WERKSTATTBLICK VISIBL – VORSCHLÄGE FÜR DIE BESSERE NUTZUNG VON VERSORGUNGSDATEN FÜR MENSCHEN MIT SELTENEN ERKRANKUNGEN AM BEISPIEL DATRAV

Gothe H [1,2,3], Ohlmeier C [1], Minnis N [4], Temme T [4]

[1] **IGES Institut**, Berlin, Deutschland; [2] **Lehrstuhl Gesundheitswissenschaften / Public Health, Medizinische Fakultät TU Dresden**, Dresden, Deutschland; [3] **Department für Public Health, Versorgungsforschung und Health Technology Assessment, UMIT,** Hall in Tirol, Austria; [4] **Shire Deutschland** (jetzt Teil der **Takeda Group**), Berlin, Deutschland

Hintergrund und Erkenntnisinteresse

Um die Versorgung von Menschen mit Seltenen Erkrankungen (SE) zu verbessern, bedarf es Daten zur Versorgung. Versorgungsprobleme wie die „diagnostische Odyssee“ müssen empirisch verstanden werden, um sie effektiv zu adressieren. Statistische Daten zur Erkrankung und ihrer Behandlung können Diagnose und Therapie verbessern. Insbesondere Intensität und Dauer des „Diagnostic Delay“ sind für betroffene Personen und ihre Angehörigen von zentraler Bedeutung und müssen daher verstärkt in den Fokus wissenschaftlicher Untersuchungen rücken. Um dem Rechnung zu tragen, sollte dieses wichtige Themenfeld mit dem hier vorgestellten Studienkonzept unter dem Dachbegriff „VISIBL Patient Journey“ beleuchtet werden. Dabei ist eine unmittelbare Kontaktaufnahme mit den Betroffenen notwendig, um die Tragweite einer entscheidenden Phase der Krankheitshistorie in Ihrer kompletten Länge abbildbar zu machen.

Methodische Zugänge

Zwei wesentliche Arten der Generierung von Wissen und Daten zur Versorgung, die typischerweise von der Versorgungsforschung genutzt werden, sind: 1) Befragung von Patient/inn/en; 2) Analyse von Prozessdaten, die routinemäßig im Gesundheitswesen anfallen, so genannte Real World Data (RWD). Das VISIBL-Projekt zeichnet sich dadurch aus, dass diese beiden empirischen Zugangswege am Beispiel von drei SE kombiniert werden: Morbus Fabry, Morbus Gaucher und Morbus Hunter .

Die umfangreiche Patient/inn/enbefragung erfolgte in Form von Telefoninterviews. Es wurden insgesamt n=150 Patient/inn/en rekrutiert, die durch ihre Ärzte, durch Selbsthilfeorganisationen oder Heimtherapieanbieter auf die Studie aufmerksam gemacht worden waren. Die Telefoninterviews wurden anhand eines strukturierten Interviewleitfadens geführt und quantitativ ausgewertet.

Für die Analyse von RWD werden Daten aus der Versorgungsroutine genutzt. Solche Daten haben, wenn sie von einzelnen Krankenkassen stammen, im Falle von SE oftmals den Nachteil, dass die Fallzahlen zu gering sind, um robuste Analysen anzufertigen. In VISIBL kommt daher ein Datenbestand zum Einsatz, der im Zuge der Datentransparenzverordnung als neue Forschungsdatengrundlage entstanden ist: die so genannten DaTraV-Daten. Dieser vom Gesetzgeber speziell für die Versorgungsforschung vorgesehene Datensatz umfasst 70 Millionen GKV-Versicherte, die pseudonymisiert über fünf Jahre untersucht werden können. Zwar ist der Informationsumfang des DaTraV-Datensatzes etwas reduziert (vgl. Abb. 1 und Abb. 2), gleichwohl bietet er aufgrund des kompletten Gehaltes aller GKV-Versicherten Deutschlands eine ausgesprochen attraktive Datengrundlage.

Abb 1: Struktur und Gehalt eines typischen GKV-Datensatzes

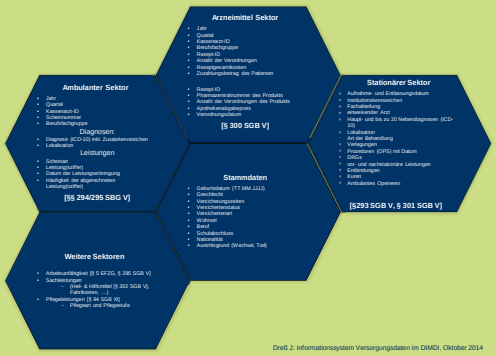
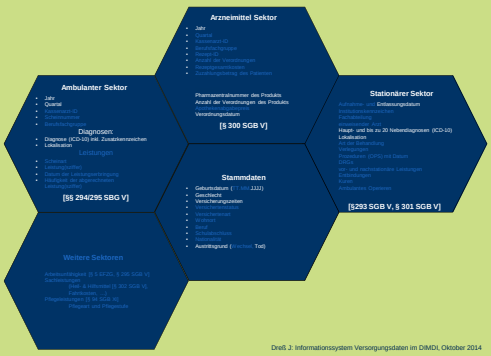


Abb 2: Struktur und Gehalt des DaTraV-Datensatzes



Erzielte Ergebnisse

Während die Befragungsstudie mit 150 Patient/inn/en trotz des hohen Durchführungsaufwandes 2018 erfolgreich abgeschlossen werden konnte (Veröffentlichung in Vorbereitung), konnten im Rahmen der a priori unkompliziert erscheinenden, bereits 2016 angestoßenen Auswertung des DaTraV-Datensatzes noch keine Ergebnisse ermittelt werden. Der Analyseprozess befindet sich inzwischen in seinem vierten Jahr.

Die begonnenen Analysen populationsbezogener Daten lmachen schon jetzt deutlich, dass allumfassende Datensätze wie die DaTraV-Daten aufgrund ihrer schieren Größe Varianz innerhalb eines Referenzbereiches zulassen und auf diese Weise einen wahrnehmbaren Benefit für einzelne Betroffene generieren. Damit bietet der DaTraV-Datensatz für die Erforschung von SE in Deutschland nicht nur eine riesige Chance, die mit VISIBL zum ersten Mal aufgegriffen wird, sondern ist aufgrund seiner Vollerfassung aller GKV-Versicherten auch ohne Alternative.

Gleichwohl treten die Limitationen deutlich zutage: Die Daten sind zwar vorhanden, die institutionelle Einfassung ist jedoch nicht optimal. Infolge eines aufwendigen Genehmigungsverfahrens ist die Datennutzung mit Wartezeiten von mehreren Jahren verbunden. Zudem sind bei SE die Ergebnismengen oft kleiner als die aus Datenschutzgründen geforderte Zellmindestbesetzung.

Schlussfolgerungen

Das VISIBL-Projekt ist aufgrund seines empirischen Ansatz höchst innovativ. Dennoch gibt es viel Raum für Optimierungen, vor allem an der Datenfront. Prozesse und Standards, wie z. B. Antragsverfahren für Protokolländerungen oder Zellmindestbesetzungen, sind bisher auf häufige Erkrankungen ausgelegt. Die Untersuchung von SE erfordert in diesen Punkten Anpassungen sowie mehr Dialog und eine spezifische SE-Kompetenz bei den Institutionen.

Es lassen sich folgende Handlungsoptionen und Forderungen ableiten: Alternative Akkreditierungsverfahren (beispielsweise ein „Datenführerschein“) und Genehmigungsprozesse erscheinen dringend geboten, idealerweise gestützt durch einen Beirat mit ausgewiesener SE-Expertise und Priorisierungskompetenz unter Festlegung verbindlicher Bearbeitungsfristen. Das Vorhandensein von Daten allein reicht offensichtlich nicht aus; eine Meta-Digitalkompetenz muss erlangt werden – in Kombination mit einer Meta-Kompetenz für SE. Die Vulnerabilität dieser Patientenpopulation rechtfertigt auch hier besondere Anstrengungen.

Danksagung

Das VISIBL-Projekt sowie diese Posterpräsentation wurden finanziell gefördert von der Shire Deutschland GmbH (jetzt Teil der Takeda Group), Berlin, Deutschland.