

## Kurzbericht des BMG-geförderten Forschungsvorhabens

Vorhabentitel	<b>Wissenschaftliche Begleitung des Nationalen Aktionsplans für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (WB-NAPSE)</b>
Schlüsselbegriffe	Seltene Erkrankungen, Versorgung, Nationaler Aktionsplan, Nationales Aktionsbündnis, Evaluation
Vorhabendurchführung	Fraunhofer Institut für System- und Innovationsforschung ISI; Universität Bielefeld; Ostfalia Hochschule für Angewandte Wissenschaften
Vorhabenleitung	Dr. Tanja Bratan
Autor(en)	Dr. Tanja Bratan Dr. Heike Aichinger Prof. Dr. Daniela Eidt-Koch Michael Dörries Viola Gräfe Prof. Dr. Wolfgang Greiner Dr. Bärbel Hüsing
Vorhabenbeginn	01.01.2015
Vorhabenende	31.03.2017

### 1. Vorhabenbeschreibung, Vorhabenziele

In Deutschland sind ca. 4 Mio. Menschen von einer Seltenen Erkrankung betroffen und bedürfen häufig einer besonders spezialisierten und komplexen Versorgung. Nach einer Empfehlung des Europäischen Rats (2009) und einer Analyse der Versorgungssituation im Auftrag des BMG (Eidt et al., 2009) wurde im Jahr 2010 das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) ins Leben gerufen, um die Lebens- und Versorgungssituation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen zu verbessern. Dieses Bündnis aus BMG, BMBF und ACHSE e. V. (Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen) sowie 25 weiteren Bündnispartnern hat gemeinsam den Nationalen Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen erarbeitet und diesen im Jahr 2013 veröffentlicht. Der Nationale Aktionsplan umfasst 52 Maßnahmenvorschläge in sieben Handlungsfeldern. Das Kernziel stellt die Etablierung einer qualitätsgesicherten Versorgungslandschaft mit zertifizierten Zentren dar, die den besonderen Anforderungen von Menschen mit Seltenen Erkrankungen gerecht wird. Daneben umfasst der Nationale Aktionsplan eine Vielzahl an Initiativen und Projekten, die allesamt dazu beitragen sollen, die Lebens- und Versorgungssi-

tuation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen zu verbessern. Zudem hat sich das Bündnis die Aufgabe gestellt, seine Strukturen in eine nachhaltige Form zu überführen. Die Umsetzung des Nationalen Aktionsplans wurde im Zeitraum Januar 2015 bis März 2017 wissenschaftlich begleitet und evaluiert. Ziel der Untersuchung war es, den Umsetzungsstand der verschiedenen Maßnahmenvorschläge und Projekte sowie deren bisherige Einzelwirkungen und gesamtheitliche Wirkungen des Zusammenspiels der Aktivitäten und Akteure zu erheben und daraus Handlungsempfehlungen für die weitere Umsetzung und Weiterentwicklung des Nationalen Aktionsplans und des Bündnisses sowie Themen für künftige Projekte und Maßnahmen abzuleiten.

## 2. Durchführung, Methodik

In der Evaluation der Umsetzung des Nationalen Aktionsplans wurde ein Mix unterschiedlicher Erhebungsmethoden und Datenquellen eingesetzt. Über eine Auswertung von Dokumenten und Literatur sowie durch die Teilnahme an Veranstaltungen wurden die Entwicklungen im Bündnis und dem relevanten Umfeld verfolgt. Zu zwei Zeitpunkten wurden Befragungen der NAMSE-Akteure durchgeführt. Die erste Erhebung fand im Zeitraum Dezember 2015 bis März 2016 statt und umfasste eine schriftliche Online-Befragung der Maßnahmen- und Projektverantwortlichen zum Umsetzungsstand der einzelnen Maßnahmenvorschläge sowie eine anschließende telefonische Befragung, in der zusätzlich deren Zusammenwirken und der Umsetzungsstand des Nationalen Aktionsplans insgesamt thematisiert wurde. Im Rahmen dieser Erhebungswelle konnten 69 Fragebögen ausgewertet und 15 Interviews geführt werden. Die zweite Erhebung erfolgte ausschließlich telefonisch im Zeitraum Januar bis März 2017. Die Zielgruppe umfasste neben den Maßnahmen- und Projektverantwortlichen weitere Bündnispartner sowie Vertreterinnen und Vertreter von Zentren für Seltene Erkrankungen. Die Interviews der zweiten Erhebungswelle zielten darauf ab, den Umsetzungsfortschritt des Nationalen Aktionsplans insgesamt sowie auf der Ebene der einzelnen Maßnahmenvorschläge zu ermitteln und außerdem erste Wirkungen auf die Versorgungssituation zu erfassen. In der zweiten Erhebungswelle wurden 25 Interviews geführt. Die Auswertung der schriftlichen Befragung erfolgte bei den geschlossenen Fragen quantitativ, Freitextangaben, Interviews und Dokumente wurden inhaltsanalytisch ausgewertet. Die Ergebnisse wurden trianguliert und auf dieser Basis wurden Handlungsoptionen für die weitere Umsetzung des Aktionsplans und die Arbeit des Bündnisses abgeleitet. Diese wurden anschließend durch den wissenschaftlichen Beirat des Projekts validiert.

## 3. Gender Mainstreaming

Seltene Erkrankungen betreffen die Bevölkerung in ihrer Gesamtheit gleichermaßen, wobei oft geschlechtsspezifische Unterschiede bei der Häufigkeit des Auftretens einzelner Krankheiten bestehen. Der Aspekt des Gender Mainstreaming wird nicht explizit durch den Nationalen Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen adressiert und war daher auch kein expliziter Schwerpunkt der Evaluation. Die Auswahl der zu befragenden Personen erfolgte unabhängig vom Geschlecht und ausschließlich auf Basis der ausgeübten Funktionen, insbesondere der Verantwortung für die Umsetzung von Maßnahmenvorschlägen bzw. der aktiven Mitarbeit im NAMSE. Unter den Befragten herrschte ein ausgewogenes Geschlechterverhältnis. Eine geschlechterspezifische Auswertung erfolgte nicht.

#### 4. Ergebnisse, Schlussfolgerung, Fortführung

Es lässt sich feststellen, dass das Aktionsbündnis seit seiner Gründung eine Reihe wichtiger Erfolge erzielt hat: Die Tatsache, dass sich die verschiedenen Akteure des Gesundheitswesens in einem sehr konstruktiven Prozess einem gemeinsamen Ziel verpflichtet und den Nationalen Aktionsplan erarbeitet haben, wurde von allen befragten Bündnispartnern als bedeutender Erfolg gewertet. Seit seiner Veröffentlichung wird der Nationale Aktionsplan in vielerlei Hinsicht erfolgreich umgesetzt: Zum Ende des Berichtszeitraums im März 2017 befand sich mehr als die Hälfte der Maßnahmenvorschläge in der Umsetzung oder war bereits abgeschlossen. Die Qualität der bisherigen Aktivitäten wurde von den Verantwortlichen überwiegend positiv bewertet. Es wurden verschiedene Instrumente entwickelt, Aktivitäten durchgeführt und Informationen generiert, die wichtige Beiträge für die Verbesserung des Lebensalltags, die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen und die Forschung leisten können. Auch wurden erste Grundlagen geschaffen, um langfristig dem besonderen Aufwand bei der Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen Rechnung zu tragen. Die Arbeit des Bündnisses hat auch dazu beigetragen, dass die öffentliche Aufmerksamkeit für das Thema Seltene Erkrankungen maßgeblich gesteigert werden konnte.

Der Umsetzungsfortschritt der verschiedenen Maßnahmenvorschläge fällt jedoch mitunter sehr unterschiedlich aus. Bislang wurden insbesondere solche Maßnahmenvorschläge effizient und erfolgreich umgesetzt, die einen deutlichen Projektcharakter aufweisen, d.h. für die Inhalte, operationalisierbare Ziele, Zeitrahmen und Zuständigkeiten klar definiert wurden. Allerdings sind viele Maßnahmenvorschläge wenig konkret formuliert und unter den zuständigen Akteuren herrscht kein gemeinsames Verständnis hinsichtlich der Operationalisierung. Der Umsetzungsfortschritt bei derartigen Maßnahmenvorschlägen fällt in aller Regel deutlich geringer aus.

Seit der Veröffentlichung des Nationalen Aktionsplans stellen die Verstärkung des Bündnisses und die Etablierung einer Zentrenlandschaft die zentralen Herausforderungen für das Bündnis dar, deren Umsetzung sich deutlich schwieriger als ursprünglich angenommen gestaltet: Trotz intensiver Bemühungen war es dem Bündnis bis zum Ende des Evaluationszeitraums nicht gelungen, eine von allen Bündnispartnern mitgetragene Organisationsform zu finden, die auch eine langfristige Finanzierung der NAMSE Geschäftsstelle gewährleisten würde. Zur Etablierung der Zentrenlandschaft wurden bereits im Jahr 2015 Anforderungskataloge für Fach- und Referenz-Zentren für Seltene Erkrankungen durch das Bündnis veröffentlicht, allerdings ist es dem Bündnis nicht gelungen, ein entsprechendes Zertifizierungsverfahren umzusetzen. Dies war nicht zuletzt der Tatsache geschuldet, dass die künftige Organisationsform des Bündnisses nicht geklärt war. Der geringe Umsetzungsfortschritt bei diesen beiden zentralen Themen hatte zudem Auswirkungen auf die Umsetzung diverser anderer Maßnahmenvorschläge, insbesondere wenn eine Abhängigkeit von der Etablierung der Zentrenstruktur bestand, aber auch da aufgrund der intensiven Bemühungen bei diesen beiden Themen die Arbeit in anderen Bereichen gehemmt wurde.

Es lässt sich feststellen, dass der Nationale Aktionsplan zwar ein großes Potenzial besitzt, die Akteure im Gesundheitswesen mit ihren ganz unterschiedlichen Aufgaben für ein gemeinsames Ziel zu mobilisieren, er jedoch aufgrund seiner häufig unkonkreten Formulierungen nicht immer ausreichende Grundlage für

die Umsetzung darstellt und Interessenskonflikte nicht angemessen adressiert wurden. Demnach besteht Bedarf, den Nationalen Aktionsplan um zeitlich begrenzte Arbeitspläne mit messbaren Zielvorgaben für jeden Maßnahmenvorschlag zu operationalisieren und auch geeignete Maßnahmen zur nachhaltigen Umsetzung bzw. der Überführung der erreichten Ergebnisse in die Anwendung zu definieren. Die Evaluation zeigte zudem, dass das Bündnis in seiner ursprünglichen Organisationsform nicht optimal aufgestellt ist, um die mit dem Nationalen Aktionsplan gesetzten Ziele zu erreichen. Zunächst erscheint es notwendig, dass das Bündnis sich im Rahmen der Diskussion um seine Organisationsform verstärkt der Frage widmet, welche Rolle und Aufgaben es zukünftig im Gesundheitswesen übernehmen könnte bzw. möchte und wie die Schnittstellen zu etablierten Institutionen und Prozessen gestaltet werden sollten. Dementsprechend gilt es, eine geeignete Organisationsform und Finanzierungsoptionen zu finden, die diesen Aufgaben gerecht werden. Dabei ist auch zu klären, auf welche Weise und in welcher Funktion die einzelnen Bündnispartner in Zukunft im Bündnis mitwirken werden.

## 5. Umsetzung der Ergebnisse durch das BMG

Im Vordergrund steht die Verbesserung der gesundheitlichen Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen. Die Evaluation hat ergeben, dass der Nationale Aktionsplan insgesamt an vielen Stellen zu einer Verbesserung (z.B. Erhöhung der öffentlichen Aufmerksamkeit) geführt hat. Die Anregungen und Handlungsvorschläge der Evaluation fließen in das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen, in dem das BMG Bündnispartner ist, ein. Hiervon betroffen sind nicht nur Einzelmaßnahmen, sondern auch die künftige Organisation und die Arbeitsweise des NAMSE.

## 6. Verwendete Literatur

EIDT, D.; FRANK, M.; REIMANN, A.; WAGNER, T.O.F.; MITTENDORF, T.; GRAF VON DER SCHULENBURG, J.-M. (2009): Maßnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen in Deutschland. Studie im Auftrag des Bundesministeriums für Gesundheit. Hg. v. Bundesministerium für Gesundheit. Online verfügbar unter [https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5\\_Publikationen/Praevention/Berichte/110516\\_Forschungsbericht\\_Seltene\\_Krankheiten.pdf](https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/5_Publikationen/Praevention/Berichte/110516_Forschungsbericht_Seltene_Krankheiten.pdf), zuletzt geprüft am 12.07.2018.

EUROPÄISCHER RAT (2009): Empfehlung des Rates vom 8. Juni 2009 für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten. 2009/C 151/02. In: Amtsblatt der Europäischen Union. Online verfügbar unter [http://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:32009H0703\(02\)&from=DE](http://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:32009H0703(02)&from=DE), zuletzt geprüft am 12.07.2018.

NATIONALES AKTIONSBÜNDNIS FÜR MENSCHEN MIT SELTENEN ERKRANKUNGEN (2013): Nationaler Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen. Handlungsfelder, Empfehlungen und Maßnahmenvorschläge. Hg. v. Geschäftsstelle des Nationalen Aktionsbündnisses für Menschen mit Seltenen Erkrankungen. Bonn. Online verfügbar unter [http://www.namse.de/images/stories/Dokumente/nationaler\\_aktionsplan.pdf](http://www.namse.de/images/stories/Dokumente/nationaler_aktionsplan.pdf), zuletzt geprüft am 12.07.2018.