil der Yogi hilft ihr, sich selbst zu „heilen“, also sich mehr um ihren Körper zu kümmern und alles in ihrer Macht Stehende zu tun, damit sie sich körperlich gut fühlt. Heute ist Hartmann Yoga-Lehrerin und Tänzerin – und seit kurzem auch Autobiografin. Angefangen zu schreiben hatte sie das Buch bereits vor 15 Jahren, damals noch aus (wie sie es nennt) „eigentherapeutischen“ Gründen, also um die Erfahrungen, die sie machte, zu verarbeiten. Herausgekommen ist dabei nun ein veröffentlichtes Buch, das bereits ihr ganzes Dorf und ihre Künstler-Freunde gelesen haben. Das Buch richtet sich also nicht nur an FA-Betroffene, es befasst sich auch mit breiteren Themenfeldern wie Self-Care und Philosophie, die für viele Leute relevant sein können. Weitere Informationen zum Buch sowie einen kurzen Trailer findet man auf Hartmanns Webseite unter <http://carolinhartmann.de/buch>.



Abbildung 10: Cover des Buches „Goldregen – Liebeserklärung an die Freiheit“ von Carolin Hartmann (Quelle: <http://carolinhartmann.de/buch>).

Gabi Lugmair meldet sich zu Wort: Bisher sei sie in der Vereinsarbeit nie so aktiv gewesen und habe sich nicht so viel mit Forschung zum Thema Friedreich Ataxie befasst. Doch nun beim Bewerben der Online-Petition zu Omaveloxolone habe sie festgestellt, dass sie in ihrem Ort sehr gut vernetzt ist. Somit sollte es theoretisch einfach für sie sein, viele neue Mitglieder zu werben, jedoch tue sie sich schwer, eine gute Argumentation zu formulieren, warum man dem Verein beitreten sollte. Marleen Schuman antwortet, dass der Vorstand sie dabei gerne unterstützt. Daraufhin erklärt sich Lugmair bereit, aktiv für den Verein zu werden. Thomas Schneider ergänzt, dass seiner Erfahrung nach jeder ein Talent o.Ä. hat, mit dem er sich gut in die Vereinsarbeit einbringen könne: Was in Lugmairs Fall die guten Kontakte sind, sind bei Anderen Kenntnisse im Web-Design oder der Veranstaltungsorganisation, ein Talent zum Formulieren von Texten, etc. Er bittet die Mitglieder, sich beim Vorstand zu melden, wenn sie bestimmte Talente oder Ressourcen haben, die sie dem Verein zur Verfügung stellen möchten.

16. Ausklang bis 18:00

Bart-Jan Schuman bedankt sich als Versammlungsleitung herzlich bei den versammelten Mitgliedern für ihre Anwesenheit und ihr Interesse und ruft alle noch einmal auf, zum Webinar zum Thema Spendenaktionen zu kommen und aktiv zu werden. Er betont, dass jeder sich einbringen kann, egal wie. Anschließend beendet er die Versammlung.

Die Versammlung endet um 18:03 Uhr.

Daniëlle Schuman

Daniëlle Schuman
Protokollantin und Schriftführerin

Bart-Jan Schuman
Versammlungsleitung und Vorstandsvorsitzender

Anhänge:

- Kassenprüfungsbericht für das Jahr 2020
- Wissenschaftliches Poster „Lynch, David et al. 2021. Efficacy of Omaveloxolone in Patients with Friedreich’s Ataxia: Delayed-Start Study. [Poster]. International Congress of Parkinson’s Disease and Movement Disorders, September 17-22, online“