



Der Wert der Frühdiagnose und des rechtzeitigen Zugangs zur Versorgung

MSD PAH-Patientensymposium auf dem ERS-Jahreskongress 2024

Pisana Ferrari
Präsident AIPI, Italienischer Verband für pulmonale Hypertonie
Generalsekretär, Allianz für pulmonale Hypertonie

1

Freisetzungen

Nichts zu verkünden

2

Tagesordnung

- Die Auswirkungen von Verzögerungen bei der Diagnose und beim Zugang zur Versorgung auf die klinischen Ergebnisse und die Lebensqualität der Patienten.
- Gründe für diese Verzögerungen und warum ein frühzeitiges Eingreifen so wichtig ist.
- Wie Patientenverbände durch globale Sensibilisierungs- und Advocacy-Aktivitäten auf kritische, nicht erfüllte Patientenbedürfnisse eingehen.
- Beispiele für die Beteiligung von Patientenverbänden an Entscheidungsprozessen im Zusammenhang mit der PAH-Versorgung in verschiedenen Organisationen.
- Wie sich diese auf die breitere PAH-Gesundheitsagenda auswirken.

3

Verzögerungen bei der Diagnose und beim Zugang zur Behandlung

- Für die Zwecke dieser Präsentation wurden vier Erhebungen/Studien analysiert, die zwischen 2020 und 2024 veröffentlicht wurden.
- Diese umfassen Europa (Frankreich, Deutschland, Italien, Spanien, Vereinigtes Königreich), die USA, Australien, Neuseeland und Japan und knapp 2 500 Patienten.
- Eine der Umfragen wurde von einem Patientenverband (PHA UK) durchgeführt.
- Die Zeit bis zur Diagnose ist nach wie vor sehr lang und kann bis zu 3 Jahre und mehr betragen.
- Und das sind die fortgeschrittenen Industrieländer...

In diesem Zusammenhang ist anzumerken, dass es laut der PH-GPS-Erhebung des PVRI beispielsweise in Afrika bis zu fünf Jahre dauern kann (es liegen jedoch nur begrenzte Daten vor und die endgültige Fassung ist noch nicht veröffentlicht).

Referenzen

Small M, Perchenet L, Bennett A, Linder J. The diagnostic journey of pulmonary arterial hypertension patients: results from a multinational real-world survey. *Therapeutic Advances in Respiratory Disease*. 2024;18. doi:10.1177/17534666231218886

New research shows people still wait too long for a PH diagnosis, PHA UK, November 3rd 2023, <https://www.phauk.org/new-research-shows-people-still-wait-too-long-for-a-ph-diagnosis/>

The 'great wait' for diagnosis in pulmonary arterial hypertension, Jason Weatherald MD, Marc Humbert MD, PhD, 01 April 2020, *Official Journal of the Asian Pacific Society of Respiriology*, <https://doi.org/10.1111/resp.13814>

Didden EM, Lee E, Wyckmans J, Quinn D, Perchenet L. Time to diagnosis of pulmonary hypertension and diagnostic burden: Eine retrospektive Analyse landesweiter US-Gesundheitsdaten. *Pulm Circ*. 2023 Jan 1;13(1):e12188. doi: 10.1002/pul2.12188. PMID: 36694845; PMCID: PMC9843478.

4

Faktoren, die zu Verzögerungen bei der Diagnose/beim Zugang zur Versorgung führen

- **Die Patienten warten zu lange, bevor sie nach dem Auftreten der ersten Symptome einen Arzt aufsuchen:**
 - 9,6 Monate bis 3 Jahre in 4 analysierten Studien.
- **Unfähigkeit der Ärzte des Gesundheitswesens, eine Diagnose zu stellen, was dazu führt, dass die Patienten mehrere Ärzte des Gesundheitswesens aufsuchen müssen, bevor sie eine Diagnose erhalten:**
 - 2,9 bis 6 Ärzte in 4 analysierten Studien.
- **Fehldiagnosen, z. B. andere häufigere Krankheiten, Angstzustände und Depressionen:**
 - 2023 Erhebung EU5, Japan und USA: Fehldiagnosen traten bei 40,9 % der Patienten auf: am häufigsten in den USA (51,3 %), am wenigsten häufig in Japan (27,6 %).
- **Sozioökonomische, politische, geografische und andere Faktoren.**

Laut der bereits erwähnten Studie von Jason Weatherald/Marc Humbert aus dem Jahr 2020 wiesen 82 % der Patienten zum Zeitpunkt der PAH-Diagnose eine schwere Funktionseinschränkung (NYHA III oder IV) auf.

5

Warum eine frühzeitige Diagnose und ein rechtzeitiger Zugang zur Behandlung so wichtig sind (1)

- **Verbesserte Prognose:**
 - Es ist erwiesen, dass ein frühzeitiges Eingreifen das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen und die Behandlungsergebnisse verbessern kann.
- **Verzögert den Bedarf an fortschrittlichen Therapien:**
 - Ein frühzeitiges Eingreifen kann die Notwendigkeit einer invasiveren Behandlung (IV/Sub-C) oder einer Lungentransplantation hinauszögern.
- **Gesteigerte Lebensqualität:**
 - Durch die Behandlung können Symptome wie Kurzatmigkeit/Müdigkeit gelindert werden, so dass die Patienten einen aktiveren Lebensstil beibehalten können.
- **Befähigung der Patienten:**
 - Eine frühzeitige Überweisung ermöglicht es den Patienten, mehr über ihre Krankheit zu erfahren und fördert einen proaktiven Ansatz für das Krankheitsmanagement (SDM).

6

Warum eine frühzeitige Diagnose und ein rechtzeitiger Zugang zur Behandlung so wichtig sind (2)

- **Lebensstil-Interventionen**
 - Ein frühzeitiges Eingreifen ermöglicht eine rasche Anpassung der Lebensweise.
- **Zugang zu Peer-Unterstützung:**
 - Die Patienten können an Patientenverbände verwiesen werden, die ihnen wichtige Ressourcen und emotionale Unterstützung bieten.
- **Verbesserung der psychischen Gesundheit:**
 - Nach Monaten/Jahren der Ungewissheit ist der Zugang zu einer potenziell lebensrettenden Behandlung psychologisch sehr bedeutsam.
- **Geringere Kosten im Gesundheitswesen:**
 - Eine frühzeitige Diagnose und Behandlung kann zu Kosteneinsparungen führen, da schwere Komplikationen und Krankenhausaufenthalte vermieden werden.

7

Beispiele für globale Sensibilisierungs- und Advocacy-Initiativen von Patientenverbänden

8

Globale Sensibilisierungskampagnen

- **Zielsetzung:**
 - Aufklärung der Leistungserbringer im Gesundheitswesen über frühe Anzeichen/Symptome von PH (rote Flaggen), um eine schnellere Überweisung und Diagnose zu ermöglichen.
 - Sensibilisierung der Öffentlichkeit, um gefährdete Personen zu ermutigen, früher einen Arzt aufzusuchen.
- **Der Welt-PH-Tag** (5. Mai) hat sich seit seiner Einführung im Jahr 2012 zu einem bedeutenden jährlichen Ereignis entwickelt:
 - Aktive Beteiligung zahlreicher PH-Verbände und Interessengruppen weltweit (etwa 80 im Jahr 2023).
 - Visuelles Erscheinungsbild mit demselben globalen Branding, übersetzbar in lokale Sprachen und eine eigene Website.
- **Tag der Seltenen Krankheit (RDD)**, organisiert von EURORDIS, letzter Tag im Februar.
- **Monat der Sensibilisierung für die PH** (November), der sich ebenfalls zu einer wichtigen Aktivität mit globaler Reichweite entwickelt.
- **CTEPH-Aufklärungstag** am 2. Mittwoch im November.

9

Welt-PH-Tag 2024



Collage von Fotos, die von verschiedenen PH-Patientenverbänden auf der ganzen Welt anlässlich des Welt-PH-Tags 2024 veröffentlicht wurden: ANHP und HPE Org, Spanien, AFPH, Belgien, Ukrainische Vereinigung für pulmonale Hypertonie PH URDA, Društvo za Pljučno Hipertenzijo Slovenije, Slowenien, BSPPH, Bulgarien, HTaPFrance, Plava Krila, Kroatien, PHA Lettland, Sociedad Latina Hipertension Pulmonar, LHL Latin Health Leaders, Cardiac Community, Nigeria, PHA Kanada, PH Belgien - Pulmonale Hypertension vzw

10

Globale Advocacy-Aktivitäten

- **Zielsetzung:**
 - Eintreten für eine Gesundheitspolitik, die der Frühdiagnose (einschließlich Screening) und strafferen Überweisungsverfahren Vorrang einräumt.
 - Sicherstellung der Verfügbarkeit von Diagnoseinstrumenten wie RHC und ECHO, Unterstützung der Forschung zu neuen diagnostischen Markern, Fragen der Kostenerstattung und der Verfügbarkeit von Medikamenten.
- Zu den Aktivitäten der PH-Patientenvertretungsgruppen gehört die Beteiligung an:
 - EU-Institutionen (Europäisches Parlament, EU-Kommission)
 - US-Kongress
 - Zulassungsbehörden (EMA, FDA)
 - Wissenschaftliche Vereinigungen (ESC, ERS, ERN-LUNG, ESOT)
 - Forschungsinstitute (PVRI)
 - NRO des öffentlichen Gesundheitswesens (EURORDIS, EPF)
 - Gesundheitsbranche (Beiräte, Lenkungsausschüsse)

11

Zwei Beispiele für die Beteiligung von Patientenvertretungen an wichtigen Papieren zur PAH-Gesundheitspolitik

12

1. Mitautorschaft an den Leitlinien ESC/ERS 2022 PH

- Zum ersten Mal werden Patientenvertreter zur Teilnahme an der **Task Force** eingeladen.

- In den Leitlinien werden die Patienten ausdrücklich als "Partner" anerkannt und das Konzept der gemeinsamen Entscheidungsfindung eingeführt.

- Empfehlen Sie nachdrücklich die Weiterleitung an und die Zusammenarbeit zwischen Vertretern des Gesundheitswesens und Patientenverbänden.

- Einführung neuer Abschnitte über PROMs und Patientenvereinigungen und Empowerment.

- Erkennen Sie Verzögerungen bei der Diagnose/beim Zugang zur **Versorgung als Hauptanliegen**.

- Vereinfachung des Diagnosealgorithmus; Identifizierung von Warnzeichen, die mit schlechteren Ergebnissen verbunden sind; Screening-Strategien für PAH bei Patienten mit SSc und bei Patienten mit einem Risiko für HPAH.

2022 ESC/ERS Guidelines for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension: Developed by the task force for the diagnosis and treatment of pulmonary hypertension of the European Society of Cardiology (ESC) and the European Respiratory Society (ERS). Endorsed by the International Society for Heart and Lung Transplantation (ISHLT) and the European Reference Network on rare respiratory diseases (ERN-LUNG).

Marc Humbert, Gabor Kovacs, Marius M Hoeper, Roberto Badagliacca, Rolf M F Berger, Margarita Brida, Jørn Carlsen, Andrew J S Coats, Pilar Escribano-Subias, Pisana Ferrari, Diogenes S Ferreira, Hossein Ardeschir Ghofrani, George Giannakoulas, David G Kiely, Eckhard Mayer, Gergely Meszaros, Blin Nagavci, Karen M Olsson, Joanna Pepke-Zaba, Jennifer K Quint, Göran Rådegran, Gerald Simonneau, Olivier Sitbon, Thomy Tonia, Mark Toshner, Jean Luc Vachiery, Anton Vonk Noordegraaf, Marion Delcroix, Stephan H. Thaler, ESC/ERS Guidelines Writing Group

13

Präsentation der PH-Leitlinien-Taskforce beim ESC 2022



Bildnachweis: Gergely Meszaros, 22.9.2022, ESC-Kongress 2024, Barcelona, persönliche Sammlung

14

2. Mitautorschaft am WSPH-Papier "Patientenperspektive"

- Neue Arbeitsgruppe "Patientenperspektiven" für den WSPH 2018 gegründet
- Im Jahr 2024 war diese Task Force die erste, die auf der Eröffnungsplenarsitzung präsentierte (2018 war sie die letzte)
- TF Nr. 1, bestehend aus vier Patientenvertretern, von denen drei Patienten und vier Vertreter des Gesundheitswesens sind
- Eine Umfrage unter PH-Experten aus verschiedenen Kontinenten wurde durchgeführt, um eine möglichst breite Perspektive zu erhalten.
- Die Ergebnisse zeigen, dass der Zugang zu fachkundiger und umfassender Pflege durch wirtschaftliche, geografische, umweltbezogene, politische, rassische, ethnische und kulturelle Faktoren erschwert wird.
- Diese Fragen werden in dem von der TF Nr. 1 ausgearbeiteten Manuskript behandelt.
- Der Tagungsband des WSPH, der die Arbeit aller 15 Arbeitsgruppen enthält, wird am 29. August 2024 veröffentlicht.

15

7° WSPH Task Force Nr. 1 zur Patientenperspektive



Das Foto wurde im WSPH mit Zustimmung aller Mitglieder der Task Force aufgenommen und am 28.6.2024 auf LinkedIn unter diesem Link veröffentlicht: <https://shorturl.at/q5KBK>

Fachkräfte des Gesundheitswesens

- Dr. James Ford, USA
- Dr. Simon Gibbs, UK
- Dr. Victor Moles, USA
- Prof. Adam Torbicki, Polen

Vertreter der Patienten

- Colleen Brunetti,
USA Pisana Ferrari,
- Italien Hall Skaara,
Norwegen
- Gergely Meszaros, Ungarn

16

Neue Multi-Stakeholder-Initiative zur Interessenvertretung

- Das "PAH Policy Toolkit" ist ein Beispiel für eine gemeinschaftliche Initiative mehrerer Interessengruppen. Es stützt sich auf den PHAE-Aufruf zum Handeln.
- Die Bemühungen werden von der Health Policy Partnership (HPP) koordiniert und von MSD unterstützt.
- Dem Lenkungsausschuss gehören Patienten, Patientenanwälte, Kliniker und Forscher an.
- Das Policy Toolkit soll multidisziplinäre Interessengruppen dabei unterstützen, mit Entscheidungsträgern in Kontakt zu treten und politische Veränderungen anzustoßen. Es
 - stützt sich auf die neuesten wissenschaftlichen Erkenntnisse und integriert die Sichtweisen der wichtigsten Interessengruppen, einschließlich aussagekräftiger Zitate von Patienten, die die Kernaussagen unterstreichen.
 - skizziert die wichtigsten Herausforderungen, mit denen Patienten während ihres PAH-Lebens konfrontiert werden.
 - schlägt eine Reihe von Maßnahmen vor, um den Zugang zur Behandlung zu verbessern.



17

Abschließende Bemerkungen

- Eine frühzeitige Diagnose und ein rechtzeitiger Zugang zur Versorgung bei PH führen zu besseren Ergebnissen und einer höheren Lebensqualität der Patienten.
- Trotz bedeutender Fortschritte in diesem Bereich gibt es immer noch große Herausforderungen.
- Laufende Sensibilisierungskampagnen sind wichtig, um die Gesundheitsdienstleister und die Öffentlichkeit weiter aufzuklären.
- Die Interessenverbände müssen die betroffenen Akteure weiterhin dazu drängen, Maßnahmen zu ergreifen, die den Zugang zur Gesundheitsversorgung verbessern.
- Die Einbeziehung der Patientenperspektive in die Leitlinien für 2022 und die WSPH ist ein wichtiger Schritt zur Förderung der Zusammenarbeit zwischen Vertretern des Gesundheitswesens und Patienten.
- Mit Blick auf die Zukunft könnte eine globale Partnerschaft, an der alle PAH-Akteure beteiligt sind - Patientenvertretungen, Vertreter des Gesundheitswesens, politische Entscheidungsträger und die Gesundheitsbranche - der Schlüssel zum Erreichen wirklich aussagekräftiger Ergebnisse sein.

18

Vielen Dank für Ihre freundliche Aufmerksamkeit