



Universitätsklinikum
Hamburg-Eppendorf

CVderm



Competenzzentrum Versorgungsforschung
in der Dermatologie

Symposium „Kosten-Nutzen-Bewertung“

Berlin, 17. Juni 2008

Patientenrelevante Endpunkte nach SGB V – PRO Patient Reported Outcomes

Univ.-Prof. Dr. med. Matthias Augustin

Professur für Gesundheitsökonomie und Lebensqualitätsforschung

Hochschulambulanz für Wunden und chronisch-entzündliche Dermatosen

Patienten-relevante Endpunkte

KONTRA – O-Töne

„Lebensqualität ist gut,
leider kann man sie
nicht messen“

„In der Medizin müssen
wir nach objektiven
Fakten entscheiden“

„Wenn Patienten
entscheiden, muss die
Kasse am Ende noch
alles zahlen“

„Wir wissen besser,
was für den Patienten
auf Dauer wichtig ist“

„Soll dem Patienten
jetzt auch noch der
Capuccino bezahlt
werden, nur weil er die
Lebensqualität
verbessert?“

„Und was ist, wenn der
Patient nur ein
Rentenbegehren hat?“

„Weiche“ Endpunkte,
wie beispielsweise
Lebensqualität oder
Schmerzen, sind nicht
quantifizierbare
Größen.

Patienten-relevante Endpunkte

KONTRA – Zusammenfassung

- Methodische Probleme
- Kompetenzprobleme
- Hierarchische Probleme

Nutzen und Wirtschaftlichkeit im SGB V

„(1) Das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen kann nach § 139b Abs. 1 und 2 beauftragt werden, den Nutzen oder das Kosten-Nutzen-Verhältnis von Arzneimitteln zu bewerten. Bewertungen nach Satz 1 können für jedes erstmals verordnungsfähige Arzneimittel mit patentgeschützten Wirkstoffen sowie für andere Arzneimittel, die von Bedeutung sind, erstellt werden. Die Bewertung erfolgt durch Vergleich mit anderen Arzneimitteln und Behandlungsformen unter Berücksichtigung des therapeutischen Zusatznutzens für die Patienten im Verhältnis zu den Kosten. Beim Patienten-Nutzen sollen insbesondere die Verbesserung des Gesundheitszustandes, eine Verkürzung der Krankheitsdauer, eine Verlängerung der Lebensdauer, eine Verringerung der Nebenwirkungen sowie eine Verbesserung der Lebensqualität, bei der wirtschaftlichen Bewertung auch die Angemessenheit und Zumutbarkeit einer Kostenübernahme durch die Versichertengemeinschaft angemessen berücksichtigt werden. Das Institut bestimmt auftragsbezogen über die Methoden und Kriterien für die Erarbeitung von Bewertungen nach Satz 1 auf der Grundlage der in den jeweiligen Fachkreisen anerkannten internationalen Standards der evidenzbasierten Medizin und der Gesundheitsökonomie. Das Institut gewährleistet bei den auftragsgemäßen

Bundesrat

Drucksache 75/07

02.02.07

G - Wi

Gesetzesbeschluss
des Deutschen Bundestages

Gesetz zur Stärkung des Wettbewerbs in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV-Wettbewerbsstärkungsgesetz - GKV-WSG)

Kriterien der Nutzenbewertung

Mortalität

|

Morbidität

|

Lebensqualität

|

Therapiefolgen

... aus Patientensicht

Nutzenbegriff (1)

In der ökonomischen Theorie versteht man unter dem Nutzen das Maß für die Fähigkeit eines Gutes oder einer Gütergruppe, die Bedürfnisse eines wirtschaftlichen Akteurs (z.B. eines Haushaltes) zu befriedigen.

Nutzen ist somit ein Maß für Zufriedenheit und Glück.

Formal lässt sich dies mit der Nutzenfunktion darstellen:

$$\max_{C_1, C_2, \dots, C_n} U(C_1, C_2, \dots, C_n), \text{ s.t. } \sum_{i=1}^n P_i C_i \leq Y$$

$$NI_g = \sum_{i=1}^n \frac{w_i}{\sum_{j=1}^k w_j} e_i$$

Nutzenbegriff (2)

Beim Nutzen handelt es sich um Effekte einer Intervention, die in mehr als geringfügigem Ausmaß eine Verbesserung der Prognose und/oder der Symptomatik/Lebensqualität von Patienten ergeben.

Nutzenbegriff (3)

- Erfassung und Bilanzierung des Nutzen- und Risikopotentials
- in Bezug auf die Ziele der Krankenbehandlung
- in einer Methoden gleicher Zielsetzung vergleichenden Bewertung
- in Bezug auf patientenbezogene Endpunkte
- unter Alltagsbedingungen des gegebenen Versorgungssystems

Nutzendefinition

Nomenklatur

„Patienten-relevante Kriterien“ (Titel)

„Patienten-definierte Kriterien“

„Patienten-bezogene Endpunkte“

„Patient-reported Outcomes“

Fragestellungen

„Patienten-relevante Nutzenkriterien“

- Wer definiert die Relevanz ?
 - Wer bewertet den Nutzen?
 - Wie werden die Nutzen gemessen ?
 - Wer bewertet relevante Unterschiede ?
- } Patient ?
 } Arzt ?
 } Gesellschaft ?
 } IQWiG?
 } GBA ?

Wer kann den Therapienutzen
bewerten ?

Nutzenbewertung in der Medizin:

Patientensicht

versus

Arztsicht

Vergleichsstudie Therapienutzen aus Patientensicht versus Arztsicht

„Frage: Nach welchen der nachfolgenden Therapiezielen würden Sie persönlich den Nutzen eines Arzneimittels bewerten?“

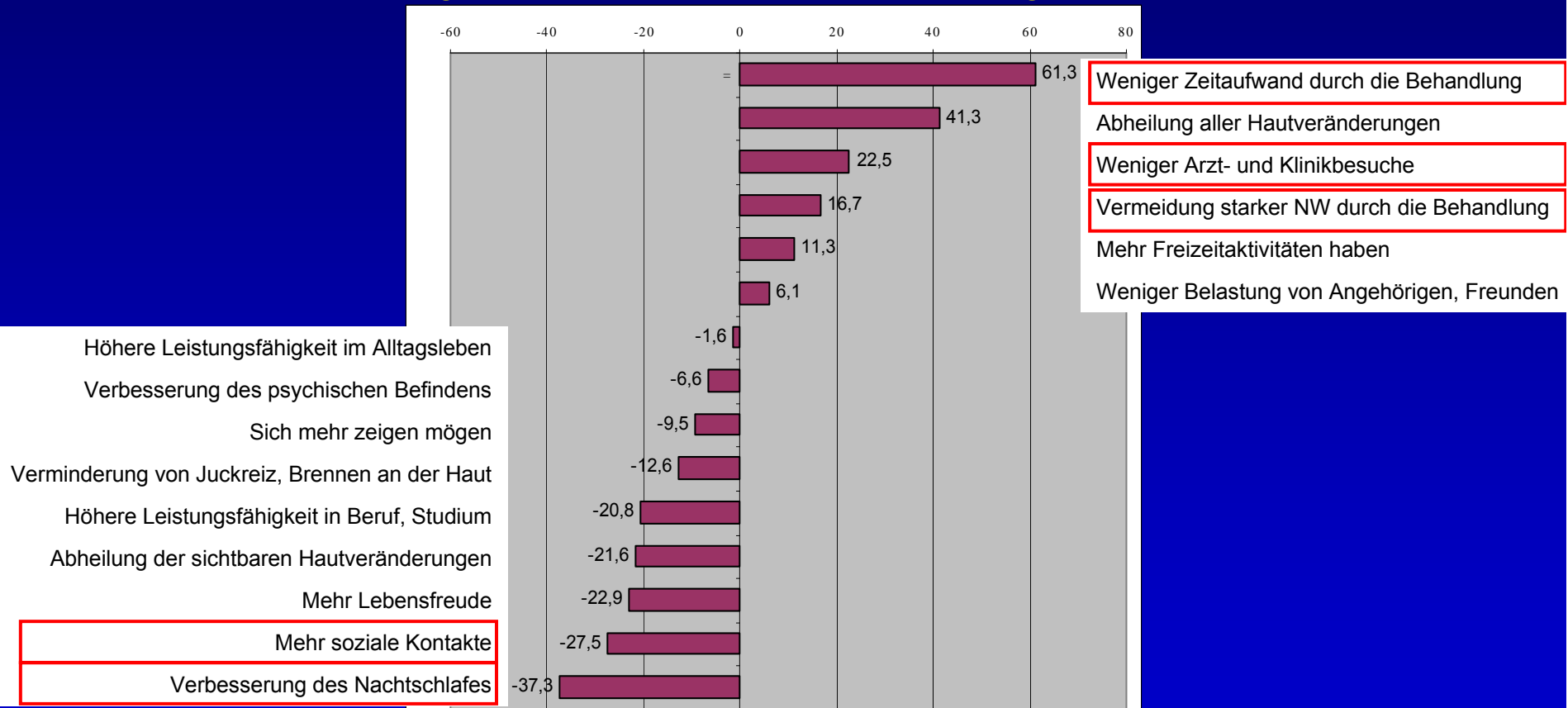
- A Abheilung aller Hautveränderungen
- B Abheilung der sichtbaren Hautveränderungen
- C Verminderung von Juckreiz und Brennen an der Haut
- D Verbesserung des Nachtschlafes
- E Vermeidung starker Nebenwirkungen durch die Behandlung
- F Höhere Leistungsfähigkeit im Beruf, Studium oder Schule
- G Höhere Leistungsfähigkeit im Alltagsleben
- H Mehr soziale Kontakte
- I Sich mehr zeigen mögen
- J Mehr Freizeitaktivitäten haben
- K Weniger Belastung von Angehörigen und Freunden
- L Mehr Lebensfreude
- M Verbesserung des psychischen Befindens
- N Weniger Zeitaufwand durch die Behandlung
- O Weniger Arzt- und Klinikbesuche

Nutzenliste von n=15 Items nach offener Erhebung an n=200 Patienten

Therapienutzen Dermatologen vs. Patienten

Ergebnisse für Psoriasis (je n=100)

Mehrnennungen Mediziner -- Mehrnennungen Patienten



- Differenz der Nennungen von Patienten mit Psoriasis vs. Medizinern über Prioritäten der Therapieziele (%; Fünffachnennungen möglich)

Fazit:

Der patientenseitige Nutzen kann nur
vom Patienten verlässlich bewertet werden.

„Objektivität“ der Lebensqualität







Beispiel Schmerz

Please point to the number that best describes your pain.

0 1 2 3 4 5 6 7 8 9 10

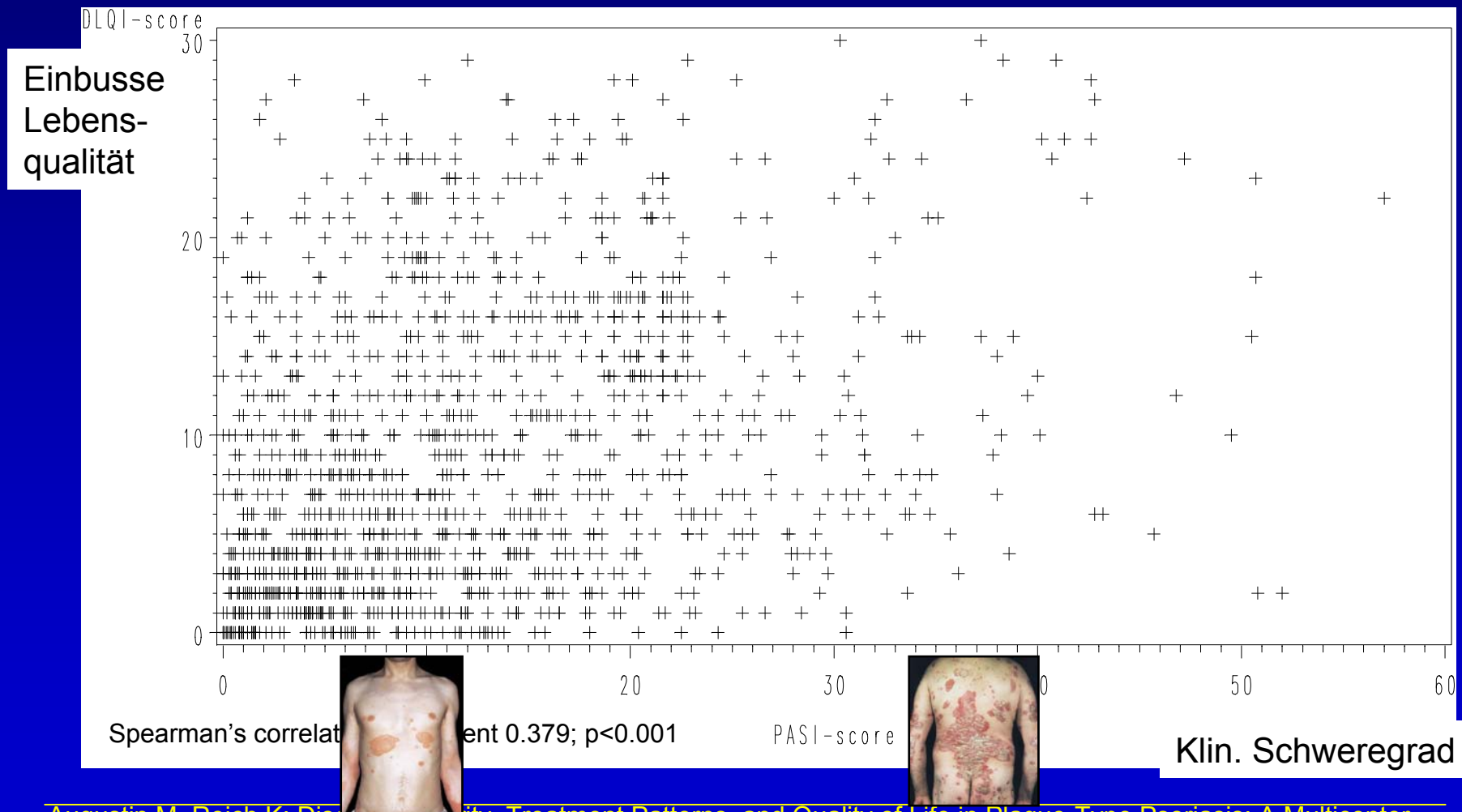
No pain Terrible pain

Reprinted from Pain Clinical Manual, Second Edition, Margo McCaffery, RN, MS, FAAN, Chris Pasero, RN, MSNc, Chapter Three - Assessment, page 68, Copyright © 1999, with permission from Elsevier.

Schmerz- Skala		
Kein Schmerz	0	
	1	
Leichter Schmerz	2	
	3	
Nagender, unangenehmer Schmerz	4	
	5	
Beeinträchtigender Schmerz	6	
	7	
Intensiver schrecklicher Schmerz	8	
	9	
Schlimmst möglicher unerträglicher Schmerz	10	

„Objektivität“ der Lebensqualität

Zusammenhang von Lebensqualität und klinischem Score
n=1.511 Patienten in dermatologischen Praxen



Augustin M, Reich K: Disease Severity, Treatment Patterns, and Quality of Life in Plaque-Type Psoriasis: A Multicenter Prospective Cross-Sectional Study. Submitted 2006

Fazit:

Patientenseitige Belastungen und potentielle

Therapienutzen sind oftmals nicht durch

eine „objektiven Befund“ vorhersagbar

Patient-reported Outcomes



U.S. Food and Drug Administration



[FDA Home Page](#) | [Search FDA Site](#) | [FDA A-Z Index](#) | [Contact FDA](#) | [FDA Centennial](#)

FDA Consumer magazine
November-December 2006

[Email this Page](#)
[To a Friend](#)

The Importance of Patient-Reported Outcomes ... It's All About the Patients

- [How Do PROs Differ from Other Outcomes?](#)
- [Why Is the FDA Interested in PROs?](#)
- [Why Use PROs?](#)
- [PROs and Quality](#)
- [Drug Approvals Based on PROs](#)
- [Types of PRO Instruments](#)
- [FDA Guidance](#)
- [Better PRO Measurement](#)
- [Beyond Clinical Trials](#)

By Linda Bren

A patient-reported outcome (PRO) is a measurement of any aspect of a patient's health status that comes directly from the patient, without the interpretation of the patient's responses by a physician or anyone else.

How Do PROs Differ from Other Outcomes?
A visit to the doctor often includes a discussion of the patient's health status. All of these instruments are used to collect information about the patient's health status. But none of these instruments are used to collect information directly from the patients.

All of these instruments are used to collect information about the patient's health status. But none of these instruments are used to collect information directly from the patients.

Along with getting a physical examination, a patient's health status is often assessed by a physician. Along with getting a physical examination, a patient's health status is often assessed by a physician. Policy, but the information is often collected from the patient's responses to questions.

Along with getting a physical examination, a patient's health status is often assessed by a physician. Policy, but the information is often collected from the patient's responses to questions.

For example, a person with a heart condition would be asked about his or her ability to exercise. The patient would be given a heart failure classification, a widely recognized four-category description of the severity of exercise limitations that makes use of nonstandardized questions and has considerable room for judgment.

In these evaluations, the patients' own assessment of their well-being has not been ignored, but their reports have been interpreted by the physician.

Increasingly, however, information about symptoms and performance is being obtained directly from patients using structured questionnaires that are shown to give reproducible, meaningful, quantitative assessments of how patients feel and how they function—measures that are called PROs. The questionnaires used to collect this information are called PRO instruments.

„A patient-reported outcome (PRO) is a measurement of any aspect of a patient's health status that comes directly from the patient, without the interpretation of the patient's responses by a physician or anyone else.“

Patient-reported Outcomes - Beispiele

Patient



Zufriedenheit

Lebensqualität (HRQOL)

Schmerzen

Juckreiz

Depression

Subjektive Nutzen

Erlebte Nebenwirkungen

Patient-reported Outcomes

FDA

U.S. Department of Health and Human Services

[FDA Consumer magazine](#)
November-December 2006

- [How Do PROs Differ?](#)
- [Why Is the FDA Interested in PROs?](#)
- [Why Use PROs?](#)
- [PROs and Quality of Drug Approvals](#)
- [Types of PRO Instruments](#)
- [FDA Guidance](#)
- [Better PRO Measures](#)
- [Beyond Clinical Trials](#)

By Linda Bren

A patient-reported outcome (PRO) is a measure of how a patient feels, functions, and how well they are able to perform their daily activities. A visit to the doctor often includes a discussion about these things. All of these instruments are designed to help the doctor understand how the patient is doing. But none of these instruments are designed to be used by the patients. Along with getting a physical exam, the doctor will discuss the patient's symptoms and how they are affecting their daily life. For example, a person with a chronic condition like asthma or diabetes will be asked about how they are feeling and how they are able to perform their daily activities. In these evaluations, the doctor will use a PRO instrument to help them understand how the patient is doing. Increasingly, however, information about symptoms and performance is being obtained directly from patients using structured questionnaires that are shown to give reproducible, meaningful, quantitative assessments of how patients feel and how they function—measures that are called PROs. The questionnaires used to collect this information are called PRO instruments.

[Share this Page To a Friend](#)

Patient-reported Outcomes

Guidance for Industry **Patient-Reported Outcome Measures:** **Use in Medical Product Development** **to Support Labeling Claims**

DRAFT GUIDANCE

This guidance document is being distributed for comment purposes only.

Comments and suggestions regarding this draft document should be submitted within 60 days of publication in the *Federal Register* of the notice announcing the availability of the draft guidance. Submit comments to the Division of Dockets Management (HFA-305), Food and Drug Administration, 5630 Fishers Lane, rm. 1061, Rockville, MD 20852. All comments should be identified with the docket number listed in the notice of availability that publishes in the *Federal Register*.

For questions regarding this draft document contact Laurie Burke (CDER) 301-796-0700, Toni Stifano (CBER) 301-827-6190, or Sahar Dawisha (CDRH) 301-594-3090.

U.S. Department of Health and Human Services
Food and Drug Administration
Center for Drug Evaluation and Research (CDER)
Center for Biologics Evaluation and Research (CBER)
Center for Devices and Radiological Health (CDRH)

February 2006
Clinical/Medical

F:\S46081.doc
1/19/2006

Patient-reported Outcomes

*Contains Nonbinding Recommendations
Draft — Not for Implementation*

Table 4: Measurement Properties Reviewed for PRO Instruments Used in Clinical Trials

Measurement Property	Test	What is Assessed	FDA Review Considerations
Reliability	Test-retest	Stability of scores over time when no change has occurred in the concept of interest	Does the PRO instrument reliably measure the concepts it was designed to measure? Were appropriate reliability tests conducted? What was the quality of the evidence of reliability?
	Internal consistency	Whether the items in a domain are intercorrelated, as evidenced by an internal consistency statistic (e.g., coefficient alpha)	
	Inter-interviewer reproducibility (for interviewer-administered PROs only)	Agreement between responses when the PRO is administered by two or more different interviewers	
Validity	Content-related	Whether items and response options are relevant and are comprehensive measures of the domain or concept	Do items in the verbatim copy of the PRO instrument appear to measure the concepts they are intended to measure in a useful way? Have patients similar to those participating in the clinical trial confirmed the completeness and relevance of all items?
	Ability to measure the concept (also known as construct-related validity; can include tests for discriminant, convergent, and known-groups validity)	Whether relationships among items, domains, and concepts conform to what is predicted by the conceptual framework for the PRO instrument itself and its validation hypotheses.	Do observed relationships between the items and domains confirm the hypotheses in the conceptual framework? Do results compare favorably with results from a similar but independent measure? Do results distinguish one group from another based on a prespecified variable that is relevant to the concept of interest?
	Ability to predict future outcomes (also known as predictive validity)	Whether future events or status can be predicted by changes in the PRO scores	Do PRO scores predict subsequent events or outcomes accurately?

continued

Patient reported Outcomes

Europäischer Kontext ?

Lebensqualität in der Nutzenbewertung

Internationaler Vergleich zur Regulation der Arzneimittelversorgung über Nutzenbewertungen

Kriterium	AT	AU	CA	CH	DE	FI	FR	NL	NO	NZ	SE	UK
Therapeutischer Nutzen	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X
Patientennutzen	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X	X
Kosteneffektivität	X	X	X			X		X	X	X	X	X
Auswirkung auf Budget		X	X			X	X	X	X	X		X
Pharmakologische/Sonstige Merkmale	X		X		X		X	X				X
Verfügbarkeit von Behandlungsalternativen	X	X						X		X	X	X
Soziale, ethische Erwägungen			X						X	X	X	X
Bedarf der Gesellschaft		X								X		
Auswirkungen auf Bevölkerungsgesundheit			X				X					
F&E-Kosten der Hersteller		X			X	X						
Prioritäten der Regierung										X		

Merkmale der Nutzenbewertung von AM international

Nutzenbewertung im internationalen Vergleich

1. Nutzenbewertung dient in den meisten Ländern der Regulation des Zugangs zu Arzneimitteln und/oder der Kostenerstattung.
2. Die Kriterien der Nutzenbewertung sind länderspezifisch formuliert, eine supranationale Lenkung gibt es nicht.
3. Nutzenbewertung beruht in den meisten Ländern sowohl auf klinisch-therapeutischen wie auf den patientenseitigen Nutzen.
4. Der patientenseitige Nutzen wird meist über die Auswirkungen der Therapien auf die Lebensqualität erfasst.
5. In den meisten Ländern werden als Quellen der Nutzendaten nicht nur klinische Studien mit randomisiertem Design (RCTs), sondern auch Studien aus der alltäglichen Praxis („real-world studies“) gefordert.
6. Pharmakoökonomische Analysen: Präferentiell auf der Basis von „real-world-Daten“, Modellierungen erlaubt

EMA: Lebensqualität in der klinischen Forschung



European Medicines Agency
Pre-authorisation Evaluation of Medicines for Human Use

London, 27 July 2005

Doc. Ref. EMEA/CHMP/EWP/139391/2004

**COMMITTEE FOR MEDICINAL PRODUCTS FOR HUMAN USE
(CHMP)**

REFLECTION PAPER ON THE REGULATORY GUIDANCE FOR THE USE OF HEALTH-RELATED QUALITY OF LIFE (HRQL) MEASURES IN THE EVALUATION OF MEDICINAL PRODUCTS

DRAFT AGREED BY THE EFFICACY WORKING PARTY	September 2004
ADOPTION BY CHMP FOR RELEASE FOR CONSULTATION	November 2004

Lebensqualität in der Nutzenbewertung

Allgemeiner patientenrelevanter medizinischer Nutzen

Nach § 27 SGB V ist eine medizinische Maßnahme notwendig, wenn sie eine Krankheit erkennen, heilen, ihre Verschlimmerung verhüten oder Krankheitsbeschwerden lindern kann. Der Begriff des Nutzens kann über diese Definition des Notwendigen hinausgehen und sie präzisieren, so dass eine Beurteilung der Datenlage dahingehend möglich wird, ob das Vorliegen eines Nutzens (bzw. Schadens) einer Maßnahme belegt ist, das Fehlen eines Nutzens belegt ist oder sein Vorliegen oder Fehlen nicht belegt ist. In Ergänzung zu der Beurteilung der Wirksamkeit und der Sicherheit haben die Berichte des Institutes primär die Beschreibung des Nutzens und des Schadens aller Arten medizinischer Interventionen zum Ziel. Da sich der Nutzen einer Maßnahme auf den Patienten beziehen soll, beruht diese Bewertung auf Ergebnissen wissenschaftlicher Untersuchungen zur Beeinflussung patientenrelevanter Studienendpunkte. Dabei werden sowohl die beabsichtigten als auch die unbeabsichtigten Effekte der Interventionen berücksichtigt.

Diese Effekte können krankheits- und behandlungsbedingte Veränderungen bzw. die Beeinflussung insbesondere folgender Zielgrößen beinhalten:

1. Mortalität,
2. Morbidität (Beschwerden und Komplikationen),
3. gesundheitsbezogene Lebensqualität,
4. interventions- und erkrankungsbezogener Aufwand,
5. Patientenzufriedenheit.

Lebensqualität in der Nutzenbewertung

Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses - vom 20. September 2005

Einbeziehung der wissenschaftlichen Erkenntnisse, insbesondere der nach Evidenzkriterien ausgewerteten Unterlagen.

- (2) ¹ Der Nutzen einer Methode ist durch qualitativ angemessene Unterlagen zu belegen. ² Dies sollen, soweit möglich, Unterlagen der Evidenzstufe 1 mit patientenbezogenen Endpunkten (z. B. Mortalität, Morbidität, Lebensqualität) sein. ³ Bei seltenen Erkrankungen, bei Methoden ohne vorhandene Alternative oder aus anderen Gründen kann es unmöglich oder unangemessen sein, Studien dieser Evidenzstufe durchzuführen oder zu fordern. ⁴ Soweit qualitativ angemessene Unterlagen dieser Aussagekraft nicht vorliegen, erfolgt die Nutzen-Schaden-Abwägung einer Methode aufgrund qualitativ angemessener Unterlagen niedrigerer Evidenzstufen. ⁵ Die Anerkennung des medizinischen Nutzens einer Methode auf Grundlage von Unterlagen einer niedrigeren Evidenzstufe bedarf jedoch – auch unter Berücksichtigung der jeweiligen medizinischen Notwendigkeit – zum Schutz der Patienten umso mehr einer Begründung, je weiter von der Evidenzstufe 1 abgewichen wird. ⁶ Dafür ist der potentielle Nutzen einer Methode insbesondere gegen die Risiken der Anwendung beim Patienten abzuwägen, die mit einem Wirksamkeitsnachweis geringerer Aussagekraft einhergehen.

Lebensqualität im Medizinrecht

Urteil BSG Kassel zum Off-label Use 3/2002

Ein Off-Label-Use ist unter Ausnahmebedingungen möglich, die gleichzeitig vorliegen müssen:

- Beim versicherten Patienten liegt eine schwerwiegende Erkrankung vor. Als schwerwiegend gelten Erkrankungen, die lebensbedrohlich sind oder die Lebensqualität nachhaltig beeinträchtigen.
- Für die Erkrankung ist keine andere Therapie verfügbar.
- Es besteht die begründete Aussicht, daß mit dem Präparat ein Behandlungserfolg zu erzielen ist. Dieser kann kurativ oder palliativ sein.

¹aus: Ärztezeitung 19.03.2002; DÄ 4/2002

GMG 2004 – „OTC“-Arzneimittel

16. Apothekenpflichtige nicht verschreibungspflichtige Arzneimittel gemäß § 34 Abs. 1 Satz 2 SGB V

16.1 Apothekenpflichtige nicht verschreibungspflichtige Arzneimittel sind von der Versorgung nach § 31 SGB V ausgeschlossen. Die Verordnung dieser Arzneimittel ist nach § 34 Abs. 1 Satz 2 ausnahmsweise zulässig, wenn die Arzneimittel bei der Behandlung schwerwiegender Erkrankungen als Therapiestandard gelten.

16.2 Eine Krankheit ist schwerwiegend, wenn sie lebensbedrohlich ist oder wenn sie aufgrund der Schwere der durch sie verursachten Gesundheitsstörung die Lebensqualität auf Dauer nachhaltig beeinträchtigt.

Lebensqualität im Medizinrecht

Ausgeschlossene Arznei-, Heil- und Hilfsmittel („Life-style“-Medikamente)

§34, Absatz 1, SGB V

„Von der Versorgung sind außerdem Arzneimittel ausgeschlossen, bei deren Anwendung eine Erhöhung der Lebensqualität im Vordergrund steht.“



Was bedeutet Lebensqualität ?

Was ist Lebensqualität ?

Wie ist heute Ihre Lebensqualität ?

Lebensqualität:

Multidimensionales Konstrukt

Körperliche, emotionale, soziale Anteile

(nach Bullinger 1991)

Was ist Lebensqualität ?

Gesundheitsbezogene Lebensqualität bedeutet ...

- Ausmaß des Wohlbefindens im körperlichen, psychischen, sozialen und funktionellen Bereich
- Übereinstimmung zwischen erwünschter und tatsächlicher Befindlichkeit
(Bullinger 1991, Bowling 1995, Schipper 1996)



Bullinger M, Hasford J. Evaluating QoL measures for German clinical trials. *Controlled Clinical Trials* 12: 914-1055, 1991
Bowling A: *Measuring disease: a review of disease-specific quality of life measurement scales*. Open University Press, Buckingham., 1995
Schipper H, Clinch JJ, Olweny CHLM: *Quality of Life Studies: Definition and Conceptual Issues*. in: Spilker B (Hrsg.): *Quality of Life and Pharmacoeconomics in Clinical Trials*. Lippincott-Raven, Philadelphia.:11-24, 1996

Können wir die Lebensqualität
zuverlässig erfassen ?

Wie erfaßt man gesundheitsb. Lebensqualität ?

1) Klinisch:

⇒ Mit dem Patienten sprechen

⇒ Mit den Angehörigen sprechen

2) Wissenschaftlich:

⇒ Den Patienten befragen

- Fragebogen

- standardisiertes Interview

Wie erfaßt man Lebensqualität ?

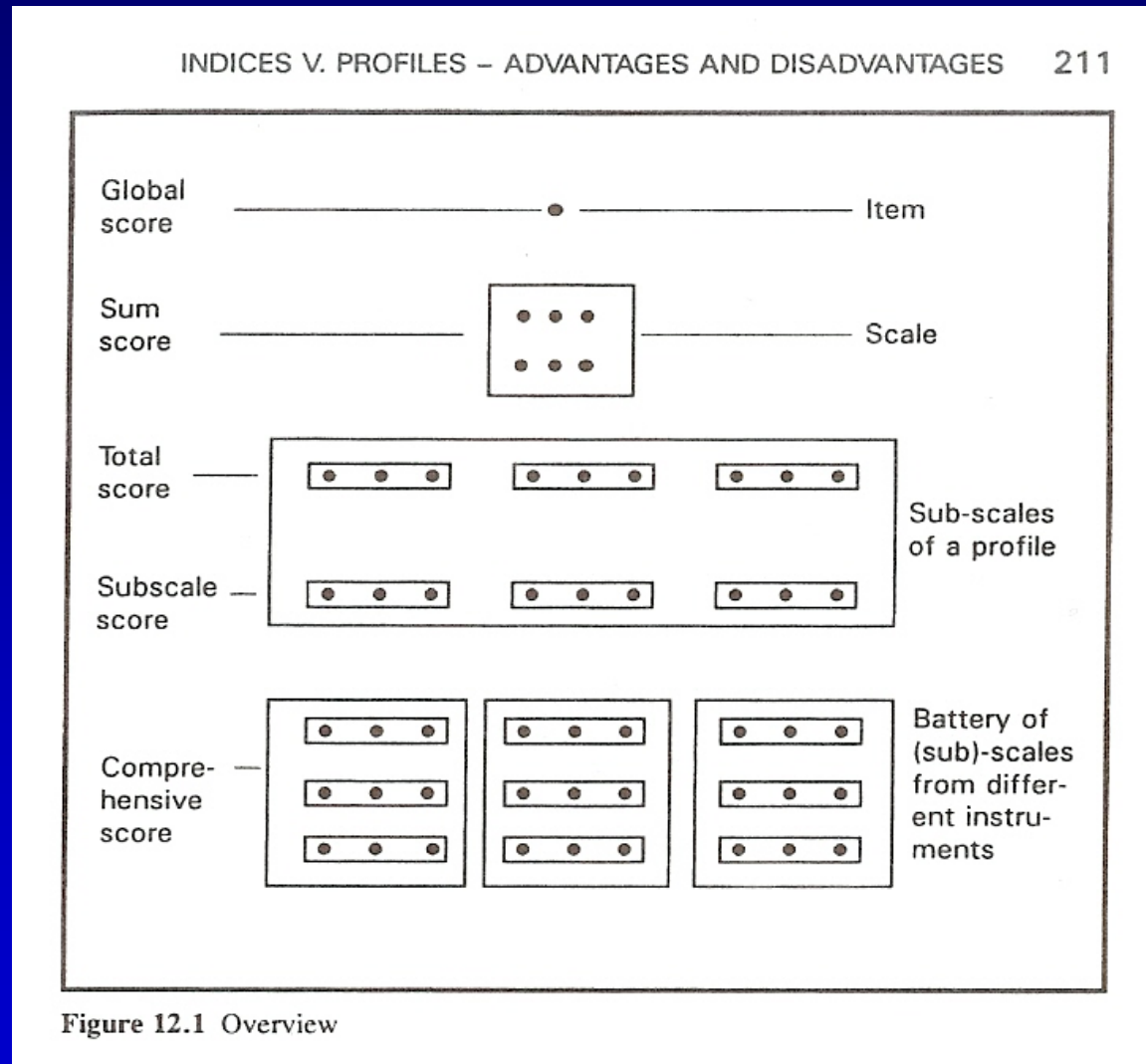
Auszug aus dem Freiburger Fragebogen zur Lebensqualität bei Hauterkrankungen (FLQA-d, Augustin et al. 1999)

1. Körperliche Beschwerden

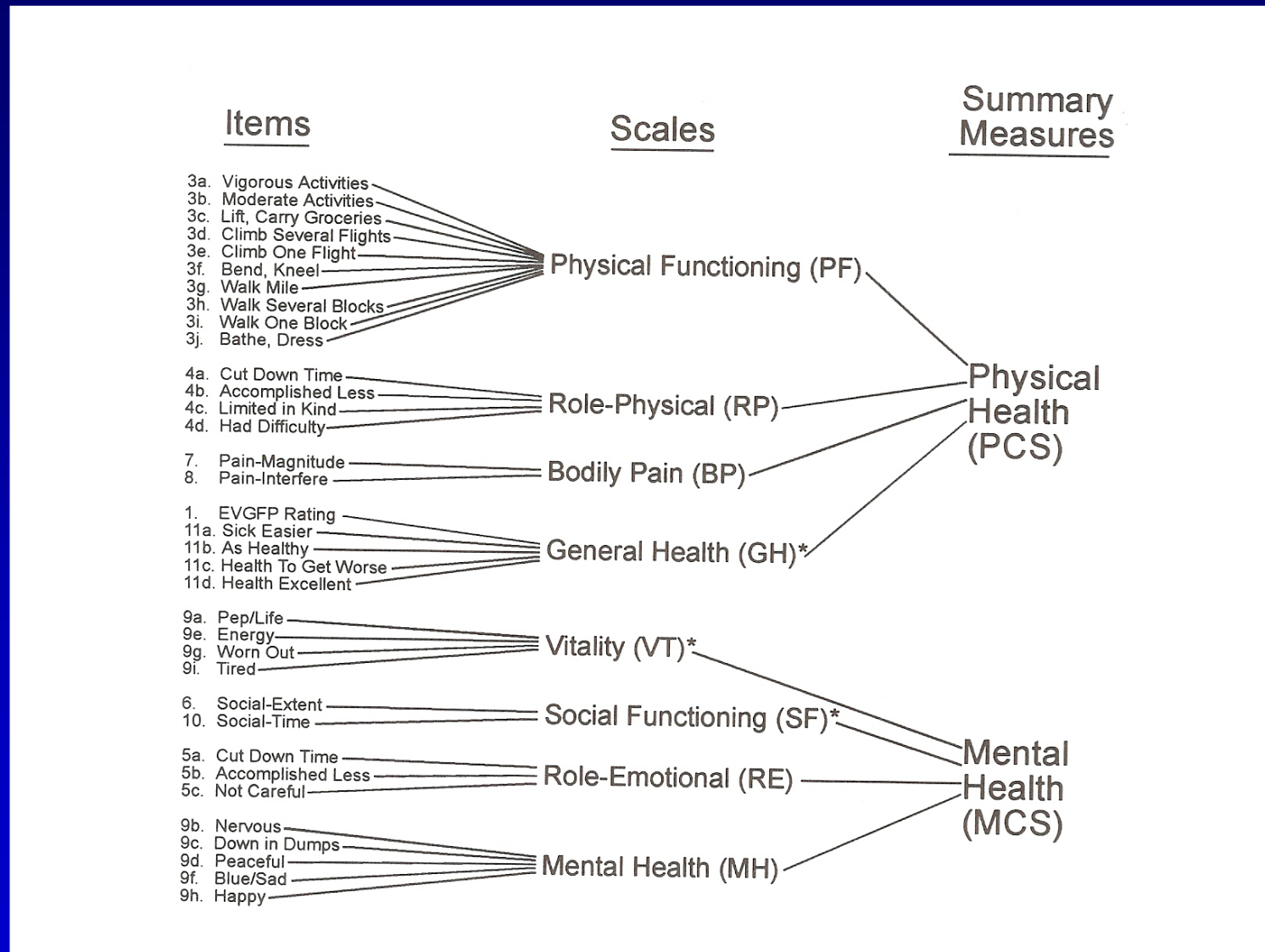
Die folgenden Fragen beschäftigen sich mit Ihrem körperlichen Wohlbefinden. Bitte kreuzen Sie in jeder Zeile das zutreffende Kästchen an.
Wie oft verspürten Sie in der **vergangenen Woche** ...

		nie	selten	manchmal	häufig	immer
1	Hautbrennen	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>	<input type="radio"/>
2	Kurzatmigkeit, Atemnot	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
3	Schwächegefühl	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4	Schlafstörungen	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
5	Trockenheit der Haut	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
6	Nässen der Haut	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
7	Durchfall oder Verstopfung	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
8	Juckreiz	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
9	Spannungsgefühl der Haut	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Wie erfaßt man Lebensqualität ?



Generische Lebensqualität: SF-36



Messung von Lebensqualität - Methodik

AWMF-Leitlinie: Erfassung von Lebensqualität in dermatologischen Studien
→ Gütekriterien der Lebensqualitätsinstrumente

1. Reliabilität

- a) interne Konsistenz
- b) Test-Retest-Reliabilität

2. Validität

- a) Konstruktvalidität (z.B. Faktorenanalyse)
- b) Externe Validität (konvergente, diskriminante)

3. Sensitivität

- a) im zeitlichen Verlauf
- b) in Hinblick auf den Therapieeffekt (Responsivität)

4. Re-Validierung bei Übersetzung in andere Sprachen

5. Handhabung des Fragebogens ("feasibility", Akzeptanz)

Messung von Lebensqualität - Methodik

„AWMF-Leitlinie zur Erfassung von
Lebensqualität in der Dermatologie“

Leitlinienkommission der
Dt. Dermatologische Gesellschaft, 2000, 2004

Augustin M et al.: Hautarzt 52; 697-700, 2001; JDDG 9, 802-806, 2004

Augustin M et al.: Dermatol Psychosom 1(3); 84-87, 2001

DDG-Leitlinien: AWMF-online, 2002

Messung von Lebensqualität - Methodik



The screenshot shows the ISOQOL website homepage. On the left is a vertical navigation menu with green buttons for: Home, Leadership Structure, ISOQOL Committees, ISOQOL Research Journal, Membership Central, Future ISOQOL Conferences, Past ISOQOL Conferences, Other Conferences, Newsletter, Awards, Resources, Members Only, Special Interest Groups, and Site Map. The main content area features the ISOQOL logo (a globe with 'ISOQOL' text) and the text 'International Society for Quality of Life Research'. Below the logo, it announces the '15th Annual Conference' from October 22-25, 2008, in Montevideo, Uruguay. A 'Mission Statement' section explains the society's focus on the scientific study of quality of life. A 'New' section highlights the 2008 conference with a collage of photos from Montevideo and includes links for 'Conference Details', 'Conference Blog', and 'Abstract submission Closed'. At the bottom, there are links for 'Presentations from the ISOQOL Conference on Patient Reported Outcomes in Clinical Practice, June 2007 Budapest, Hungary' and 'Information on Forming National and Regional Chapters'. A footer at the very bottom provides contact information for the Old McLean Village Drive office and a recruitment notice for an Associate Editor.

ISOQOL
International Society for Quality of Life Research

15th Annual Conference
October 22 - 25, 2008
Montevideo, Uruguay

[Home](#)

[Leadership Structure](#)

[ISOQOL Committees](#)

[ISOQOL Research Journal](#)

[Membership Central](#)

[Future ISOQOL Conferences](#)

[Past ISOQOL Conferences](#)

[Other Conferences](#)

[Newsletter](#)

[Awards](#)

[Resources](#)

[Members Only](#)

[Special Interest Groups](#)

[Site Map](#)

International Society for Quality of Life Research

Mission Statement

The scientific study of Quality of Life relevant to health and healthcare is the mission of the International Society for Quality of Life Research (ISOQOL). The Society promotes the rigorous investigation of health-related quality of life measurement from conceptualization to application and practice. ISOQOL fosters the worldwide exchange of information through:

- * Scientific Publications,
- * International Conferences,
- * Educational Outreach, and Collaborative Support for HRQOL Initiatives.

New

2008 ISOQOL Annual Conference
October 22 - 25, 2008
Montevideo, Uruguay

[Conference Details](#)

[Conference Blog](#)

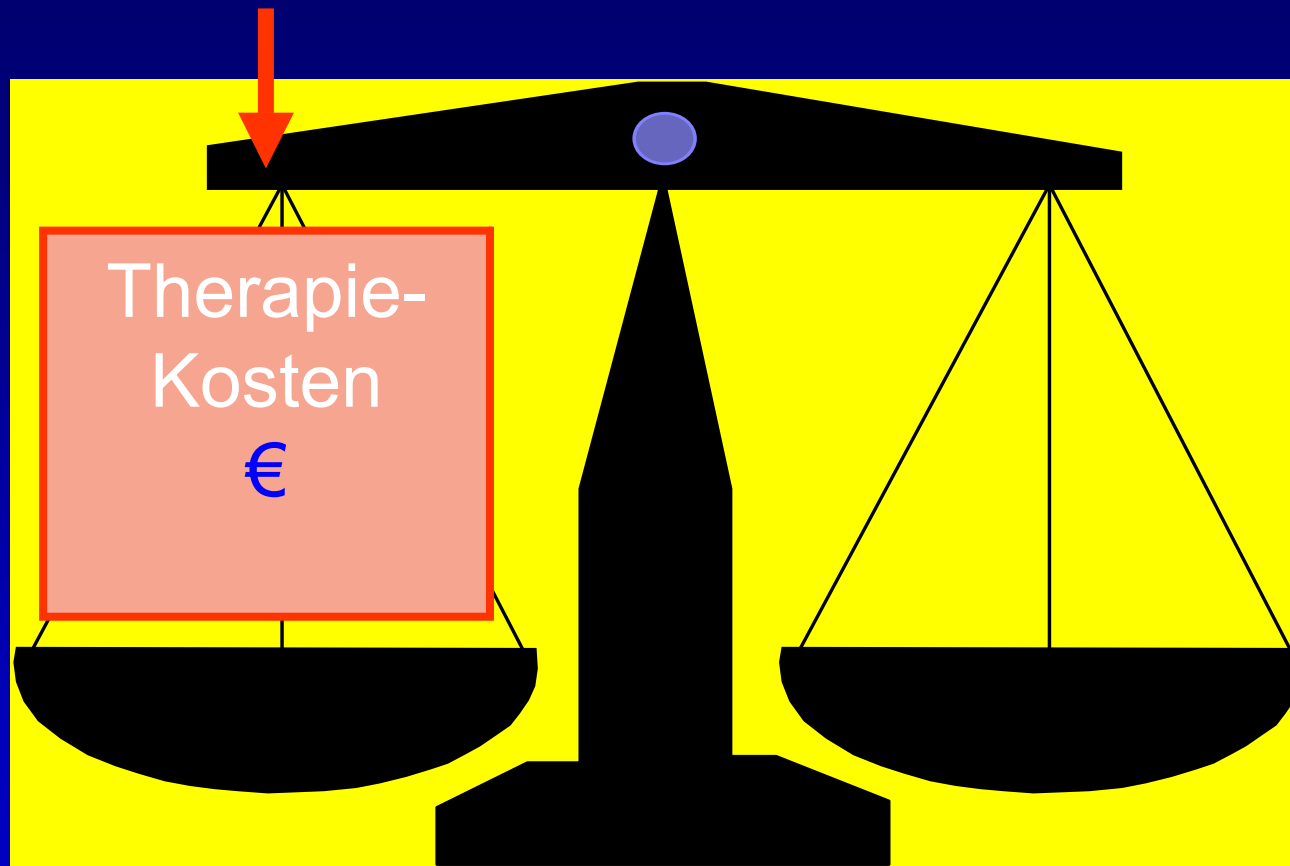
Abstract submission Closed

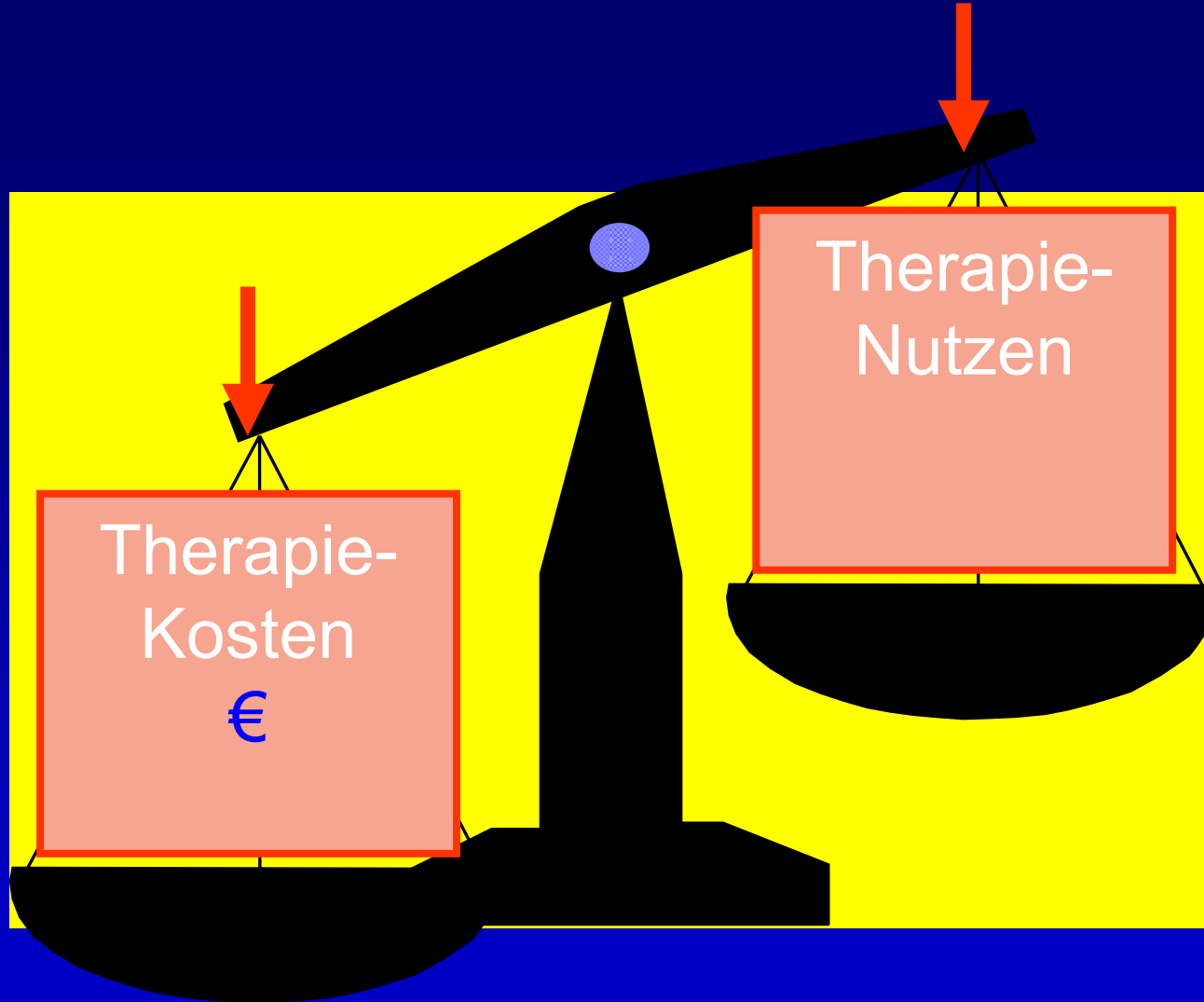
[Presentations from the ISOQOL Conference on Patient Reported Outcomes in Clinical Practice, June 2007 Budapest, Hungary](#)

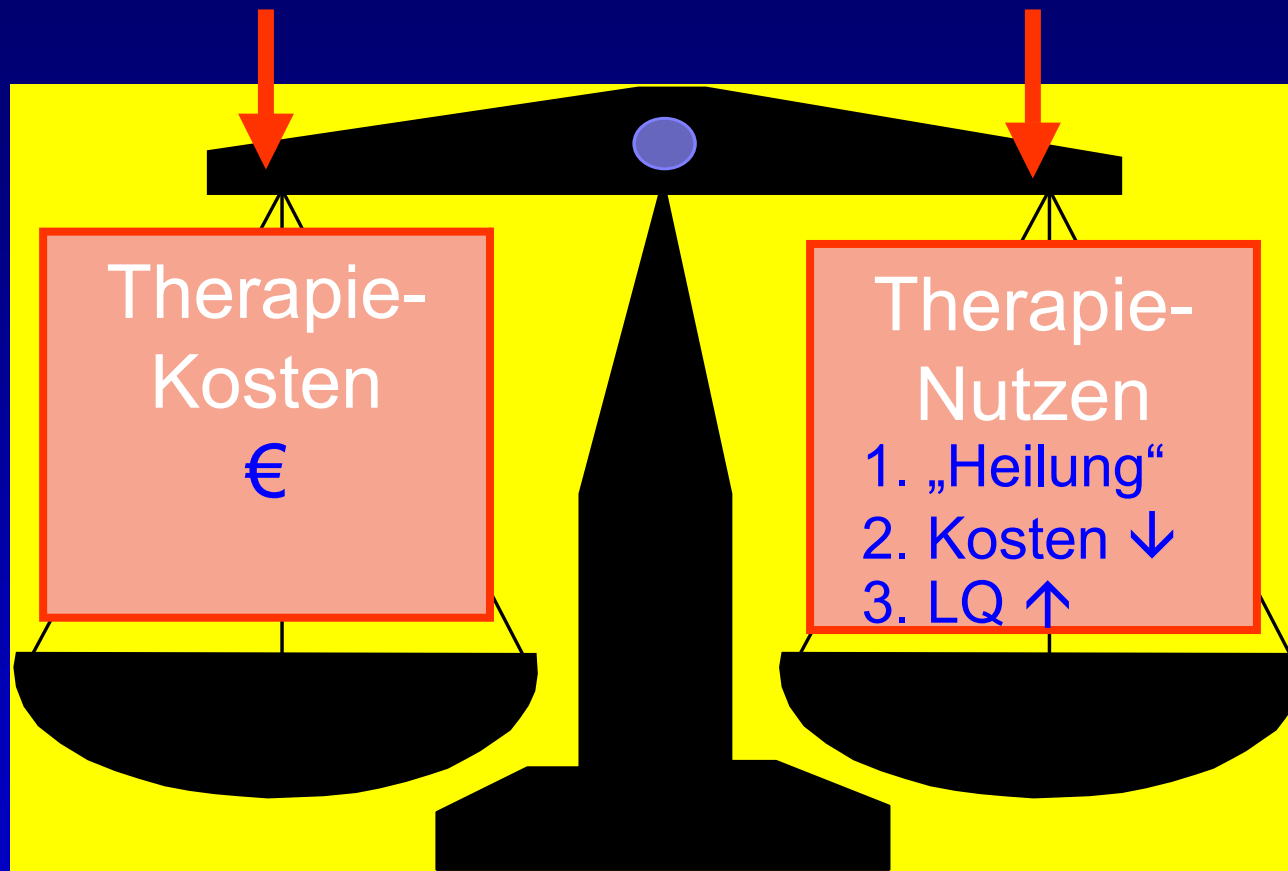
[Information on Forming National and Regional Chapters](#)

Seeking New **Associate Editor** for *Quality of Life Research*

6728 Old McLean Village Drive
McLean, VA 22101-3906 USA
Phone: (703) 556-8930







Kosten-Nutzen-Relation der Therapie

Systemische Psoriasis-Therapie bei „High-need“ Patienten



8 Wo. Therapie mit Biologikum 1

Kosten pro Jahr €

8.800

26.000



8 Wo. Therapie mit Biologikum 2

Kosten pro Jahr €

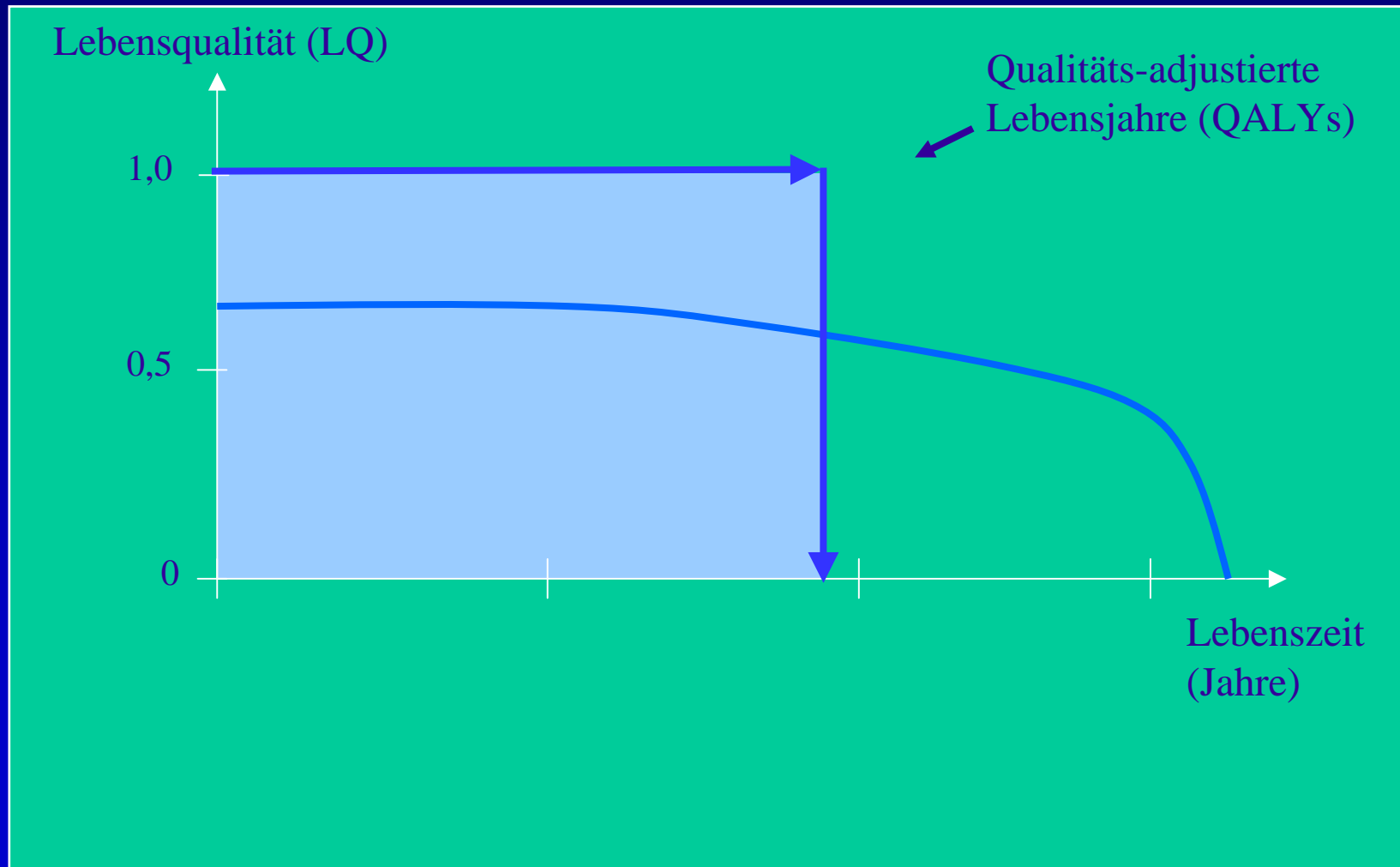
8.800

17.000

Kann „Lebensqualität“
als ökonomischer Nutzwert
quantifiziert werden ?

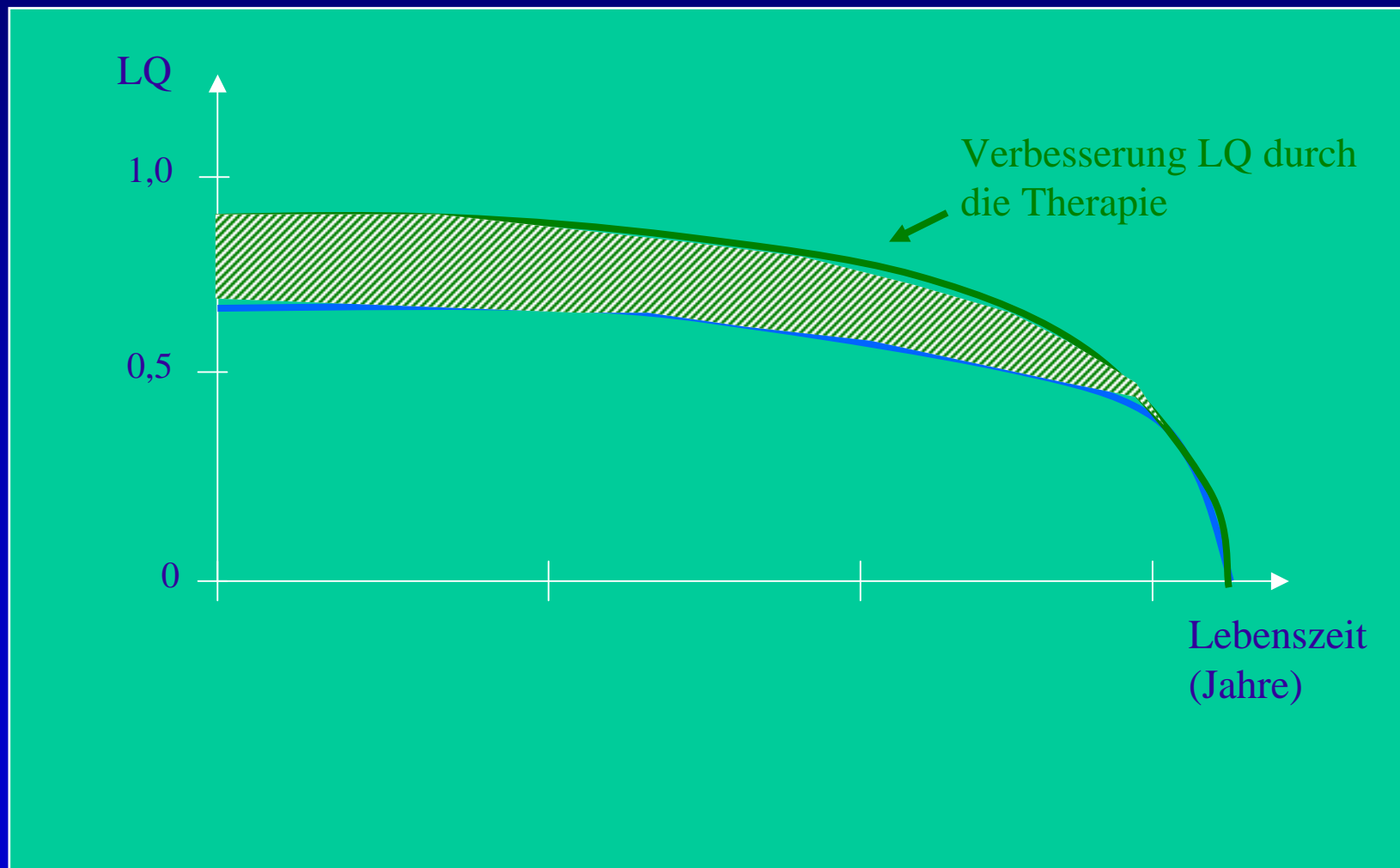
Kosten-Nutzwert-Analyse

Kosten-Nutzwert-Analyse über QALYs



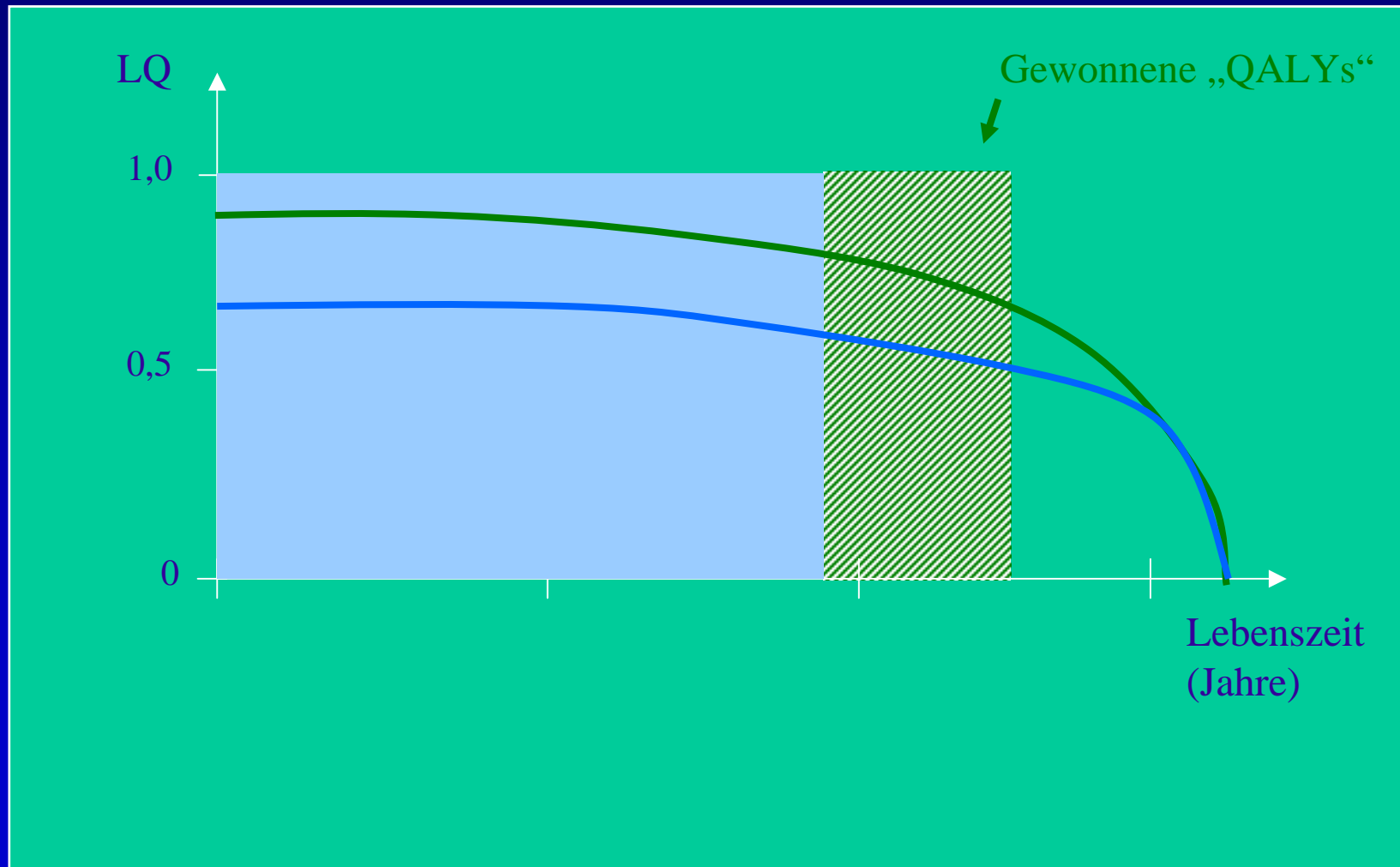
Kosten-Nutzwert-Analyse

Kosten-Nutzwert-Analyse über QALYs



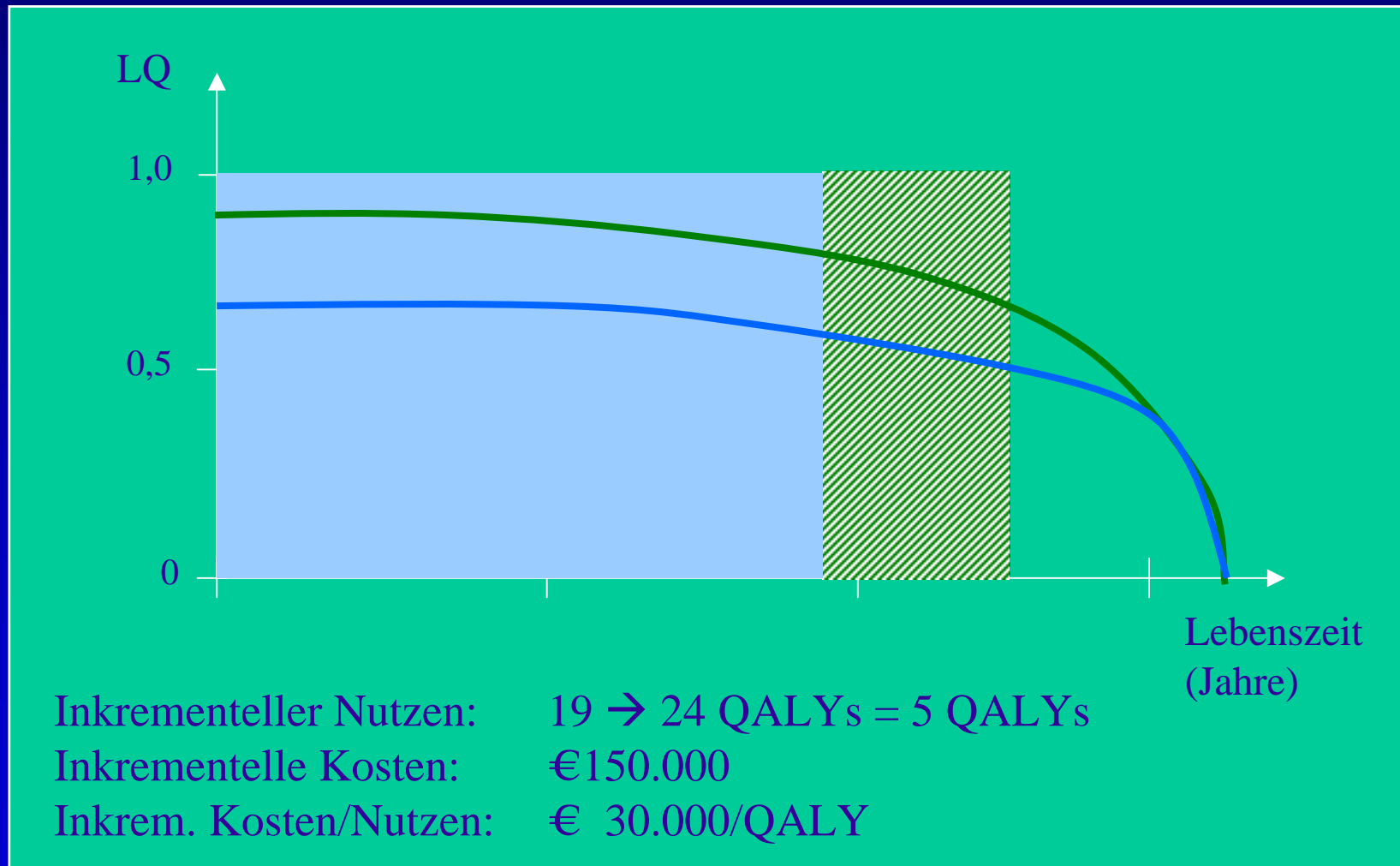
Kosten-Nutzwert-Analyse

Kosten-Nutzwert-Analyse über QALYs



Kosten-Nutzwert-Analyse

Kosten-Nutzwert-Analyse über QALYs



Kosten-Nutzwert-Analyse - QALYs

QALY LEAGUE TABLE

UK-BASED ECONOMIC
EVALUATIONS PUBLISHED
1997-2003

Kosten-Nutzwert-Analyse - QALYs

Offene Fragen

Wollen wir Nutzwerte über QALYs abbilden ?

Bilden wir damit wirklich relevante PROs ab ?

Reichen eindimensionale Maße aus ?

Wenn ja: Sind Schwellenwerte vertretbar ?

Was sind klinisch relevante Differenzen?

Verhältnis Nutzen und Lebensqualität

Repräsentanz der HRQoL-Erhebung bei Patienten mit chronischen Wunden (n=110):

Anteil an Patienten, die ihren persönlichen Nutzen unter der Therapie in den LQ-Instrumenten wiedergeben fanden (Augustin & Siegel 2002)

	Gar nicht/kaum	Teilweise	Überwiegend/komplett
DLQI	28,5	43,2	28,3
SF-36	34,7	52,2	13,1
EQ-5D	61,2	26,7	12,1

Fazit:

Patientenseitiger Nutzen und Lebensqualität
sind offenbar nicht
identische Konstrukte .

Formal lässt sich dies mit der Nutzenfunktion darstellen:

$$\max_{C_1, C_2, \dots, C_n} U(C_1, C_2, \dots, C_n), \text{ s.t. } \sum_{i=1}^n P_i C_i \leq Y$$

Nutzenbewertung: Patient Benefit Index (PBI)

Wichtigkeit von Behandlungszielen

Mit den folgenden Fragen möchten wir **Vor Therapie** persönlich die unten genannten Ziele bei der aktuellen Beha

Bitte kreuzen Sie zu jeder der folgenden Aussagen an, wie wichtig Ihnen dieses Behandlungsziel ist. Falls eine Aussage auf Sie nicht zutrifft, z.B. weil Sie keine Schmerzen haben, kreuzen Sie bitte *„betrifft mich nicht“* an.

		gar nicht	etwas	mäßig	ziemlich	sehr	betrifft mich nicht
1	...schmerzfrei zu sein	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input checked="" type="radio"/>	<input type="radio"/>
2	...keinen Juckreiz mehr zu empfinden	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
3	...kein Brennen an der Haut mehr zu haben	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
4	...von allen <u>Hautveränderungen</u> geheilt zu sein	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
5	...besser schlafen zu können	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
6	...weniger niedergeschlagen zu sein	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
7	...an Lebensfreude zu gewinnen	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
8	...keine Furcht vor einem Fortschreiten der Krankheit zu haben	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
9	...ein normales Alltagsleben führen zu können	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
10	...im Alltag leistungsfähiger zu sein	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Nutzenbewertung: Patient Benefit Index (PBI)

10 meistgenannte Therapieziele / Nutzen bei n=220

Patienten mit Wunden

(1=not important - 5=very important)

% important

<u>Complete wound healing</u>	100
Be free of pain	97
<u>Be less burdened by physician and clinic appointments</u>	96
Be able to lead a normal daily life	94
Have confidence in treatment	92
No exsudation from wound	92
No bad odor from wound	89
Have no fear of disease progress	86
Have a clear diagnosis and therapy	85
<u>Need less time for daily treatment</u>	84

Nutzenbewertung: Patient Benefit Index (PBI)

Erreichte Nutzen

(1=aim not achieved - 5=aim completely achieved)	% achieved
Complete wound healing	65
Be free of pain	72
Be less burdened by physician and clinic appointments	51
Be able to lead a normal daily life	61
Have confidence in treatment	92
No exsudation from wound	72
No bad odor from wound	94
Have no fear of disease progress	88
Have a clear diagnosis and therapy	96
Need less time for daily treatment	57

Nutzenbewertung: Patient Benefit Index (PBI)

	Before treatment: Importance	After treatment: Achieved	Partial Σ
1 „Less pain“	4 of 4	3 of 4	$(4/96)*3 = 0,125$
2 „Less depressed“	3 of 4	1 of 4	$(3/96)*1 = 0,031$
⋮			
24 „Less tx burden“	4 of 4	4 of 4	$(4/96)*4 = 0,161$

PBI: $\Sigma = 3,2$

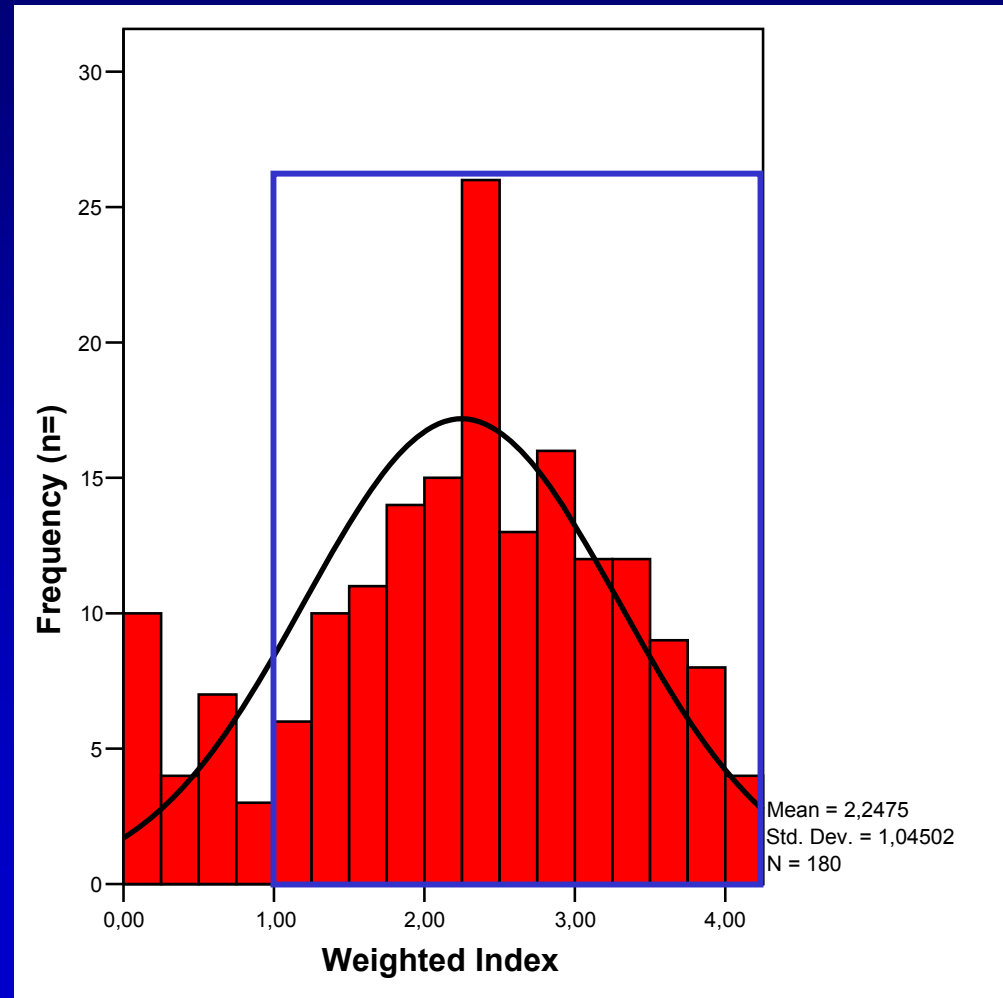
$$PBI = \sum_{i=1}^k \frac{PNQ_i}{\sum_{i=1}^k PNQ_i} PBQ_i$$

Patient Benefit Index (PBI)

Patient benefit index

$$PBI = \frac{\sum_{i=1}^k PNQ_i}{\sum_{i=1}^k PNQ_i} PBQ_i$$

Cronbach's alpha = 0.908

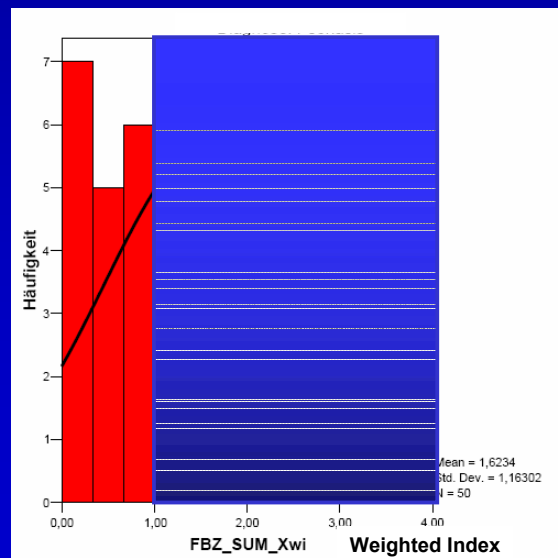


Nutzenbewertung: Patient Benefit Index (PBI)

Patient benefit indices (Anteil (%) Patienten mit PBI >1)

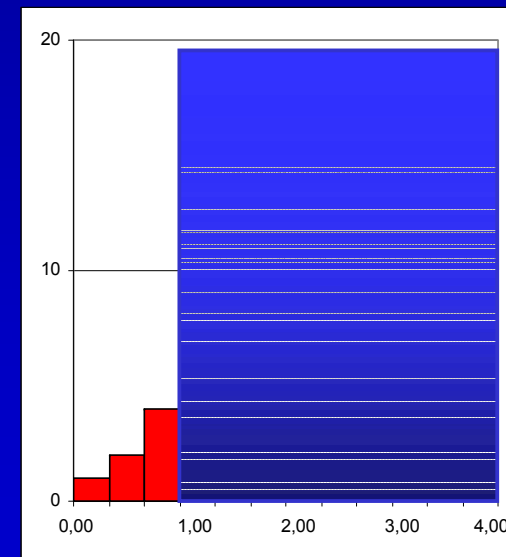
Standard-Versorgung

49.1%



Wundzentrum

92.6%



Zusammenfassung (1)

1. Die gesundheitsbezogene Lebensqualität (HRQoL) ist eine international akzeptierte und valide Größe.
2. HRQoL ist als eines der wichtigsten PROs zur Darstellung der Patientenperspektive geeignet.
3. In den meisten klinischen Situationen ist für die Patienten ein breites Spektrum an therapeutischen Nutzen relevant.

Zusammenfassung (2)

4. Messung HRQoL: Sinnvoll, aber nicht immer ausreichend zur Abbildung individueller Nutzen.
5. Zur Beschreibung Patienten-relevanter Outcomes ist die kombinierte Erfassung von Lebensqualität und patientenseitigen Präferenzen anzuraten.
6. Patienten-berichtete Endpunkte sollten in der Nutzenbewertung durch objektivierbare klinische Endpunkte ergänzt werden.

Patienten-relevante Endpunkte

KONTRA – O-Töne

„Lebensqualität ist gut,
leider kann man sie
nicht messen“

„In der Medizin müssen
wir nach objektiven
Fakten entscheiden“

„Wenn Patienten
entscheiden, muss die
Kasse am Ende noch
alles zahlen“

„Wir wissen besser,
was für den Patienten
auf Dauer wichtig ist“

„Soll dem Patienten
jetzt auch noch der
Capuccino bezahlt
werden, nur weil er die
Lebensqualität
verbessert?“

„Und was ist, wenn der
Patient nur ein
Rentenbegehren hat?“

„Weiche“ Endpunkte,
wie beispielsweise
Lebensqualität oder
Schmerzen, sind nicht
quantifizierbare
Größen.

„Vielen Dank“

Vortrag im Internet unter www.cvderm.de