

# **Patient Involvement**

## Anforderungen öffentlicher Förderer – Ideen für die Umsetzung

Friederike Dominick, MPH

KKS Heidelberg

D|A|CH – Symposium Salzburg, 30.05.2022

---



## Kapitel 2.3 - Patient input into drug\* development

### 2.3 - Patient input into drug\* development

Consulting with patients and/or patient organisations during drug development can help to ensure that patients' perspectives are captured. The views of patients (or of their caregivers/parents) can be valuable throughout all phases of drug development. Involving patients early in the design of a study is likely to increase trust in the study, facilitate recruitment, and promote adherence.

Patients also provide their perspective of living with a condition, which may contribute to the determination, for example, of endpoints that are meaningful to patients, selection of the appropriate population and duration of the study, and use of acceptable comparators. This ultimately supports the development of drugs that are better tailored to patients' needs.

# ICH-E8 (R1) vom 14. Okt. 2021

## Kapitel 3.3.3 Engaging stakeholders in study design

### 3.3.3 Engaging stakeholders in study design

Clinical study design is best informed by input from a broad range of stakeholders, including patients [...]. The process of building quality into the study may be informed by participation of those directly involved in successful completion of the study such as clinical investigators, study coordinators and other site staff, and patients/patient organisations.

Clinical investigators and potential study participants have valuable insights into the feasibility of enrolling participants who meet proposed eligibility criteria, whether scheduled study visits and procedures may be overly burdensome and lead to early dropouts, and the general relevance of study endpoints and study settings to the targeted patient population.

They may also provide insight into the value of a treatment in the context of ethical issues, culture, region, demographics, and other characteristics of subgroups within a targeted patient population. Early engagement with regulatory authorities is encouraged, particularly when a study has novel elements considered critical to quality (e.g., defining patient populations, procedures, or endpoints).

# Öffentliche Förderer in Deutschland



Bundesministerium  
für Bildung  
und Forschung



Bundesministerium  
für Gesundheit



**Gemeinsamer**  
Bundesausschuss

- Ähnliche Ansätze bzw. Voraussetzungen
- Allen ist gemein, dass sie die Einbindung der Patienten im Förderantrag einfordern

# G-BA: FAQ-Liste für Antragsteller zu den Förderbekanntmachungen des Innovationsausschusses beim G-BA

## 2.16 Warum sollen bei der Antragstellung im Bereich der neuen Versorgungsformen Patientinnen und Patienten und ihre Organisationen beteiligt werden?

Um die Bedarfsgerechtigkeit von Patientenversorgung sicherzustellen und ihre Akzeptanz zu erhöhen, muss die Perspektive der Betroffenen (Patientinnen und Patienten, An- und Zugehörige, beteiligte Berufsgruppen) möglichst auf allen relevanten Ebenen und Prozessen der Forschung und der Versorgung einbezogen werden. Dies reicht von entsprechenden Fragestellungen und Endpunkten bis hin zu einer aktiven Beteiligung am Forschungsprozess selbst.

Beteiligung in der Forschung kann in verschiedenen Abstufungen erfolgen, von einer Beratung durch Betroffene bis hin zu einer Zusammenarbeit bei der Planung und Durchführung des Projekts.

Das konkret gewählte Vorgehen muss im Antrag mit einer entsprechenden Begründung dargelegt werden. [...]. Wenn keine Beteiligung vorgesehen oder möglich ist, ist dies zu begründen.

# BMBF: Richtlinie zur Förderung *klinischer Studien mit hoher Relevanz für die Patientenversorgung (Bsp.)*

- Damit [...] die Bedürfnisse und Bedarfslagen der Patientinnen und Patienten [...], sind sie oder ihre Vertretungen bei allen Projekten in geeigneter / angemessener Weise zu beteiligen.
- [...] in denen Betroffenen und Nutzern eine aktive Rolle bei der Planung und Konzeption einer klinischen Studie [...] oder [...] Übersichtsarbeit zukommt.

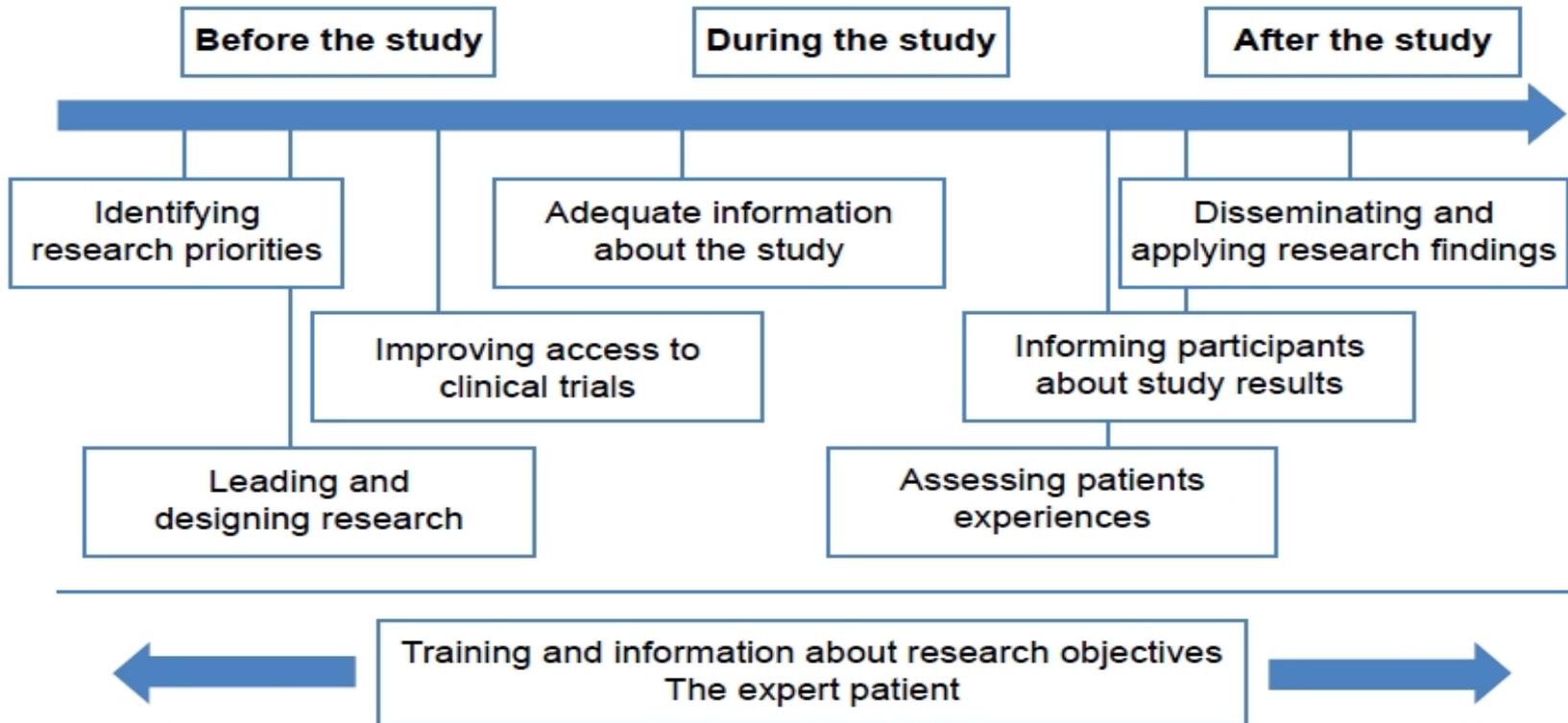
# **BMBF: Richtlinie zur Förderung klinischer Studien mit hoher Relevanz für die Patientenversorgung (Bsp.)**

Klinische Studien und systematische Übersichtsarbeiten können nur gefördert werden:

- wenn sie eine hohe Relevanz für die Versorgung von Patientinnen und Patienten in Deutschland haben.
- wenn sie Patientinnen und Patienten oder deren Vertretungen in angemessener Weise an Planung, Durchführung und Verbreitung der Ergebnisse beteiligen.
- Projekte ohne aktive Beteiligung von Betroffenen oder deren Vertretungen können nur in begründeten Sonderfällen gefördert werden, in denen eine Beteiligung nachweislich nicht möglich ist.

**Entsprechend der oben angegebenen Kriterien und ihrer Bewertung werden die für eine Förderung geeigneten Projektideen ausgewählt. [...].**

# Patienten (Ein-) Bindung



## Zeitliches & inhaltliches Dilemma für die Antragsteller

# Projekt „Patienteneinbindung“ (2021)

Entwicklung umsetzbarer Methoden:

- Niederschwellig
- In der Umsetzung abschätzbar
  - Planung, Zuständigkeiten, Bedeutung, Kosten
- Indikationsunabhängig
- Dienen der Hilfestellung bei Antragstellung & Projektplanung

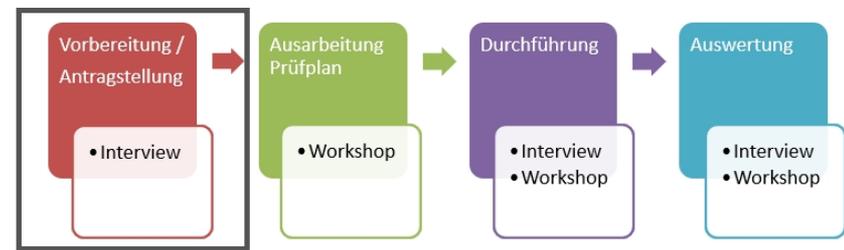
# Ergebnisse

- *Zeitpunkte* zur Einbindung von Patienten/ -vertretern
  - Vorbereitung, Prüfplan, Durchführung, Auswertung
- *Art der Einbindung* (☐ *Methode*)
  - Befragung oder Workshop
- Entwicklung entsprechender *Methoden-Steckbriefe*
  - Ergänzende Unterlagen
  - Budgetpositionen
- Beispieltex te für Förderanträge

# Patienteneinbindung

## Antragstellung – Interview

<b>Methode</b>	Interview / Befragung (im Gespräch, telefonisch oder persönlich)
<b>Wann</b>	Zur ersten Konzeptentwicklung (z.B. vor Förderantrag)



	Details	Hinweis
<b>Teilnehmer</b>	<p><b>Interviewte:</b> 2-5 (Studien-) Patienten und / oder Angehörige</p> <p><b>Interviewer:</b> Studienleiter, Ideengeber, alternativ ein in der Indikation sehr erfahrener Projektmanager</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Art und Anzahl der Teilnehmer richtet sich je nach Erreichbarkeit, Zeit und möglicher Bedeutung für das Studiendesign</li> <li>• Interviewte sollten den Interviewer bereits gut kennen, sich schon in der Thematik auskennen (gut realisierbar bei chronisch Kranken, bei akuten oder seltenen Erkrankungen schwierig, ggf. auf Pool zurückgreifen)</li> </ul>
<b>Zeitlicher Umfang</b>	Einmalig, je Interview etwa 1h zzgl. Vor- und Nachbereitung	
<b>Ort</b>	Unabhängig	Durchführung zentral, ggf. <i>persönliche</i> oder <i>telefonische</i> Befragung (wünschenswert: nur <u>eine</u> durchführende Person)
<b>Zielsetzung</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Heraushören, was aus Patientensicht für eine (neue) Studie relevant erscheint (Ablauf, Endpunkte, etc.)</li> <li>• Verbesserung der Patienten-Compliance, ggf. Erfahrung aus früheren Studien aufnehmen / einbinden</li> <li>• Verbesserung der Patientenrekrutierung</li> </ul>	

<b>Geeignet für</b>	Alle Studien
---------------------	--------------

### Durchführung

- Ansprache der zu interviewenden Personen per E-Mail oder persönlich
- Ggf. Bereitstellung von Vorabinformation bzw. Fragestellung an die Teilnehmer
- Durchführung des Interviews
- *Nachbereitung:* Transfer, Anpassen des Studiendesigns

### Vorteile

- Erhöhung Relevanz der Studie
- Direktes Feedback und Kommunikation Patient – Studienteam
- Verbesserung der Patientenzufriedenheit in der Studie
- Verringerung unnötiger und vermeidbarer Belastungen für die Patienten, weniger Dropouts
- Höhere Bereitschaft für die Studienteilnahme, verbesserte Patientenrekrutierung
- Patienten erfahren mehr Wertschätzung
- Lernprozess für das Studienpersonal

### Herausforderungen / Schwierigkeiten

- Geeignete, erfahrene, differenzierte Patienten zu erreichen

### Weitere Informationen

<b>Ressourcen</b>	<b>Zeitaufwand</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <i>Vorbereitung:</i> 2h ++, je nach Umfang des Fragenkatalogs</li> <li>• <i>Durchführung pro telefonische Befragung:</i> ca. 1,5h pro Patient inkl. Terminvereinbarung &amp; Kontaktaufnahme</li> <li>• Nachbereitung (Auswertung der Interviews): 5-10h</li> <li>• Kumulierte Stunden: &gt; 15h</li> </ul>
	<b>Personal</b>	Studienleiter, sehr erfahrener Kliniker oder Projektmanager
	<b>Kosten</b>	Personal für Vorbereitung, Durchführung, Auswertung
	<b>Equipment</b>	Telefon

# Patienteneinbindung

## Antragstellung – Interview



<b>Methode</b>	Interview / Befragung (im Gespräch, telefonisch oder persönlich)
<b>Wann</b>	Zur ersten Konzeptentwicklung (z.B. vor Förderantrag)

	Details	Hinweis
<b>Teilnehmer</b>	<p><b>Interviewte:</b> 2-5 (Studien-) Patienten und / oder Angehörige</p> <p><b>Interviewer:</b> Studienleiter, Ideengeber, alternativ ein in der Indikation sehr erfahrener Projektmanager</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Art und Anzahl der Teilnehmer richtet sich je nach Erreichbarkeit, Zeit und möglicher Bedeutung für das Studiendesign</li> <li>• Interviewte sollten den Interviewer bereits gut kennen, sich schon in der Thematik auskennen (gut realisierbar bei chronisch Kranken, bei akuten oder seltenen Erkrankungen schwierig, ggf. auf Pool zurückgreifen)</li> </ul>
<b>Zeitlicher Umfang</b>	Einmalig, je Interview etwa 1h zzgl. Vor- und Nachbereitung	
<b>Ort</b>	Unabhängig	Durchführung zentral, ggf. <i>persönliche</i> oder <i>telefonische</i> Befragung (wünschenswert: nur <u>eine</u> durchführende Person)
<b>Zielsetzung</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Heraushören, was aus Patientensicht für eine (neue) Studie relevant erscheint (Ablauf, Endpunkte, etc.)</li> <li>• Verbesserung der Patienten-Compliance, ggf. Erfahrung aus früheren Studien aufnehmen / einbinden</li> <li>• Verbesserung der Patientenrekrutierung</li> </ul>	

<b>Geeignet für</b>	Alle Studien
---------------------	--------------

### Durchführung

- Ansprache der zu interviewenden Personen per E-Mail oder persönlich
- Ggf. Bereitstellung von Vorabinformation bzw. Fragestellung an die Teilnehmer
- Durchführung des Interviews
- *Nachbereitung:* Transfer, Anpassen des Studiendesigns

### Vorteile

- Erhöhung Relevanz der Studie
- Direktes Feedback und Kommunikation Patient – Studienteam
- Verbesserung der Patientenzufriedenheit in der Studie
- Verringerung unnötiger und vermeidbarer Belastungen für die Patienten, weniger Dropouts
- Höhere Bereitschaft für die Studienteilnahme, verbesserte Patientenrekrutierung
- Patienten erfahren mehr Wertschätzung
- Lernprozess für das Studienpersonal

### Herausforderungen / Schwierigkeiten

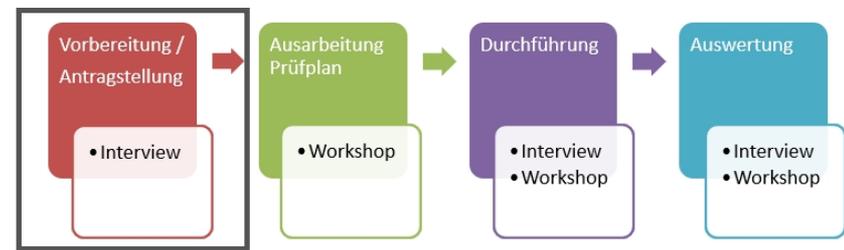
- Geeignete, erfahrene, differenzierte Patienten zu erreichen

### Weitere Informationen

<b>Ressourcen</b>	<b>Zeitaufwand</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <i>Vorbereitung:</i> 2h ++, je nach Umfang des Fragenkatalogs</li> <li>• <i>Durchführung pro telefonische Befragung:</i> ca. 1,5h pro Patient inkl. Terminvereinbarung &amp; Kontaktaufnahme</li> <li>• <i>Nachbereitung (Auswertung der Interviews):</i> 5-10h</li> <li>• <i>Kumulierte Stunden:</i> &gt; 15h</li> </ul>
	<b>Personal</b>	Studienleiter, sehr erfahrener Kliniker oder Projektmanager
	<b>Kosten</b>	Personal für Vorbereitung, Durchführung, Auswertung
	<b>Equipment</b>	Telefon

# Patienteneinbindung

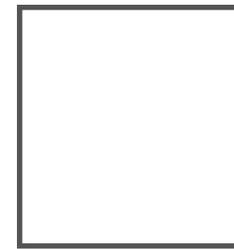
## Antragstellung – Interview



	Details	Hinweis
<b>Teilnehmer</b>	<p><b>Interviewte:</b> 2-5 (Studien-) Patienten und / oder Angehörige</p> <p><b>Interviewer:</b> Studienleiter, Ideengeber, alternativ ein in der Indikation sehr erfahrener Projektmanager</p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Art und Anzahl der Teilnehmer richtet sich je nach Erreichbarkeit, Zeit und möglicher Bedeutung für das Studiendesign</li> <li>• Interviewte sollten den Interviewer bereits gut kennen, sich schon in der Thematik auskennen (gut realisierbar bei chronisch Kranken, bei akuten oder seltenen Erkrankungen schwierig, ggf. auf Pool zurückgreifen)</li> </ul>
<b>Zeitlicher Umfang</b>	Einmalig, je Interview etwa 1h zzgl. Vor- und Nachbereitung	
<b>Ort</b>	Unabhängig	Durchführung zentral, ggf. <i>persönliche</i> oder <i>telefonische</i> Befragung (wünschenswert: nur <u>eine</u> durchführende Person)
<b>Zielsetzung</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Heraushören, was aus Patientensicht für eine (neue) Studie relevant erscheint (Ablauf, Endpunkte, etc.)</li> <li>• Verbesserung der Patienten-Compliance, ggf. Erfahrung aus früheren Studien aufnehmen / einbinden</li> <li>• Verbesserung der Patientenrekrutierung</li> </ul>	

# Patienteneinbindung

## Prüfplan – Workshop



<b>Methode</b>	Patienten-Workshop
<b>Wann</b>	In der Ausarbeitungsphase zu Prüfplan und Studienablauf

	Details	Hinweis
<b>Teilnehmer</b>	3-5 Patienten / Angehörige + Moderator/en und/ oder Sachverständige	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Schon erfahrene Personen, methodische Schulung zu Aspekten klinischer Studien sollte vorab erfolgt sein</li> <li>• Rekrutierung aus einem vorher angelegten Pool, zumindest bei Indikationen, die nicht durch klassische Selbsthilfegruppen organisiert sind (sonst Rekrutierung aus diesen)</li> </ul>
<b>Zeitlicher Umfang</b>	2 bis max. 5 Stunden, inkl. Pausen	
<b>Ort</b>	Lokal beim Studienleiter, notfalls online	Bestenfalls als Präsenzmeeting in angenehmer Atmosphäre
<b>Zielsetzung</b>	Projektspezifische Einführung, Erkennen von Fallstricken <ul style="list-style-type: none"> <li>• Studienablauf               <ul style="list-style-type: none"> <li>○ Vertretbarer Aufwand</li> <li>○ Incentives / Anreize</li> <li>○ Offene Fragen</li> </ul> </li> <li>• Relevanz der Therapie, Unterschied zur Standardtherapie</li> <li>• Endpunkte aus Patientensicht</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Es soll eine offene Diskussion zu möglichen Problemen etc. entstehen</li> <li>• Moderation ggf. nicht durch den Studienleiter selbst („Professor“), eher durch eine schlagfertige, sehr erfahrene Study Nurse</li> </ul>

Ressourcen	Zeitaufwand*	
		30 h Vorbereitung, 20 h Durchführung, 20 h Nachbereitung inkl. Follow-up an die Teilnehmer → kumulierte Stunden für 3-4 Personen: 70-80h
<b>Personal</b>		Moderator, Projektmanager, Assistenz, Studienleiter, etc.
<b>Kosten</b>		Personal, Catering, Raummiete, Vergütung der Teilnehmer (25€/h) zzgl. Fahrtkosten
<b>Equipment</b>		Raum, Catering, Moderatorenkoffer, Technik: PC / Laptop, ggf. Beamer und / oder Flipchart

\*für die Personen, die für die Studie verantwortlich sind

<b>Geeignet für</b>	Alle Studien, die Zielsetzung wird variieren, je nachdem ob es sich um chronische oder akute Krankheitsbilder handelt, die Teilnehmer selbst betroffen sind oder eher für Dritte sprechen etc.
---------------------	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

### Durchführung

- Aus einem Pool von potenziellen Teilnehmern wird eine Anzahl eingeladen; nach einer Einführung sollen konkrete Punkte besprochen werden; es soll eine offene Diskussion entstehen zu möglichen Problemen, Fallstricken, Sorgen etc.
- Rückmeldung an die Teilnehmer, was aufgegriffen, umgesetzt oder auch verworfen wurde und warum etc.

### Vorteile

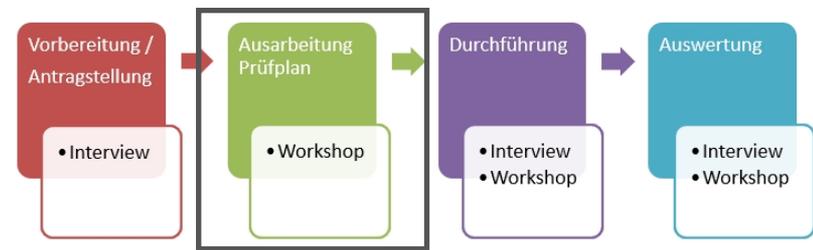
- Nachweisbare Maßnahme zur Patienteneinbindung
- Hoffentlich besser durchführbare Studie, hinsichtlich Aufwand, Ablauf, Rekrutierung, Compliance der Patienten etc.
- Bedeutsamere Studienergebnisse für die Patienten

### Herausforderungen / Schwierigkeiten

- Geeignete Teilnehmer zu finden, die offen für Ideen und Diskussionen sind, die aber auch wissenschaftliche Aspekte und Zwänge verstehen
- Eine offene Diskussion zu erreichen, d.h. ausreichend Infos zu geben, ohne die Teilnehmer zu überfordern oder einzuschränken
- Relevanten Input durch Teilnehmer zu erhalten und diesen auch anzunehmen
- Die adressierten Punkte tatsächlich umsetzen zu wollen

# Patienteneinbindung

## Prüfplan – Workshop



<b>Geeignet für</b>	Alle Studien, die Zielsetzung wird variieren, je nachdem ob es sich um chronische oder akute Krankheitsbilder handelt, die Teilnehmer selbst betroffen sind oder eher für Dritte sprechen etc.
---------------------	------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------

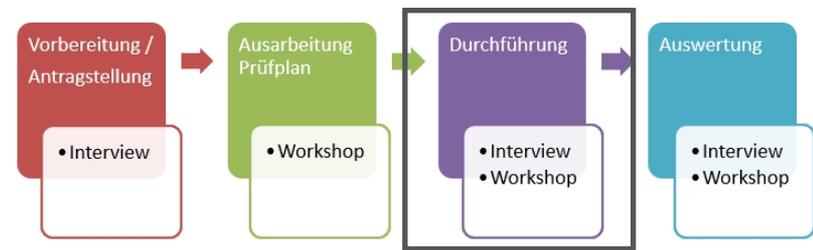
<b>Durchführung</b>
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aus einem Pool von potenziellen Teilnehmern wird eine Anzahl eingeladen; nach einer Einführung sollen konkrete Punkte besprochen werden; es soll eine offene Diskussion entstehen zu möglichen Problemen, Fallstricken, Sorgen etc.</li> <li>• Rückmeldung an die Teilnehmer, was aufgegriffen, umgesetzt oder auch verworfen wurde und warum etc.</li> </ul>

<b>Vorteile</b>
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Nachweisbare Maßnahme zur Patienteneinbindung</li> <li>• Hoffentlich besser durchführbare Studie, hinsichtlich Aufwand, Ablauf, Rekrutierung, Compliance der Patienten etc.</li> <li>• Bedeutsamere Studienergebnisse für die Patienten</li> </ul>

<b>Herausforderungen / Schwierigkeiten</b>
<ul style="list-style-type: none"> <li>• Geeignete Teilnehmer zu finden, die offen für Ideen und Diskussionen sind, die aber auch wissenschaftliche Aspekte und Zwänge verstehen</li> <li>• Eine offene Diskussion zu erreichen, d.h. ausreichend Infos zu geben, ohne die Teilnehmer zu überfordern oder einzuschränken</li> <li>• Relevanten Input durch Teilnehmer zu erhalten und diesen auch anzunehmen</li> <li>• Die adressierten Punkte tatsächlich umsetzen zu wollen</li> </ul>

# Patienteneinbindung

## Durchführung – Interview



<b>Ressourcen</b>	<b>Zeitaufwand</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• <i>Vorbereitung</i>: 5-10h ++ / je nach Umfang des Fragenkatalogs und / oder Nutzung eines Onlinetools, ggf. kann - nachdem Erfahrungen gesammelt wurden - eine Sammlung aus einem Pool von Fragebögen zur Verfügung gestellt werden → Minimierung des Aufwandes</li> <li>• <i>Durchführung</i> pro Befragung: ca. 1h pro Patient inkl. Terminvereinbarung &amp; Kontaktaufnahme</li> <li>• <i>Nachbereitung</i> (Auswertung der Fragebögen): 10h</li> <li>• Kumulierte Stunden: 25h-50h</li> </ul>
	<b>Personal</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Studienkoordinator / Study Nurse</li> <li>• Zur Vorbereitung PM, SL, DM, MO</li> </ul>
	<b>Kosten</b>	Personal für Vorbereitung, Durchführung und Auswertung, ggf. für das Onlinetool
	<b>Equipment</b>	Technik je nach Durchführung, ggf. Porto- oder Telefonkosten

<b>Geeignet für</b>	Alle Studien
---------------------	--------------

### Durchführung

- Einladung der Studienteilnehmer oder anderer potenziell geeigneter Teilnehmer → per E-Mail / persönliche Ansprache
- Bei Studienpatienten: Teilnehmereinwilligung notwendig
- Bereitstellung von Vorabinformation bzw. Fragestellung an die Teilnehmer

### Vorteile

- Direktes Feedback und Kommunikation Patient – Studienteam
- Verbesserung der Patientenzufriedenheit in der Studie
- Verringerung unnötiger und vermeidbarer Belastungen für die Patienten, dadurch weniger Dropouts
- Höhere Bereitschaft für Studienteilnahme, verbesserte Patientenrekrutierung
- Patienten erfahren mehr Wertschätzung
- Lernprozess für Studienpersonal
- Präsentation / Diskussion der Zwischenergebnisse kann zur Verbesserung der Patientenmotivation beitragen
- Patienten fühlen sich vielleicht unwohl, sich vor anderen zu treffen und offen Kritik zu äußern

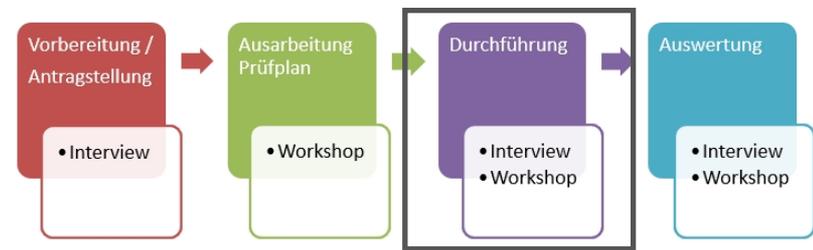
### Herausforderungen / Schwierigkeiten

- Rücklauf der Fragebögen, insbesondere bei kritischen Anmerkungen



# Patienteneinbindung

## Durchführung – Interview



<b>Ort</b>	Unabhängig	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Durchführung zentral, als <i>schriftliche</i> oder <i>telefonische</i> Befragung (telefonische Befragung von <u>einer</u> durchführenden Person wünschenswert)</li> <li>• Wenn in der Studie geplant Fragebögen ausgefüllt werden, könnte dies als zusätzliches Tool einfach etabliert werden → Papierbasiert (per Post oder E-Mail, Austeilen während Visite, oder ggf. Onlinetool)</li> </ul>
<b>Zielsetzung</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Wie fühlen sich die Patienten in der Studie (Was läuft gut, wo sollte nachgebessert werden)?</li> <li>• Verbesserung der Patienten-Compliance</li> <li>• Verbesserung der Patientenrekrutierung</li> <li>• Ggf. Präsentation von Zwischenergebnissen</li> </ul>	

# (Noch zu nehmende) Hürden

- Information der Forschenden
  - Begleitung Förderanträge, Pflichtberatungen...
- Einplanung ins Budget
- Einarbeitung der Vorgehensweise in Prüfpläne
- Bereitschaft, aber z.T. „noch“ mangelnde Erfahrung
- Pool an „PatientInnen“, ggf. auch mit bestimmten Vorkenntnissen (z.B. Selbsthilfegruppe, Patientenvereinigung)
- Umsetzung der Maßnahmen, Übertrag der Erkenntnisse
- Führung / Leitung der PatientInnen-Beteiligung
- Zeit zu finden, Erkenntnisse aus der PatientInnen-Beteiligung zu (re)-evaluieren und umzusetzen



# Herzlichen Dank für Ihre Aufmerksamkeit!

**Koordinierungszentrum  
für Klinische Studien (KKS)**  
Medizinische Fakultät & UKHD  
Friederike Dominick  
Berliner Straße 10  
69120 Heidelberg  
Tel.: 06221 / 56-38315  
[www.kks-hd.de](http://www.kks-hd.de)

