

Beschluss

des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss gemäß § 92b Absatz 3 SGB V zum abgeschlossenen Projekt *ZSE-DUO* (01NVF17031)

Vom 17. Mai 2024

Der Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss hat im schriftlichen Verfahren am 17. Mai 2024 zum Projekt *ZSE-DUO - Duale Lotsenstruktur zur Abklärung unklarer Diagnosen in Zentren für Seltene Erkrankungen* (01NVF17031) folgenden Beschluss gefasst:

- I. Der Innovationsausschuss spricht auf Basis der Ergebnisse des Projekts ZSE-DUO folgende Empfehlung zur Überführung in die Regelversorgung aus:
 - a) Die im Projekt erzielten Erkenntnisse werden an die Verbände der Kranken- und Pflegekassen auf Bundesebene sowie an die Deutsche Krankenhausgesellschaft und den Verband der Universitätsklinika weitergeleitet. Die genannten Institutionen und deren Mitglieder werden gebeten, basierend auf den Erkenntnissen des Projekts zu prüfen, inwiefern Ansätze der neuen Versorgungsform sinnvoll bei der Weiterentwicklung bestehender und neuer Vertragsvereinbarungen zur koordinierten Diagnostik und Behandlung von Menschen mit unklaren, komplexen Beschwerdebildern und Verdacht auf eine seltene Erkrankung umgesetzt werden können.
 - b) Die im Projekt erzielten Erkenntnisse werden an das Bundesministerium für Gesundheit weitergeleitet, mit der Bitte um Prüfung, inwieweit Ansätze der neuen Versorgungsform gesetzlich aufgegriffen werden sollten, um die Versorgung von Menschen mit unklaren, komplexem Beschwerdebildern und Verdacht auf eine seltene Erkrankung weiterzuentwickeln.
 - c) Die im Projekt erzielten Erkenntnisse werden an das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltene Erkrankungen (NAMSE), die Deutsche Gesellschaft für Allgemeinmedizin und Familienmedizin e. V., die Deutsche Gesellschaft für Psychiatrie und Psychotherapie, Psychosomatik und Nervenheilkunde e. V. und die Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. zur Information weitergeleitet.
 - d) Die im Projekt erzielten Erkenntnisse werden an den Unterausschuss Bedarfsplanung beim Gemeinsamen Bundesausschuss zur Information weitergeleitet.

Begründung

Das Projekt hat erfolgreich eine neue Versorgungsform (NVF) zur Verbesserung der Betreuung für Menschen mit einem unklaren, komplexen Beschwerdebild und Verdacht auf eine seltene Erkrankung (SE) implementiert und wissenschaftlich evaluiert. Die NVF bestand im Kern aus einer dualen Lotsenstruktur an den Zentren für Seltene Erkrankungen (ZSE), bestehend aus einer somatischen und einer psychiatrischen bzw. psychosomatischen Fachärztin/Facharzt,

die die Patientin oder den Patienten von Anfang an bei der Abklärung der Erkrankung begleiten. Die Wirksamkeit der NVF wurde im Rahmen einer prospektiven, kontrollierten, multizentrischen Interventionsstudie evaluiert. Die Evaluation umfasste zudem eine gesundheitsökonomische Evaluation und eine Prozessevaluation.

Die Evaluation zeigte, dass der Anteil an Personen, bei denen spätestens zwölf Monate nach erster Vorstellung im ZSE eine Diagnose bzw. Diagnosekombination gestellt werden konnte, die die Symptomatik vollständig erklärte, in der Interventionsgruppe (IG) signifikant höher war als in der Kontrollgruppe (KG). Der Anteil lag in der IG bei 41,6 % und in der KG bei 18,8 %. Dabei war der Anteil an Personen, bei denen eine SE zur Erklärung der Symptomatik beitrug, in den Gruppen mit 8,8 % (KG) bzw. 11,2 % (IG) vergleichbar, während in der IG signifikant mehr psychische Störungen und nicht-seltene somatische Erkrankungen an den erklärenden Diagnosen beteiligt waren. Die Dauer bis zur Diagnosestellung war in der IG signifikant kürzer als in der KG. Bezüglich der Diagnose einer SE als Teil der erklärenden Diagnosen zeigte sich dabei kein Unterschied zwischen den medianen Diagnosezeiten zwischen IG und KG. Die Überleitung zur Weiterbehandlung in der Regelversorgung nach Diagnosestellung gelang in der IG signifikant häufiger. 12,3 % der KG und 27,5 % der IG konnten erfolgreich zur Weiterbehandlung überwiesen werden. Die Prozessevaluation zeigte, dass sich die Erwartungen der Patientinnen und Patienten der IG und KG an die Behandlung zwar nicht unterschieden, aber diese nicht mit den Leistungen, die durch die ZSE angeboten werden, übereinstimmten. Die gesundheitsbezogene Lebensqualität der IG und der KG unterschieden sich weder zu Studieneinschluss noch nach zwölf Monaten voneinander. Die Patientenzufriedenheit war in der IG signifikant höher als in der KG. Allerdings wies der Unterschied nur eine schwache Effektstärke auf. Von den Ärztinnen und Ärzten wurde die NVF mehrheitlich positiv bewertet. Die gesundheitsökonomische Evaluation zeigte, dass die Kosten je zusätzlich erklärender Diagnose bei 1.745 Euro lagen.

Die Validität der Ergebnisse ist durch das nicht-randomisierte Studiendesign und die fehlende Verblindung eingeschränkt. Das sequentielle Design ist konfundiert mit dem Zeitraum der Corona-Pandemie, d.h. der überwiegende Teil der Datenerhebung in der KG erfolgte vor der Pandemie im Gegensatz zur IG, deren überwiegender Teil der Datenerhebung während der Pandemie erfolgte. Es wurden zwar Anstrengungen unternommen, den Einfluss abzuschätzen, dennoch ist die Aussagesicherheit der Effektschätzer eingeschränkt. Zudem ergaben die Analysen zur Einschätzung der Konfundierung der Pandemie, dass die Pandemie auf verschiedene Variablen einen Einfluss gehabt haben könnte.

Insgesamt zeigen die Projektergebnisse, dass eine duale Lotsenstruktur aus psychiatrischen und somatischen Fachärztinnen und Fachärzten in ZSE einen Beitrag zur Verbesserung der Betreuung und Diagnostik von Menschen mit unklaren Diagnosen und Verdacht auf eine SE leisten kann. Daher werden die Projektergebnisse an die oben genannten Adressaten weitergeleitet. Diese werden gebeten im Rahmen ihrer jeweiligen Zuständigkeit zu prüfen, inwieweit Ansätze der NVF in Vertragsvereinbarungen bzw. bei gesetzlichen Anpassungen sinnvoll Berücksichtigung finden können.

Es wird angeregt, dass bei der Prüfung die Konzepte und Erkenntnisse weiterer in Deutschland erprobter Ansätze zur Verbesserung der Versorgung von Menschen mit Verdacht auf eine SE einbezogen werden (z. B. *TRANSLATE-NAMSE* (01NVF16024)).

II. Dieser Beschluss sowie der Ergebnis- und Evaluationsbericht des Projekts *ZSE-DUO* werden auf der Internetseite des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss unter www.innovationsfonds.g-ba.de veröffentlicht.

III. Der Innovationsausschuss beauftragt seine Geschäftsstelle mit der Weiterleitung der gewonnenen Erkenntnisse des Projekts *ZSE-DUO* an die unter I. a) bis I. d) genannten Institutionen.

Berlin, den 17. Mai 2024

Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss
gemäß § 92b SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken