



Patientenpräferenzen als Wegweiser für Entscheidungen im Gesundheitswesen

Sehr geehrte Leser*innen,

die Einbindung von Patient*innen in Entscheidungsprozesse gewinnt im Gesundheitswesen zunehmend an Bedeutung. Patientenpräferenzen sind nicht nur Ausdruck individueller Bedürfnisse, sondern auch ein wichtiger Wegweiser für eine qualitativ hochwertige und patientenzentrierte Versorgung. Sie tragen dazu bei, Therapieentscheidungen besser auf die Lebensrealität der Betroffenen abzustimmen und gleichzeitig die Effizienz des Gesundheitssystems zu fördern.

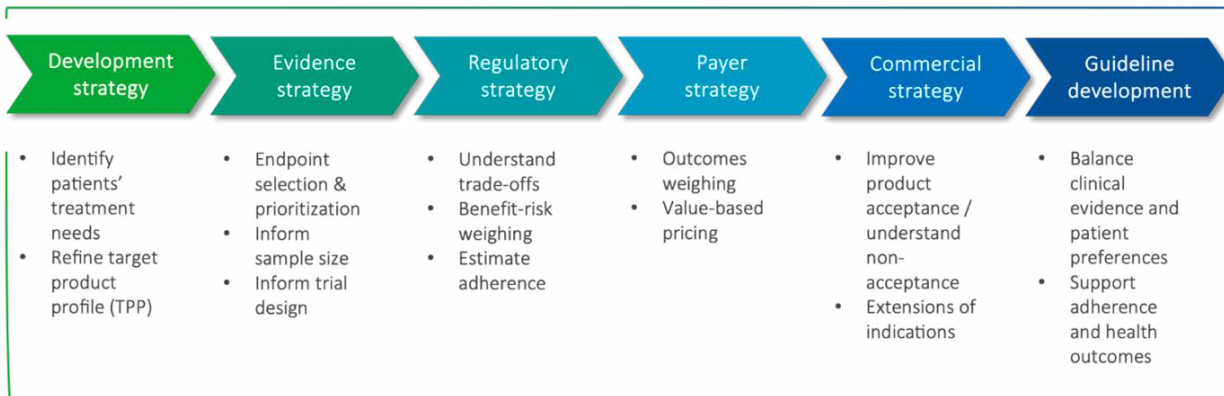
Dieses Whitepaper beleuchtet, welche Rolle Patientenpräferenzen heute spielen, wie sie methodisch erfasst werden können und welche Chancen sich daraus für eine moderne, zukunftsfähige Gesundheitsversorgung ergeben.

Autor*innen (admedicum): Christian Hoenig, Dr. Andreas L.G. Reimann, Dr. Vera Venedey
admedicum® ist darauf spezialisiert, die Lücke zwischen Gesundheitsunternehmen und Patienten zu schließen, um die gemeinsame Entwicklung sinnvoller, patientenorientierter Lösungen zu fördern, die beiden Seiten während des gesamten Produkt- oder Dienstleistungslebenszyklus zugutekommen – von der frühen Entwicklung über die klinische Entwicklung, den Marktzugang und den Patientenzugang bis hin zur Kommerzialisierung.

Die Kernkompetenzen liegen in den Bereichen Patient Engagement, Patient Insights / Experience Data Erhebung, Rekrutierung für und Verbleib von Patienten in klinischen Studien, kognitive (Exit-) Interviews im Rahmen klinischer Studien, Multi-Stakeholder-Allianzen, HTA-Schulungen und Vorbereitung des Patientenzugangs. admedicum ist in mehreren europäischen Ländern vertreten, darunter Deutschland, Frankreich, Spanien, Großbritannien und die USA.

Patientenpräferenzen als Wegweiser für Entscheidungen im Gesundheitswesen

Medizinische Behandlungen, die Anwendung von Medizintechnik oder Arzneimitteln bedürfen der Zustimmung und meist auch der aktiven Mithilfe von Patienten. Es leuchtet daher ein, systematisch zu berücksichtigen, was genau Patienten eigentlich wünschen und was nicht. Dies ist Gegenstand der Patientenpräferenzforschung. Die Berücksichtigung von Patientenpräferenzen gewinnt in der medizinischen Entwicklung und bei gesundheitspolitischen Entscheidungen zunehmend an Bedeutung. Patientenpräferenzen beziehen sich auf die relative Erwünschtheit oder Akzeptanz zugeschriebener Ergebnisse oder anderer Attribute von medizinischen Interventionen. Patientenpräferenzen sind dann besonders wichtig, wenn Entscheidungen „präferenzsensitiv“ sind, z.B. dann, wenn mehrere Behandlungsoptionen existieren, von denen keine eindeutig überlegen ist, wenn die Ansichten der Patienten über die wichtigsten Vorteile und akzeptablen Risiken erheblich variieren oder von denen der Fachpersonen abweichen. In der klinischen Praxis können Patientenpräferenzen helfen im Shared-Decision-Making die bestmögliche Entscheidung für eine individuelle Person zu treffen. Bei Zulassungs- oder Erstattungsentscheidungen können Informationen zu Patientenpräferenzen helfen, in die Werturteile, die diesen Entscheidungen zugrunde liegen, auch die Perspektive von Betroffenen systematisch mit einzubeziehen. Mittlerweile besteht ein breiter Konsens, dass die Prioritäten, Bedürfnisse und Erfahrungen von Patienten während der Entwicklung und des gesamten Lebenszyklus medizinischer Produkte und Innovationen berücksichtigt werden sollten, um eine größtmögliche Patientenzentrierung zu erreichen.



Wissenschaftlich haben sich vor allem Good Practice Task Forces der “International Society for Pharmacoeconomics and Outcomes Research” (ISPOR) damit beschäftigt einen methodischen Standard für Präferenzhebungen zu erarbeiten. Als erste regulatorische Behörde hat die US-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) ab 2015 in Einzelfällen Präferenzstudien in Entscheidungen berücksichtigt und auch Empfehlungen zur Durchführung von Präferenzstudien herausgegeben. Ein Meilenstein zur Berücksichtigung von Patientenpräferenzen in regulatorischen Prozessen in Europa war die Anerkennung der Empfehlungen des IMI PREFER Projektes durch den Ausschuss Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) in 2022.

PREFER-Empfehlungen für Patientenpräferenzstudien

Das IMI PREFER-Projekt wurde initiiert, um offene methodische Fragen zur Durchführung, Bewertung und Integration von Ergebnissen aus Patientenpräferenzstudien zu klären (The PREFER consortium. (2022). PREFER Recommendations - Why, when and how to assess and use patient preferences in medical product decision-making. Zenodo. <https://doi.org/10.5281/zenodo.6592304>). Ziel war es, Erkenntnisse aus Präferenzstudien systematisch in die Entscheidungsprozesse entlang des gesamten Lebenszyklus medizinischer Produkte einzubinden, von der Arzneimittelentwicklung bis zur Vermarktung.

Basierend auf fast sechs Jahren Forschung eines Konsortiums aus 33 öffentlichen und privaten Partnern hat das Projekt über 100 verschiedene Forschungsfragen und 32 qualitative sowie quantitative Methoden zur Erfassung von Patientenpräferenzen identifiziert. Neben literaturbasierten Studien wurden 13 Methoden in 10 prospektiven anwendungsbezogenen Präferenzstudien getestet.

Die **PREFER-Empfehlungen** umfassen drei wesentliche Aspekte:

- Das spezifische **Studienziel und die Entscheidungssituation** müssen klar definiert sein.
- Die **Organisation, methodische Planung und Durchführung einer Präferenzstudie** müssen vorab transparent dargelegt werden. Ein qualifiziertes, meist interdisziplinäres Team sollte basierend auf methodischen Guidelines die Präferenzstudie durchführen.
- Die geplante **Anwendung von Präferenzdaten zur Information der Entscheidungsfindung** muss zur Studienplanung und -durchführung festgelegt werden. Präferenzdaten können zu verschiedensten Entscheidungen entlang des Lebenszyklus eines Produktes informieren.

Die Beteiligung von Patienten als Forschungspartner ist in allen Schritten des Rahmens entscheidend, um die Relevanz, Angemessenheit, Durchführbarkeit und Akzeptanz des Studiendesigns zu erhöhen.

Methodische Ansätze zur Erfassung von Patientenpräferenzen

Patientenpräferenzinformationen können durch verschiedene qualitative oder quantitative Methoden erhoben werden. Die Wahl der geeigneten Methode hängt unter anderem vom Studienziel und Machbarkeitsfaktoren ab:

- Qualitative Methoden liefern erste Eindrücke hinsichtlich Präferenzstrukturen und helfen vor allem zu verstehen, warum bestimmte Behandlungsaspekte für Menschen wichtig sind. Hierbei kommen z. B. explorative Fragebögen, Interviews, Fokusgruppen, oder social media listening zum Einsatz.
- Quantitative Methoden sind geeignet, um die relative Bedeutung und Abwägung von Behandlungseigenschaften zu quantifizieren. Zu den am häufigsten verwendeten Methoden gehört das Discrete Choice Experiment (DCE).

Regulatorische Berücksichtigung von Patientenpräferenzinformationen

Unter anderem ermutigt die FDA die Einreichung von Patientenpräferenzinformationen, um ihre Nutzen-Risiko-Bewertungen bei Zulassungsentscheidungen zu informieren.

Die FDA betrachtet die Qualität von Patientenpräferenzstudien unter anderem anhand folgender Kriterien als „**valid scientific evidence**“:

- Gute Informierung der Studienteilnehmenden über die zu bewertende Entscheidungssituation
- Repräsentativität der Stichprobe und Generalisierbarkeit der Ergebnisse
- Berücksichtigung methodischer Guidelines
- Effektive und verständliche Kommunikation von Nutzen, Schaden, Risiko und Unsicherheit in der Präferenzstudie
- Einschluss aller relevanten Aspekte von Schaden, Risiko, Nutzen und Unsicherheit in die Präferenzfassung oder begründete Auslassung ebenjener
- Transparente Einschätzung der Robustheit der Analyseergebnisse z. B. durch Nutzung von Verständnisfragen in der Präferenzstudie, Offenlegung von Unsicherheiten und Berichten von statistischen Kennzahlen zur Ergebnissicherheit

Frühe Interaktionen mit den zuständigen Regulierungs- und HTA-Behörden werden empfohlen, um sicherzustellen, dass Patientenpräferenzstudien einen Mehrwert bieten und Ergebnisse liefern, die in den Entscheidungsprozess integriert werden können.

Praktische Anwendung von Präferenzstudien

Einige Beispiele zeigen eindrücklich, wie Präferenzstudien Entscheidungen im Gesundheitswesen maßgeblich beeinflussen und Entscheidungen stärker entlang der Bedürfnisse von Patienten getroffen werden können:

1. In einer FDA-Studie akzeptierten Patienten mit Adipositas ein Sterblichkeitsrisiko von 0,01 % für einen anhaltenden Gewichtsverlust von 10 % über fünf Jahre. Diese Erkenntnisse flossen in die Nutzen-Risiko-Bewertung und Zulassung eines Hirnstimulators ein (siehe: [Ho et al., Chirurgische Endoskopie 2015](#))
2. In einer Präferenzstudie zur Behandlung von Alopecia areata zeigte sich, dass die Patienten bereit waren, ein Krebsrisiko als unerwünschtes Ereignis einer Behandlung von Alopecia areata in Kauf zu nehmen, um ein Nachwachsen der Haare zu erreichen. Die Daten haben maßgeblich zur Entscheidung über Dosierung in der Zulassung beigetragen (siehe: <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11883726/> und https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/litfulo-epar-public-assessment-report_en.pdf)
3. In einer weiteren FDA-Studie wurden die Faktoren eingestuft, die für Patientinnen mit symptomatischen Uterusmyomen am wichtigsten und am wenigsten wichtig sind, wenn chirurgische Behandlungsoptionen in Betracht gezogen werden. Diese Erkenntnisse flossen ebenfalls in die FDA-Bewertung ein (siehe [Babaloa et al. Therapeutische Innovation & Regulatorische Wissenschaft 2023](#))

Fazit und Ausblick

Die Integration von Patientenpräferenzen in die medizinische Entscheidungsfindung ist ein vielversprechendes, aber noch vergleichbar junges methodisches Feld, auch wenn es mittlerweile umfassende Guidelines zur Durchführung von Patientenpräferenzstudien gibt. Regulatorische Behörden wie die FDA erkennen den Wert von Patientenpräferenzinformationen an und haben Kriterien für deren Akzeptanz als gültige wissenschaftliche Evidenz festgelegt.

Die Anwendungsstudien zeigen das Potential, das Präferenzstudien bieten um individuelle Therapieentscheidungen, aber auch Prozesse und Behandlungsmethoden besser an den Bedürfnissen und Präferenzen von Patienten auszurichten.

Passende Weiterbildungen finden Sie hier:

Seminare zu Gesundheitspolitik & Market Access

Bilden Sie sich weiter im Market Access, Health Policy und Healthcare Management. Das betrifft sowohl HTA- und AMNOG-Themen, als auch Anforderungen an einen Rabattvertrag, die Kooperation mit Krankenkassen und das Versorgungsmanagement.
[Jetzt informieren.](#)

e-Learning – Klicken und Lernen

Das FORUM Institut bietet mit hochwertigen e-Learning-Programmen eine flexible Weiterbildungsform. Entscheiden Sie selbst, wann und wo Sie lernen.
[Jetzt informieren und testen.](#)

Inhouse-Seminare – Maßgeschneiderte Lösungen

Alle unsere Seminare eignen sich auch hervorragend als [Inhouse-Training](#).
[Jetzt individuelles Angebot anfordern.](#)