

## Kurzbericht des BMG-geförderten Forschungsvorhabens

Vorhabentitel	Evaluation eines ganzheitlichen patienten-zentrierten Versorgungsmodells für Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen unter besonderer Berücksichtigung der psychosozialen Versorgung am Beispiel Mukoviszidose - VEMSE-CF
Schlüsselbegriffe	psychosoziale Versorgung, patienten-zentriert, seltene Erkrankungen, Mukoviszidose
Vorhabendurchführung	klinische Phase: Februar 2012 bis Februar 2016. Patientenindividuelle Beobachtungsdauer: 24 Monate
Vorhabenleitung	Dr. Andreas Reimann (bis Januar 2015) Dr. Uta Düesberg (Februar 2015 bis Dezember 2016)
Autorinnen und Autoren	Dr. Corinna Moos-Thiele, Dr. Hildegard Christ, Dr. Eberhard Heuer, Dr. Sybille Junge, Dr. Christina Smaczny, Prof. Dr. Helge Hebestreit
Vorhabenbeginn	01.08.2011
Vorhabenende	31.12.2016

### 1. Vorhabenbeschreibung, Vorhabenziele

Die Fragestellung: Führt im Vergleich zu einer Standardversorgung die Anwendung eines patienten-zentrierten psychosozialen Versorgungsprogramms zu einer höheren Qualität der Versorgung bei neutraler Ressourcenverbrauchsentwicklung? Um diese Fragestellung zu beantworten wurde ein individuell zugeschnittenes Versorgungsprogramm bestehend aus folgenden Komponenten entwickelt und evaluiert: individueller Maßnahmenplan, Case Management, Patientenschulung, psychologische Intervention, Sozialarbeit, sportwissenschaftliche Beratung. Primäres Zielkriterium war es die Verbesserung der Versorgungsqualität (gemessen durch Verbesserung der Prozessqualität: Häufigkeit der prozentualen dreimonatigen Routinevisiten mit Erhebung des Body Mass Index (BMI z-Scores) und der Lungenfunktion (FEV<sub>1</sub>% Soll)) zu erreichen. Als sekundäre Zielkriterien erfolgte die Analyse der Veränderung der FEV<sub>1</sub>% Soll, Veränderung des BMI, der Therapieadhärenz, der Lebensqualität der Patientinnen und Patienten sowie der Eltern minderjähriger Patientinnen und Patienten, die psychische Belastung der Patientinnen und Patienten wie auch der Eltern minderjähriger Patientinnen und Patienten und die Behandlerzufriedenheit. Zusätzlich sollten die Mortalität bei teilnehmenden Patientinnen und Patienten sowie die Überweisung zur Lungentransplantation im Behandlungszeitraum dokumentiert werden. Die Anzahl aller ambulanten Vorstellungen sowie die Anzahl der Hospitalisationen aller Fälle, der Anteil der

chronischen Besiedelung mit *Pseudomonas aeruginosa* und die sozioökonomischen Daten konnten im Verlauf des Vorhabens auf Grund unterschiedlicher Problemstellungen nicht erhoben werden.

Das Versorgungsmodell zeigt für seltene Erkrankungen (exemplarisch an der CF), dass die Durchführung eines multiprofessionellen, spezialisierten und patienten-zentrierten Versorgungsansatzes an einem spezialisierten Zentrum, die Prozessqualität steigert und auch positive Auswirkungen auf die gesundheitliche Situation bewirkt. Dabei verpflichten sich alle beteiligten Leistungserbringer zu gemeinsamen Handlungsrichtlinien und -pfaden wie auch der Nationale Aktionsplan für seltene Erkrankungen in seinen orientierenden Qualitätskriterien fordert (NAMSE, 2013; 58-61, Anhang 2).

## 2. Durchführung, Methodik

Es handelte sich um einen Gruppenvergleich der Interventions- (IG: n=153) und der Kontrollgruppe (KG: n=165). Als Einschlusskriterien für die IG und KG waren Patientinnen und Patienten mit ICD-Diagnose E84 (Zystische Fibrose CF) im Alter >5 Jahre mit einem schriftlichen Einverständnis, ggfs.

Einverständnis des gesetzlichen Vertreters vorgesehen. Die Teilnahme an parallelen, klinischen Studien war möglich. Zusätzlich galt für die KG, dass die Patientinnen und Patienten im Matched-pair-Verfahren und zusätzlich außerhalb des Verfahrens in den Ambulanzen ausgewählt wurden. Als Ausschlusskriterien galt der Zustand nach Lungentransplantation (LTX) die Listung zur LTX und eine absehbare stationäre Aufnahme von mehr als 4 Wochen. Die Intervention des ganzheitlichen Patienten-zentrierten Versorgungsmodells erfolgte unter besonderer Berücksichtigung der psychosozialen Versorgung. Als zusätzliche psychosoziale Unterstützung dienten u.a. ein Case-Management, individuelle Behandlungsvereinbarungen, regelmäßige Kontakte mit Fachkräften der Sozialarbeit wie auch Psychologie sowie sportwissenschaftlichen Beratung. Dafür wurden für das Projekt in den Interventionsambulanzen Stellen für Fachkräfte der Sozialarbeit, Psychologie, Sportwissenschaft sowie Case-Managements zusätzlich eingerichtet.

## 3. Gender Mainstreaming

In die Untersuchung wurden wie geplant weibliche und männliche Patienten einbezogen. Weitere Gender meldeten sich nicht und waren den teilnehmenden Ambulanzen auch nicht bekannt. Prinzipiell wäre der Einschluss weiterer Gender aber möglich gewesen; die Gendersensibilität war gegeben. Bei CF handelt es sich allerdings um eine seltene Erkrankung, sodass die zu erwartende absolute Anzahl von Transgendern, Transsexuellen und weiteren Gendern in dieser Studie von vornherein sehr gering war. Des Weiteren ist bei CF der sogenannte „Gendergap“ (Rosenfeld et al. 1997) gut dokumentiert, d.h. mit steigendem Alter haben weibliche Patientinnen eine geringere Lebenserwartung als männliche Patienten, insofern dreht sich der Überlebensvorteil in der Gesamtbevölkerung zu Lasten der Frauen um. Bei VEMSE-CF konnte hinsichtlich des Geschlechts auf die Ergebnisse der Intervention kein Einfluss festgestellt werden, d.h. Frauen und Männer hatten gleiche Outcomes.

## 4. Ergebnisse, Schlussfolgerung, Fortführung

Es gab keine gruppenspezifischen Ausgangsunterschiede bezüglich Alter und Geschlecht, jedoch war der Ausgangs FEV<sub>1</sub>%Soll in der IG signifikant niedriger. Die Dropout Rate lag bei der IG bei 11% (n=17) und der KG bei 7% (n=12). Bezüglich des primären Endpunktes konnte ein signifikanter Unterschied zwischen IG und KG nachgewiesen werden (Median: IG: 88,9%; KG: 77,8%; p<0,005; Odds Ratio=2,1). Insgesamt wurden in der IG zu jeder Routinevisite in über 90% der Fälle eine individuelle Behandlungsvereinbarung abgeschlossen. Bei den sekundären Endpunkten traten bezüglich der Veränderung des FEV<sub>1</sub>%Soll hochsignifikante Unterschiede (p≤0,001) zwischen IG und KG auf. In der IG stabilisierte sich der FEV<sub>1</sub>%Soll im Median, in der KG kam es zu einer Verschlechterung. Bezüglich des BMI gab es keine signifikanten Unterschiede zwischen der IG und der KG. Der Effekt des stabilisierten bzw. verschlechterten FEV<sub>1</sub>%Solls zeigte sich insbesondere in der Gruppe der 12-17-Jährigen (Median: IG: 4,6%; KG: -9,0%; p<0,001). Bei den psychologischen sekundären Endpunkten fanden sich signifikante Unterschiede zugunsten der IG in der psychischen Belastung (Angst, Depressivität) der >13jährigen Patientinnen und Patienten und der Eltern minderjähriger Patientinnen und Patienten, während sich kaum Unterschiede in der Lebensqualität von Patientinnen und Patienten und Eltern zeigten. Weiterhin berichteten die Ärztinnen und Ärzte der Interventionsambulanzen über eine signifikant geringere sekundäre Stressbelastung als ihre Kolleginnen und Kollegen der Kontrollambulanzen wie auch der anderen Berufsgruppen der Interventionsambulanzen.

Die Einführung einer manualisierten psychosozialen und psychologischen Betreuung von Patientinnen und Patienten mit CF erwies sich in mehreren gesundheitlichen und psychologischen Dimensionen als vorteilhaft. Insbesondere konnten Verbesserungen des FEV<sub>1</sub>%Solls und der Angstsymptomatik gezeigt werden. Darüber hinaus war die individuelle Behandlungsvereinbarung ein geeignetes Instrument für das Selbstmanagement der Patientin bzw. des Patienten und die gezielte Behandlungssteuerung durch ein multiprofessionelles Behandlungsteam. Die Ergebnisse wären durch geringe Anpassungen im Manual auf andere seltene, möglicherweise aber auch häufige chronische Erkrankungen übertragbar. Leider konnte zu der Kostenentwicklung keine klare Aussage getroffen werden. In Zukunft sollten Studien dieser Art in direkter Zusammenarbeit mit den Kostenträgern durchgeführt werden, um eine wirkliche und keine subjektive Kostenaufstellung zu erhalten.

## 5. Umsetzung der Ergebnisse durch das BMG

Das Projekt fügt sich in die Aktivitäten des BMG zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen ein. In dem im August 2009 veröffentlichten BMG-Forschungsbericht „Maßnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland“ wurde die psychosoziale Betreuung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen von drei Viertel der Befragten als ausgeprägter Mangelbereich eingeschätzt. Das vorliegende Projekt liefert Hinweise darauf, dass die Anwendung eines patienten-zentrierten psychosozialen Versorgungsprogramms zu einer höheren Qualität der Versorgung führt und sich positiv sowohl auf die physische als auch auf die psychische Gesundheit auswirkt. Die Ergebnisse werden in die Arbeit des Nationalen Aktionsbündnisses für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) einfließen.

## 6. Verwendete Literatur

- NÄHRLICH, L. (Hrsg.), BURKHART, M., WOSNIOK, J. (2018). Deutsches Mukoviszidose-Register: Berichtsband 2017. Bonn: Mukoviszidose e.V.
- PFAFF, H., ALBERT, U.S., BORNEMANN, R. ET AL. (2009). Methoden für die organisationsbezogene Versorgungsforschung. Gesundheitswesen, 71, 777-90.
- QUITTNER, A.L., BUU, A., MESSER, M.A., WATROUS, M. (2005). Development and validation of The Cystic Fibrosis Questionnaire in the United States: a health-related quality-of-life measure for cystic fibrosis. Chest, 128, 2347-54.
- ROSENFELD, M., DAVIS, R., FITZSIMMONS, S., PEPE, M., RAMSEY, B. (1997). Gender Gap in Cystic Fibrosis Mortality. American Journal of Epidemiology, 145 (9), 794-803.
- SCHECHTER, M. & GUTIERREZ, H. (2010). Improving the quality of care for patients with cystic fibrosis. Current Opinion in Pediatrics, 22, 296-301.