

## Disease-Management-Programme für Erwachsene mit „Volkskrankheiten“ und Kompetenznetze für Kinder und Jugendliche mit seltenen Erkrankungen

Disease Management Programs for Adults with Often Diseases and Competence Networks for Children and Adolescents with Rare Diseases

U. Göbel  
L. Gortner

Mit großen Hoffnungen wurden im Jahr 2001 vom Deutschen Bundestag die gesetzlichen Grundlagen für Disease-Management-Programme beschlossen, durch die bei Erwachsenen mit sog. Volkskrankheiten die Versorgungsqualität und die Wirtschaftlichkeit der Behandlung verbessert werden sollten. Grundlage waren sorgfältig erstellte Metaanalysen von randomisierten Studien bei chronisch kranken Erwachsenen, die eine Reduktion in der Hospitalisierung zeigten, wenn diese Patienten von einem erfahrenen und multidisziplinär zusammengesetzten Team langfristig behandelt wurden [20].

Besonders bei Patienten mit Komorbiditäten erwiesen sich zusätzliche Selbstbehandlungsprogramme als geeignet, die gesundheitsbezogene Lebensqualität zu verbessern und die Zahl der Tage im Krankenhaus zu reduzieren [21]. Andererseits belegt die sog. Accor-Studie, die wie ein Disease-Management-Programm angelegt wurde, dass es nach einer Intervention zu Gunsten einer strengeren Stoffwechselführung bei Typ-II-Diabetikern zu einer gehäuften Rate von Todesfällen gekommen ist [17].

Dieses primär so nicht erwartete Ergebnis, das entgegen der geäußerten Hoffnungen ausgefallen ist, erfordert eine kritische Sichtung selbst prospektiv randomisierter Studien [4]. Hieraus folgt aber auch, dass aus kleineren klinischen Studien abgeleitete Komponenten für Disease-Management-Programme weiterer Evaluationen bedürfen, wie sie z.B. in Kompetenznetzwerken leicht etabliert werden können.

Unter den Rahmenbedingungen des deutschen Gesundheitssystems wurde am Beispiel des Diabetes mellitus frühzeitig erkannt, dass nur einige Typ-II-Diabetiker von Programmen profitierten, die besonders auf diese ausgerichtet waren und dann mehr kosteten als einsparten [8]. Deshalb wurde die Notwendigkeit zur Evaluation derartiger Programme erkannt und im Sozialgesetzbuch V obligatorisch vorgeschrieben. Allerdings fehlten hierzu konkrete Vorgaben, sodass erst im Nachhinein Vorschläge auf der Basis internationaler Erfahrungen erarbeitet wurden [5]. Alle diese Programme waren aufgrund der Erkrankungshäufigkeiten primär für Erwachsene konzipiert worden und sind daher aufgrund der altersphysiologischen Unterschiede nicht a priori – bis zum Beweis des Gegenteils – auf Kinder übertragbar.

Stattdessen wurde die bundesweite Studie zur Gesundheit von Kindern und Jugendlichen „KiGGS“ beschlossen, die das Robert Koch-Institut vom Mai 2003 bis zum Mai 2006 in insgesamt 167 Städten und Gemeinden mit 17 641 Studien-

teilnehmern und Studienteilnehmerinnen durchgeführt hat [15, 16]. Nachfolgend machte es Sinn, für Kinder und Jugendliche in Analogie zu den Disease-Management-Programmen spezielle Forschungsprogramme auszuschreiben, wie z.B. für übergewichtige Kinder und Jugendliche. Durchgeführt wurden neben einer bundesweiten Beobachtungsstudie [10] auch interdisziplinär ausgerichtete Interventionsstudien, die bei Kindern (4- bis 7-jährig) und bei Jugendlichen unterschiedlich angelegt sind [3, 18]. International wird bei übergewichtigen Jugendlichen mit schlechten Interventionsergebnissen eine medikamentöse Unterstützung geprüft [22]. Der langfristige Erfolg derartiger Programme bedarf noch der Bestätigung.

Disease-Management-Programme, wie sie für die sog. Volkskrankheiten des Erwachsenenalters konzipiert worden sind, fehlen für die meist seltenen oder sehr seltenen chronischen Erkrankungen des Kindes- und Jugendalters. Als echte und zukunftsweisende Alternative bieten sich die Kompetenznetze an, die bundesweit angelegt sind und sich durch ihren Forschungscharakter ausweisen.

Eine Erkrankung gilt als selten, wenn nicht mehr als 5 von 10 000 Einwohnern betroffen sind [13]. Dies sind bei Kindern ungefähr 5 000–8 000 seltene Erkrankungen, die oft sehr heterogen sind und zumeist komplexe Krankheitsbilder darstellen. Gemeinsam ist diesen seltenen Erkrankungen neben dem chronischen Verlauf die meist eingeschränkte Lebenserwartung, die Prädisposition zur Invalidität und die häufig bereits im Kindesalter auftretenden und zum Teil schweren Symptome. Etwa 80% dieser seltenen Erkrankungen haben eine genetische Grundlage, sodass der Krankheitseintritt mehrheitlich nicht von der Lebensführung abhängt. Zunehmend sind innovative Behandlungsoptionen zu prüfen, die eine möglichst genaue Charakterisierung der Erkrankung zur Voraussetzung haben.

Weiterhin ist die Kosten-Nutzen-Relation immer vor dem Hintergrund des jeweiligen Gesundheitssystems zu prüfen.

Entscheidend ist, dass die Studien – und das ist speziell für die Projekte in den Kompetenznetzwerken zu fordern – den aktuellen wissenschaftlichen Standards entsprechen [23] und darüber hinaus über die entsprechende Befürwortung der entsprechenden Fachgesellschaften verfügen, wie dies bei seltenen Erkrankungen üblich ist [7]. Dies sind Vorbedingungen für die erfolgreiche und zeitgerechte Rekrutierung der erforderlichen Fallzahlen [24]. Da diese Situation sich in der Kinder- und Jugendmedizin aufgrund der geringen

### Bibliografie

DOI <http://dx.doi.org/10.1055/s-0030-1269936>  
Klin Padiatr 2011; 223: 1–3  
© Georg Thieme Verlag KG  
Stuttgart · New York  
ISSN 0300-8630

### Korrespondenzadresse

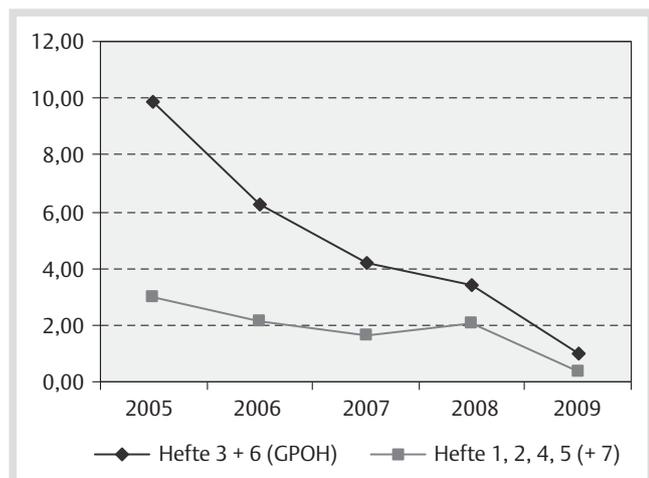
**Prof. Dr. Ulrich Göbel**  
ESPED-Geschäftsstelle  
Koordinierungszentrum für  
Klinische Studien  
Universitätsklinikum  
Heinrich-Heine-Universität  
Düsseldorf  
Moorenstraße 5  
40225 Düsseldorf  
goebel@arcor.de

### Prof. Dr. Ludwig Gortner

Klinik für Allgemeine Pädiatrie  
und Neonatologie  
Kliniken für Kinder- und Jugend-  
medizin  
Universitätsklinikum des  
Saarlandes  
Gebäude 9  
66421 Homburg/Saar  
neonat@uniklinikum-saarland.de

**Tab. 1** Anzahl der Publikationen der *Klinischen Pädiatrie* in den Jahren 2005–2009 und die Anzahl der kumulierten Zitierungen – gesondert gelistet sind die Arbeiten der pädiatrischen Onkologie und Hämatologie (Hefte 3 und 6).

	Hefte 1, 2, 4, 5 (+7)		Hefte 3+6	
	Artikel	zitiert	Artikel	zitiert
2009	58	23	36	35
2008	45	92	24	82
2007	39	64	25	105
2006	40	86	23	144
2005	39	117	21	207



**Abb. 1** Gemittelte Zitierhäufigkeit der Arbeiten von 5 Jahrgängen – gesondert gelistet sind die Arbeiten der pädiatrischen Onkologie und Hämatologie (Hefte 3 und 6).

Fallzahldichte und der immer differenzierteren Diagnostik alltäglich ist, tragen die pädiatrischen wissenschaftlichen Fachgesellschaften eine besondere Verantwortung.

Beispielhaft kann hier die Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie genannt werden, die nicht nur über mehr als 25 Jahre ein personenbezogenes epidemiologisches Register aufgebaut hat, sondern auch den Zugang zu diesen Daten unter wissenschaftlichen und datenschutzrechtlichen Aspekten sowie unter Wahrung der Patienteninteressen im Rahmen ihres funktionierenden Kompetenznetzes festgeschrieben hat [1].

Schon bei der ersten Ausschreibungsrunde für eine Kompetenznetzförderung hat sich die Gesellschaft für Pädiatrische Onkologie und Hämatologie e.V. (GPOH) beworben [12]; 11 Einzelprojekte zur Grundlagenforschung, vertikalen und horizontalen Verknüpfung der Behandlung und Nachsorge oder zur Erfassung der Lebensqualität bei krebskranken Kindern und Jugendlichen sind von 1999–2009 mit nachhaltigem Erfolg gefördert worden [2]. Zwischenzeitlich erhalten weitere Projekte mit einer bundesweiten Erfassung der in Betracht kommenden Patienten eine Förderung, wie z.B. das Register für angeborene Herzfehler [19].

Die Nachhaltigkeit derartiger Forschungsförderungen und der Nutzen für die einzelnen Patienten lassen sich im Rahmen der Therapieoptimierungsstudien erfassen [9], selbst wenn es sich um sehr seltene Erkrankungen handelt [25]. Ausgehend von den Ergebnissen der bundesweiten Studie zur Gesundheit von Kindern und Jugendlichen „KiGGS“ [15, 16], haben das Bundesministerium für Gesundheit (BMG) und das Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) gemeinsam mit der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE) am 8. März 2010 ein

Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE) ins Leben gerufen [11, 13, 14]. Dieses Aktionsbündnis soll dazu beitragen, dass in dem pluralistischen Gesundheitssystem Deutschlands Initiativen gebündelt und ein gemeinsames, koordiniertes und zielorientiertes Handeln der maßgeblichen Akteure im Gesundheitswesen auf dem Gebiet der seltenen Erkrankungen ermöglicht wird.

Diese Ziele verfolgen seit ihrer Gründung natürlicherweise auch die Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin und die unter ihrem Dach vereinigten anderen wissenschaftlichen Fachgesellschaften.

Unterstützt werden die Forschungen durch die wissenschaftlichen Fachzeitschriften, wie beispielsweise die *Klinische Pädiatrie*, da die Forschungsergebnisse allgemein zugänglich und langfristig verfügbar sind. Werden die so mitgeteilten Erkenntnisse als relevant eingestuft, wird dies nach allgemeinem Konsens an der Zitierung in anderen Publikationen abgelesen. Deshalb wird regelmäßig in der Mitte eines Jahres der sog. Journal Impact Factor mitgeteilt, der die gemittelte Zitierungsrate der Artikel einer Zeitschrift aus einem Zeitraum von 2 Jahren im darauf folgenden Jahr darstellt [26]. Der Impact Factor für die *Klinische Pädiatrie* ist seit 2003 kontinuierlich auf 1,862 angestiegen; damit belegt die *Klinische Pädiatrie* im internationalen Ranking derzeit Platz 31 der 94 von Thomson Reuters gelisteten Pädiatriezeit-schriften [6].

Mitverantwortlich für diesen Erfolg ist die gute Vernetzung innerhalb der GPOH. Die getrennte Auflistung der GPOH-Publikationen (jeweils Heft 3 und Heft 6 eines Jahrgangs) der Jahre 2005–2009 (○ Tab. 1) und die Häufigkeit der Zitierungen unter Berücksichtigung der Fachspezifität (● Abb. 1) verdeutlichen diesen Effekt. Deshalb ist zu erwarten, dass die Förderung weiterer flächendeckender Konzepte in der Kinder- und Jugendmedizin nicht nur auf das vermehrte Interesse der forschenden Fachkollegen fällt, sondern vor allem zu einer weiteren Verbesserung der Behandlungsqualität führt. Gestärkt wird diese Hoffnung durch die Evaluation der Studien, die mit administrativer Unterstützung der Erhebungseinheit für seltene pädiatrische Erkrankungen in Deutschland (ESPED) durchgeführt worden sind [7]. Inwieweit diese Forschungen langfristig die Kosten-Nutzen-Relation günstig beeinflussen, also die Versorgungsqualität und die Wirtschaftlichkeit der Behandlung verbessern, werden unabhängige wissenschaftliche Begleituntersuchungen zeigen können.

**Interessenkonflikt:** Die Autoren erklären hiermit, dass kein Interessenkonflikt besteht.

#### Literatur

- 1 Calaminus G, Kaatsch P. Position paper of the Society of Pediatric Oncology and Hematology (GPOH) on (long-term) surveillance, (long-term) follow-up and late effect evaluation in pediatric oncology patients. *Klin Padiatr* 2007; 219: 173–178
- 2 Creutzig U, Herold R, Henze G. [Results of the Competence Net Pediatric Oncology and Haematology – a view back]. *Klin Padiatr* 2010; 222: 333–336
- 3 de Sousa G, Hussein A, Trowitzsch E et al. Hemodynamic responses in obese children and adolescents before and after overweight reduction. *Klin Padiatr* 2009; 221: 237–240
- 4 du Prel JB, Röhrig B, Blettner M. Critical appraisal of scientific articles: part 1 of a series on evaluation of scientific publications. *Dtsch Arztebl Int* 2009; 106: 100–105
- 5 Gerlach FM, Beyer M, Szecsenyi J et al. Evaluation von Disease-Management-Programmen – Aktuelle Defizite, Anforderungen, Methoden. *Z ärztl Fortbild Qual.sich (ZaeFQ)* 2003; 97: 495–501

- 6 Göbel U, Gortner L. [The journal's development since the introduction of online manuscript submission and the double blinded peer review of manuscripts]. *Klin Padiatr* 2010; 222: 231–233
- 7 Göbel U, Heinrich B, Krauth KA et al. [Process and outcome quality of the German Paediatric Surveillance Unit (ESPED)]. *Klin Padiatr* 2010; 222: 92–97
- 8 Häussler B, Berger U. Bedingungen für effektive Disease-Management-Programme. Analyse, Bewertung und Lösungsansätze für Qualität und Finanzierung. Nomos Verlagsgesellschaft Baden-Baden 2004
- 9 Herweck-Behnsen E. Leistungspflicht der gesetzlichen Krankenversicherung für Arzneimittel, die im Rahmen von Anwendungsbeobachtungen und klinischen Prüfungen, insbesondere Therapieoptimierungsstudien, verordnet oder angewandt werden. *Pharma Recht* 1997; 6: 206–212
- 10 Hoffmeister U, Bullinger M, Egmond-Fröhlich A et al. [Treatment of obesity in pediatric patients in Germany: anthropometry, comorbidity and socioeconomic gradients based on the BZgA Observational Study]. *Klin Padiatr* 2010; 222: 274–278
- 11 <http://www.achse-online.de/>
- 12 <http://www.bmbf.de/press/2579.php> – 42 K – 11.06.2009
- 13 [http://www.bundesgesundheitsministerium.de/cln\\_151/nn\\_1168248/SharedDocs/Standardartikel/DE/AZ/S/Glossar\\_begriff\\_Seltene-Erkrankungen](http://www.bundesgesundheitsministerium.de/cln_151/nn_1168248/SharedDocs/Standardartikel/DE/AZ/S/Glossar_begriff_Seltene-Erkrankungen)
- 14 <http://www.google.com/search?ie=UTF-8&oe=UTF-sourcoid=navclien&gfs=1&q=namse>
- 15 [http://www.kiggs.de/experten/erste\\_ergebnisse/Basispublikation/index.html](http://www.kiggs.de/experten/erste_ergebnisse/Basispublikation/index.html)
- 16 [http://www.kiggs.de/experten/downloads/dokumente/kiggs\\_eltern\\_broschuere.pdf](http://www.kiggs.de/experten/downloads/dokumente/kiggs_eltern_broschuere.pdf)
- 17 Ismail-Beigi F, Craven T, Banerji MA et al. Effect of intensive treatment of hyperglycaemia on microvascular outcomes in type 2 diabetes: an analysis of the ACCORD randomised trial. *Lancet* 2010; 376: 419–430
- 18 Kleber M, Schaefer A, Winkel K et al. Schulung „Obeldicks Mini“ für adipöse Kinder im Alter von 4 bis 7 Jahren. *Klin Padiatr* 2009; 221: 291–295
- 19 Lindinger A, Schwedler G, Hense HW. Prevalence of congenital heart defects in newborns in Germany: Results of the first registration year of the PAN Study (July 2006 to June 2007). *Klin Padiatr* 2010; 222: 321–326
- 20 Lorig KR, Sobel DS, Stewart AL et al. Evidence suggesting that a chronic disease self-management program can improve health status while reducing hospitalization: A randomized trial. *Medical Care* 1999; 37: 5–14
- 21 McAlister F A, Lawson FME, Teo KK et al. A systematic review of randomized trials of disease management programs in heart failure. *Amer J Med* 2001; 110: 378–384
- 22 Rezvanian H, Hashemipour M, Kelishadi R et al. A randomized, triple masked, placebo-controlled clinical trial for controlling childhood obesity. *World J Pediatr* 2010; 6: 317–322
- 23 Röhrig B, du Prel JB, Blettner M. Study design in medical research: part 2 of a series on the evaluation of scientific publications. *Dtsch Arztebl Int* 2009; 106: 184–189
- 24 Röhrig B, du Prel JB, Wachtlin D et al. Sample size calculation in clinical trials: part 13 of a series on evaluation of scientific publications. *Dtsch Arztebl Int* 2010; 107: 552–556
- 25 Thiele KP, Rheineberger P. „Unmöglich“ gibt es nicht. *Deutsches Ärzteblatt* 2003; 100: A1044–A1046
- 26 Thomson Reuters (ISI) Web of Knowledge – Science – Thomson Reuters