

Patient Experience Data und die Verbesserung medizi- nischer Intervention



Die Entwicklungszeiten eines Medikamentes sind lang und kostenintensiv. Zahlreiche Strategien wurden in der Vergangenheit vorgestellt, wie Entwicklungszeiten und -kosten in der Pipeline einer Therapieneu- oder -weiterentwicklung reduziert werden können. Zusätzlich zur Optimierung der klinischen Entwicklung zugunsten einer schnelleren Zulassung des Arzneimittels steht über allem der Nutzen für den Patienten im Vordergrund. Ziel dieser Patientenfokussierung ist es, den Marktzugang und den flächendeckenden Einsatz von innovativen sowie weiterentwickelten Therapeutika zu beschleunigen. Eine verstärkte Sichtbarkeit des Therapienutzens unterstützt diese Bestrebung. Hierfür muss der Erfolg der neuen und/oder besseren Intervention am Patienten gemessen und dargestellt sein.

Einzelchicksale der Patienten entscheiden

Patientenzentrierung kommt leicht über die Lippen, wenn man an Gesundheitsversorgung oder auch Präventivmaßnahmen denkt, zumal im Mittelpunkt des Handelns von Pharmazie, Medizin, Pflege und Versorgung stets das Outcome der Patienten steht. Doch in der Realität haben die Hersteller von Therapieinnovationen nicht immer einen direkten Zugang zu Patienten im Versorgungsalltag und so kann bei der Wirkstoffentwicklung die Meinung der Patienten zu meist nicht in den Prozess einfließen. Weiterhin steht während den klinischen Prüfungsphasen von Wirkstoffen oder neuen Therapieoptionen die stark formalisierte und technokratische Beurteilung von Ärzten und Gutachtern im Mittelpunkt nach zuvor definierten Forschungszielen. Es existieren häufig nur standardisierte und validierte Fragebögen zur Quality of Life (QoL) des Patienten im Rahmen des Studienprotokolls.

Im realen Versorgungsalltag und nach vielen Jahren an Forschungs- und Entwicklungsarbeit treten dann Themen der Compliance auf: Patienten brechen trotz nachgewiesener Wirksamkeit und Sicherheit die Therapie ab. Oder Patienten entscheiden sich trotz einer klaren Arzt Empfehlung gegen oder für eine andere Therapie. Die Gründe des Patienten zum Therapieabbruch oder Wechsel des Behandlungspfades und weitere Faktoren, die die Therapiepersistenz beeinflussen, werden oftmals nicht erfasst. Hinzu kommt, dass beispielsweise Patienten mit Seltenen Erkrankungen oder als weiteres Beispiel Jugendliche, die unter chronischen Erkrankungen lebenslang leiden, Anforderungen an die Therapien stellen, die im Rahmen des Studienprotokolls nicht erfasst werden. Diese zusätzlichen Anforderungen werden auch in den gängigen, verfügbaren Disease Management Programmen nach denen Ärzte zu handeln angehalten sind, kaum eruiert und Programme zur Unterstützung dieser Patienten werden vernachlässigt. IQVIA führte kürzlich in den USA eine Umfrage durch zum Thema: Wie gut werden Menschen mit Seltenen Krankheiten unterstützt? 60 Prozent der Antworten lautete „überhaupt nicht“ und nur zwei Prozent sind der Meinung, diese Patienten wären gut gestützt.

Es sind Aspekte des Behandlungsalltags wie diese, die bisher nur unzureichend in den Entwicklungsprozess von Therapien aufgenommen wurden, obgleich gerade sie die Mitverursacher des Szenarios vom Behandlungsabbruch sind. Die wirklichen Bedürfnisse von Patienten fließen kaum in die Therapie(weiter)entwicklungen ein. Die Erfassung der Gründe von Therapieabbrüchen- und wechseln sind aufwendig. Individuelle Patientenerfahrungen müssten hier-

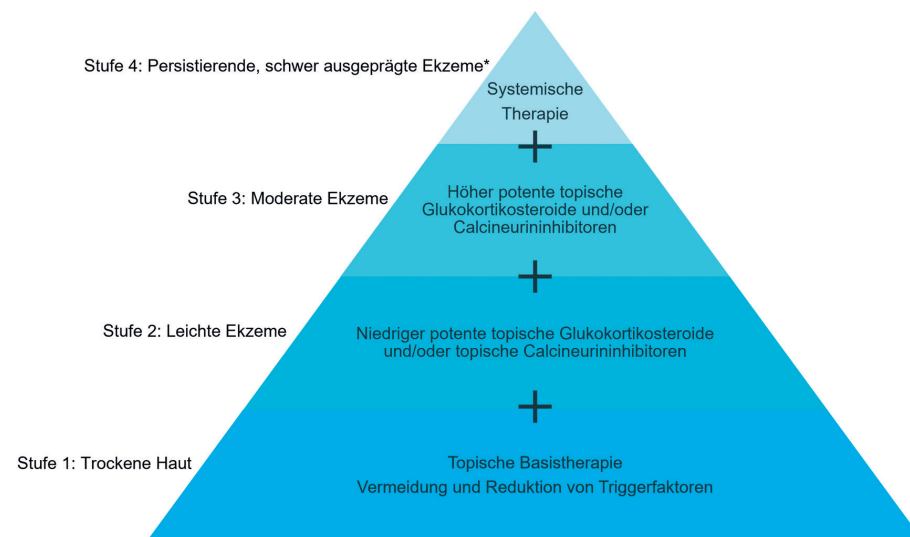


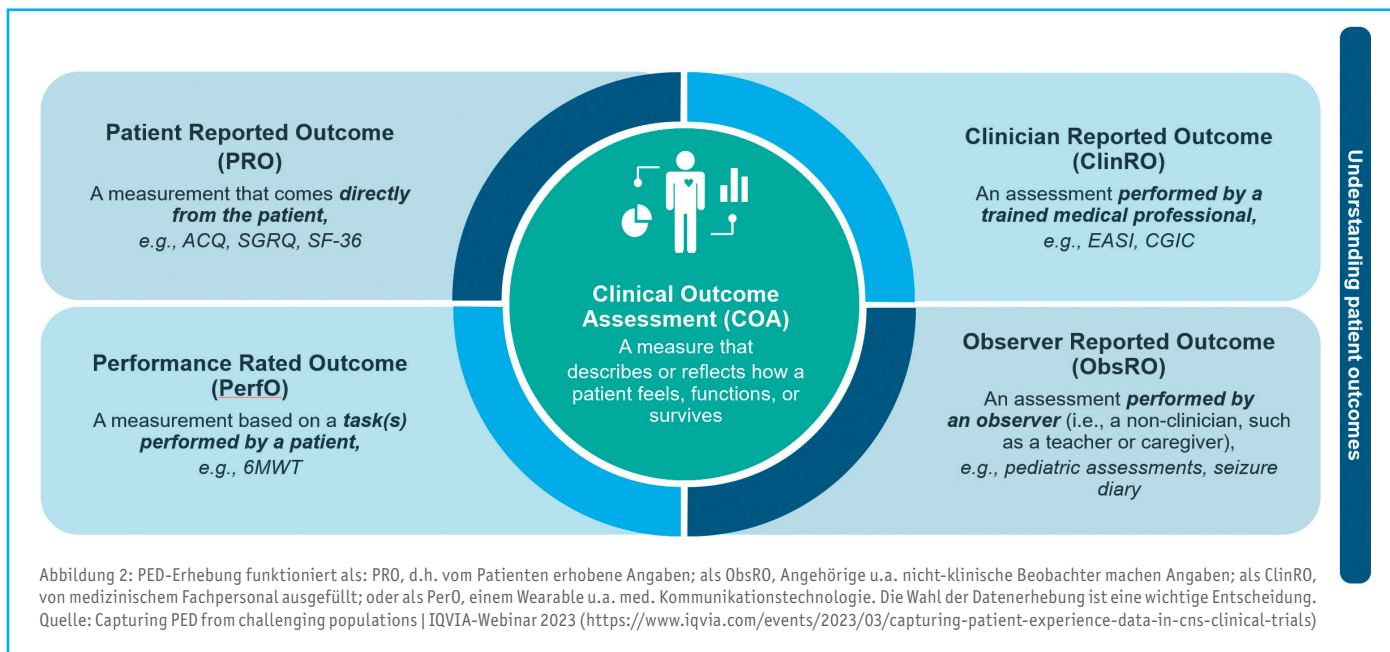
Abbildung 1: Stufentherapie bei atopischer Dermatitis oder Ekzemen, die mit topischen Maßnahmen nicht ausreichend behandelbar sind (vgl. LLP Onkologie 2020). Quelle: IQVIA

für herangezogen, strukturiert beschafft und schließlich valide ausgewertet werden. Weiterhin müsste dies systematisch für all die vielen Entwicklungsstadien eines Krankheitsprozesses geschehen. Um echte Patientenfokussierung zu realisieren, bedarf es des Anhörens der einzelnen Patienten in seiner Patientenhistorie: Krankheitsprozesse sind stets individuelle Verläufe. Arzneimittel- und Medizintechnikhersteller, Ärzte und Pflegende stellt dies gleichermaßen vor Herausforderungen. Wie erfasst man diese Patienteninformationen und wie können die Vielzahl an Daten zu Erfahrungen und -bedürfnissen analysiert werden?

Die Strategie muss mehrgleisig sein. Am Fallbeispiel der Disease Management Programme zeigt sich, dass das Nichteinhalten von Behandlungsplänen eine große Herausforderung darstellt. Viele Behandlungen und vorgegebene Therapiepfade scheitern, weil die Umsetzung des Pfades ohne weitere Hilfestütze kaum realisiert werden kann. Kein Wunder also, dass bei der gleichnamigen IQVIA-Umfrage zu den Seltenen Erkrankungen und Langzeiterkrankungen herauskam, dass 90 Prozent der Befragten in Patienten-Support-Programmen (PSP) eine sehr gute Hilfestellung sehen, um die Betroffenen und auch die Angehörigen zu begleiten. Die Umfrage zeigt, es besteht ein realer Bedarf am Design von Patienten-Support-Programmen. Sie helfen, die Adhärenz und Therapiepersistenz zu verbessern, was das gesamte Gesundheitssystem personell und finanziell entlastet. Ein gut geplantes und leicht umzusetzendes PSP ermöglicht eine Patientenzentrierung auf einem neuen Niveau.

Ein guter Begleiter beobachtet: PSP und mehr

Der Blick ins WorldWideWeb (WWW) zeigt, nie gab es so viele digitale Gesundheitsangebote wie heute und das Patientenwissen über das eigene Krankheitsbild ist weitaus größer als in älteren Generationen. Der Patient ist dadurch über sein Krankheitsbild umfassend informiert und seine Rolle als Stakeholder in der Wertschöpfungskette der Gesundheitsindustrie hat sich gewandelt, ist herangereift. Wie die Entwickler von Therapieinnovationen mit diesem neuen Patientenbewusstsein adäquat umgehen sollten, wurde von IQVIA im sogenannten RISE Framework verargumentiert (Recognize, Investigate, Study, Explore): Ein Krankheitsfall beginnt mit der Wahrnehmung erster Symptome und diese werden dann in Laieninformationsangeboten vom Patienten recherchiert. Die Betroffenen sprechen mit Freunden und Familie intensiv über die gesammelten Informationen, gegebenenfalls tauschen sie sich auch mit Betroffenengruppen und -foren aus und irgendwann entschließen sie sich dann zur Konsultation eines Arztes. Vorausgesetzt sie wissen, wie und wo und wann sie einen (Fach-)arzt erreichen. Nach der Diagnostik entscheidet bei diesen informierten Patienten (Informed Patient) nicht mehr allein der Arzt über den Behandlungspfad, sondern es kommt im Idealfall zu einer gemeinsamen Entscheidungsfindung (Shared Decision-Making). Es handelt sich um einen gemeinschaftlichen Prozess, bei dem ein Arzt den Patienten dabei unterstützt, eine Entscheidung über seine Behandlung zu treffen. Das Fachwissen des Arztes, z. B. über Behandlungsmöglichkeiten, Evidenz, Risiken und Nutzen von Behandlungsoptionen wird mit den Präferenzen, persönlichen Umständen, Zielen, Werten und



Understanding patient outcomes

Überzeugungen des Patienten iteriert. Offensichtlich ist, dass in dieser gemeinsamen Entscheidungsfindung überall Stolpersteine liegen, sei es bei dem Informationsangebot und dessen Qualität sowie bei dem Eintritt in eine Versorgungsstruktur samt deren Eigenheiten. Hinzu kommt, dass das Empfinden und die Erfahrungen der Betroffenen und auch Angehörigen sich bei Rückfrage nach dem Erlebten nochmals um ein Vielfaches bunter und komplizierter darstellen. Spricht man Patienten auf ihren Krankheitsfall an, wird ein ganzes Arsenal an Situationen und Geschehnissen besprochen. Dass dieses Erlebte sich nachhaltig auf die Adhärenz und Persistenz auswirken, wird in den medizinischen Fachdisziplinen und der Versorgungsforschung immer häufiger diskutiert. Für Markteintritte von Therapieinnovationen bedeutet das, dass die Initiatoren der Innovation ein möglichst genaues und transparentes Bild dieser Patientenhistorien (Patient Journey) erhalten sollten. Es gilt, die Herausforderungen im Behandlungs- und Patientenalltag besser kennenzulernen. Diese Erkenntnisse dienen dazu, die bislang noch nicht oder nur unzureichend adressierten Herausforderungen des Krankheitsbildes aus Sicht des Patienten und für den Therapieerfolg schließlich bereitgestellt wird, zu berücksichtigen. Die Arbeit an der Optimierung von Adhärenz und Persistenz sollte der Optimierung des Wirkstoffes oder der Technologie, die der Therapie zugrunde liegt, gleichgestellt werden. Nur so lassen sich langfristig erfolgreiche Fortschritte und auch Marktbeständigkeit für ein Medizinprodukt generieren. Die Erfassung der Aussagen und Erfahrungen des Patienten im Behandlungspfad sind somit

Fallbeispiel 1: Die atopische Dermatitis ist eine weit verbreitete, chronisch-entzündliche und bislang noch nicht heilbare Hauterkrankung mit wiederkehrenden, nässenden Ekzemen und starkem Juckreiz. Das klinische Bild ist heterogen, was die eindeutige Diagnostik deutlich erschwert. Betroffene mit schwerem Krankheitsverlauf fühlen sich stigmatisiert, so dass insgesamt ihre Lebensqualität durch physische und psychische Symptome deutlich beeinträchtigt ist. Die Behandlung erfolgt nach einem Stufenschema basierend auf dem Schweregrad der Erkrankung (s. Abbildung 1). Was dies für die Patient Journey eines Dermatitis-Patienten bedeutet, ist eingängig: Die Patienten suchen während ihres individuellen Krankheitsverlaufs nach Informationen und Austauschmöglichkeiten. In jedem Krankheitsstadium und jedem Behandlungsschritt treten neue Situationen auf. Der Kommunikations- und Austauschbedarf ist groß und stellt in seiner Gesamtheit zugleich einen wertvollen Fundus dar, um die Therapien der atopischen Dermatitis besser an reale Patientenbedürfnisse anzupassen.

ein zentraler Baustein in der Patientenzentrierung. Als Patient Experience Data (PED) werden alle diese Informationen zusammengefasst, die der Patient während seiner Berührungspunkte in der individuellen Behandlungsgeschichte

sammelt (Patient-Reported Outcome, PRO). Je nachdem, ob seine initialen Erfahrungen positiv oder negativ waren, wird die Einstellung, der Glaube und die Erwartungshaltung geprägt. Gerade wenn die Erwartungshaltung erfüllt wird, wenn die Ängste der Patienten gut gemanagt werden und wenn die persönlichen Belange wichtig genommen werden, dann kann dies das Ergebnis der Behandlung wiederum positiv beeinflussen, und die Therapie wird erfolgreich. Angesichts der Tatsache, dass geografische, kulturelle, demografische und auch geschlechtsspezifische Empfindungen noch zu den persönlichen Beurteilungen hinzugefügt werden, ist schnell klar, dass patientenzentrierte Therapien auf einem Füllhorn von Patienteninformationen basieren. Das alles ist PED.

Erfasst werden diese Informationen bspw. während klinischer Prüfphasen und/oder durch die Patienten selbst, Familienangehörige, Pfleger und jegliche Organisationseinheiten, die in der Patientenbetreuung und -kommunikation involviert sind. Strukturiert erfasst werden die Informationen mittels quantitativer oder qualitativer Fragebögen, bzw. einem gemischten Fragebogen, der verschiedene Situationen der Patient Journey abfragt.

Als besonders zielführend sind für die Datenerhebung die Clinical Outcome Assessments (COAs) als PED-Erfassungsinstrument zu nennen. Sie helfen bei Situationen, wie bspw. dem Umstand, wie PED erfasst werden kann, wenn die Patienten nicht selbstständig teilhaben können (s. Abbildung 2).

Sehr wertvoll ist PED übrigens für die neuen Behandlungsmöglichkeiten, wie den Gentherapien, CAR-T-Cell-Immuntherapien oder auch für die neu etablierten mRNA-Impfstoffe à la COVID-19. Diese Medizininnovationen verändern das übliche Behandlungsparadigma und PED von ihnen ist konsequenterweise interessant, um die neuen Behandlungspfade und -optionen bestmöglich im Sinne der Patienten zu evaluieren und um die zumeist teuren, neuen Behandlungsmöglichkeiten auch langfristig am Markt zu etablieren. Denn auch diese Therapien werden letztendlich aufgrund von Adhärenz und Persistenz von den Patienten evaluiert.

Fallbeispiel 2: Für die trockene Makula-Degeneration („Altersblindheit“) gibt es im Gegensatz zur feuchten Makula-Degeneration bisher keine Therapie, die Betroffenen erblinden in einem jahrelangen Prozess des schleichenden Sehverlustes. Ursache ist eine Stoffwechselstörung der Netzhaut, durch die die lichtempfindlichen Sehzellen nach und nach während einer Immunüberschussreaktion absterben. Wie der Sehverlust von den Patienten erlebt wird, wissen weder Ophthalmologen noch Forscher, die weltweit nach einer medikamentösen Therapie für diese Volkskrankheit Ausschau halten. Da die vielversprechendsten Ansätze einer möglichen Arzneimitteltherapie sich auf das Verlangsam der Progression der Makuladegeneration fokussieren, muss in die FuE-Arbeiten die Patient Journey des Sehverlustes eingebunden werden. Dies geschieht derzeit mithilfe von IQVIA Survey-Tools (s. Abbildung 3).

Fazit:

Hersteller und Entwickler von neuen Therapien und Therapieerweiterungen können bei richtiger Anwendung von Patient Experience Data die Patienten besser verstehen und entwerfen damit stark patientenorientierte Therapiekonzepte, deren Wirksamkeit und Nutzen von den Betroffenen artikuliert werden und wissenschaftlich validiert sind. Hat der einzelne Patient einen besseren Nutzen, ergeben sich wiederum Vorteile für Hersteller und Entwickler bei der Genehmigung, Kostenerstattung der schnell größer werdenden klinischen Verwendung der neuen Therapie.

Quellen werden auf Anfrage von den Autoren zur Verfügung gestellt.


Methodology: qualitative patient interviews

Key findings

Study sample 19  

Patients (50+ yo)

- HCP-confirmed diagnosis of GA secondary to dry AMD in at least one eye
- A known visual acuity score (self-reported or confirmed by an HCP)
- Moderate or severe visual impairment in the affected eye(s)*

- One-on-one **telephone interviews** with patients 
- The VISSA-10 was **verbally** administered to patients to evaluate comprehensiveness and comprehensibility
 - In a typical interview setting, visual stimuli with PRO items and response options are screenshared with the participant
 - Here, the moderator adjusted the technique to read out the item and frequently repeat the response options to the participant
 - Additional time was budgeted to allow for this fully verbal administration of the instrument

- ✓ Concepts most frequently reported and most bothersome included:
 - Poor light adaptation
 - Blurred vision
 - Difficulty reading and driving
- ✓ Moderators highlighted the emotional nature of the interviews with patients reflecting on their visual impairment
- ✓ The VISSA-10 is suitable for assessing the experience of patients with GA:
 - It covered all salient symptoms
 - It was clear and easy to understand
- ✓ Next steps:
 - Conduct quantitative validation
 - Find solutions for PRO implementation in clinical trials (e.g., in clinic implementation with clinicians reading out items to patients or eCOA approach)

Abbildung 3: PED-Erhebung zum Patient-Reported Outcome bei Patienten, die an trockener Makula-Degeneration leiden. Der Survey zielt auf dem Erfassen des (Noch-)Sehvermögens ab. Die Ergebnisse der Erhebung fließen unmittelbar in weiterführende Studien einer Therapieentwicklung ein. Quelle: Capturing PED from challenging populations | IQVIA-Webinar 2023 (<https://www.iqvia.com/events/2023/03/capturing-patient-experience-data-in-cns-clinical-trials>)



■ Serap Becker
Principal Patient Engagement
IQVIA
Serap.Becker@IQVIA.com



■ Dr. Louisa Luther
Mgr. Business Development
Real World Insights
IQVIA



■ Dr. Stefan Plantör
Senior Principal
Real World Solutions
IQVIA