

Zusammenfassung

Von Geschäftsstelle IGSK
Datum 4. März 2023
Betreff **13. Internationaler Tag der Seltenen Krankheiten in der Schweiz (Videokonferenz)**

PATIENTENEINBEZUG IN KLINISCHER FORSCHUNG UND GESUNDHEITSWESEN: HERAUSFORDERUNGEN UND CHANCEN

BEGRÜSSUNG

Links zur Video-Aufnahme der Konferenz (gültig bis 31.03.2023)

→ [Deutsch](#)

→ [Französisch](#)

Yvonne Feri (Präsidentin ProRaris)

Begrüssung zum 13. Tag der Seltenen Krankheiten und Moderation der Konferenz.

- Vorstellung Thema
- Verdankung aller Referent:innen und Dolmetscher:innen sowie den Organisator:innen und Sponsoren für die Durchführung der Konferenz.

PATIENTENEINBEZUG IN DER KLINISCHEN FORSCHUNG

→ [Präsentation \(Link\)](#)

Cordula Landgraf, Communications and Stakeholder Engagement Director, Swiss Clinical Trial Organization (SCTO)

- Cordula Landgraf (CL) erklärt, was unter Patienten- und Öffentlichkeitsbeteiligung (Patient and Public Involvement, kurz PPI) zu verstehen ist und erklärt, warum PPI wichtig ist.
→ [Video Erklärung PPI \(Link\)](#)
- Abgrenzung zu Studienteilnahme: PPI = aktiver Einbezug von Patient:innen bzw. Vertreter:innen, nicht Teilnahme an einer Studie!
- PPI als neuer Ansatz in der klinischen Forschung, wonach Forschung mit oder von statt an, über oder für Patient:innen bzw. Vertreter:innen durchgeführt wird. → Betroffene als gleichberechtigte Partner:innen mit hoher Erfahrungsexpertise.
- In der Schweiz gibt es bereits 48 Projekte und Initiativen mit Konzentration auf die westliche französische und die deutschsprachige Schweiz.
→ [PPI-Mapping \(Link\)](#)
- PPI in allen Phasen einer klinischen Studie möglich, Mitwirkung entsprechend Fähigkeiten/Kompetenzen, je früher, desto besser.
- Vergütung gemäss Richtlinien der SCTO.
- Direkter Nutzen:
 - Ermittlung relevanter Forschungsfragen, die für den Patienten/in wirklich von Nutzen sind.

- Einschätzung Studienlast (wichtig für längerfristige Bereitschaft, an Studie teilzunehmen).
- Herstellung Kontakt zur entsprechenden Patienten Gemeinde.
- Kommunikation der Ergebnisse an die breite Öffentlichkeit in verständlicher Sprache.
- Auch aus ethischer Sicht von Bedeutung hinsichtlich «Patient Empowerment», Transparenz und Rechenschaftspflicht.
- Wer selbst als PPI aktiv werden möchte kann sich bei der Swiss clinical trial organisation (SCTO) melden: ppi@scto.ch
- Angebot Ausbildungskurs zur/zum «EUPATI Schweiz Patientenexpertin/- experten» ([Link](#)) – keine zwingende Voraussetzung, aber hilfreich.

Dr. Sandra Kohlmaier, Senior Wissenschaftliche Mitarbeiterin Aus- und Weiterbildung, Projektleiterin Patient & Public Involvement (PPI), Departement Klinische Forschung (DKF) Basel

→ [Präsentation \(Link\)](#)

Dr. Sandra Kohlmeier (SK) beginnt ihre Präsentation mit einer Umfrage.

Umfrage 1: Waren Sie bereits bei einem Forschungsprojekt aktiv als Patientenmitwirkung dabei?

→ 20% Ja, 80% Nein

- Dr. Sandra Kohlmeier stellt die EMINENT Studie als Beispiel für PPI aus der Praxis vor (Behandlungsoptionen Behandlung der zweithäufigsten Form des Schlaganfalls).
- Fragestellung der Studie war zu Beginn der PPI-Mitwirkung bereits formuliert: Wie ist die Beeinträchtigung nach sechs Monaten bei 200 Studienteilnehmenden?
- Patientenmitwirkung bei allen weiteren Studienphasen:
 - Entwicklung des Studiendesign: Identifikation patientenrelevanter Studienendpunkte.
 - Management und Studienprozess: Änderung des Visitenplans – patientenfreundlicheres Design Verbesserung Patienteninformation und Zusammenfassung Studie.
 - Datenanalyse: Berücksichtigung des Risk-Benefit Aspekts der Patienten im Safety-Monitoring.
 - Verbreitung und Implementierung: Verbesserung laienverständliche Zusammenfassung Studienergebnisse.
 - Evaluation: Evaluation der PPI-Zusammenarbeit und «Lessons learned» für zukünftige Studien.
- Wegen teils starken Beeinträchtigungen von Betroffenen war die PPI-Beteiligung von Angehörigen in diesem Fall besonders wichtig.
- Key learnings:
 - Möglichst früh mit PPI befassen, am besten gleich zu Beginn der Studienplanung mit PPI beginnen, z.B. mit Patientenpool vor Ort oder Kontaktaufnahme mit Patientenorganisationen.
 - Genug Raum und Zeit für Vorschläge durch PPI wichtig.
 - Sich auf den Prozess des PPIs einlassen, klare Kommunikation wichtig.
 - Regelmässige Evaluation der PPI-Aktivitäten.

Umfrage 2: Wo wäre für das Projekt Hirnblutungen PPI-Einbezug sinnvoll?

→ Entwicklung Forschungsfrage und Verbreitung und Implementierung Ergebnisse

Umfrage 3: Würden Sie sich künftig als Patientenmitwirkung beteiligen, nachdem was Sie heute gehört haben?

→ 96% sagen Ja

Jennifer Woods, Repräsentantin für Carney Complex & Stellv. Patientenvertreterin bei der Nationalen Koordinationsplattform Klinische Forschung der Schweizerischen Akademie der Medizinischen Wissenschaften

→ Präsentation (Link)

- Jennifer Woods (JW), seit ihrem 8. Lebensjahr Patientin und Studienteilnehmerin, berichtet von ihren Erfahrungen als Patientenvertreterin und PPI-Mitwirkende.
- Motivation war, ihre gelebte Erfahrung mit ihrer Krankheit sinnvoll in die Forschung einzubringen.
- Erfahrung, dass Schwäche auch Stärke sein kann, stärkt Selbstvertrauen.
- Stellt fest, dass ein Paradigmenwechsel im Gang ist, wonach die Expertise von Betroffenen in der Forschung an Relevanz gewinnt und sich die Rolle des Patienten langsam verändert («patient empowerment»). Allerdings müsse noch viel Informationsarbeit geleistet werden innerhalb der Forschungsgemeinschaft.
- Betont Notwendigkeit von zusätzlichen Ressourcen: Personal, Aus- und Weiterbildung, finanzielle Mittel.
- Damit Patient:innen sich engagieren können und möchten braucht es laut JW u.a. das Gefühl als gleichwertiger Partner ernst genommen zu werden, eine frühzeitige Einbindung sowie Aufgeschlossenheit, Einfühlungsvermögen und Kompromissbereitschaft beim Gegenüber.

Fragerunde

- **Frage Yvonne Feri an Jennifer Woods:** Können Sie beschreiben, was Sie beim 1. Treffen fühlten und was sich in der Zwischenzeit verändert hat?
JW: Beim ersten Treffen hatte ich Lampenfieber und fühlte mich eingeschüchtert durch das Fachwissen und die Erfahrungen anderer. Mittlerweile habe ich gemerkt, dass andere Mitglieder unseren Erfahrungswerten gegenüber sehr aufgeschlossen sind. Heute weiss ich, was Patientenmitwirkung tatsächlich bedeutet.
- **Ich möchte meine Daten Forschenden zur Verfügung stellen. Allerdings ist das gar nicht so einfach, da es für Datenerfassung oft geschultes Personal braucht. Wie können Daten aus dem Patienten-Monitoring konkret einbezogen werden?**
CL: In der Schweiz ist man erst am Anfang des PPI-Konzepts. Seit zwei Jahren arbeitet das SCTO daran, das Konzept bekannter zu machen. Allerdings muss noch viel Aufbauarbeit geleistet werden. In England gibt es bereits ein Institut für PPI.
SK: Forschungsgemeinschaft muss begreifen, wie gross der Mehrwert von PPI ist.
- **Wie kann ein Betroffener an einer Forschungsgruppe teilnehmen, wenn er infolge seiner Krankheit nicht sprechen kann?**
JW: Angehörige können miteinbezogen werden. Diese haben ebenfalls spezialisiertes Wissen.

SWISSMEDIC ARBEITSGRUPPE GIBT PATIENTINNEN UND PATIENTEN EINE STIMME

Dr. Gabriela Zenhäusern, stellvertretende Abteilungsleiterin Stakeholder Engagement, Swissmedic

→ Präsentation (Link)

- Dr. Gabriela Zenhäusern (GZ) betont, dass bei der Zulassung eines Medikaments Patient:innen als Anwender:innen wichtige Stakeholder sind.
- Der Einbezug von Patienten- und Konsumentenorganisationen als strategischer Schwerpunkt der Swissmedic Strategie 2023 – 2026.
- GZ stellt die Swissmedic Arbeitsgruppe Patienten- und Konsumentenorganisationen (PKO) vor, die 2014 als Pilotprojekt gegründet und 2019 als Arbeitsgruppe implementiert wurde.
- Swissmedic Arbeitsgruppe besteht aus Vertreter:innen von Patienten- und Konsumentenorganisationen und Mitarbeitenden von Swissmedic, die sich dreimal jährlich treffen.
- Ziele sind aktive Bereitstellung von Informationen rund um Heilmittel, die an die Bedürfnisse von Patient:innen und Konsument:innen angepasst sind, sowie der Einbezug von Vertreter:innen von PKO in definierte Tätigkeitsbereiche von Swissmedic.
- Projekt «Patienteninformationen» wurde per 1. November 2021 implementiert: Optimierung der Patienteninformation (Beipackzettel) in Bezug auf Verständlichkeit, Auffindbarkeit und Gewichtung sowie Vollständigkeit der Informationen dank Beteiligung von Vertreter:innen von PKO, aus der Industrie und von Swissmedic.
- Innovationsbüro der Swissmedic als neue Abteilung für neuartige Therapien, wo Patientenwissen eingesetzt werden soll
- GZ: «Ziel ist es, die Perspektive von PKO im gesamten Lebenszyklus eines Heilmittels einzubringen, um die Bedürfnisse von Patientinnen und Patienten besser zu verstehen und somit die Patientensicherheit zu erhöhen.»

Fragerunde

Fragen David Haerry, Co-Leiter Positivrat Schweiz und Vorsitz der Arbeitsgruppe PKO

- DH: Die Arbeitsgruppe PKO besteht seit 2014. Trotzdem gewinnt man den Eindruck, sie trete seither an Ort und Stelle. Nach wie vor findet keine Konsultation von Patient:innen bei der Zulassung oder bei der Kommunikation gegen aussen statt. Kurz: Was funktioniert, ist die Informationsvermittlung an die Patient:innen, die Anhörung der Patient:innen-Anliegen funktioniert hingegen (noch) ungenügend. Warum?
Antwort GZ: Leider fehlt nach wie vor die gesetzliche Grundlage, die eine umfassende Konsultation der Patient:innen sicherstellen würde. Der neu gesetzte strategische Schwerpunkt in der Swissmedic Strategie 2023 – 2026 eröffnet jedoch neue Möglichkeiten, zumal damit zusätzliche Ressourcen verbunden sind. Möglich ist zudem eine Vertretung der Patientensicht im Expertenkomitee, welches die Swissmedic bei der Zulassung von Arzneimitteln berät. Eine Umsetzung dieser Möglichkeit ist aktuell in Arbeit.
- DH: «Early advise» setzt voraus, dass die Patient:innen, sich innerhalb kurzer Frist mit relativ komplizierte Dossiers auseinandersetzen können. Gäbe es hier die Möglichkeit einer Schulung?
GZ: Will die Idee der Schulung aufnehmen und mit dem BAG besprechen.
- DH: In der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) hat man gute Erfahrungen mit dem Einbezug von Patient:innen gemacht. Allerdings hat es die EMA noch nicht geschafft, die Aufwände der Patient:innen entsprechend zu vergüten. Welche konkreten Pläne hat die Swissmedic betreffend Vergütung von Patient:innen?
GZ: Die einzige Vergütungsmöglichkeit wäre der Expertenstatus im Expertenkomitee. Andere Vergütungsmodelle, z.B. ein Finanzierungspool, wurden durchdacht, aber aufgrund der Gefahr von Interessenskonflikten wieder verworfen.
- DH: Was ist aus Ihrer Sicht der grösste Nutzen des Patienteneinbezugs?
GZ: Das Feedback, das wir in der Arbeitsgruppe von den Patient:innenvertreter:innen erhalten. Bei den Zulassungsdossiers ist der Input von Kolleg:innen wichtig, die nicht nur ein

Verständnis des Krankheitsbildes haben, sondern auch wissen, was eine Zulassung am Ende tatsächlich bedeutet.

Weitere Fragen

- Bei Seltenen Krankheiten fehlt es oft an Forschung. Was tut Swissmedic, um diese Forschung zu fördern?
GZ: Swissmedic ist in erster Linie eine Aufsichts- und Zulassungsbehörde. Über das neue «Innovationsbüro» soll jedoch der Austausch mit den Universitäten und Start-ups gestärkt und so Projekte gefördert werden, die neue Arzneimittel auf den Markt bringen.

PATIENTENPARTIZIPATION IN DEN PROJEKTEN DER NATIONALEN KOORDINATION SELTENE KRANKHEITEN KOSEK

Prof. Jean-Blaise Wasserfallen, Präsident kosek

→ [Präsentation \(Link\)](#)

- Prof Wasserfallen erklärt den Ansatz der kosek betreffend Patientenbeteiligung: Sowohl Behandelnde als auch Patient:innen sind Expert:innen für die Krankheit. Beide haben unterschiedliche Expertisen, die sich ergänzen.
- Während die Behandelnden zwar Kenntnis von pathophysiologischen Mechanismen, der Symptome und Anzeichen resp. der therapeutischen Möglichkeiten haben (falls solche existieren), fehlt ihnen oftmals das Wissen um die Werte und Prioritäten der Betroffenen. Diese Wissenslücke wird durch die Zusammenarbeit mit den Patient:innen und ihrer Angehörigen geschlossen.
- Das Ziel der Verbesserung der Situation für die Betroffenen von seltenen Krankheiten durch die Umsetzung eines Prozesses der Qualitätssicherung kann nur durch Einbezug der Patientenperspektive erreicht werden.
- Bei der kosek sind die Patientenorganisationen deshalb in allen Expertengruppen vertreten.
- Die Patientensicht ist ausserdem durch die Mitgliedschaft von ProRaris sichergestellt.
- Für ihr Ziel, der Identifizierung und Beseitigung von Lücken in der Versorgung von Menschen mit einer seltenen Krankheit, setzt die kosek auf die Beteiligung an Orphanet und am Schweizer Register für Seltene Krankheiten (SRSK) sowie auf die Zentren für seltene Krankheiten und ihre Versorgungsnetzwerke.
- Aktuell gibt es neun anerkannte Zentren für seltene Krankheiten, an die sich Patient:innen mit unklarer Diagnose wenden können, um vertiefte Abklärungen zu machen und eine Diagnose zu erhalten.
- Der nächste Schritt ist die ordentliche Anerkennung von krankheits(gruppen)spezifischen Versorgungsnetzwerken (Referenzzentren). Voraussetzung für Anerkennung ist ein schweizweites Versorgungsnetz, wobei Patientenorganisationen ein Teil davon sind. Aktuell sind vier Referenzzentren für Stoffwechselerkrankungen und sieben für neuromuskuläre Erkrankungen anerkannt.
- Mit der Anerkennung der Referenzzentren und ihres Netzwerks, wird eine Reflexion über die Rolle von Patientenorganisationen notwendig sein. Drei vielversprechende Ansätze zeichnen sich ab:
 - «Patient Partner». Ansatz, bei dem Patient:innen und ihre Meinung in die Pflegeverfahren einbezogen werden.
 - PROMS (Patient-related outcome measures). Entwicklung und Erhebung von Qualitätsindikatoren, die spezifisch auf Werte und Prioritäten der Patienten ausgerichtet sind.

- VBHC (Value-based health care). Änderung der klinischen Praxis als Folge der PROMS-Ergebnisse (potenziell verbunden mit neuen Finanzierungsmodalitäten).
- Die Beteiligung der Patient:innen und ihrer Organisationen wird in der Struktur und der Funktionsweise der Kosek fortbestehen. Die Grundlage dafür soll die Umsetzung der Motionen 21.3978 (Für eine nachhaltige Finanzierung von Public-Health-Projekten des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten) und 22.3379 (Stärkung und Finanzierung der Patientenorganisationen im Bereich seltener Krankheiten) schaffen.

SCHWEIZER REGISTER FÜR SELTENE KRANKHEITEN (SRSK) SETZT AUF PATIENTENBETEILIGUNG: ÜBERBLICK UND BEISPIELE

PD Dr. Michaela Fux, Projektleiterin SRSK und Dr. med. Leonie Schreck, Projektkoordinatorin, Institut für Sozial- und Präventivmedizin (ISPM), Universität Bern

→ [Präsentation \(Link\)](#)

- Dr. Michaela Fux (MF) präsentiert zu Beginn ihrer Präsentation die Ziele des Schweizer Registers für Seltene Krankheiten (SRSK):
 - Betroffenen die Teilnahme an Studien erleichtern.
 - Menschen mit seltenen Krankheiten in der Gesundheitsstatistik und -forschung sichtbar machen.
 - Die Situation der seltenen Krankheiten in der Schweiz beschreiben:
 - Epidemiologie
 - Gesundheitsversorgung
 - Forschungsplattform aufbauen.
 - Verfügbare Daten zu seltenen Krankheiten integrieren und harmonisieren.
 - Netzwerk aufbauen zur Kommunikation zwischen Betroffenen und Gesundheitsfachpersonen.
- Zwei Möglichkeiten, wie Daten ins Register kommen:
 - Behandelnde identifizieren Betroffene (krankheitsspezifische Register).
 - Betroffene registrieren sich selbst (Teilnahme ist freiwillig und widerrufbar, eine Einwilligungserklärung ist notwendig).
- Beim SRSK findet Patientenbeteiligung auf vier Levels statt:
 1. Betroffene informieren (Erwartungen, Ziele, Bedenken).
 2. Betroffene beraten (Flyer für Betroffene, Rückmeldung Selbstregistrierung per Papierformular und Beratung zu Umsetzung Online-Registrierung).
 3. Betroffene entscheiden mit (Patientenboard) → Potenzielle Handlungsfelder:
 - Strategien zur Vernetzung von Betroffenen erarbeiten.
 - Forschungsvorhaben beurteilen.
 - Kommunikation von Studienergebnissen bestimmen.
 4. Betroffene leiten mit (Vertretung der Perspektiven der Betroffenen).
- Laut MF sind die Möglichkeit der Selbstregistrierung sowie das Patienten Board und Vertretung im Vorstand Lösungsansätze, mit denen auf Bedenken der Patient:innen reagiert wurde, dass die Zeitressourcen der Ärzte und Ärztinnen nicht ausreichen würden resp. dass das Register aus dem akademischen Elfenbeinturm heraus konzipiert wird.
- Finanzielle und personelle Ressourcen als Herausforderung für potenzielle Handlungsfelder des Patientenboards.
- Leonie Schreck stellt schliesslich noch die Studie COVID-PCD vor - Ein Beispiel einer Studie mit Patientenbeteiligung von und für Menschen mit primärer ziliärer Dyskinesie (PCD):

- Idee von Teilnehmer einer Selbsthilfegruppe: Wäre es möglich, eine solche Studie aufzugleisen?
- Rekrutierung erfolgte von PCD-Selbsthilfegruppen auf der ganzen Welt, was ein enormer Vorteil ist. Als Forschungsgruppe hätten sie Betroffene resp. potenzielle Teilnehmer gar nicht erreichen können.
- Selbsthilfegruppen haben weitere Länder eingebunden.
- Machbarkeit der Studie konnte dank Diskussionen mit Betroffenen über Studiendesign sichergestellt werden.

Fragerrunde

Prof. Jean-Blaise Wasserfallen (JBW), PD Dr. Michaela Fux (MF), Dr. Natalie Bayard-Guggisberg (NB), wissenschaftliche Mitarbeiterin SRSK, Dr. med. dent. Alfred Wiesbauer (AW) Co-Vize-Präsident ProRaris und Patientenvertretung im SRSK und der kosek, Stephan Hüsler (SH), Geschäftsleiter Retina Suisse und Patientenvertretung in der kosek und Dr. med. Therese Stutz-Steiger (TS), Co-Vize-Präsidentin ProRaris und Patientenvertretung in der kosek

- Frage Yvonne Feri an Alfred Wiesbauer (AF): Was war Ihre Motivation und warum ist das Patientenregister so wichtig?
AF: Ich war indirekt über meine Tochter betroffen. Wir wussten zwar, dass es andere Betroffene gibt, aber nicht wie viele. Erst dank dem Register haben wir erfahren, wie viele Betroffene es tatsächlich gibt. **Das Register ist eine essenzielle Grundlage für die Wissenschaft. Darüber hinaus dient es aber auch dazu, die politischen Entscheidungsträger in die Verantwortung zu nehmen, indem aufgezeigt werden kann, dass seltene Krankheiten in ihrer Gesamtheit eben nicht so selten sind und dass es Handlungsbedarf gibt.**
- Wie finde ich eine Selbsthilfegruppe zu einer seltenen Krankheit?
MF: Das Register hat das Ziel, alle seltenen Krankheiten zu registrieren und Betroffene mit derselben Krankheit miteinander zu vernetzen. Je mehr Betroffene registriert sind, desto grösser ist die Chance, über das Register andere Betroffene zu finden. Eine Anfrage kann beim Register gestellt werden.
- Welche Möglichkeiten haben Betroffene, ihre Informationen dem Register zur Verfügung zu stellen?
NB: Es gibt zwei Möglichkeiten:
 1. Den behandelnden Arzt oder Ärztin ansprechen.
 2. Auf der Homepage raredisease.ch die Patienteneinverständniserklärung unterschreiben und ans Register schicken, danach wird Ihnen das Formular für die Angaben zur Krankheit und zu den behandelnden Ärzten zugeschickt. Falls Sie keine Möglichkeit haben, das Formular selber auszufüllen, dürfen Sie sich direkt beim SRSK melden (Tel.: +41 31 684 48 87)

FAZIT UND ABSCHLUSS

Yvonne Feri, Präsidentin ProRaris

Yvonne Feri (YF) hält abschliessend fest, dass die Patientenbeteiligung gerade für seltene Krankheiten essenziell ist und einen enormen Mehrwert bringt. Allerdings erfordere es mehr personelle und finanzielle Ressourcen, um die Chancen von PPI auf allen Ebenen und in vollem Umfang auszuschöpfen. Zentral ist dabei auch eine entsprechende Entlohnung der Patientenbeteiligung. Damit Betroffene auf allen Ebenen noch stärker eingebunden werden, gilt es, die Bekanntheit des Nutzens

von PPI zu erhöhen. Bezüglich der fehlenden gesetzlichen Grundlagen will YF sich noch genauer informieren.

Zum Abschluss bedankt sich Yvonne Feri bei allen Teilnehmenden, wünscht allen das Beste und spricht die Hoffnung aus, dass die Veranstaltung 2024 wieder physisch stattfinden kann.