

# Die Checkliste „Sarkom-Strategien“

Februar 2017



**Paolo Casali**, Istituto Nazionale Tumori, Italien  
**Nora Drove**, Eli Lilly & company  
**Sarah Dumont**, Institut Gustave Roussy, Frankreich  
**Mikael Eriksson**, Universität Lund, Schweden  
**Alessandro Gronchi**, Istituto Nazionale dei Tumori,  
Italien und EORTC Soft Tissue and Bone Sarcoma  
**Bernd Kasper**, Universität Heidelberg, Deutschland

**Estelle Lecointe**, Info Sarcomes, Frankreich und SPAEN  
**Claudia Valverde**, Universitätsklinikum Vall' Hebron, Spanien  
**Markus Wartenberg**, SPAEN & das Lebenshaus e.V., das  
Wissenhaus GmbH, Deutschland  
**Roger Wilson**, SPAEN  
**Shannon Boldon**, The Health Policy Partnership  
**Suzanne Wait**, The Health Policy Partnership



Die Checkliste „Sarkom-Strategien“ wurde von einer Gruppe führender Vertreter von Patientenorganisationen, klinischen Experten und Branchenvertretern erarbeitet. Initiiert und finanziert wurde dieses Projekt von Lilly.

Dieses Dokument wurde von der Expertengruppe „Checkliste ‚Sarkom-Strategien‘“ ausgearbeitet. Die Erstellung und Bearbeitung des Dokuments sowie die laufende Durchführung des Projekts wurde von Health Policy Partnership Ltd. koordiniert. Eli Lilly & Company (Lilly) stellte Finanzmittel zur Deckung der Kosten der Gruppe und der von ihr erstellten Materialien bereit. Den Mitgliedern der Gruppe wurde für ihre Teilnahme an diesem Projekt von Lilly kein Honorar gezahlt. Lilly lieferte Anmerkungen zu dem Dokument, gleichwohl spiegelt der Inhalt des endgültigen Dokuments den Konsens der Mitglieder der Gruppe wider, die über die vollständige redaktionelle Kontrolle verfügen.

#### **Quellen für die gegenüberliegenden Infografiken**

1. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
2. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
3. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. BMC Cancer 2013;13(1):1-21.
4. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. BMC Cancer 2010;10(1):1-12.
5. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. Ann Oncol 2012;23(9):2442-9.
6. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.

# Zusammenfassung

## Sarkome in Europa: Stärkung der politischen Strategie

**Sarkome:** eine Gruppe von **seltene Krebsarten**, die sich im Bindegewebe entwickeln<sup>1</sup>

### Grosse Heterogenität

Über

70

verschiedene  
Typen<sup>2</sup>



Können **überall** im  
Körper  
auftreten<sup>2</sup>

### Folge:



**Gesundheitsfachkräfte:**  
schwieriger Zugang zu  
spezialisierter Schulung



**Patienten:**  
späte oder  
fehlerhafte  
Diagnose,  
eingeschränkter Zugang  
zu Facharztbehandlungen



**Forschung:**  
schwierige Suche  
nach speziellen  
Therapien für den  
jeweiligen Sarkomtyp



**Gesundheitssystem:**  
hohe Kosten aufgrund  
großer Unterschiede bei  
der Behandlungsqualität

### Mit die schlechtesten Patientenerfahrungen aller Krebsarten<sup>1</sup>

**1 %**  
aller Krebsarten,  
**2 %**  
aller  
Krebstodesfälle<sup>3</sup>



Bis zu **40 %**  
Fehldiagnosen<sup>4,5</sup>








Nur **22 %** der  
Patienten nehmen an  
klinischen Studien teil<sup>1</sup>

Bis zu einem Viertel der  
Patienten erhält eine  
Behandlung wegen etwas  
anderem als Sarkomen<sup>6</sup>



Erhebliche  
**Ungleichheiten**  
in Europa in Bezug  
auf den Zugang zu  
verfügbaren Therapien

### Die Checkliste „Sarkom-Strategien“ – Was muss getan werden, um die Sarkom-Behandlung zu verbessern?

-  **Ausgewiesene und akkreditierte** Sarkom-Referenzzentren in jedem Land
-  Größeres Angebot an **fachlicher Schulung** für an der Sarkom-Behandlung beteiligte Gesundheitsfachkräfte
-  Ein **multidisziplinäres Behandlungskonzept** für jeden Sarkom-Patienten
-  Stärkere **Forschungs- und Innovationsanreize**
-  Ein **schnellerer Zugang** zu wirksamen Therapien

# Inhaltsverzeichnis

Zusammenfassung . . . . .	3
Einleitung . . . . .	5
Checkliste „Sarkom-Strategien“: Was ist am dringendsten nötig, um die Behandlung von Sarkomen zu verbessern? . . . . .	7
1. Ausgewiesene nationale Sarkom-Referenzzentren . . . . .	8
2. Verstärkte berufliche Fortbildung . . . . .	10
3. Ein multidisziplinäres Behandlungskonzept für jeden Patienten . . . . .	12
4. Anreize für Forschung und Innovation . . . . .	14
5. Ein schnellerer Zugang zu wirksamen Therapien . . . . .	16
Fazit . . . . .	18

## Teil 2:

<b>Länderprofile. . . . .</b>	<b>19</b>
Sarkome in Frankreich . . . . .	20
Sarkome in Deutschland . . . . .	26
Sarkome in Italien. . . . .	30
Sarkome in Spanien . . . . .	34
Sarkome in Schweden . . . . .	40
Sarkome im Vereinigten Königreich . . . . .	46
Quellennachweise: . . . . .	52

# Einleitung

**22 % aller Krebsdiagnosen entfallen auf seltene Krebsarten, die in der Regel schlechtere Überlebensraten aufweisen als häufig vorkommende Krebsarten wie Brust-, Dickdarm- oder Prostatakrebs.**<sup>1</sup> In den vergangenen zehn Jahren hat eine Reihe von Interessenträgern wie Rare Cancers Europe das Bewusstsein für die Notwendigkeit politischer Maßnahmen zur Verbesserung der Verfügbarkeit und des Zugangs der Patienten zu geeigneten Informationen, klinischen Studien, wirksamen Therapien und Behandlungen für alle seltenen Krebsarten geschärft.<sup>2</sup> Die jüngste Einführung einer Gemeinsamen Aktion zu seltenen Krebsarten (Joint Action for Rare Cancers) ist ebenfalls als eine positive Entwicklung zu betrachten, da sie eine bessere Integration der Erfordernisse seltener Krebsarten in nationale Krebspläne zum Ziel hat.<sup>3</sup>

**Dennoch bestehen im Bereich der seltenen Krebsarten weiterhin zahlreiche Herausforderungen – und im Fall der Sarkome sind viele dieser Herausforderungen besonders groß.**

## Was sind Sarkome?

**Sarkome sind eine heterogene Gruppe von seltenen Tumoren, die sich im Bindegewebe entwickeln. Es gibt etwa 70 Subtypen von Sarkomen, die überall im Körper auftreten können.**<sup>4</sup>

Die beiden Haupttypen von Sarkomen sind:

1. **Weichteilsarkome (WTS) – 84 %** der Sarkome. Diese entwickeln sich im Bindegewebe oder allen Stützgeweben des Körpers außer den Knochen (wie z. B. Fett, Muskeln, Blutgefäße, Nerven oder Gelenke).<sup>5</sup> Dazu gehören **gastrointestinale Stromatumoren (GIST)**, die etwa 20 % der WTS ausmachen.
2. **Knochensarkome – 14 %** der Sarkome.<sup>6</sup>

**Schätzungen der tatsächlichen Anzahl von Sarkomen sind unsicher**, da die Registrierung in den meisten Ländern nicht verpflichtend ist und die Standards der Registrierung uneinheitlich sind.



# Die Heterogenität der Sarkome stellt das medizinische Fachwissen, die klinische Forschung und die Gestaltung von Strategien vor Herausforderungen

Die Zahl der Patienten mit einem bestimmten klinischen Bild ist extrem niedrig, und für die einzelnen Subtypen gelten sehr unterschiedliche Prognosen, Merkmale, Eigenschaften und Anforderungen an das Gesundheitssystem.<sup>6</sup>

## Sarkome: die wichtigsten Zahlen und Fakten

Sarkome machen **1 %** aller Krebserkrankungen aus, sind aber für **2 %** der krebisbedingten Todesfälle verantwortlich.<sup>7</sup>

Es gibt etwa **6** Fälle pro 100.000 Einwohner pro Jahr, was **27 908** neuen Fällen pro Jahr entspricht (EU27).<sup>6</sup>

Die **relative 5-Jahres-Überlebensrate** beträgt 56 % bei Weichteilsarkomen, 70 % bei GIST und 61 % bei Knochensarkomen.<sup>8</sup>

**Die Überlebensrate hängt davon ab, wann ein Sarkom diagnostiziert wird:** Bei Weichteilsarkomen betragen die 5-Jahres-Gesamtüberlebensraten sowohl in den Vereinigten Staaten als auch in der EU zwischen **15 %** (bei Patienten mit metastasiertem Rückfall) und **90 %** (bei Krebs im Frühstadium).<sup>8 9 10</sup>



## Beispiele für Herausforderungen in Bezug auf Sarkome

- **Im Vergleich aller Krebsarten haben Sarkom-Patienten mit die schlechtesten Erfahrungen gemacht.**<sup>11</sup>
- **Den Patienten fehlt es an ausreichenden Informationen** zu ihrer Erkrankung, Exzellenzzentren, verfügbaren Therapien und Behandlungspfaden sowie zu laufenden klinischen Studien. Infolgedessen können sie im Hinblick auf ihre Behandlung keine fundierten Entscheidungen treffen.<sup>11</sup>
- **Aufgrund der Seltenheit von Sarkomen haben die meisten Ärzte wenig oder gar keine Erfahrung mit ihrer Diagnose oder Behandlung.** Mitunter überweisen sie Patienten nicht an einen Facharzt<sup>8</sup>, was oft zu verzögerten oder falschen Diagnosen führt.
- **Eine ungenaue Diagnose führt bei 70 % der Patienten zu einem fehlerhaften Patientenmanagement,**<sup>8</sup> sodass einige Patienten eine Therapie erhalten, die auf etwas anderes als Sarkome ausgerichtet ist.<sup>11 12</sup>
- **Die Häufung von Spät- oder Fehldiagnosen und die schwankende Behandlungsqualität** haben einen erheblichen Einfluss auf die Lebensqualität der Patienten und ihrer Familien.
- **Einige Behandlungen werden nicht erstattet,** und Patienten müssen unter Umständen große Entfernungen zurücklegen, um eine angemessene Behandlung zu erhalten, oder sie müssen Therapien aus eigener Tasche zahlen.<sup>13</sup>
- **Bei einigen Sarkomtypen, wie bei der Primärtherapie von fortgeschrittenen Weichteilsarkomen, wurden** seit 30 bis 40 Jahren **in der Behandlung keine signifikanten Fortschritte erzielt.** GIST bilden diesbezüglich eine große Ausnahme.

# Über dieses Dokument

Dieses Dokument wurde von der Expertengruppe „Checkliste ‚Sarkom-Strategien‘“, einer Interessengruppe, der Experten aus den Bereichen Medizin, Patientenvertretung und Pharmaindustrie angehören, ausgearbeitet, um den politischen Entscheidungsträgern zu helfen, die Lücke beim Zugang zu qualitativ hochwertigen Informationen und Behandlungen für Sarkom-Patienten in ganz Europa zu schließen.

Dieses Dokument besteht aus zwei Teilen:

1. In der **Checkliste „Sarkom-Strategien“** werden **fünf Kernbereiche** beschrieben, auf die politische Entscheidungsträger ihre Anstrengungen konzentrieren können, um die Behandlung von Sarkom-Patienten am wirksamsten zu beeinflussen.
2. **Sechs Länderprofile (für Frankreich, Deutschland, Italien, Spanien, Schweden und das Vereinigte Königreich)** werden vorgestellt, um zu veranschaulichen, inwieweit diese Empfehlungen in den verschiedenen Ländern umgesetzt werden.

## Checkliste „Sarkom-Strategien“: Was ist am dringendsten nötig, um die Behandlung von Sarkomen zu verbessern?

1



**Ausgewiesene und akkreditierte** Sarkom-Referenzzentren in jedem Land

2



Größeres Angebot an **fachlicher Schulung** für an der Sarkom-Behandlung beteiligte Gesundheitsfachkräfte

3



Ein **multidisziplinäres Behandlungskonzept** für jeden Sarkom-Patienten

4



Stärkere **Forschungs- und Innovationsanreize**

5



Ein **schnellerer Zugang** zu wirksamen Therapien

# 1 Ausgewiesene nationale Sarkom-Referenzzentren



## Die Strategien-Checkliste – was ist erforderlich

- Jedes Land verfügt über mindestens ein nationales Referenzzentrum oder eine eindeutige Verbindungsstelle zu einem Referenzzentrum in einem anderen Land.

---

- Es existiert ein nationales Zulassungsverfahren, um Referenzzentren auf der Grundlage eindeutiger Qualitätsstandards auszuweisen.

---

- Die Referenzzentren werden regelmäßig anhand dieser Standards bewertet, um eine kontinuierliche Qualität der Behandlung zu gewährleisten.

---




## Warum dies wichtig ist

- **Weil Sarkome so selten sind und in so vielen Formen vorkommen**, ist es für die meisten medizinischen Fachkräfte schwierig, genügend Erfahrung im Bereich der Sarkome zu sammeln.
- **Daher empfiehlt es sich, die Sarkom-Behandlung in ausgewiesenen Spezialzentren – bzw. Referenzzentren – durchführen zu lassen.**
- **Die Zentralisierung der Behandlung in Sarkom-Zentren mit hohem Durchsatz hat erwiesenermaßen zur Verbesserung der Gesamtqualität der Sarkom-Behandlung geführt,**<sup>14 15</sup> indem die Patienten dort eine frühzeitige, genaue und qualitativ hochwertige Diagnose,<sup>16 17</sup> eine rechtzeitige Empfehlung zur Einholung einer Zweitmeinung eines Facharztes<sup>16</sup> und Zugang zu Informationen erhalten.<sup>15</sup>



## Wie sieht es auf europäischer Ebene aus?

- **In allen sechs Ländern existieren Referenzzentren für viele Arten von Sarkomen. Allerdings werden sie nicht immer aufgrund eindeutiger Qualitätsstandards ausgewiesen, und eine Überwachung der Behandlungsqualität im Zeitverlauf findet ebenfalls nicht statt.**<sup>13 18</sup>
- **Dies erschwert den Patienten und den überweisenden Ärzten die Suche nach spezialisierten Therapien.** Besonders ausgeprägt ist dieses Problem im Hinblick auf die chirurgische Sarkom-Expertise.
- **An der Spitze der jüngsten Bemühungen um eine Festlegung von Qualitätsstandards für Sarkome auf europäischer Ebene** standen die Sarcoma Patients EuroNet Association (SPAEN) und die<sup>19</sup> European CanCer Organisation (ECCO).<sup>20</sup> Das **Vereinigte Königreich** verfügt über klar definierte nationale Standards für Sarkome, und in **Schweden** erfolgt eine besonders gründliche Überwachung der Qualität der Sarkom-Behandlung über sein Krebsregister für Extremitäten- und Rumpfwandsarkome.
- **Der Zugang zu Referenzzentren für Patienten, die außerhalb städtischer Ballungsräume leben, stellt oftmals ein Problem dar.** In **Spanien** ist es für Patienten schwierig, eine Genehmigung von ihrer Region zur Überweisung in eine andere Region zu Behandlungszwecken zu erhalten, und oftmals werden ihnen die damit verbundenen Reise- und Unterbringungskosten nicht erstattet.
- **Mehrere nationale Sarkom-Zentren werden in das neu entstehende Europäische Referenznetzwerk (ERN) für seltene solide Tumore bei Erwachsenen, einschließlich Sarkome (EURACAN) eingegliedert.** Gleichwohl befinden sich die ERN in frühen Stadien der Umsetzung, und es müssen noch klar definierte Prozesse entwickelt werden, um die Zusammenarbeit, die grenzüberschreitende Überweisung und die angemessene Erstattung zwischen den teilnehmenden Zentren zu erleichtern<sup>13 16 18 21</sup>

### Europäische Referenznetzwerke –

#### welche Vorteile können sie für die Sarkom-Forschung und -Behandlung bedeuten?

- ✓ Bessere Chancen für Patienten, an klinischen Prüfungen teilzunehmen und durch die grenzüberschreitende Zusammenarbeit eine optimale Behandlung und Betreuung zu erhalten<sup>14 16</sup>
- ✓ Einrichtung von Registern und konsolidierte Erfassung von Realweltdaten<sup>13 16 18 21</sup> nach vereinbarten gemeinsamen Standards
- ✓ Entwicklung von Qualitätssicherungsmechanismen für Labortests<sup>21</sup>
- ✓ Fort- und Weiterbildungsinstrumente für Fachkräfte im Gesundheitswesen<sup>21</sup>
- ✓ Beschleunigter<sup>13 18 22</sup> Austausch von Informationen, biologischen Probenahmen, Röntgenbildern, sonstigem diagnostischem Material und e-Tools für die Telemedizin zwischen teilnehmenden Zentren<sup>15 16</sup>.



### Die Strategien-Checkliste – was ist erforderlich?



Ein nationales Überweisungsprotokoll für Patienten, bei denen ein Sarkom-Verdacht besteht, berät Nicht-Fachärzte im Hinblick auf „Rote-Flaggen“-Symptome und den richtigen Zeitpunkt für eine Überweisung an Referenzzentren.

---



Schulungen zu seltenen Krebsarten sind im allgemeinen medizinischen Curriculum enthalten.

---



Alle Onkologen können an kontinuierlichen Schulungen zu seltenen Krebsarten teilnehmen.

---



Spezielle Schulungsprogramme in Bezug auf Sarkome sind für alle medizinischen Fachkräfte, die Teil des multidisziplinären Sarkom-Behandlungsteams sind, verfügbar.

---



## Warum dies wichtig ist

- **Da Sarkome überall im Körper auftreten können, suchen Patienten unter Umständen sehr viele unterschiedliche Ärzte auf** – Allgemeinmediziner, aber auch Gynäkologen, Dermatologen, Chirurgen und andere.
- **Die meisten dieser Ärzte waren möglicherweise noch nie mit einem Sarkom-Fall konfrontiert und wissen nicht, an welchen Facharzt sie die Patienten überweisen sollen.** Dies kann eine verzögerte Diagnose, eine ungeeignete Behandlung<sup>11 12</sup> und beeinträchtigte Behandlungsergebnisse zur Folge haben.<sup>8</sup>
- **Vermutlich wurden viele Onkologen nicht im Hinblick auf die Diagnose und Behandlung von Sarkomen geschult.**



## Wie sieht es auf europäischer Ebene aus?

- **In allen sechs untersuchten Ländern haben Ärzte im Rahmen ihrer allgemeinen Ausbildung keine formale Schulung in Bezug auf seltene Krebsarten (einschließlich Sarkome) erhalten. In Spanien und im Vereinigten Königreich** gibt es gezielte Anstrengungen zur Verbesserung der Früherkennung und der frühzeitigen Überweisung bei Sarkomen.
- **Seltene Krebsarten sind zudem in den meisten Ländern nicht Teil der formalen Onkologen-Ausbildung**, wenngleich es in einigen Ländern fortlaufende Bemühungen gibt, dies zu ändern.
- **Es gibt mehrere europaweite spezialisierte Schulungsprogramme zu Sarkomen.** So hat z. B. die europäische Gesellschaft für chirurgische Onkologie (European Society of Surgical Oncology, ESSO) einen chirurgischen Schulungskurs zu Sarkomen entwickelt, die sogenannte **europäische Schule für Weichteilsarkomchirurgie (European School of Soft Tissue Sarcoma Surgery)**.<sup>15</sup> Außerdem gibt es in zahlreichen Ländern spezielle Kurse zum Umgang mit Sarkomen, oftmals in Form von Online-Schulungsprogrammen.
- Es hat sich erwiesen, dass neben der formalen Schulung **das Vorhandensein einfacher Überweisungsleitlinien**, wie es sie in **Schweden** gibt, zu einer schnelleren und genaueren Diagnose und Behandlung von Sarkomen führen.

### 3 Ein multidisziplinäres Behandlungskonzept für jeden Patienten



#### Die Strategien-Checkliste – was ist erforderlich?

- Nationale Leitlinien für die Behandlung aller Sarkomtypen bestehen für Erwachsene und Kinder.

---

- Alle Sarkom-Patienten werden von einem ausgewiesenen multidisziplinären Team gemäß einem eindeutigen Behandlungspfad therapiert.

---

- Die Mindestzusammensetzung dieses Teams ist klar definiert.

---

- Den Patienten wird eine spezielle Gesundheitsfachkraft zugewiesen, und sie erhalten einen individuellen Behandlungsplan, der ihnen den Weg durch ihre Behandlung weist.

---



## Warum dies wichtig ist

- **Die Unterstützung von Sarkom-Patienten durch ein breites Spektrum an Fachkräften** (Histopathologen, Radiologen, Chirurgen, medizinische Onkologen, Psychoonkologen, Experten für Palliativpflege, Fachärzte für Rehabilitation) ist von entscheidender Bedeutung, um sicherzustellen, dass im Laufe der Zeit alle ihre Bedürfnisse erfüllt werden.<sup>8</sup>



## Wie sieht es auf europäischer Ebene aus?

- In den meisten nationalen Leitlinien wird davon ausgegangen, dass **die Organisation der Sarkom-Behandlung in multidisziplinären Teams (MDT)** für die Bereitstellung qualitativ hochwertiger Therapien für die Patienten von wesentlicher Bedeutung ist.
- **Ein MDT-Behandlungskonzept** ist für die Zentren zudem ein Kriterium, das diese erfüllen müssen, um Teil des jüngst ins Leben gerufenen ERN für Sarkome zu werden.
- **Dennoch gibt es in allen Ländern von Zentrum zu Zentrum erhebliche Unterschiede bei der Umsetzung der MDT.** Viele Zentren verfügen nicht über ausreichende Mittel zur Umsetzung eines systematischen MDT-Konzepts in der Sarkom-Behandlung.
- **Eine besondere Herausforderung besteht darin, Primärversorger und gemeindebasierte Anbieter in das MDT einzubeziehen,** um eine hohe Diagnose- und Behandlungsqualität über den gesamten Versorgungspfad zu gewährleisten.
- **Darüber hinaus ist die Zusammensetzung eines spezialisierten Sarkom-MDT oft nicht klar definiert,** und unter Umständen steht nicht in allen Zentren entsprechend geschultes Personal zur Verfügung.

## 4 Anreize für Forschung und Innovation



### Die Strategien-Checkliste – was ist erforderlich?



Es existiert ein nationales Sarkom-Register.

---



Standardisierte Datensätze ermöglichen einen Vergleich von Realweltdaten, die in den verschiedenen Referenzzentren erfasst werden.

---



Es gibt eine nationale Forschungszusammenarbeit im Bereich Sarkome.

---



Es gibt Anreize für öffentlich-private Partnerschaften mit Schwerpunkt seltene Krebsarten, einschließlich Sarkome.

---



## Warum dies wichtig ist

- **Üblicherweise herrscht ein Mangel an Fördermitteln für die Grundlagenforschung zu Sarkomen.** Deshalb sind die Ursachen vieler Sarkome unbekannt<sup>6</sup>, und die Evidenzbasis in Bezug auf Inzidenz und Überlebensmuster für Sarkome ist nicht stark ausgeprägt.<sup>8</sup>
- **Ergebnisse aus der Grundlagenforschung sind von wesentlicher Bedeutung,** um die Forschungsanstrengungen stärker auf Behandlungskonzepte auszurichten, die die Ergebnisse für die Patienten verbessern könnten.
- **Die Teilnahme einer ausreichenden Zahl von Patienten an klinischen Studien zu Sarkomen stellt weiterhin eine Herausforderung dar,** was an der geringen Zahl von Patienten liegt, die an dem jeweiligen Sarkomtyp erkrankt sind.<sup>11 13 16</sup>
- Darum **ist die Erfassung von Realweltdaten wichtig,** um mithilfe hinreichender Patientendaten weitere Forschungsmaßnahmen und Verbesserungen in der Patientenversorgung zu fördern.



## Wie sieht es auf europäischer Ebene aus?

- **In verschiedenen Ländern gibt es eine Reihe von wichtigen Forschungsinitiativen zu Sarkomen.** Beispielsweise ist in **Frankreich** die Datenverfügbarkeit in den Pathologie- und Kliniknetzwerken gut, was es dem Land ermöglicht, viele nationale und internationale Sarkomforschungsprojekte durchzuführen. **Schweden** hat ein nationales Qualitätsregister für Sarkome (INCA), in dem Sarkom-Patientendaten aus allen Regionen erfasst werden, und das Analysen von Realweltdaten ermöglicht. Im **Vereinigten Königreich** erlaubte eine umfassende Erhebung von Sarkom-Patienten wichtige Einblicke in die Erfahrungen von an Sarkomen erkrankten Patienten. **Italien** hat im Bereich der pädiatrischen Sarkome signifikante Anstrengungen unternommen. **Spanien** hat ein Projekt zu seltenen Sarkomen ins Leben gerufen, um die Belastung durch seltene Sarkome zu bestimmen und die Behandlungspfade für die Patienten zu verbessern.
- **Trotz dieser Anstrengungen bedarf es weiterer Grundlagenforschung zu Sarkomen –** und als Voraussetzung dafür weiterer Fördermittel.
- **Die Entwicklung der ERN wird bei der Förderung der Erfassung von vergleichbaren Realweltdaten verschiedener Zentren voraussichtlich eine wichtige Rolle spielen,** da die Erhebung prospektiver Klinikdaten eine zwingende Voraussetzung für die ERN-Zulassung ist.

## 5 Ein schnellerer Zugang zu wirksamen Therapien



### Die Strategien-Checkliste – was ist erforderlich?

- Sarkom-Patienten oder ihre Vertreter sind an der Gesundheitstechnologiebewertung (GTB) und anderen Zugangskonzepten beteiligt.

---

- Es gibt spezielle Regelungs- und Zugangskonzepte für seltene Krebsarten.

---

- Im Hinblick auf Nachweiserfordernisse für Sarkome und andere seltene Krebsarten findet eine Abstimmung zwischen Aufsichtsbehörden und Erstattungsstellen statt.

---

- Ein nationales Portal für klinische Studien, in dem alle laufenden klinischen Studien zu Sarkomen aufgelistet sind, steht der Öffentlichkeit zur Verfügung.

---



## Warum dies wichtig ist

- **Es ist nicht angemessen, wenn Datenerfordernisse für die Registrierung und die Erstattung bei seltenen Krebserkrankungen dieselben sind wie bei häufiger auftretenden Krebserkrankungen**, da es schwierig ist, Daten klinischer Studien zu seltenen Krebserkrankungen zu erhalten.
- **Die Beteiligung der Sarkom-Patienten an der GTB und anderen Zugangsentscheidungsprozessen** ist von wesentlicher Bedeutung, um sicherzustellen, dass **die Bewertung neuer Behandlungsformen für eine seltene Krebsart wie Sarkome sich an der Frage orientiert, was für die Patienten am wichtigsten ist**, und dass Therapien Vorrang gegeben wird, die die Patientenversorgung am deutlichsten verändern. Idealerweise sollten die Patienten auch schon in die Planungsphase klinischer Studien einbezogen werden.
- **Sarkom-Patienten sind sich häufig der Möglichkeit, an klinischen Studien teilzunehmen, gar nicht bewusst.** So ging aus einer nationalen Sarkom-Erhebung im Vereinigten Königreich hervor, dass die Mehrheit der Patienten (67 %) von ihrem Arzt nicht gefragt wurde, ob sie an einer klinischen Studie teilnehmen wolle, und wenn sie gefragt wurde, war die Teilnahmequote niedrig (22 %).<sup>11</sup>



## Wie sieht es auf europäischer Ebene aus?

- **Die Europäische Arzneimittel-Agentur erkennt die Notwendigkeit einer größeren Flexibilität im Bereich der Arzneimittelzulassung an**, um den schnellen Zugang zu innovativen Behandlungen für Patienten, für die wenig Behandlungsalternativen bestehen, zu verbessern. Dazu gehören kleinere Studien und angepasste Studienpläne für seltene Krebsarten,<sup>23</sup> eine beschleunigte Überprüfung, eine bedingte Marktzulassung und eine adaptive Lizenzierung, wie jeweils angemessen.<sup>13 18 24</sup>
- **Leider wird diese Flexibilität von den Erstattungsstellen und den für die Gesundheitstechnologiebewertung zuständigen Behörden in den meisten Ländern nicht notwendigerweise erreicht.** Dies führt in vielen Ländern oftmals zu langen Verzögerungen, und mitunter wird den Patienten der Zugang sogar verweigert.<sup>8 13 14 18</sup>
- In vielen Ländern führen **Patientengruppen** Bestrebungen an, bestehende Unterschiede beim Zugang zu Therapien für seltene Krebsarten zu reduzieren. Allerdings sind die Patienten in keinem Land außer dem Vereinigten Königreich an der GTB oder an Zugangsentscheidungen beteiligt.
- **Obwohl in vielen Ländern „Early Access-“ oder „Compassionate Use“-Programme existieren, wurden sie nicht unbedingt auf Sarkome angewendet.**
- **Informationen über klinische Studien zu Sarkomen stehen der Öffentlichkeit in allen Ländern zur Verfügung;** der Zugang zu klinischen Studien ist gleichwohl oftmals auf Patienten beschränkt, die in Sarkom-Referenzzentren behandelt werden.

**Trotz der in den letzten Jahren erzielten Fortschritte in den Bereichen Forschung, Patientenmanagement und Therapie gehören die Erfahrungen, über die Sarkom-Patienten berichten, im Vergleich immer noch zu den schlechtesten aller Krebspatienten.<sup>11</sup>**

**In diesem Bericht werden fünf Kernbereiche vorgeschlagen, in denen politische Fortschritte erzielt werden müssen, um diesen Missstand zu beheben.** Alle an Sarkomen erkrankten Patienten sollten Zugang zu Spezialbehandlungen in ausgewiesenen Referenzzentren haben. Die Verbindungen zwischen Referenzzentren und gemeindenahen Versorgern müssen gestärkt werden, damit die Patienten entlang des gesamten Versorgungspfads Zugang zu qualitativ hochwertiger Diagnostik und Behandlung haben. Zulassungs- und Zugangsanforderungen sollten so angepasst werden, dass sie die Besonderheiten von Sarkomen widerspiegeln, beispielsweise die Schwierigkeit, Daten aus großen klinischen Studien zu erhalten. Und schließlich sollten den Patienten in allen europäischen Ländern vielversprechende neue Behandlungsformen so schnell und so gerecht wie möglich zur Verfügung gestellt werden.

**Diese Empfehlungen gelten weitestgehend auch für andere seltene Krebsarten** und können daher entsprechend erweitert werden, um die Situation für andere seltene Krebsarten zu verbessern. Da an seltenen Krebsarten erkrankte Patienten 22 % aller Krebsfälle in Europa ausmachen<sup>1</sup>, sollte die dringende Notwendigkeit der Verbesserung der Behandlung und der Behandlungsergebnisse für diese Patienten für alle europäischen Gesundheitssysteme eine Schlüsselpriorität darstellen.



## Teil 2: Länderprofile



Dieser Abschnitt enthält sechs Länderprofile zu Sarkomen, die für Frankreich, Deutschland, Italien, Spanien, Schweden und das Vereinigte Königreich erarbeitet wurden.

In diesen Dokumenten wird untersucht, wie gut die jeweiligen Länder die fünf Schlüsselempfehlungen, die in der Checkliste „Sarkom-Strategien“ niedergelegt sind, umsetzen.

# Sarkome in Frankreich



Jedes Jahr werden bei 3526 Menschen Weichteil- und Viszeralsarkome diagnostiziert, und bei 521 Menschen wird ein Knochensarkom diagnostiziert (Daten von 2013).<sup>25</sup>

In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.



Es gibt **28 Referenzzentren** für Sarkome.<sup>26</sup> Drei davon sind nationale Koordinierungszentren, neun sind Expertenzentren und 16 sind Referenzzentren.<sup>27</sup> Pathologie und Onkologie verfügen über separate Referenzzentren, die in den entsprechenden Netzwerken organisiert sind. Onkologie-Referenzzentren sind im **französischen klinischen Referenznetzwerk für Weichteil- und Viszeralsarkome (NetSarc)** und dem **französischen Referenznetzwerk für Knochensarkome und seltene Knochentumore (ResOs)** organisiert.<sup>25 28</sup>

Das **NetSarc**-Modell hat sich als erfolgreich erwiesen, da Patienten, die von fachärztlichen Chirurgen und Onkologen im NetSarc-Netzwerk behandelt wurden, bessere Ergebnisse verzeichneten als jene, die außerhalb dieses Netzwerks behandelt wurden.<sup>29</sup> Die Patientenvertretungen gehören dem NetSarc-Ausschuss an und leisten Beiträge in Bereichen mit Verbesserungspotenzial.

Pathologie-Referenzzentren sind im **französischen Referenznetzwerk für die Pathologie der Sarkome (RRePS)** organisiert.<sup>28</sup> Das RRePS gewährleistet im Hinblick auf die Bestätigung der Diagnose aller Weichteilsarkome eine pathologische Überprüfung durch einen zweiten Facharzt. ResOs ist sowohl ein klinisches als auch ein Pathologienetzwerk für Knochentumore.<sup>26 28</sup> Über 90 % der Patienten haben von einer zweiten Durchsicht ihres Pathologieberichts durch die RRePS- und RESOS-Netzwerke profitiert.<sup>26</sup> Über 40 % der histologischen Erstdiagnosen wurden nach der zweiten Durchsicht modifiziert und der Behandlungsablauf in der Folge abgeändert.<sup>17 30</sup>

**Die Akkreditierung von Referenzzentren** erfolgt durch eine Selbstbewertung und eine unabhängige externe Bewertung.<sup>25 27</sup> Ein Überwachungssystem gibt es nicht, und die Zentren können ihre Akkreditierung behalten, wenn sich z. B. einer ihrer Sarkom-Spezialisten dazu entschließt, das Zentrum zu verlassen. Zudem stützt sich die Akkreditierung hauptsächlich auf die Expertise des Zentrums im Bereich Onkologie, nicht aber auf Fachwissen im Bereich Chirurgie, und die Qualität der Sarkom-Chirurgie ist von Referenzzentrum zu Referenzzentrum sehr unterschiedlich.

**In Frankreich gibt es nur wenige Sarkom-Chirurgen**, und viele Sarkom-Patienten werden von allgemeinen Chirurgen behandelt, die über keine Sarkom-Expertise verfügen. Aus diesem Grund werden derzeit Gespräche geführt, um ein nationales Netzwerk für Sarkomchirurgie zu entwickeln, eine Sarkomchirurgie-Gemeinschaft aufzubauen und zu gewährleisten, dass Sarkom-Patienten nur von spezialisierten Sarkom-Chirurgen in Referenzzentren operiert werden.<sup>31</sup>

Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.



**Sarkom-Behandlungsleitlinien** gibt es zwar in Frankreich, doch ist ihr Bekanntheitsgrad in der Fachwelt nicht ausreichend, vor allem nicht in ländlichen Gebieten. Radiologie- und Pathologieleitlinien schreiben vor, dass alle Patienten, bei denen ein Sarkom-Verdacht besteht, an eine fächerübergreifende Tumorkonferenz überwiesen und in einem Referenzzentrum behandelt werden.<sup>31</sup> Für die Sarkomchirurgie gibt es keine offiziellen Leitlinien.

Das **allgemeine medizinische Curriculum** umfasst keine Schulung zu seltenen Krebsarten, doch ihr Einschluss ist derzeit Gegenstand von Diskussionen. Patientengruppen arbeiten eng mit medizinischen Einrichtungen zusammen, um die Schulungsmöglichkeiten im Bereich Sarkome zu verbessern.

Das Institut Gustave Roussy führte ein **E-Learning-Programm** ein, um eine bessere Schulung von Radiologen, Allgemeinmedizinern, Allgemeinchirurgen und nicht spezialisierten Chirurgen in Bezug auf Sarkome zu gewährleisten. Es umfasst Module zu allen Sarkomtypen, Online-Theorievorträge, Video-Fachvorträge und Q&A-Sitzungen mit Experten. Darüber hinaus bietet die Onkologieschulungseinrichtung (Ecole de Formation En Cancérologie EFEC) einen fachspezifischen Fortbildungskurs zum Thema Sarkome an, der sich an alle Fachkräfte im Gesundheitswesen richtet.<sup>32</sup>

Ein **chirurgischer Schulungskurs** zu Sarkomen ist unter dem Namen **E-Surge ebenfalls verfügbar. Er umfasst Live-OPs** und Präsenzs Schulungen zu Sarkomen und GIST und wird von verschiedenen Einrichtungen angeboten. Ziel ist es, Fachchirurgen innerhalb von NetSarc zu schulen.<sup>33</sup>



3

Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



Die Leitlinien der Europäischen Gesellschaft für Medizinische Onkologie (European Society for Medical Oncology, ESMO) bilden die Grundlage für die Sarkom-Leitlinien in Frankreich.<sup>25</sup> Multidisziplinäre Leitlinien werden auch von NetSarc erstellt und verbreitet.<sup>25 34</sup>

**Die Mindestzusammensetzung eines MDT ist auf nationaler Ebene nicht festgelegt;** ob den Patienten formell eine Gesundheitsfachkraft zugewiesen wird, hängt von dem behandelnden Zentrum ab. Allerdings erhalten die Patienten einen individuellen Behandlungsplan, und schwierige Patientenfälle werden oftmals in den Sitzungen der interregionalen multidisziplinären Fachausschüsse besprochen.<sup>34</sup>

4

Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



In der nationalen **Sarkom-Datenbank** werden klinische Daten von Patienten erfasst, deren Fälle in den **multidisziplinären Fachausschüssen zu Sarkomen (RCP)** in den **NetSarc-Zentren** besprochen werden.<sup>25 28</sup> Die Datenbank wird von der **französischen Sarkom-Gruppe – Knochensarkom-Studiengruppe (GSF-GETO)** für die Sarkomforschung genutzt. Darüber hinaus verfügen die Pathologienetzwerke **RRePS und ResOs** über eine Gewebe-Datenbank, die translationale Forschung ermöglicht.<sup>26</sup>

In den vorgenannten Datenbanken werden **standardisierte Daten** über Patienten- und Tumormerkmale, Therapie und Nachsorge erfasst. Daten zur Überlebensrate werden oftmals nicht gespeichert, mit Ausnahme von Daten zu Todesfällen. Ein Qualitätssicherungsprogramm wurde eingeführt, und ein externes Audit ist geplant.<sup>25</sup>

**Aufgrund der Datenmenge, die durch diese Netzwerke zur Verfügung steht, führt Frankreich gegenwärtig im Rahmen der internationalen Krebsgenomprojekte Forschungsprojekte zu Sarkomen an.**<sup>35</sup> Beispielsweise gibt es 142 translationale Studien zu seltenen Krebsarten, die in Frankreich eingeleitet wurden oder derzeit noch laufen, und 49 % dieser Studien werden im Rahmen von NetSarc durchgeführt (Zahlen von 2013).<sup>25</sup>

Info Sarcomes vergibt zudem eine jährliche Forschungsbeihilfe in Höhe von 15 000 EUR, um die Sarkomforschung zu unterstützen.<sup>31</sup>

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**Es wurden spezielle Zulassungs- und Zugangskonzepte für seltene Krebsarten eingeführt.** „Early Access“-Programme wie ATU (Autorisation Temporaire d'Utilisation) bestehen für Fälle, die lebensbedrohlich sind bzw. bei denen es keine therapeutische Alternative gibt. Zulassungsanträge für Arzneimittel, (a) die ein neuer therapeutischer Wirkstoff sind, (b) die einen großen ungedeckten Bedarf decken, c) deren Wirksamkeit und Verträglichkeit nachgewiesen ist, können zudem im beschleunigten Verfahren bearbeitet werden.<sup>36</sup> Die ATU-Genehmigung kann von der französischen CA auf Antrag eines Arztes auf individueller Patientenbasis (nominative ATU) oder für eine definierte Patientengruppe (Kohorten-ATU) erteilt werden.

**Daten aus Phase-II-Studien oder einarmigen Studien werden nicht als ausreichende Nachweise** für die Erstattung durch die nationalen Preisfestsetzungs- und Erstattungsbehörden anerkannt.

**Die Patienten werden nicht in die Gesundheitstechnologiebewertung oder Entscheidungen über Zugangspfade einbezogen,** aber Patientengruppen (Info Sarcomes) versuchen, Zugang zu diesen Entscheidungen zu erhalten.

**Es gibt ein Register klinischer Studien, das vom nationalen Krebsinstitut (INCA) geführt wird, das sogenannte NETSARC-Netzwerk für klinische Studien.**<sup>25</sup> Das NetSarc-ResOs-Netzwerk ermöglicht den Zugang zu nationalen klinischen Studien. Patienten, die nicht in Sarkom-Referenzzentren behandelt werden, haben jedoch weiterhin nur einen eingeschränkten Zugang zu klinischen Studien.

## Wichtige Links

**Info Sarcomes:** <http://www.infosarcomes.org/>

**SOS Desmoide:** <http://www.sos-desmoide.asso.fr/>



# Sarkome in Deutschland



2013 gab es 3940 neue Fälle von Weichteilsarkomen (WTS), 860 Fälle von Knochensarkomen und etwa 1200 GIST-Fälle. 2013 wurden 385 Todesfälle aufgrund von Knochensarkomen und 1575 Todesfälle aufgrund von WTS verzeichnet.<sup>37</sup>

1

In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.



In Deutschland gibt es mehrere Zentren mit hohem Durchsatz, in denen Sarkom-Patienten behandelt werden. Zwei Sarkom-Zentren, in Mannheim und in Essen, haben die Mitgliedschaft im **Europäischen Referenznetzwerk (ERN)** für seltene solide Tumore, einschließlich Sarkome, beantragt.

**Derzeit wird ein formelles Zulassungssystem für nationale Referenzzentren für WTS entwickelt.** Dieses wird im Rahmen des Zertifizierungsverfahrens der Deutschen Krebsgesellschaft e.V. (DKG) und von OnkoZert eingerichtet. Die ersten Zulassungen werden im Frühjahr 2018 erwartet. Allerdings gibt es keinen formellen Zulassungsprozess zur Ausweisung nationaler Referenzzentren für Knochensarkome und GIST. Dies bedeutet, dass jede Klinik ein Sarkom-Zentrum einrichten kann und Sarkom-Experten nicht zwingend an einem Sarkom-Zentrum tätig sind, was Patienten den Zugang zu geeigneter Behandlung erschwert.

**Aus diesen Gründen haben Patientenorganisationen eine aktive Rolle übernommen, indem sie den Patienten bei der Suche nach nationalen Sarkom-Therapiezentren und Fachärzten helfen.** So empfiehlt **Das Lebenshaus** eine Liste mit Zentren mit hohem Durchsatz und Experten mit einem multidisziplinären Behandlungskonzept.<sup>38</sup>

2

Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.



**Es gibt kein nationales Sarkom-Überweisungsprotokoll,** das Fachkräfte im Gesundheitswesen über „Rote Flaggen“-Symptome informiert oder Maßnahmen zur Bestätigung von Erstdiagnosen und die Notwendigkeit einer Weiterüberweisung festlegt.

**Seltene Krebsarten sind nicht im allgemeinen medizinischen Curriculum enthalten, und das Bewusstsein für Sarkome und ihre korrekte Diagnose ist in der Fachwelt schwach ausgeprägt.** In einer deutschen Studie zur Genauigkeit der Sarkom-Diagnostik lag die Fehlerrate der Erstdiagnose in nicht-spezialisierten Pathologieabteilungen bei über 60 %.<sup>39</sup> Leider stellt die Sensibilisierung für Sarkome und andere seltene Krebsarten durch Schulungen der Fachkräfte im Gesundheitswesen gegenwärtig keine nationale Priorität dar.

**Ferner fehlt es an speziellen Sarkom-Schulungsangeboten** für Onkologen und andere Fachärzte.

In Deutschland wurde 2011 die **jährliche Sarkomkonferenz** ([www.sarkomkonferenz.de](http://www.sarkomkonferenz.de)) ins Leben gerufen, um die bestehende Sarkom-Gemeinschaft zu stärken und medizinischen Experten sowie Branchen- und Patientenvertretern aus der deutschsprachigen Sarkom-Gemeinschaft (Österreich, Deutschland und Schweiz) eine Plattform zur Verfügung zu stellen, auf der diese Wissen und Fachkenntnisse mit dem Fokus auf Bildung austauschen und zur Änderung der politischen Prioritäten auf nationaler Ebene beitragen können.<sup>40</sup>

3

Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



**Nationale Behandlungsleitlinien** für die Behandlung von Weichteilsarkomen (WTS) bei Kindern<sup>41</sup> und Gebärmutter-Sarkomen sind verfügbar,<sup>42</sup> und nationale Leitlinien für die Behandlung von WTS bei Erwachsenen werden im Zeitraum 2017-2019 ausgearbeitet.

**Die Mindestzusammensetzung eines Sarkom-MDT ist derzeit nicht festgelegt,** und die Organisation der Behandlung im Rahmen der MDT ist von Zentrum zu Zentrum unterschiedlich. Dennoch wird die Behandlung durch ein spezialisiertes Sarkom-MDT in Zukunft zu einem Schlüsselkriterium für die Zulassung nationaler Sarkom-Referenzzentren werden.

4

Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



Ein **nationales Sarkom-Register**, das alle Sarkome umfasst, gibt es nicht. Es werden jedoch Anstrengungen unternommen, um dies zu ändern. Es gibt ein nationales Register, dessen Fokus auf häufiger vorkommenden Tumortypen liegt, während Sarkom-Patienten darin nicht ausreichend dokumentiert sind.

Es gibt mehrere nationale Forschungs- und Studiengruppen für Sarkome. Die **Interdisziplinäre Arbeitsgruppe Weichteilsarkome (IAWS)** der **Deutschen Krebsgesellschaft** ist an der Erarbeitung klinischer Leitlinien, Forschungsaktivitäten, der Motivierung zur Teilnahme an Registern, der Durchführung von Fort- und Weiterbildungsangeboten und der Zusammenarbeit mit internationalen Forschungsgruppen im Bereich Sarkome (insbesondere **Rare Cancers Europe**) beteiligt.<sup>43</sup> Die **German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG)** ist ebenfalls an allen diesen Initiativen beteiligt, wobei ihr Schwerpunkt indes auf der Initiierung klinischer Studien und der Teilnahme an internationalen klinischen Studien liegt.<sup>44</sup> Die Arbeitsgruppe Sarkome der **Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie (AIO)**, der medizinische Onkologen angehören, ist ebenfalls an der Durchführung und Entwicklung klinischer Studien beteiligt.

**Trotz dieser Forschungsanstrengungen benötigt die Sarkomforschung in Deutschland insgesamt mehr Fördermittel,** um den natürlichen Verlauf von Sarkomen besser zu verstehen und die Entwicklung wirksamer Therapien anzuleiten.

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**Patientenvertretungen sind nicht an den Verfahren zur Gesundheitstechnologiebewertung (GTB) beteiligt.** Es gibt keine speziellen Zugangswege für Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden (Orphan Drugs); gleichwohl ist ein vollständiges Erstattungsossier nicht erforderlich, und Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden erhalten kraft Gesetz eine Zusatznutzen-Bewertung.

Die **German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG)** veröffentlicht laufende und abgeschlossene Sarkom-Studien im Internet, und diese Informationen stehen den Patienten zur Verfügung.<sup>45</sup> Die Patientenhilfegruppe **Das Lebenshaus** und **SOS Desmoid** stellen Online-Informationen über klinische Studien bereit.<sup>46,47</sup> Allerdings können an klinischen Studien nur Patienten teilnehmen, die in einem Sarkom-Referenzzentrum behandelt werden; deshalb kann der Zugang ein Problem darstellen.<sup>48</sup>

## Wichtige Links

**Das Lebenshaus e.V.:** [www.daslebenshaus.org](http://www.daslebenshaus.org)

**SOS Desmoid e.V.:** [www.sos-desmoid.de](http://www.sos-desmoid.de)

**German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG):** [www.gisg.de](http://www.gisg.de)

**AIO Arbeitsgemeinschaft Internistische Onkologie / STS:**  
[www.aio-portal.de/index.php/ueber-uns-294.html](http://www.aio-portal.de/index.php/ueber-uns-294.html)

**Deutsche Krebsgesellschaft – Arbeitsgemeinschaft IAWS:**  
[www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html](http://www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html)

**Deutsche Sarkomkonferenz:** [www.sarkomkonferenz.de](http://www.sarkomkonferenz.de)



# Sarkome in Italien



Sarkome aller Typen haben eine Inzidenzrate von 6 Fällen pro 100 000 Einwohner pro Jahr; pro Jahr gibt es schätzungsweise 5883 neue Fälle (2015). Von diesen sind 4072 Weichteilsarkome, 499 Knochensarkome, 386 gastrointestinale Stromatumoren (GIST) und 927 Kaposi-Sarkome.<sup>49</sup>

1

In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.



Etwa **10 Sarkom-Referenzzentren** wurden in Italien zur Teilnahme am **Europäischen Referenznetzwerk (ERN) für seltene solide Tumore bei Erwachsenen, einschließlich Sarkome** ausgewählt.<sup>50</sup>

**Das italienische Netzwerk für seltene Krebsarten** ist ein Netzwerk von Fachkliniken, dem Sarkom-Referenzzentren angehören. Es stützt sich auf die freiwillige Zusammenarbeit der teilnehmenden Zentren, und der durchschnittliche Patientendurchsatz liegt bei 1000 pro Jahr.<sup>51</sup> Dem Netzwerk mangelt es derzeit an einem formellen Zulassungsrahmen; allerdings werden bereits Schritte unternommen, um dies zu ändern.<sup>49 51</sup> **So arbeitet die italienische Gesellschaft für chirurgische Onkologie (SICO)** mit verschiedenen Krebsgesellschaften zusammen, um Kriterien für Referenzzentren im italienischen Netzwerk für seltene Krebsarten zu bestimmen und eine Reihe von **Qualitätsindikatoren** festzulegen. Die Frage, wer für die Zulassung und Bewertung der Referenzzentren künftig zuständig sein wird, bleibt jedoch unbeantwortet.<sup>52</sup>

2016 wurde eine **Arbeitsgruppe** ins Leben gerufen, an der das **italienische Gesundheitsministerium** und Vertreter aus 20 Regionen beteiligt sind, um zu bestimmen, wie das italienische Netzwerk für seltene Krebsarten sich am besten in das nationale Gesundheitssystem integrieren lässt.<sup>51</sup> Die Gespräche darüber dauern an, doch das Ziel ist die formale Anerkennung des italienischen Netzwerks für seltene Krebsarten im Rahmen der Ziele der nationalen Gesundheitspolitik.<sup>50</sup>

2

Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.



Allgemein werden in **klinischen Praxisleitlinien** für verschiedene Sarkomtypen (Ewing-Sarkom,<sup>53</sup> Osteo-Sarkom,<sup>54</sup> WTS und GIST<sup>55</sup>) Überweisungen an spezialisierte Zentren zur angemessenen histologischen Diagnostik und Behandlung empfohlen.

Im Rahmen des **allgemeinen medizinischen Curriculums** oder der **Onkologen-Ausbildung** ist keine formelle Schulung zu seltenen Krebsarten (einschließlich Sarkome) vorgesehen; gleichwohl werden derzeit Anstrengungen unternommen, um mehr formalisierte Schulungsprogramme zu entwickeln.<sup>50 52</sup>

Ein **spezialisiertes Chirurgie-Schulungsprogramm** für Sarkome wird von der in Italien ansässigen **European School of Soft Tissue Sarcomas** angeboten.<sup>56</sup> Dies ist wichtig, da Chirurgen in Italien häufig die ersten Ansprechpartner für Patienten mit Sarkomen sind. Außerdem existiert eine Reihe weiterer Austauschprogramme.<sup>50 57</sup> Am Istituto Ortopedico Rizzoli di Bologna wird zudem ein Kurs für muskuloskeletale Pathologie angeboten.<sup>58</sup>

3

## Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



Derzeit ist die multidisziplinäre Behandlung in Italien weder verpflichtend vorgeschrieben, noch wird sie überwacht, und die Zusammensetzung eines Sarkom-MDT ist nicht klar definiert. Allerdings sind Standards und Leitlinien für multidisziplinäre Behandlungskonzepte in den Zulassungskriterien für die Ausweisung von Referenzzentren im **italienischen Netzwerk für seltene Krebsarten** enthalten.<sup>52</sup> Die Organisation der Behandlung in MDT war ebenfalls ein Kriterium für Zentren, die eine Aufnahme in das **Europäische Referenznetzwerk (ERN)** für seltene solide Tumore bei Erwachsenen, einschließlich Sarkome, anstrebten, das 2017 in Betrieb genommen wird.<sup>50</sup>

Den Patienten können je nach Kapazität des Krankenhauses ein individueller Behandlungsplan und eine spezielle Gesundheitsfachkraft zugewiesen werden, wenngleich dies auf nationaler Ebene nicht verpflichtend ist.

4

## Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



Die **italienische nationale Vereinigung der Krebsregister (AIRTUM)** erfasst Bevölkerungsdaten zu Sarkomen (Häufigkeit, Prävalenz und Überlebensrate) aus 40 allgemeinen bevölkerungsbasierten Krebsregistern und fünf spezialisierten Krebsregistern.<sup>49</sup> Sie deckt 50 % der italienischen Bevölkerung (Daten von 2013) ab und ermöglicht die Durchführung gemeinschaftlicher Studien zur Krebs epidemiologie in Italien.<sup>49</sup> Allerdings bietet die AIRTUM-Datenbank nicht immer detaillierte Informationen zu Pathologie und Patientenergebnissen. Die eigene Datenbank zu allen klinischen Fällen **des italienischen Netzwerks für seltene Krebsarten** ermöglicht einen Zugang per Telekonsultation, was jedoch nicht für alle Sarkom-Fälle gilt.<sup>50</sup>

Es besteht daher Bedarf an **prospektiven klinikbasierten Daten** zu Diagnostik, Management und Ergebnissen von Sarkom-Patienten. Gegenwärtig stellen nur zwei Zentren (Mailand und Bologna) derartige Daten zur Verfügung. Die obligatorische Erfassung prospektiver Daten soll in die Zulassungskriterien für ERN aufgenommen werden.<sup>52</sup>

Die **Italian Sarcoma Group** führt Forschungsaktivitäten und Datenerfassungsmaßnahmen für Sarkome in Italien durch. Außerdem gibt es signifikante Forschungsaktivitäten im Bereich der pädiatrischen Sarkome.<sup>59 60</sup>

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**In Italien gibt es keine beschleunigten Zulassungsverfahren für Arzneimittel zur Behandlung seltener Krebsarten.** Der Zugang zu innovativen Therapien für Fälle, in denen keine alternative Therapie existiert, wird durch ein Dekret (Nr. 648/96) geregelt.<sup>61 62</sup> Theoretisch gilt für beschleunigte Preisfestsetzungs- und Erstattungsverhandlungen eine 100-Tage-Beschränkung, die jedoch nicht immer eingehalten wird. Auf Arzneimittel zur Behandlung seltener Krebsarten wurde dieses Dekret bisher noch nicht angewendet.

**In Italien werden Patienten nicht an der GTB oder Zugangspfadentscheidungen beteiligt.**

Nationale Maßnahmen zur Verbesserung des Zugangs zu Therapien für seltene Krebserkrankungen wurden bereits eingeleitet. **Die Vereinigung der italienischen medizinischen Onkologen (AIOM)** erarbeitete Empfehlungen zur Verbesserung des Zugangs zu Behandlungen für Sarkom-Patienten und arbeitet derzeit mit der **italienischen Arzneimittelagentur (AIFA)** zusammen, um die Einführung neuer Arzneimittel zu vereinfachen und die Zeit bis zu ihrer Markteinführung zu reduzieren.<sup>49</sup>

Im Hinblick auf klinische Studien stellt die **Italian Sarcoma Group** auf der Website der Vereinigung der italienischen medizinischen Onkologen (AIOM) eine Liste aller laufenden Sarkomstudien in Italien und ein umfangreiches Verzeichnis aller klinischen Studien bereit.<sup>63 64</sup>

## Wichtige Links

**Italian Sarcoma Group:** <http://www.italiansarcomagroup.org/>



# Sarkome in **Spanien**



Die Inzidenz des Weichteilsarkoms (WTS) in Spanien wird auf 3,1 Fälle pro 100 000 Einwohner geschätzt (2015).<sup>65</sup>

1

In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.



**Fünf Sarkom-Referenzzentren (CSUR)** wurden vom spanischen Gesundheitsministerium als Teil des Europäischen Referenznetzwerks (ERN) für seltene solide Tumore bei Erwachsenen, einschließlich Sarkome, anerkannt: zwei in Katalonien, zwei in Madrid und eines in Sevilla.<sup>66 67 68</sup>

Diese Zentren wurden nach folgenden Kriterien ausgewählt: Sie untersuchen eine **Mindestanzahl von Patienten** pro Jahr (80 Fälle für Weichteilsarkome, 10 für retroperitoneale Sarkome und 10-12 für Knochensarkome);<sup>67</sup> sie verfügen über geeignete **multidisziplinäre Strukturen**, einschließlich Chirurgen, Radiologen, Pathologen und medizinische Onkologen, die alle einen Beitrag zu den Behandlungsplänen leisten; und sie verfügen über eine **Pathologieabteilung** für Diagnostik.<sup>66</sup>

Ein **Überwachungssystem gibt es derzeit nicht**. Es gab Gespräche über Pläne zur Entwicklung eines neuen Zulassungssystems; allerdings ist unklar, wer für die Durchführung der Bewertungen zuständig sein wird.<sup>67</sup> Zudem verzögern finanzielle Hemmnisse seine Umsetzung (siehe Fallstudie).



#### FALLSTUDIE:

##### Fehlende Fördermittel für Referenzzentren in Spanien

Trotz der Formalisierung der nationalen Sarkom-Referenzzentren in Spanien ist der Mangel an Fördermitteln weiterhin ein Problem, und es wurden keine zusätzlichen Mittel für den Aufbau und die Aufrechterhaltung multidisziplinärer Teams und relevanter Dienste innerhalb dieser Zentren bereitgestellt.<sup>66</sup>

Die Patienten müssen oftmals in eine andere Region (Comunidad Autonoma) reisen, um eine angemessene Behandlung zu erhalten. Damit verbundene Kosten, wie z. B. Reisekosten, werden häufig nicht erstattet und müssen von den Patienten aus eigener Tasche bezahlt werden. Onkologen können für ihre Patienten eine Erstattung beantragen, doch dies ist ein langsamer Prozess, und ein Erfolg ist nicht garantiert.<sup>67</sup>

Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.



In Spanien gibt es nationale klinische Praxisleitlinien, in denen „**Rote Flaggen**“-Symptome für die **Überweisung** an Sarkom-Referenzzentren niedergelegt sind und Pfade von Primärzentren zu spezialisierten Sarkom-Zentren empfohlen werden.<sup>69</sup> Diese Überweisung ist jedoch nicht verpflichtend, weshalb Patienten häufig außerhalb dieser Zentren behandelt werden.

Das **allgemeine medizinische Curriculum** in Spanien unterscheidet sich von Hochschule zu Hochschule; daher erhalten nicht alle Absolventen medizinischer Fakultäten eine Schulung zu seltenen Krebsarten (einschließlich Sarkome), oder auch zu Onkologie im Allgemeinen.<sup>67</sup> Für Onkologen und Chirurgen gibt es ein Angebot an **Sarkom-Schulungskursen**, und Gruppen, die die Interessen von Sarkom-Patienten vertreten, arbeiten daran, die Fachkräfte im Gesundheitswesen stärker zu sensibilisieren (siehe Fallstudie).<sup>70 71</sup>



#### FALLSTUDIE:

##### Sarkom-Sensibilisierungsmaßnahmen

Die **spanische Sarkom-Patientenvereinigung (AEAS)** und die **Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC)** führen die Sarkom-Sensibilisierungs- und Schulungsaktivitäten auf nationaler Ebene an und haben ein Früherkennungsprogramm für Sarkome eingeführt, das sich an Ärzte in der Primärversorgung richtet. **AEAS** und **FMPJC** helfen dabei, Patienten zur Einholung einer Zweitmeinung an erfahrene Sarkom-Spezialisten zwecks Diagnose<sup>72</sup> und Behandlung zu überweisen. Die **FMPJC** gewährt jährliche Stipendien und Beihilfen zur Förderung der Weiterbildung von Ärzten und Forschern in Bezug auf Sarkome.<sup>73 74</sup>



3

## Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



Für alle Sarkomtypen liegen Leitlinien für eine multidisziplinäre Behandlung vor. Die letzte Aktualisierung der Leitlinien für die multidisziplinäre klinische Praxis in Bezug auf Weichteilsarkome wurde 2016 von der **spanischen Gruppe für Sarkomforschung (GEIS)** und **der spanischen Onkologie-Gruppe (SEOM)** veröffentlicht.<sup>75</sup> Gemäß den Leitlinien sollten **MDT** mindestens Pathologen, Radiologen, Chirurgen sowie Radioonkologen und medizinische Onkologen umfassen.<sup>69</sup> Die Leitlinien für GIST und Knochensarkome werden derzeit aktualisiert.

Die **Zuweisung einer speziellen Gesundheitsfachkraft** und eines **individuellen Behandlungsplans** für Sarkom-Patienten stellt aufgrund begrenzter Mittel gegenwärtig keine Priorität dar und wird von Klinik zu Klinik unterschiedlich gehandhabt. Individuelle Behandlungspläne sind eher informeller Art und hängen vom Gesundheitspersonal ab.<sup>67</sup>

4

## Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



**In Spanien gibt es kein nationales Sarkom-Register**, und aufgrund der Haushaltszwänge ist es unwahrscheinlich, dass die Regierung dies zu einer Priorität machen wird. Es gibt keine obligatorische Datenerfassung zwischen den Sarkom-Zentren.

Allerdings gibt es nationale und internationale Forschungsk Kooperationen im Bereich Sarkome, die von der **spanischen Gruppe für Sarkomforschung (GEIS)** angeleitet werden.<sup>73 76 77</sup> Gefördert wird die nationale Zusammenarbeit zwischen medizinischem und Forschungspersonal in Spanien und weltweit. In ganz Spanien gibt es 70 teilnehmende Zentren mit aktuell mehr als 20 gemeinschaftlichen klinischen Studien. Ferner fördert die GEIS Grundlagenforschung und translationale Forschung im Bereich Sarkome.<sup>73 76 77</sup>

Außerdem wurde das **Projekt für seltene Sarkome** ins Leben gerufen, um die Belastung durch seltene Sarkome in Spanien zu bestimmen. Die gesammelten Daten umfassen Epidemiologie, die Art der Behandlung, Gewebeproben sowie Pathologie- und Biopsieberichte. Diese Daten werden genutzt, um die Behandlungspfade für die Patienten zu verbessern.<sup>67</sup>

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**Es gibt keine spezifischen Kriterien der Gesundheitstechnologiebewertung für Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden.** Allerdings gibt es eine „Compassionate Use“-Anwendung für noch nicht zugelassene Arzneimittel, die in einigen Kliniken verfügbar ist.<sup>67</sup> Generell ist der Zugang zu Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden beschränkt: Eine Erhebung zu über 60 solcher Arzneimittel ergab, dass nur ein Drittel in Spanien verfügbar war, gegenüber 90 % in Frankreich, den Niederlanden und Dänemark.<sup>78</sup>

**In Spanien sind die Patienten in der Regel nicht in die Gesundheitstechnologiebewertung (GTB) und die Zugangspfade eingebunden. Eine Ausnahme bildet eine Reihe von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Leiden.** Patientenvereinigungen haben zudem eine gemeinsame Plattform eingerichtet und Anstrengungen unternommen, um den Zugang zu Arzneimitteln für Sarkome zu verbessern. Beispielsweise ermöglicht die **Fundación Mari Paz Jiménez Casado** Patienten den Zugang zu einem Rechtsberatungsteam, das sie bei Zugangsproblemen berät.<sup>67</sup>

**Nach der nationalen Genehmigung von Preisfestsetzung und Erstattung müssen neue Behandlungen in jedes der 17 regionalen Formularwerke aufgenommen werden;** anschließend können die einzelnen Kliniken auch ihre eigene Bewertung durchführen. Dieses System der Arzneimittelzulassung kann zu erheblichen Verzögerungen und regionalen Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Therapien für die Patienten führen.

Informationen über klinische Studien stehen den Patienten auf den Websites der **GEIS** und der **spanischen Sarkom-Patientenvereinigung (AEAS)** für Sarkome und GIST zur Verfügung.<sup>79</sup>

## Wichtige Links

**Spanische Sarkom-Patientenvereinigung (AEAS):** <http://www.aesarcomas.org/>

**Fundación Mari Paz Jiménez Casado (FMPJC):** <http://www.fundacionmaripazjimenez.org/>

**Spanische Gruppe für Sarkomforschung (GEIS):** <http://www.grupogeis.org/>



# Sarkome in Schweden



Schätzungen zufolge erhalten jedes Jahr etwa 300 Patienten eine Sarkom-Diagnose; aufgrund der mangelhaften Registrierung bei Fällen von gastrointestinalen Stromatumoren (GIST) liegt diese Zahl schätzungsweise aber höher (400-500 Fälle).<sup>80</sup> Es gibt 70-100 Fälle von Knochensarkomen, 50 Fälle von Viszeral- und Retroperitonealsarkomen und etwa 180-250 Fälle von sonstigen Weichteilsarkomen (WTS) pro Jahr. GIST fielen eigentlich unter die viszeralen Fälle, aber da die Inzidenz von GIST allein auf etwa 12 pro 1 Million Einwohner pro Jahr geschätzt wird, verzeichnet Schweden etwa 120 neue Fälle dieses Typs. Ferner entfallen etwa 10 % aller Krebsfälle bei Kindern und Jugendlichen auf Sarkome.<sup>80 81</sup>

1

In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.



**In Schweden gibt es in fünf der sechs Regionen des Gesundheitswesens eine zentralisierte Sarkom-Gesundheitsversorgung. Sarkom-Referenzzentren** gibt es in den Regionen Göteborg, Linköping, Lund, Stockholm und Umeå.<sup>82</sup> Uppsala ist die einzige Region des Gesundheitswesens, der es aufgrund des Fehlens eines fächerübergreifenden Tumor-Ärzteteams und orthopädischer Chirurgen in der Region nicht gelungen ist, die Sarkom-Gesundheitsversorgung in einem Referenzzentrum zusammenzuführen. Daher werden die Patienten in Uppsala für Operationen nach Stockholm überwiesen, und andere Behandlungen erfolgen dezentral.

Während es kein formalisiertes System zur **Zulassung und Überwachung** von Referenzzentren gibt, ist es seit langem übliche Praxis, Sarkom-Patienten an diese Zentren zu überweisen.

Die **Überwachung der Qualität der Behandlung** bei Extremitäten- und Rumpfwandsarkomen erfolgt über ein Online-Datenmeldeverfahren. Die Dauer von der Überweisung bis zur Diagnose und von der Diagnose bis zur Behandlung wird auf nationaler Ebene erfasst, ebenso Informationen zu MDT-Behandlungsentscheidungen und R0-Resektionsrändern.<sup>83</sup> Ferner erfolgt innerhalb jedes einzelnen Referenzzentrums eine weitere Überwachung. Beispielsweise tritt in Lund dreimal jährlich eine multidisziplinäre Lenkungsgruppe zusammen, um Fragen in Bezug auf die Behandlungsqualität und potenzielle Lösungen für alle Sarkom-Patienten (z. B. Anzahl der Fachärzte, Schulung, Ressourcen usw.) zu diskutieren.





Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.

Die **Schulung zu seltenen Krebsarten** ist kein verpflichtender Teil des medizinischen Curriculums für Onkologen, obgleich es einen Pflichtkurs zu Weichteil- und Knochentumoren im Curriculum für Assistenzärzte in der Orthopädie gibt, dessen Schwerpunkt auf Warnzeichen für Sarkome und dem Erstdiagnoseverfahren liegt.

Schweden hat in Skandinavien eine Vorreiterrolle gespielt, indem es **einfache Überweisungsleitlinien für WTS** erarbeitete.<sup>84</sup> Diese informieren Gesundheitsfachkräfte über „**Rote Flaggen**“-Symptome von Sarkomen und definieren **klare Schritte zur Überweisung** an Sarkom-Referenzzentren. Bei einem Sarkom-Verdacht wird den Gesundheitsfachkräften empfohlen, die Patienten direkt an ein Referenzzentrum zu überweisen, bevor eine Biopsie und eine Operation erfolgen.

Diese **Überweisungspraxis** ermöglicht den Patienten einen schnellen Zugang zu spezialisierter Sarkom-Behandlung und verbessert erwiesenermaßen die Überweisungsquoten, reduziert die mit lokalen Rezidiven verknüpften Kosten und führt zu besseren Operations- und Patientenergebnissen.<sup>84 85</sup> Je nach Sarkomtyp werden 80-100 % der Fälle vor der Operation an Referenzzentren überwiesen.<sup>86 87</sup>

Leider waren die Überweisungsmuster bei **abdominalen Sarkomen** weniger erfolgreich. Gleichwohl wurden Verbesserungen erzielt, indem ab sofort alle an retroperitonealen Sarkomen erkrankten Patienten in drei spezifischen schwedischen Kliniken operiert werden. Desgleichen werden GIST-Patienten häufig außerhalb eines Sarkom-Referenzzentrums operiert und onkologisch behandelt.

Die **Scandinavian Sarcoma Group (SSG)** wurde gegründet, um skandinavische Sarkom-Fachkräfte zusammenzubringen, die mit multidisziplinären Beiträgen gemeinsam Protokolle, Leitlinien und Empfehlungen erarbeiten.<sup>88 89</sup> Die schwedischen Referenzzentren sind mit Referenzzentren in Norwegen (Oslo, Bergen, Trondheim und Tromsø) und in geringerem Umfang mit Referenzzentren in Finnland und Dänemark verbunden.

3

Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



**Schätzungen zufolge werden 90 % der Sarkom-Patienten von einem MDT behandelt.**

**Nationale standardisierte Pfade für Sarkome werden derzeit von den interregionalen Gremien der Regional Cancer Centres (RCC) in Zusammenarbeit mit den schwedischen Kommunen und Bezirken (SKL) entwickelt.** Allerdings geht die Umsetzung nicht mit einer Erhöhung des Personalbestands im Gesundheitswesen einher, um die Ziele zu erreichen.

Das **schwedische Krebsregister** erfasst Daten zu allen Sarkom-Patienten in Schweden und umfasst Informationen darüber, ob Behandlungspläne von einer **fächerübergreifenden Tumorkonferenz** beschlossen wurden, ob dem Patienten eine **Krankenpflegekraft als Ansprechpartner** zugewiesen wurde, und wann der Patient über seinen **Erstbehandlungsplan** informiert wurde.<sup>81</sup> Daten zu Überweisungsmustern, Vorlaufzeiten und Tumormerkmalen werden ebenfalls erfasst.

4

Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



Patientendaten aus allen Sarkom-Referenzzentren werden auf nationaler Ebene im INCA Sarkom-Qualitätsregister als Teil des **schwedischen Krebsregisters** erfasst. Der Erfassungsbereich der INCA-Plattform erstreckt sich auf alle Regionen. Derzeit laufen Gespräche, um zu versuchen, die Daten schwedischer Sarkom-Patienten mit den Daten anderer nordischer Staaten zu verknüpfen; da dort überall dieselben Daten erfasst werden, können diese problemlos zusammengeführt werden. Ab 2017 wird ein gemeinsamer skandinavischer Jahresbericht zur Sarkom-Behandlung vorgestellt.

**Die SSG leitet nationale und internationale Forschungsoperationen zu Sarkomen in Skandinavien an.**<sup>90</sup> Sie spielte eine bedeutende Rolle bei der Verbesserung der Qualität der Sarkom-Diagnostik, -pathologie,<sup>81</sup> -therapie und -behandlung und bei der Schaffung einer Plattform zur Koordinierung von Grundlagenforschung und klinischen Studien in allen teilnehmenden Ländern.<sup>88</sup>

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**Es gibt keine spezifischen Kriterien der Gesundheitstechnologiebewertung für Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden, und die Patienten werden in diesen Prozess nicht einbezogen.** Allerdings gibt es laufende Diskussionen darüber, ob höhere Kosten pro qualitätsadjustiertes Lebensjahr und höhere Unsicherheiten in der klinischen Evidenz für Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden aufgrund von Krankheitsschwere und hohem ungedeckten Behandlungsbedarf akzeptiert werden sollten.

**Die meisten Krankenhaus-Arzneimittel (z. B. Krebsarzneimittel auf Infusionsbasis) werden nicht durch die nationale Behörde, d. h. die schwedische Agentur für pharmazeutische Leistungen (TLV), erstattet.** Stattdessen werden diese durch einen **neuen gesteuerten Zugangspfad** bewertet, der die Ungleichheiten beim Zugang zwischen den 21 unabhängigen Bezirksräten reduzieren soll.

**Dieser neue Prozesspfad wird derzeit von der schwedischen Agentur zur Analyse von Gesundheits- und Pflegedienstleistungen (Vårdanalys) geprüft.** Bei der Prüfung wird der gesamte Prozess aus Patientenperspektive bewertet (d. h. die Transparenz, Vorhersagbarkeit und Prozesswirksamkeit). Das Fazit des Berichts der Behörde fließt in die neu angekündigte staatliche Untersuchung der pharmazeutischen Preisfestsetzung und Finanzierung ein, für die im November 2017 ein Berichtsentwurf vorgelegt wird, der bis Ende 2018 fertiggestellt werden soll.

**Grundsätzlich ist der Zugang zu klinischen Studien gut,** mit einigen Ausnahmen in der Region Uppsala aufgrund der fehlenden Referenzzentren. Alle Referenzzentren werden für die von der SSG initiierten klinischen Studien sensibilisiert.

## Wichtige Links

**The Scandinavian Sarcoma Group:** <http://www.ssg-org.net/>

**The Scandinavian Sarcoma Group for Nurses and Physiotherapists:**  
<http://www.ssg-nurses-physiotherapists.org/>



# Sarkome im Vereinigten Königreich



Jedes Jahr **wird im Vereinigten Königreich bei 3800 Patienten ein Sarkom diagnostiziert**, was 1 % aller Krebsdiagnosen entspricht.<sup>11</sup>



In jedem Land sollte es mindestens ein ausgewiesenes Referenzzentrum für Sarkome geben.

**Im Vereinigten Königreich gibt es Referenzzentren für alle Sarkomtypen.** In England gibt es etwa 15 spezialisierte Sarkom-Zentren. Südwesten verfügt über ein Spezialzentrum für Weichteilsarkome, und alle anderen walisischen Sarkom-Patienten werden zur Behandlung nach England überwiesen. In Nordirland gibt es drei Kliniken, in denen Sarkom-Patienten behandelt werden, während Schottland insgesamt über fünf derartige Einrichtungen verfügt, die ein eigenes Netzwerk bilden.<sup>91 92</sup>

Es gibt **kein formelles nationales Zulassungssystem** für Sarkom-Referenzzentren; gegenwärtig basiert die Zulassung auf der In-Dienst-Stellung von Fachärzten. Standards werden durch wichtige Veröffentlichungen des National Institute for Health and Care Excellence (NICE) festgelegt: „**Verbesserung der Ergebnisse für Menschen mit Sarkomen: das Handbuch (2006) und Sarkom-Qualitätsstandards (2014)**“ (siehe unten).<sup>8 12 93</sup> Jede Clinical Commissioning Group (CCG) ist dafür zuständig, zu gewährleisten, dass alle Bürger des Vereinigten Königreichs Zugang zu den Referenzzentren haben, und dass die Zentren in Übereinstimmung mit diesen nationalen Standards arbeiten.<sup>94</sup>

Es gibt kein **formalisiertes Überwachungssystem** zur kohärenten Bewertung der Qualität der Behandlung in Sarkom-Referenzzentren. Allerdings wird derzeit ein Qualitätsüberwachungsprogramm entwickelt, das sich auf die Publikation „**Sarkom-Maßnahmen**“ des **National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team** stützt.<sup>93</sup>

**Die NICE-Sarkom-Qualitätsstandards geben die Anforderungen an die Qualität der Behandlung in Sarkom-Zentren vor.**<sup>93</sup>

**Aussage 1.** Sarkom-Beratungsgruppen und multidisziplinäre Sarkom-Teams (MDT) verfügen über Überweisungs- und Diagnosepfade für Menschen, bei denen ein Sarkom-Verdacht besteht.

**Aussage 2.** Ein Sarkom-MDT bestätigt den Behandlungsplan von Erwachsenen, Kindern und Jugendlichen mit Knochensarkomen und von Erwachsenen mit Weichteilsarkomen, und die Behandlung erfolgt durch die von der Sarkom-Beratungsgruppe benannten Dienste.

**Aussage 3.** Die Sarkom-MDT veröffentlichen Informationen über ihre gemeinsamen Pfade, Tätigkeiten und Patientenergebnisse, einschließlich Informationen über standortspezifische Sarkome.

**Aussage 4.** Personen mit einem retroperitonealen Sarkom werden vor einer Behandlung an ein Sarkom-Behandlungszentrum mit besonderer Expertise im Umgang mit dieser Tumortyp überwiesen.

**Aussage 5.** Chirurgen, die geplante Resektionen von Sarkomen durchführen, gehören dem multidisziplinären Sarkom-Kernteam oder einem erweiterten MDT an.

**Aussage 6.** Personen mit Sarkomen werden von einer ihnen zugewiesenen Fachkraft unterstützt, die über Expertenwissen in Bezug auf Sarkome und ihre Behandlung verfügt.



Alle relevanten Fachärzte sollten eine Schulung zu Sarkomen erhalten, und eine Schulung zu seltenen Krebsarten sollte in das allgemeine medizinische Curriculum aufgenommen werden.

Für alle Sarkome wurden **Überweiskriterien** festgelegt, die Fachkräften im Gesundheitswesen „**Rote Flaggen**“-Symptome für Sarkome anzeigen, die die Überweisung an ein Referenzzentrum garantieren.<sup>91 95 96</sup> Darüber hinaus wird die Bedeutung der Krebsfrüherkennung in mehreren nationalen Schlüsselpublikationen von NICE betont.<sup>8 12 97</sup>

Das **allgemeine medizinische Curriculum** umfasst keine Module zu Sarkomen oder seltenen Krebsarten, und die Ausbildung in diesen Bereichen hängt sehr stark von der jeweiligen medizinischen Fakultät ab. Die Verfügbarkeit von fachlicher Weiterbildung zu Sarkomen ist im Vereinigten Königreich jedoch sehr gut, und es gibt viele Abordnungen aus dem Ausland.

**Da es im Vereinigten Königreich weiterhin zu verzögerten und falschen Diagnosen kommt, könnten Sarkom-Patienten von einem größeren Schulungsangebot profitieren.** Gemäß der Sarkom-Patientenerhebung wurden nur 20 % der Sarkom-Patienten von ihrem Hausarzt oder Notarzt darauf hingewiesen, dass sie ein Sarkom haben könnten, und bei 27 % der Patienten, die ihren Hausarzt besuchten, wurde eine Behandlung wegen einer anderen Ursache eingeleitet, oder es wurde ihnen gesagt, dass ihre Symptome nicht schwerwiegend seien.<sup>11</sup>

**Zwei Initiativen, die eingeführt wurden, um Allgemeinmediziner für Sarkomsymptome zu sensibilisieren** und eine frühzeitige Überweisung zu veranlassen, waren die „On the Ball“-Kampagne (siehe Fallstudie) und das vom British Medical Journal akkreditierte „Awareness & Suspicion for Sarcoma“-Programm, das Ärzte in der korrekten Diagnose von Sarkomen unterweist.

### FALLSTUDIE:

#### Sensibilisierung für Sarkome mit der „On the ball“-Kampagne von Sarcoma UK

Die „On the ball“-Kampagne von Sarcoma UK zielt darauf ab, Allgemeinmediziner im Hinblick auf eine frühzeitigere Erkennung von Sarkomen zu schulen.<sup>98</sup>

„On the ball“-Pakete enthalten einen Golfball-Schlüsselanhänger mit der Aufschrift „Ist es ein Sarkom?“, der als visuelle Hilfe dient, mit der Allgemeinmediziner auf die „Rote Flaggen“-Anzeichen von Sarkomen hingewiesen werden sollen; daneben enthält es ein Diagnose-Toolkit mit einem klinischen Informationsblatt zu Sarkomen, den „Rote Flaggen“-Anzeichen von Sarkomen und der Anweisung, Sarkom-Patienten zur Diagnose und Behandlung direkt an spezialisierte Zentren zu überweisen.<sup>92 99</sup>

Bislang wurden mehr als 1600 „On the Ball“-Pakete versandt.<sup>99</sup>



3

Die Sarkom-Behandlung soll durch ein multidisziplinäres Team (MDT) gemäß einem gesteuerten Behandlungspfad erfolgen.



**Im Vereinigten Königreich gibt es Behandlungsleitlinien für alle Sarkomtypen.**<sup>91 95 96</sup> Sie spezifizieren den Bedarf an multidisziplinären Teams, Gesundheitsfachkräften für Patienten, evidenzbasierten Therapien in Sarkom-Zentren und individuellen Behandlungsplänen für Patienten.<sup>91 95</sup> Die Bedeutung eines MDT-Konzepts wird allgemein anerkannt, und seine Anwendung bei Sarkom-Patienten scheint weit verbreitet zu sein. Im Jahr 2015 wurden im Vereinigten Königreich 90 % der Sarkom-Patienten von einem MDT behandelt.<sup>8</sup>

**Gleichwohl sind weitere Verbesserungen erforderlich, um zu gewährleisten, dass alle Patienten einen individuellen Behandlungsplan erhalten.** Der Sarkom-Patientenerhebung zufolge haben nur 48 % der Patienten einen Plan erhalten, in dem ihre gesamte Behandlung von Anfang bis Ende erläutert wurde, und 40 % der Patienten erklärten, überhaupt keinen individuellen Behandlungsplan erhalten zu haben.<sup>11</sup>

4

Anreize für und Investitionen in die Sarkomforschung müssen verstärkt werden.



Im Vereinigten Königreich gibt es kein **landesweites Sarkom-Register**. Allerdings koordiniert der National Cancer Registration and Analysis Service (NCRAS) acht regionale Krebsregister, und die Registrierung ist für alle Krankenhäuser des staatlichen Gesundheitsdienstes (NHS) verpflichtend, dies gilt jedoch nicht für in privaten Kliniken durchgeführte Therapien. Es existiert ein nationaler Datensatz für Sarkome. Erfasst werden Daten zu Therapien, wie die Anwendung von Chemotherapien und Strahlentherapien. Alle Daten werden in nationale Daten über Todesfälle integriert, um ein vollständiges Bild vom Zeitpunkt, an dem der Patient die Diagnose erhalten hat, von der Art der Behandlung und ihrem Todesdatum zu erhalten.

**Staatliche Anreize für Forschung zu seltenen Krankheiten gibt es nicht.**<sup>94</sup> Allerdings finanziert Sarcoma UK verschiedene Forschungsprojekte und hat seit 2009 wissenschaftliche medizinische Beihilfen in Höhe von mehr als einer Million GBP vergeben, um die Kenntnisse in Bezug auf Sarkome zu verbessern.<sup>100</sup>

Das Investitionsvolumen des Freiwilligensektors beläuft sich auf mehr als vier Mio. GBP pro Jahr, und es wächst weiter. Es existiert eine Reihe von **Forschungskooperationen** zwischen gemeinnützigen Organisationen, Hochschulen, klinischen Einheiten, Nichtregierungsorganisationen (Cancer Research UK, Sarcoma UK, Bone Cancer Research Trust) und dem Staat – die Finanzierung erfolgt durch das National Institute for Health Research (NIHR) und den Medical Research Council (MRC).<sup>94</sup>

5

Es sind Anstrengungen erforderlich, um den Zugang zu Behandlungen für Patienten auf nationaler Ebene zu verbessern und Ungleichheiten beim Zugang zu neuen Behandlungskonzepten zu reduzieren.



**Es wurden spezielle Regelungs- oder Zugangskonzepte für seltene Krebsarten eingeführt.** Der NICE Ultra-Orphan-Prozess für Arzneimittel zur Behandlung seltener Leiden wurde auf der Grundlage der Beurteilung eines Sarkom-Medikaments entwickelt, wengleich die jüngsten Sarkom-Therapien vom Cancer Drugs Fund genehmigt wurden.<sup>94 101</sup>  
<sup>102</sup> Sarkom-Patienten können am NICE-Arzneimittelbewertungs- und -orientierungsverfahren beteiligt werden, was in der Vergangenheit auch bereits geschehen ist.<sup>94</sup>

**Klinische Studien zu Sarkomen und Studien, an denen Sarkom-Patienten teilnehmen können, sind online über den UK Clinical Trials Gateway verfügbar.**<sup>103</sup> Es kommt jedoch vor, dass Sarkom-Patienten **über die Möglichkeit der Teilnahme an klinischen Studien nicht hinreichend informiert werden** – so gaben in der Sarkom-Patientenerhebung 67 % der Patienten an, nicht gefragt worden zu sein, ob sie an einer klinischen Studie teilnehmen möchten, und nur 22 % der Patienten haben an einer solchen Studie teilgenommen.<sup>11</sup>

## Wichtige Links

**Sarcoma UK:** <https://sarcoma.org.uk/>





# Quellennachweise:

1. Gatta G, Van der Zwan JM, Casali PG, *et al.* Rare cancers are not so rare: The rare cancer burden in Europe. *European Journal of Cancer* 2011;47(17):2493-511.
2. Rare Cancers Europe (RCE). About rare cancers 2016. Available from: <http://www.rarecancerseurope.org/About-Rare-Cancers>
3. Rare Cancers Europe (RCE). Joint Action on Rare Cancers Kick Off Meeting 2016. Available from: <http://rarecancerseurope.org/Events/Joint-Action-on-Rare-Cancers-Kick-Off-Meeting>
4. Fletcher C, Bridge JA, Hogendoorn P, *et al.* WHO Classification of Tumours of Soft Tissue and Bone. Fourth Edition. WHO Classification of Tumours, 2013:468.
5. Cancer Research UK. About Sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/about/about-sarcomas#YxpbR62XBff7D1h4.97>
6. Stiller CA, Trama A, Serraino D, *et al.* Descriptive epidemiology of sarcomas in Europe: report from the RARECARE project. *European Journal of Cancer* 2013;49(3):684-95.
7. Sharma S, Takyar S, Manson SC, *et al.* Efficacy and safety of pharmacological interventions in second- or later-line treatment of patients with advanced soft tissue sarcoma: a systematic review. *BMC Cancer* 2013;13(1):1-21.
8. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Improving Outcomes for People with Sarcoma: the Manual. NICE Guidance on Cancer Services: Developed by the National Collaborating Centre for Cancer, 2006:142.
9. Zagars GK, Ballo MT, Pisters PWT, *et al.* Prognostic factors for patients with localized soft-tissue sarcoma treated with conservation surgery and radiation therapy. *Cancer* 2003;97(10):2530-43.
10. Cancer Research UK. Survival statistics for soft tissue sarcomas 2016. Available from: <http://www.cancerresearchuk.org/about-cancer/type/sarcoma/treatment/statistics-and-outlook-for-soft-tissue-sarcoma>
11. Sarcoma UK. The National Sarcoma Survey, Transforming Patient Experience, 2015:35.
12. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Sarcoma Quality Standards. 2015:38.
13. European Society for Medical Oncology (ESMO). Improving Rare Cancer Care in Europe: Recommendations on Stakeholder Actions and Public Policies. 2010:10.
14. RARECARENet. Country Report Bulgaria 2016. Available from: [http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/National\\_Conferences/RARECARENet\\_country\\_report\\_-\\_BULGARIA\\_-\\_TRANSLATED.pdf](http://www.rarecarenet.eu/rarecarenet/images/Resources/National_Conferences/RARECARENet_country_report_-_BULGARIA_-_TRANSLATED.pdf)
15. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States 2011:13.
16. Rare Cancers Europe (RCE). Rare Cancer Patient Toolkit: Speak up for rare cancer. 2016:19.
17. Ray-Coquard I, Montesco MC, Coindre JM, *et al.* Sarcoma: concordance between initial diagnosis and centralized expert review in a population-based study within three European regions. *Annals of Oncology* 2012;23:2442-49.
18. European Society for Medical Oncology (ESMO). Statement on the council recommendation on rare diseases: ESMO, 2008.
19. Sarcoma Patients EuroNet (SPAEN). Sarcoma Patient Pathway Analysis and Recommendations for Service Development. 2016. Available from: [www.sarcoma-patients.eu](http://www.sarcoma-patients.eu)
20. Andritsch E, Beishonb M, Bielack S, *et al.* ESMO Essential Requirements for Quality Cancer Care: Soft Tissue Sarcoma in Adults and Bone Sarcoma. A critical review. *Critical Reviews in Oncology/Hematology* 2017:94-105.
21. European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD). Recommendations on Rare Disease European Reference Networks (RD ERNS). 2013:18.
22. The Council of the European Union. Council Recommendation of June 8 2009 on an action in the field of rare diseases: Official Journal of the European Union, 2009:7-10.
23. Ashley D, Thomas D, Gore L, *et al.* Accepting risk in the acceleration of drug development for rare cancers. *Lancet Oncology* 2015;16:4.
24. Casali PG, Bruzzi P, Bogaerts J, *et al.* Rare Cancers Europe (RCE) methodological recommendations for clinical studies in rare cancers: a European consensus position paper. *Annals of Oncology* 2015;26(2):300-6.
25. Institut National Du Cancer. French national networks for rare cancers in adults: review and outlook 2014. 2015.
26. Coindre JM, Ducimetiere F, Mathoulin-Péllissier S, *et al.* Management of soft tissue sarcoma in France - a retrospective analysis of the french clinical biological sarcoma database (GSF-GETO) [abstract]. 2015.
27. Dumont S. Epidémiologie des Sarcomes Réseaux de Référence, unpublished data on file. 2016
28. NetSarc-ResOs. Réseaux de référence Cliniques 2016. Available from: <https://netsarc.sarcomabcb.org/>
29. Blay JY, Le Cesne A, Penel N, *et al.* Improved Sarcoma Management in a National Network of Reference Centers: Analysis of the NetSarc Network on 13,454 Patients Treated Between 2010 and 2014. *Journal of Clinical Oncology* 2016;34.
30. Lurkin A, Ducimetière F, Vince DR, *et al.* Epidemiological evaluation of concordance between initial diagnosis and central pathology review in a comprehensive and prospective series of sarcoma patients in the Rhone-Alpes region. *BMC Cancer* 2010;10(1):1-12.

31. Dumont S. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
32. Ecole de Formation En Cancérologie. Liste offre formations cancerologie 2017. Available from: [http://www.efec.eu/wp-content/uploads/2016/10/EFEC-2017-LISTE-OFFRE-FORMATIONS-CANCEROLOGIE-DPC\\_Web.pdf](http://www.efec.eu/wp-content/uploads/2016/10/EFEC-2017-LISTE-OFFRE-FORMATIONS-CANCEROLOGIE-DPC_Web.pdf)
33. Connective Tissue Oncology Society (CTOS). Programme e-surge 2016. Available from: <https://www.ctos.org/Portals/0/PDF/Programme%20e-surge%20-%202016%20Final.pdf>
34. Ligier K, Maynou C, Leroy X, *et al.* Improvement of the initial management of sarcomas after the dissemination of evidence-based guidelines depends on the primary sarcoma location: a population-based study. *BMC Cancer* 2015;15:218.
35. International cancer genome consortium. Cancer genome projects - France 2016. Available from: <https://icgc.org/icgc/cgp/60/355/1002113>
36. Tordrup D. Autorisations temporaires d'utilisation (ATU). *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
37. Center for Cancer Registry Data - Federal Statistical Office. Report on Cancer in Germany 2016: Number of Cancer Neoplasms and Deaths in Germany 2013.P21.
38. Das Lebenshaus. Interdisziplinäre Sarkom-Zentren: Denn Sarkome gehören in Experten-Hände! Wissenswert, 2010:19-23.
39. Lehnhardt M, Daigeler A, Homann HH, *et al.* Importance of specialized centers in diagnosis and treatment of extremity-soft tissue sarcomas. Review of 603 cases. *Chirurg* 2009;80(4):341-7.
40. Sarkom Konferenz. Sarkomkonferenz 2016. Available from: <http://www.sarkomkonferenz.de/index.php/sarkomkonferenz-2017/zertifizierung>
41. Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie. Weichteilsarkome. Leitlinie der Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie, 2011.
42. Deutsche Gesellschaft für Gynäkologie und Geburtshilfe. Leitlinienprogramm- Uterine Sarkome, 2015.
43. Deutsche Krebsgesellschaft. Interdisziplinäre AG Weichteilsarkome 2016. Available from: <https://www.krebsgesellschaft.de/deutsche-krebsgesellschaft-wtrl/deutsche-krebsgesellschaft/ueber-uns/organisation/sektion-b-arbeitsgemeinschaften/iaws.html>
44. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). German Interdisciplinary Sarcoma Group. 2016.
45. German Interdisciplinary Sarcoma Group (GISG). Studien unter GISG. 2016.
46. Das Lebenshaus. Krebserkrankungen erforschen 2015. Available from: <http://www.daslebenshaus.org/studienallgemein>
47. SOS desmoid. 2016. Available from: <http://www.sos-desmoid.de/>
48. Rüsseler A, Brors B, Fischer T, *et al.* Molekularpathologie von Sarkomen- Erste Ergebnisse des Sarkomforschungsverbundes KoSar. *Der Pathologe* 2010;Suppl 2(31):211-14.
49. Busco S, Buzzoni C, Mallone S, *et al.* Italian cancer figures report 2015: The burden of rare cancers in Italy. *Epidemiologia & Prevenzione* 2016;40(1 Suppl 2):1-120.
50. Casali P. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
51. Trama A, Mallone S, Ferretti S, *et al.* The burden of rare cancers in Italy: the surveillance of rare cancers in Italy (RITA) project. *Tumori* 2012;98(5):550-8.
52. Gronchi A. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
53. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento del Sarcoma di Ewing 2010. Available from: [http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida\\_ewing\\_.pdf](http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_ewing_.pdf)
54. Italian sarcoma group and alleanza contro il cancro. Linea Guida per il Trattamento dell'Osteosarcoma 2009. Available from: [http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida\\_osteosarcoma.pdf](http://lnx.samosoftware.com/clienti/isg/wp-content/uploads/2014/03/linee.guida_osteosarcoma.pdf)
55. Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). Linee Guida per il trattamento di sarcomi dei tessuti molli e GIST, 2015.
56. European Society of Surgical Oncology (ESSO). European School of Soft Tissue Sarcoma 2016. Available from: <http://www.essoweb.org/european-school-of-sts/>
57. Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori. Struttura Semplice Chirurgia dei Sarcomi, Attività Didattica 2016. Available from: <http://www.istitutotumori.mi.it/modules.php?name=Content&pa=showpage&pid=792>
58. Istituto Ortopedico Rizzoli B, Italy. Course on Musculoskeletal Pathology 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/wp-content/uploads/2015/12/Preliminary-Program-XXIX-COURSE-2016.pdf>
59. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro - sarcomi delle parti molli 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/385>
60. Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica. Gruppi di lavoro, sarcomi ossei 2016. Available from: <http://www.aieop.org/web/index.php?q=node/386>
61. The Italian Medicines Agency (AIFA). Pricing and reimbursement 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/en/content/pricing-and-reimbursement>
62. The Italian Medicines Agency (AIFA). Legge 648/96 2016. Available from: <http://www.agenziafarmaco.gov.it/it/content/legge-64896>
63. Italian sarcoma group. Studi clinici 2016. Available from: <http://www.italiansarcomagroup.org/studi-clinici/>
64. The Associazione Italiana di Oncologia Medica (AIOM). studi clinici 2016. Available from: <http://www.aiom.it/studi-clinici/1,108,1>,
65. Nersesyan K, Robinson D, Pomerantz D. Epidemiology and treatment of soft tissue sarcoma in the EU5. ISPOR 18th Annual European Congress 7-11 November 2015. Milan, 2015.
66. Valverde C. "Surgery remains the key in addressing sarcomas" *Gaceta Medica*; 2016. Available from: <http://www.gacetamedica.com/portada/la-cirurgia-sigue-siendo-la-clave-en-el-abordaje-de-los-sarcomas-HD489889#printAcUrlSection>

67. Valverde C. Stakeholder interview with Boldon S, 2016.
68. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Centres, Services and Units Reference (CSUR), 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/centros-de-referencia>
69. Garcia del Muro X, de Alava E, Artigas V, *et al.* Clinical practice guidelines for the diagnosis and treatment of patients with soft tissue sarcoma by the Spanish group for research in sarcomas (GEIS). *Cancer chemotherapy and pharmacology* 2016;77(1):133-46.
70. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Advanced Course Sarcomas. 2016
71. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Master's Degree in Musculoskeletal Tumors 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/actividad-cientifica/formacion/master-de-sarcomas>
72. Sarcoma Patients Euronet (SPAEN). 20th of September - Sarcoma National Day in Spain SPAEN; 2014. Available from: <http://www.sarcoma-patients.eu/index.php/28-spaen/home/259-20th-of-september-sarcoma-national-day-in-spain>
73. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Mission, vision and values 2016. Available from: <http://www.grupogeis.org/index.php/quienes-somos/mision-vision-y-valores>
74. Angeles Diaz M. Together we stand, we learn, strengthen us. LillyPad; 2016. Available from: <https://lillypad.es/entry.php?e=162&n=entre-todos-nos-apoyamos-nos-informamos-nos-fortalecemos#>
75. López-Pousa A, Martin Broto J, Martinez Trufero J, *et al.* SEOM Clinical Guideline of management of soft-tissue sarcoma (2016). *Clinical and translational oncology* 2016;18:1213–20.
76. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). GEIS structure 2016. Available from: [http://www.ctu.mrc.ac.uk/euramos/main\\_site\\_content\\_pages/images\\_and\\_documents/Bone%20Planning%20Meeting%20ESF/Presentations/Day2\\_b\\_GroupStructures/GEIS\\_Structure\\_MartinBroto.pdf](http://www.ctu.mrc.ac.uk/euramos/main_site_content_pages/images_and_documents/Bone%20Planning%20Meeting%20ESF/Presentations/Day2_b_GroupStructures/GEIS_Structure_MartinBroto.pdf)
77. The Spanish Group for Research on Sarcomas (GEIS). Spanish Sarcoma Research Group Portal 2016. Available from: <http://www.geisgroup.org/>
78. Tordrup D, Tzouma V, Kanavos P. Orphan drug considerations in Health Technology Assessment in eight European countries. *International Journal of Public Health* 2014;1(3):15.
79. The Sarcoma Patients Spanish Association (AEAS). Clinical Trials 2016. Available from: <http://www.aesarcomas.org/es/ensayos-clinicos>
80. Styring E. Sarcoma Cancercentrum; 2016. Available from: <http://www.cancercentrum.se/samverkan/cancerdiagnoser/sarkom/>
81. Styring E. Manual. The national quality register for Sarcomas of the extremities and trunk wall.: Regional Cancercentrum I Samverkan, 2015.
82. Bauer HCF, Alvegard TA, Berlin O, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group Register 1986-2001,. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009
83. OCSYD. Kvalitetsuppföljning, RCC Syd, senast uppdaterad 2016-12-07 ocsyd; 2016. Available from: <http://www.ocsyd.se/kvalitetsdata/webrapport/>
84. Styring E, Billing V, Hartman L, *et al.* Simple guidelines for efficient referral of soft-tissue sarcomas: a population-based evaluation of adherence to guidelines and referral patterns. *The Journal of Bone & Joint Surgery* 2012;94(14):1291-6.
85. Trovik CS. Local recurrence of soft tissue sarcoma. A Scandinavian Sarcoma Group Project. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2001;72(300):1-31.
86. Alvegård TA, Bauer H, Blomqvist C, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group—background, organization and the SSG Register—the first 25 years. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2004;75(sup311):1-7.
87. Rydholm A. Centralization of soft tissue sarcoma. The southern Sweden experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 1997;273:4-8.
88. Alvegard T, Sundby Hall K, Bauer H, *et al.* The Scandinavian Sarcoma Group: 30 years' experience. *Acta Orthopaedica Scandinavica* 2009;80(334):1-104.
89. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). Treatment protocols and recommendations - sarcoma 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/treatment-protocols-and-recommendations/ongoing>
90. Scandinavian Sarcoma Group (SSG). BYLAWS 2016. Available from: <http://www.ssg-org.net/om>
91. Grimer R, Athanasou N, Gerrand C, *et al.* UK Guidelines for the Management of Bone Sarcomas 2010. Available from: [https://sarcoma.org.uk/sites/default/files/bsg\\_bone\\_guideline\\_in\\_sarcoma.pdf](https://sarcoma.org.uk/sites/default/files/bsg_bone_guideline_in_sarcoma.pdf)
92. Sarcoma UK. Sarcoma Specialist Centres 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/health-professionals/sarcoma-specialist-centres>
93. National Cancer Peer Review-National Cancer Action Team. Sarcoma Measures. In: Health, ed., 2011.
94. Wilson R. Stakeholder interview with Wait S, 2016.
95. Grimer R, Judson I, Peake D, *et al.* Guidelines for the management of soft tissue sarcomas 2010. Available from: [http://www.swscn.org.uk/wp/wp-content/uploads/2014/11/UK\\_Guidelines\\_For\\_The\\_Management\\_of\\_Soft\\_Tissue\\_Sarcomas.pdf](http://www.swscn.org.uk/wp/wp-content/uploads/2014/11/UK_Guidelines_For_The_Management_of_Soft_Tissue_Sarcomas.pdf)
96. Reid R, Bulusu R, Carroll N, *et al.* Guidelines for the Management of Gastrointestinal Stromal Tumours (GIST) 2009. Available from: [http://www.augis.org/wp-content/uploads/2014/05/GIST\\_Management\\_Guidelines\\_180809.pdf](http://www.augis.org/wp-content/uploads/2014/05/GIST_Management_Guidelines_180809.pdf)
97. National Institute for Health and Care Excellence (NICE). Suspected cancer: recognition and referral [Guidelines]. 2015. Available from: <https://www.nice.org.uk/guidance/ng12/resources/suspected-cancer-recognition-and-referral-1837268071621>
98. Sarcoma UK. About 'On The Ball' 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/order-ball-pack/about-ball>
99. Sarcoma UK. Order your 'On the Ball' pack 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/get-involved/other-ways-get-involved/about-ball/order-your-ball-pack>
100. Sarcoma UK. Research 2016. Available from: <https://sarcoma.org.uk/research>
101. Tordrup D. NICE highly specialised technologies guidance. *RARE Journal* 2014;1(3):83-97.
102. NHS Commissioning Board. Interim Commissioning Policy: Individual funding requests, 2016.
103. National Institute for Health Research. UK Clinical Trials Gateway 2016. Available from: <https://www.ukctg.nihr.ac.uk>





Die Checkliste „Sarkom-Strategien“ wurde von einer Gruppe führender Vertreter von Patientenorganisationen, klinischen Experten und Branchenvertretern erarbeitet. Initiiert und finanziert wurde dieses Projekt von Lilly.

Eine Kopie des Berichts erhalten Sie auf folgender Website: [www.sarcoma-patients.eu/](http://www.sarcoma-patients.eu/)