



Universitätsklinikum
Hamburg-Eppendorf

Lebensqualität in der Pädiatrie: Wie geht es Kindern mit einer chronischen Krankheit?

Competenz Center Gesundheit HAW, Hamburg 12. Dez. 2018

Monika Bullinger

mit Neuza da Silva, Ulrike Ravens Sieberer, Anja Rohenkohl,
Sylvia v. Mackensen, Julia Quitmann

Institut und Poliklinik für Medizinische Psychologie, Universitätsklinikum Hamburg-Eppendorf



Chronische Krankheiten in der Paediatric

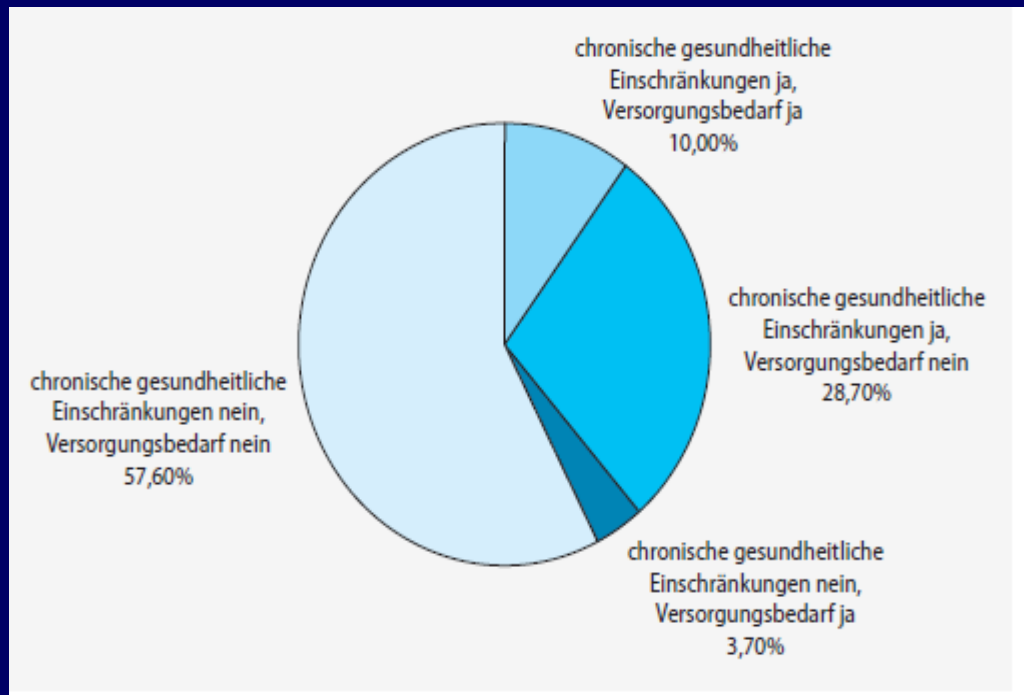
- Ist definiert als eine Krankheit, die über 3 Monate besteht, die normalen Aktivitäten des Kindes beeinträchtigt, und besonders intensive medizinische Behandlung, Unterstützung Zuhause oder Krankenhausaufenthalte erfordert.
- Asthma, Diabetes, Atopische Dermatitis, Stoffwechselstörungen, Zystische Fibrose, Epilepsie, Congenitale Herzkrankheiten, Zerebralparese, Spina bifida, Felhbildungen FAS, AIDS, und weitere, auch seltene Erkrankungen
- Zunehmend sind Adipositas und Verhaltensstörungen (ADHD, ADS)

Prävalenz chronisch pädiatrischer Erkrankungen

- Prävalenzraten in internationalen Surveys:
 - Frankreich 12.4% (3-Monats-Präv.) [Fombonne, 1996]
 - Schweiz 22.5% (3-Monats-Präv) [Steinhausen et al., 1998]
 - Netherlands 14.1% (3-Monats-Präv) [Verhulst et al., 1997]
 - USA 20.3% (3-Monats-Präv) [Shaffer et al., 1996]
- Raten nicht vergleichbar wegen unterschiedlicher Definitionen, Studiendesigns und Stichproben

Chronische pädiatrische Krankheiten in Deutschland

- Im deutschen repräsentativen KIGGS survey in 16138 Kindern und Jugendlichen hatten 28,7 % eine chronische Erkrankung und 10% hatten „special health care needs“ (Scheidt Nave et al. 2008)



Trends in der pädiatrischen Morbidität

TABLE 1. Trends in Pediatric Morbidity

Classical pediatric morbidity (1900s–1950s)

- Infectious diseases
- High infant mortality rates
- Poor nutrition
- Few cures for chronic disease
- Epidemics (eg, influenza, polio)
- Diseases of overcrowding

The new morbidity (1960s–1980s)

- Family dysfunction
- Learning disabilities
- Emotional disorder
- Functional distress
- Educational needs

Beyond the new morbidity (1980s–2000s)

- Social disarray
- Political ennui
- New epidemics (eg, violence, acquired immunodeficiency syndrome, crack cocaine, homelessness)
- Increased survivorship
- High-technology care

Millennial morbidity (2000–present): disorders of the bioenvironmental interface

- Socioeconomic influences on health, including poverty
- Health disparities
- Technological influences on health
- Overweight and obesity
- Increasing mental health concerns

- Mehr Einfluß von sozio-ökonomischen Faktoren auf die Gesundheit, u.a. durch Armut, und mehr psychische Störungen.
- 6- Monats Prävalenz in Europa ist 15- 20% , und in Deutschland bis zu 25 % (Palfrey et al. 2005, KIGGS- Bella 2015)

Fragen

- Wie geht es jungen Menschen mit einer (behandelten chronischen Erkrankung)?
 - Welche psychosoziale Unterstützung brauchen sie und ihre Familien?
 - Woran ist der Erfolg solcher Interventionen zu erkennen?
-

Zur Beantwortung dieser Fragen sind nicht nur klinische Daten wichtig, sondern auch, was die betroffene Person zur eigenen Gesundheit sagt und wie ihre Familie dies sieht:

„~~gesundheit~~heitsbezogene Lebensqualität“

Lebensqualität in der Medizin

- Erweiterung des Gesundheitsbegriffs (WHO)
- Veränderung des Erkrankungs- und Behandlungsspektrums (Chronifizierung)
- Skepsis gegenüber klassischen Outcomes (Erkrankungsindikatoren, Überlebenszeit)
- Patientenperspektive ist wichtig

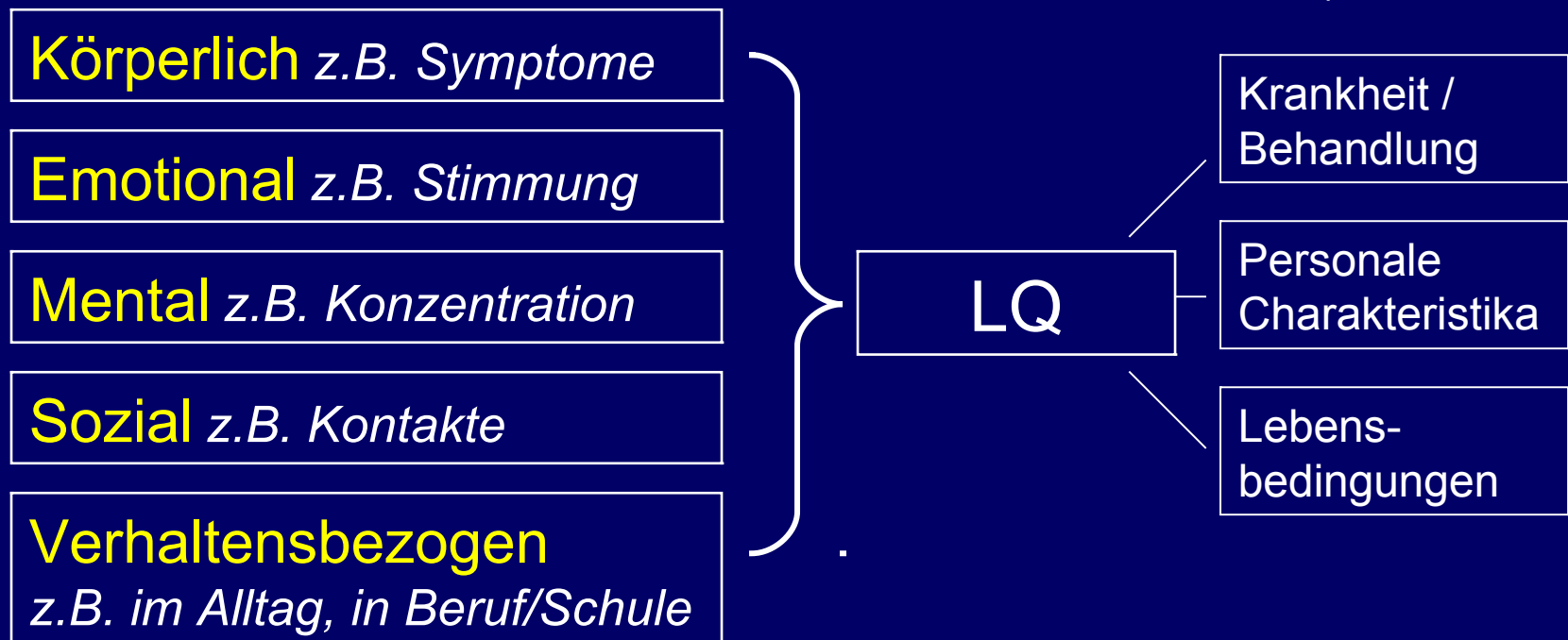
*„add life to years
not just years to life“*



Gesundheitsbezogene Lebensqualität (LQ) als Indikator der subjektiven Gesundheit

LQ ist ein multidimensionales Konstrukt, das sich auf **5 Komponenten von Wohlbefinden** und Funktionsfähigkeit **aus der Sicht von Patienten** und/ oder Beobachtern bezieht.

*(Operationale Definition für Erwachsene
z.B. Aaronson et al. 1988)*



Lebensqualität Unterschiede über Altersgruppen

Dimensionen der LQ bei
Jugendlichen und jungen
Erwachsenen

Dimensionen der LQ jüngerer und älterer Kindern



Hindernisse für die Lebensqualitätsmessung bei Kindern

- Skepsis gegenüber der **Konstrukt-Komplexität**
 - LQ ein relevantes Konzept für Kinder?
 - Dimensionen der LQ vergleichbar zwischen Erwachsenen /Kindern
 - Bewertungen abhängig von Alter und Entwicklungsstand?
- Bias von **Selbstbericht**
 - Reflexionsfähigkeit der Kinder?
 - Zuverlässigkeit kindlicher Urteilskraft?
 - Rolle der Fremdeinschätzung?
- Ansicht, dass **LQ-Erfassung** bei Kindern **schwierig** durchzuführen und **sehr aufwändig** ist

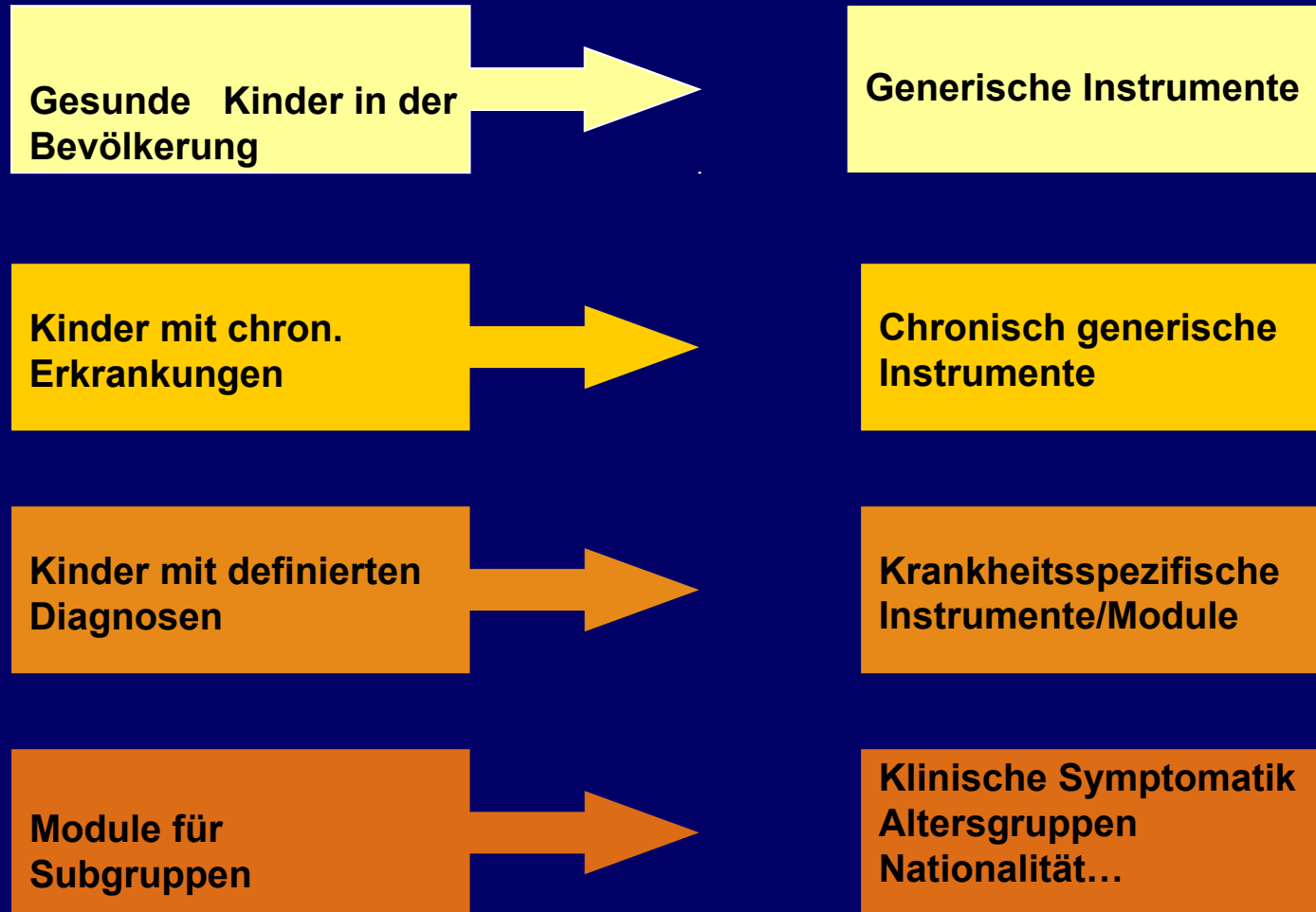


Ein guter Fragebogen...

- reflektiert relevante **Dimensionen** der gesundheitsbezogenen Lebensqualität aus Sicht der Betroffenen
- erfüllt psychometrische **Gütekriterien**
- ist für **erkrankte und/oder nicht-erkrankte** Kinder und Jugendliche verwendbar
- ist im **Selbstbericht der** Kinder und Jugendlichen und im **Fremdbericht durch Eltern** ausfüllbar,
- respektiert unterschiedliche **Alters- und Entwicklungsstufen**,
- ist durch zusätzliche **Module** erweiterbar (z.B für Symptome, Diagnosen...).



Instrumente zur Lebensqualität bei Kindern

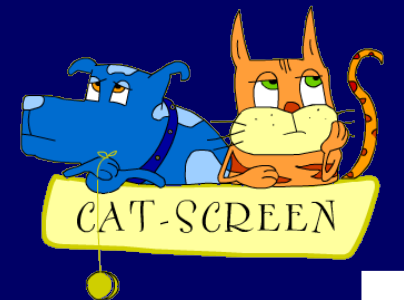


Generische Instrumente Kinder

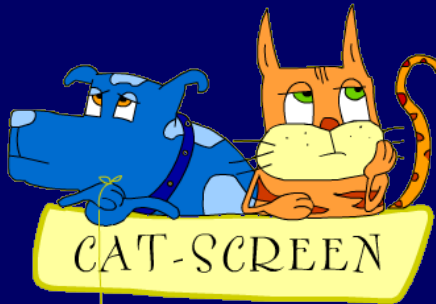
Beispiele

- **PedsQL**
(Pediatric Quality of Life Inventory), USA, 1999
Varni et al., 2 – 18
- **KINDL-R**
(HrQoL in Children and Adolescents), D, 1998
Ravens-Sieberer & Bullinger, 4 - 16
- **KIDSCREEN**
Ravens-Sieberer et al., D, 2004, 8 -18
- **DISABKIDS**
(Bullinger et al. , D, 2004 , 4-7, 8 – 18
- **Haemoqol**
(Bullinger et al. , D, 2004 , 4-7, 8 – 18
- **QOLISSY**
(Bullinger et al. , D, 2013 , 8 – 18
- Weitere Instrumente... EAQOL, QOLIBRI, APLES....

- Weitere Instrumente Haemophilie (Haemoqol)



Altersangepasste Versionen des KINDL^R



Kiddy- KINDL^R

Kid- KINDL^R

Kiddo- KINDL^R

Alter	Erfassung	
	Selbst	Eltern
4-7	Interview	✓
8-12	✓	✓
13-16	✓	✓

➔ Unterschiedliche Fragenzahl

In der letzten Woche...
hatte ich Kopfschmerzen
oder Bauchschmerzen

never

seldom

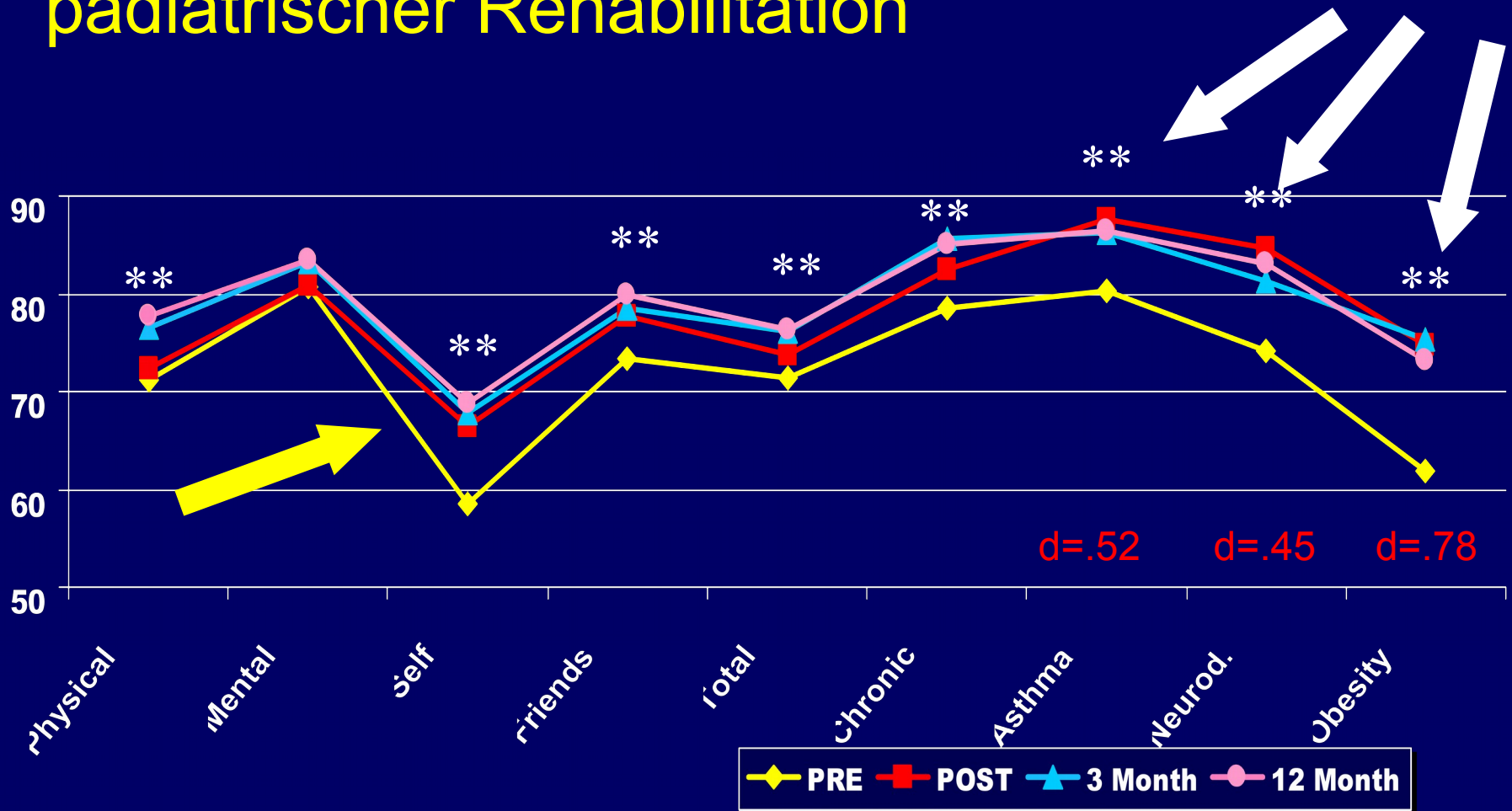
sometimes

often

all of the time



QOL (KINDL 0-100) vor/nach stationärer pädiatrischer Rehabilitation



MANOVA * $p \leq .05$, ** $p \leq .01$

n=696

KIDSCREEN UND DISABKIDS

- „Schwester“projekte im EU 5. Rahmenprogramm
- Interkulturelle Entwicklung von Instrumenten zur Erfassung der LQ von Kindern aus eigener Sicht und Elternsicht in sieben europäischen Ländern
 - in der Bevölkerung: KIDSCREEN (n=22000)
 - bei chronischen Krankheiten: DISABKIDS (n=1600)
(Asthma, Neurodermitis, Diabetes, Arthritis, Epilepsie, Zerebralparese)
- Entwicklung (Fokusgruppen, kogn. Interviews)
Testung (Pilot und Feldstudie) und Anwendung

Modulares System der Lebensqualitätserfassung

Krank-
heitsspezifisch
(DISABKIDS-Module)

Chronisch Generisch
(DISABKIDS -Kernmodul)

Generisch
(KIDSCREEN)

Entwicklung internationaler Verfahren

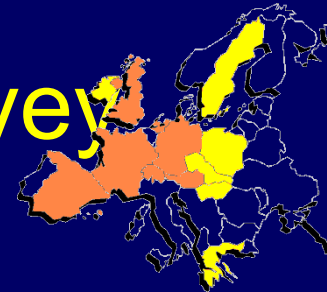


Sprachversionen weltweit

DISABKIDS/KIDSCREEN



Europäischer KIDSCREEN-Survey



- **Repräsentative HI-Surveys** in 13 Ländern
(*Telefon sampling & Postversand, in Schulen*)
- Pro Land 1500-1800 Familien (6-17 Jahre)
- **22.830 Kinder** (8-18 J.)
16.888 Eltern
- ...und Determinanten der LQ wie soziale Unterstützung, elterliche Gesundheit.
Inanspruchnahme etc.



KIDSCREEN instrumente

(Kind & Eltern Versionen)

KIDSCREEN-52:

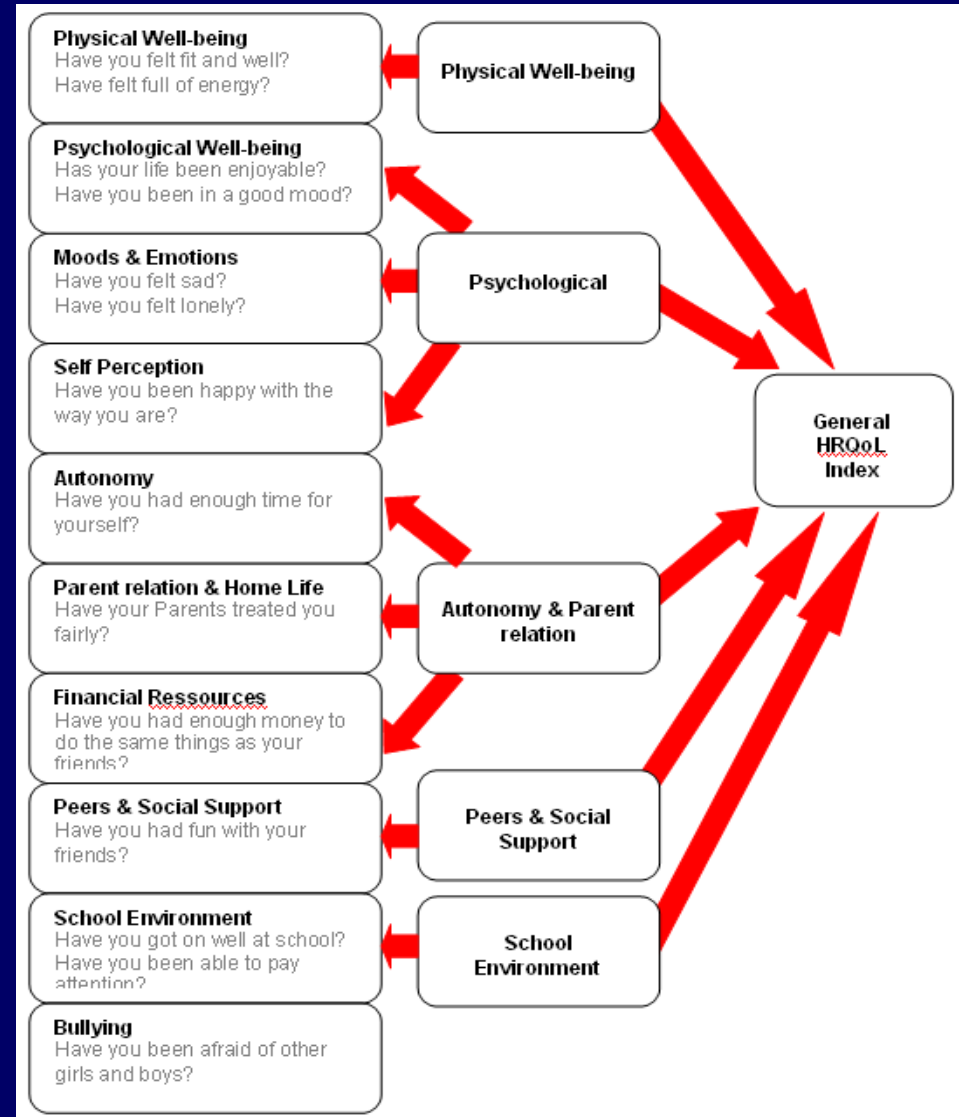
- 10 Dimensionen der LQ o
- Profil mit detaillierten Informationen, Forschungsfokussiert

KIDSCREEN-27:

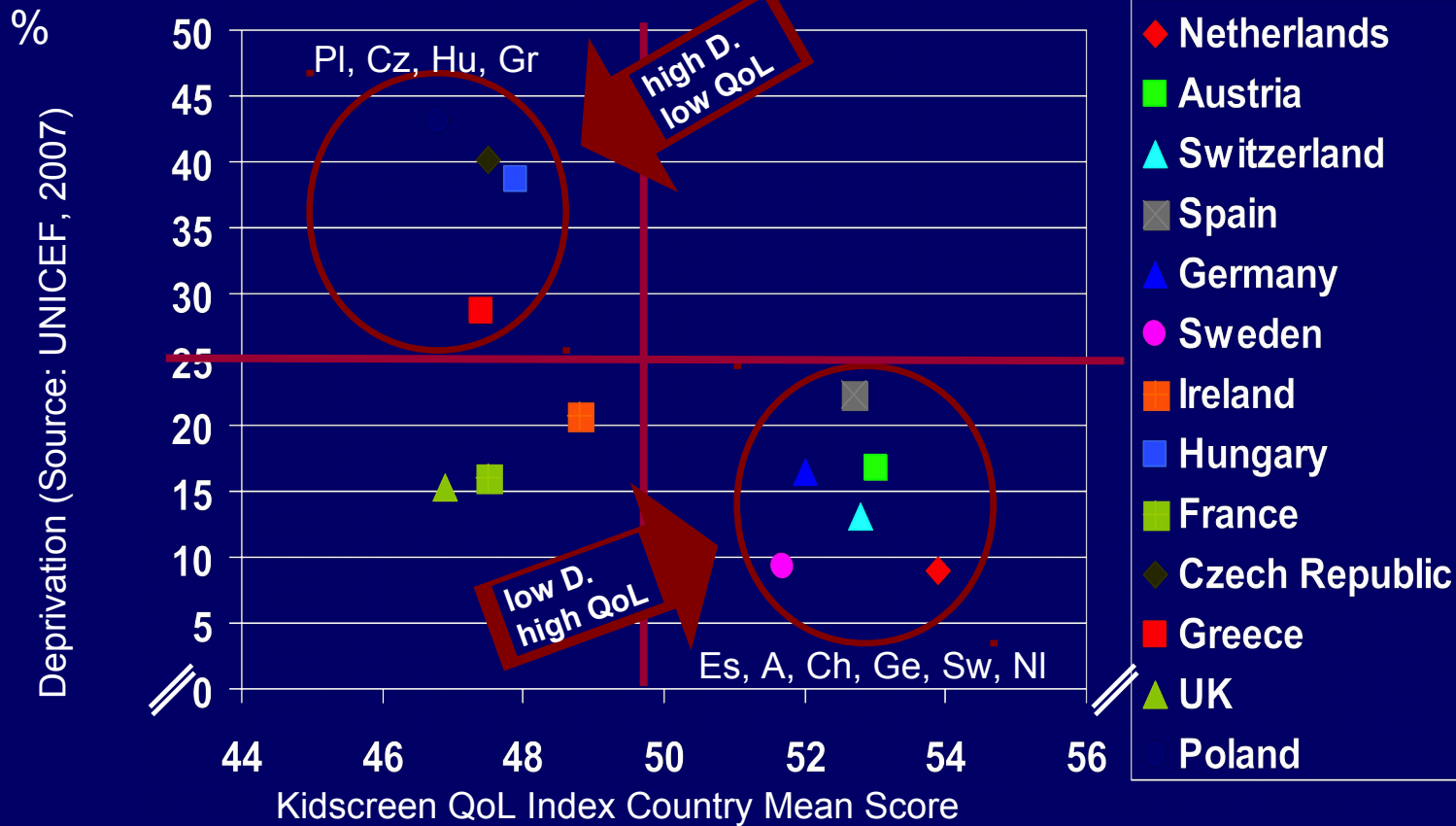
- 5 Dimensionen der LQ L
- Profil, auch für klinische Anwendung
- Kürzer, auch psychometrisch ok

KIDSCREEN-10 Index:

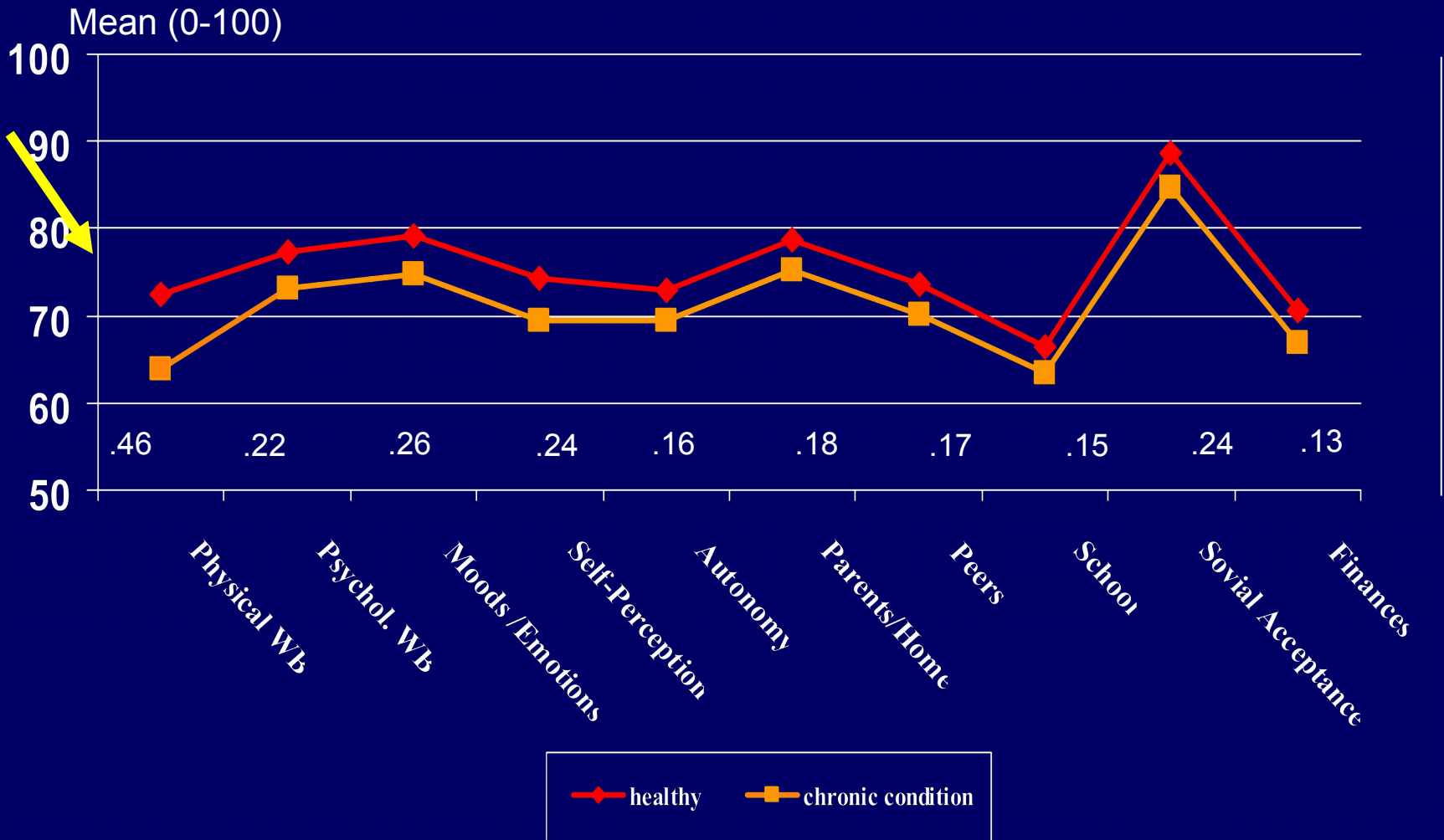
- Ist Raschskaliert
- Kann in epidemiologischen Studien eingesetzt werden



Deprivationsindex pro Land und Lebensqualität (SES/FAS; Unicef-Daten) und (KIDSCREEN INDEX)



LQ von gesunden Kindern und Kindern mit einer chronischen Krankheit



• KIDSCREEN -52 N=18369

Do children/adolescents with chronic health conditions have worse HrQoL than their healthy peers? A meta-analysis of studies using the KIDSCREEN questionnaires

Neuza Silva, Marco Pereira,
Christiane Otto, Ulrike Ravens-
Sieberer, Maria Cristina Canavarro,
& Monika Bullinger

neuzamsilva@gmail.com



ISOQOL 25th Annual Conference

24-27 October 2018, Dublin, Ireland



CINEICC

Center for Research in
Neuropsychology and Cognitive Behavioral Intervention



• Metaanalyse :KIDSCREEN&chronische Krankheit

Keyword: **KIDSCREEN** [all fields]

• PubMed (US National Library of Medicine)



• PsycINFO



• EBSCOhost Psychology & Behavioral Sciences Collection

Datum der letzten suche: 2018, February 15th

• **I. Screening von Title und Abstracts und Suche relevanter Volltexte**

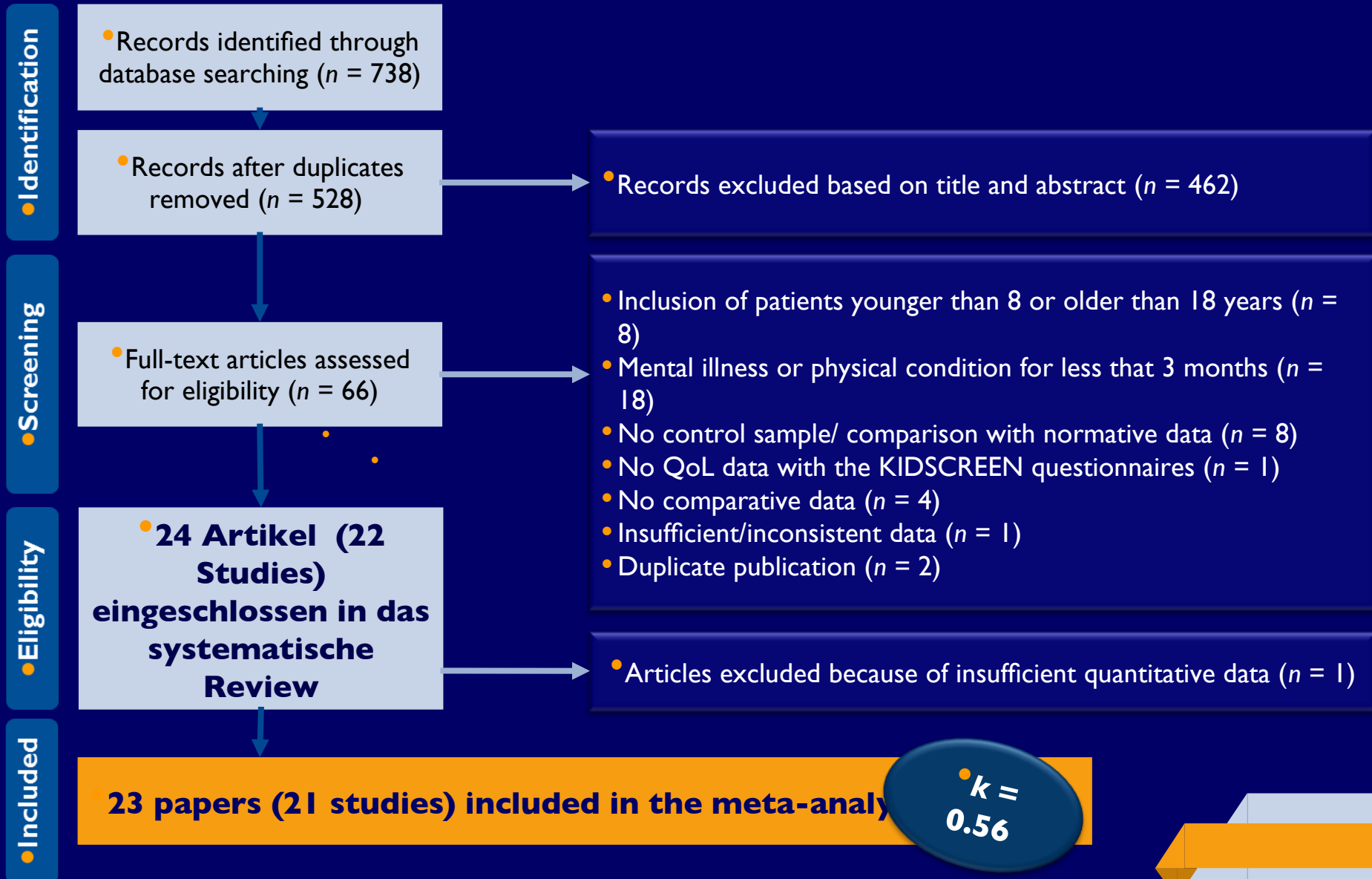
• **Analyse der Volltexte entsprechend der Auswahl Kriterien**

• Vergleich der Ratings von 2 Personen

• Auswahlkriterien (PICOS Ansatz):

P (participants)	Children and/or adolescents between 8 and 18 years
I (intervention, /risk exposure)	Pediatric patients with a clinical diagnosis of a chronic health condition
C (controls)	Community/healthy children/adolescents between 8 and 18 years of age
O (outcomes)	Mean difference (MD) on HrQoL as assessed by the generic KIDSCREEN questionnaires, between pediatric patients and controls
S (study design)	Empirical quantitative case-control studies that were published in peer-reviewed journals and written in English

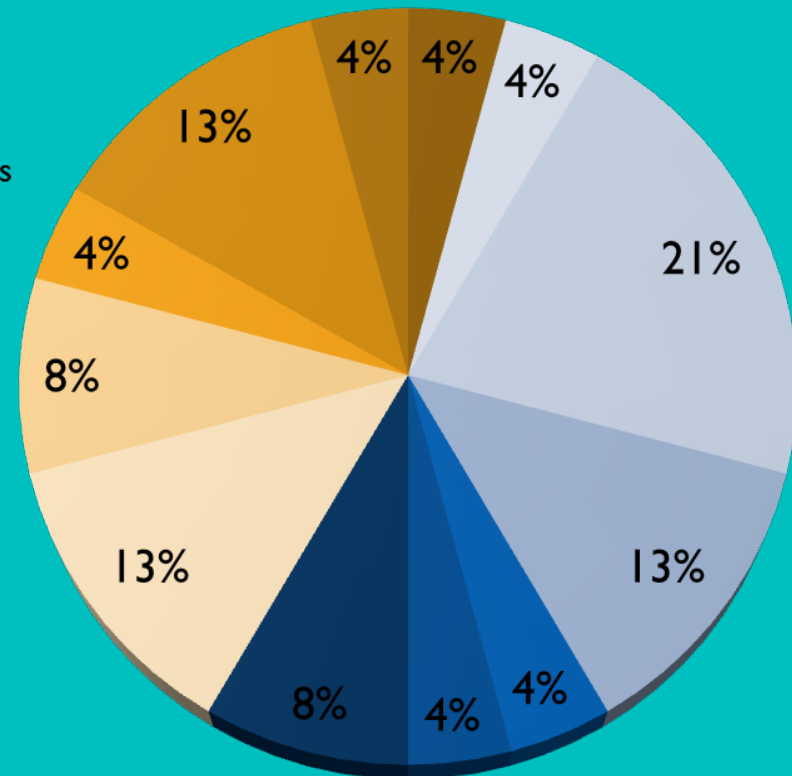
Flussdiagramm zur Studienauswahl



Eingeschlossene Erkrankungen

	Fälle	Kontrollen
<i>N</i>	4,968	28,698
Alter, <i>M (SD)</i>	12.42 (2.81)	12.33 (2.34)
Geschlecht (% männl.)	52.6%	49.4%

- (C00-C97) malignant neoplasms
- (D50-D89) diseases of the blood
- (E00-E90) endocrine, nutritional and metabolic diseases
- (G00-G99) diseases of the nervous system
- (H60-H95) diseases of the ear and mastoid process
- (I00-I99) diseases of the circulatory system
- (J00-J99) diseases of the respiratory system
- (K00-K93) diseases of the digestive system
- (M00-M99) diseases of the musculoskeletal system
- (N00-N99) diseases of the genitourinary system
- (Q00-Q99) congenital malformations
- (R00-R99) symptoms not elsewhere classified



Zusammenfassung der Evidenz

- **Niedrigere Lebensqualität!** Children/adolescents with chronic health conditions self-reported significantly lower HrQoL than healthy/community controls ($MD = -1.43$, 95% CI = $-2.18 / -0.69$).
- **Eltern skeptisch:** Parents also reported significantly lower HrQoL for their children with chronic conditions, compared to parents of healthy/community children ($MD = -3.17$, 95% CI = $-4.46 / -1.88$).
- **Diagnose wichtig!** The great between-studies heterogeneity on self-reported HrQoL was partly explained by diagnostic category ($\chi^2_{(1)} = 39.18$, $p < 0.01$). For parent-reports, low heterogeneity across studies was observed and no subgroup differences according to ICD-10 categories
- **Besonders beeinträchtigt: sind Kinder mit neurologischen Störungen, Sichtbarkeit der Erkrankung und körperlichen Beschwerden sowie Schmerzen**

Stärken und Schwächen

• Stärken

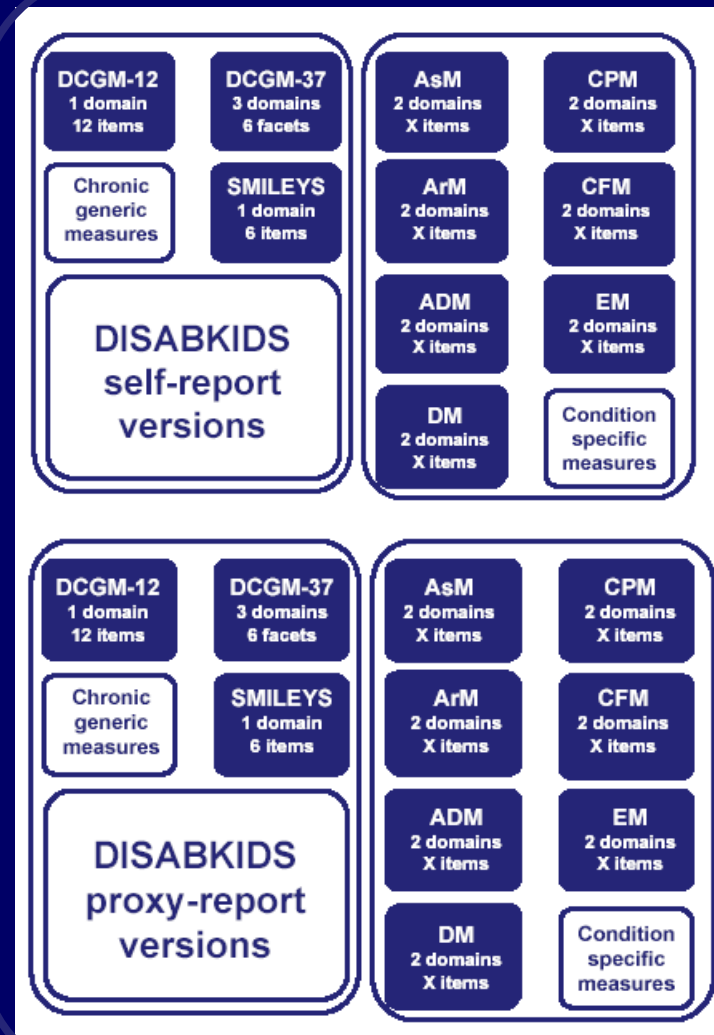
- Fokus auf nur ein Instrument – KIDSCREEN:
 - Gute QoL Operationalisierung
 - Inter-kulturell vergleichbar
 - T-scores

Schwächen

- Keine Graue Literatur berücksichtigt
- Andere Einflußfaktoren die Inter-Studienheterogenität bleiben unberücksichtigt (Schweregrad, Behandlung)
- Nur KIDSCREEN total scores genutzt

Das DISABKIDS Instrument Tool Set

- 3 Altersgruppen
- Chronisch generische und Spezifische Module
- Smileys für Kinder 4-7
- Kurz- and Lang Formen
- Selbst- und Eltern Bericht Versionen
- Papier und Computer Versionen
- In mehr al 20 Sprachen verfügbar
- Tested in 1600 children



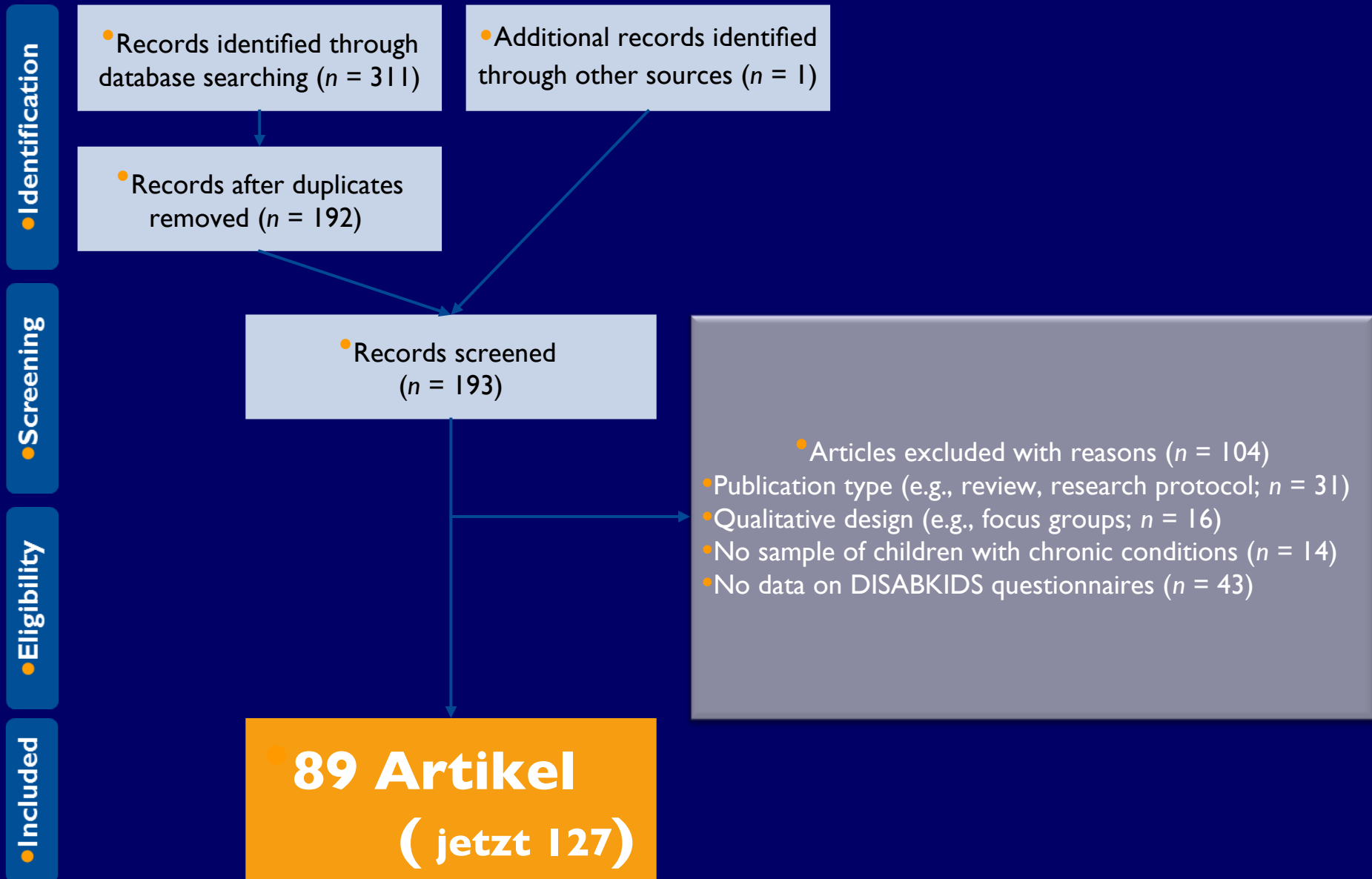
Weiterentwicklung der DISABKIDS Fragebogen

1) Review der psychometrischen Charakteristika über Länder, Sprachen, chronischen Krankheiten

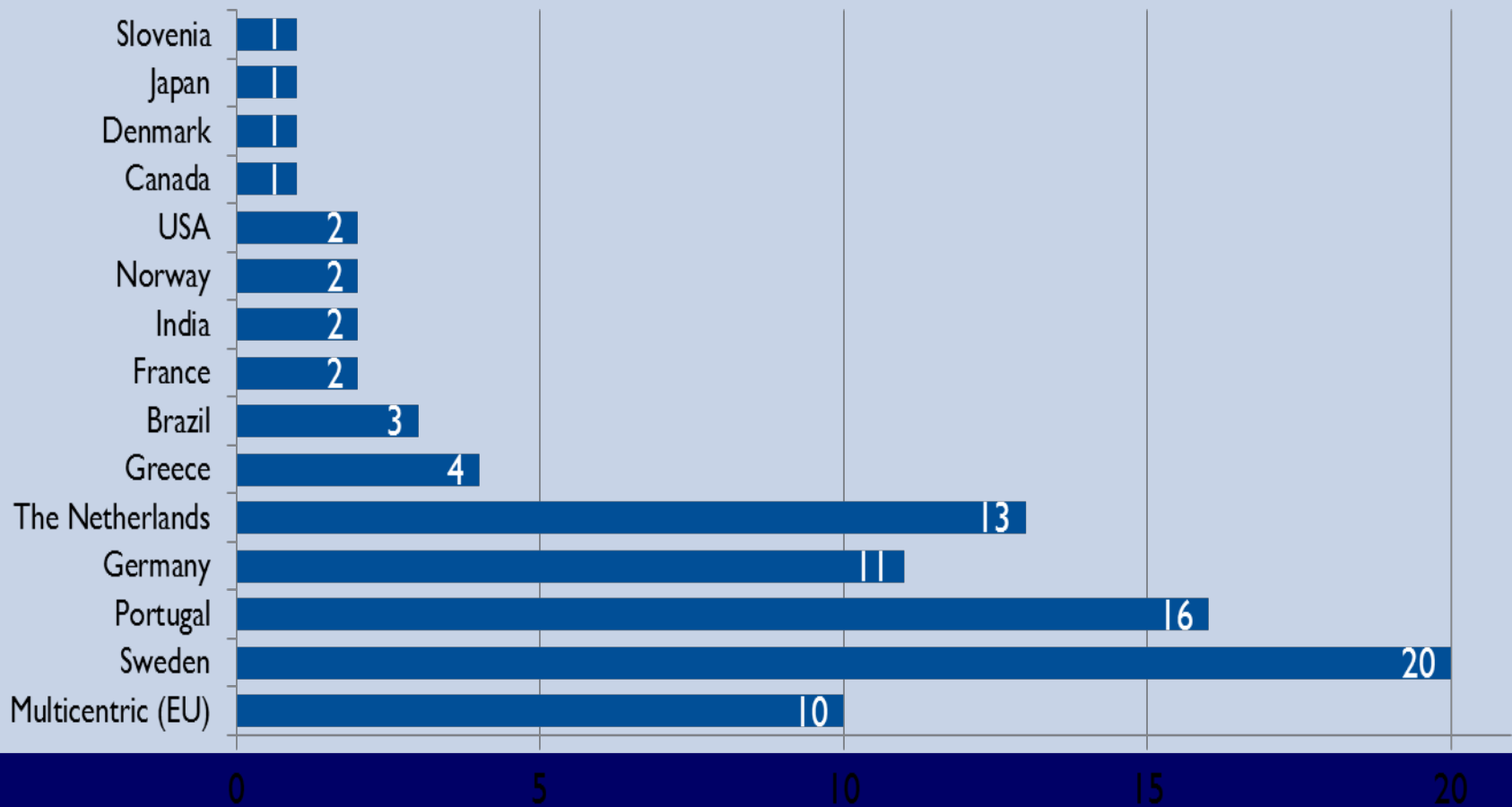
2) Beschreibung der Lebensqualität

3) Identifikation von Einflußfaktoren auf die Lebensqualität

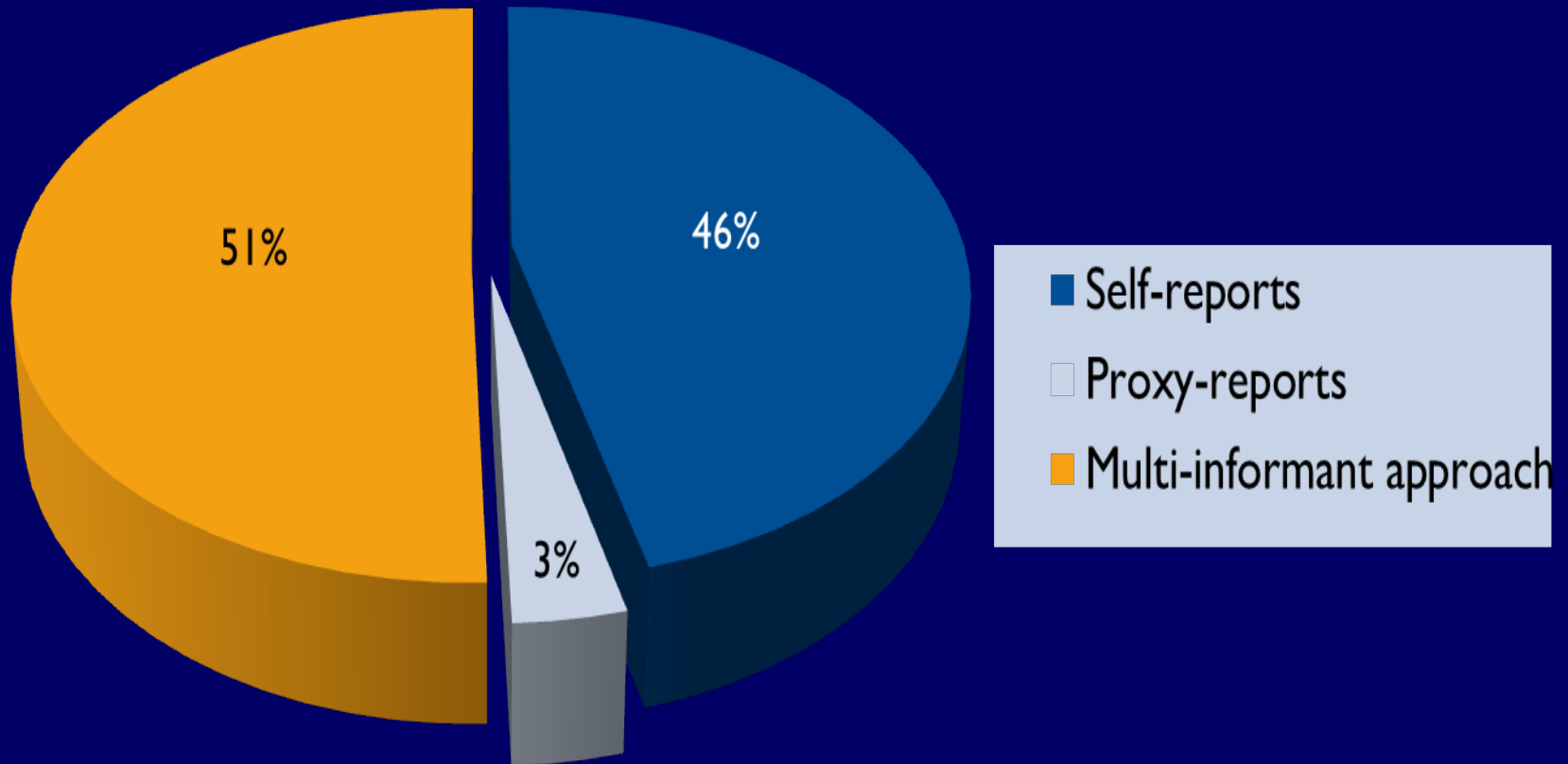
• NOTE: Systematic search in 4 electronic databases (PubMed, SocINDEX, PsychINFO, and Web of Science); date of last search: 2017, September 18th



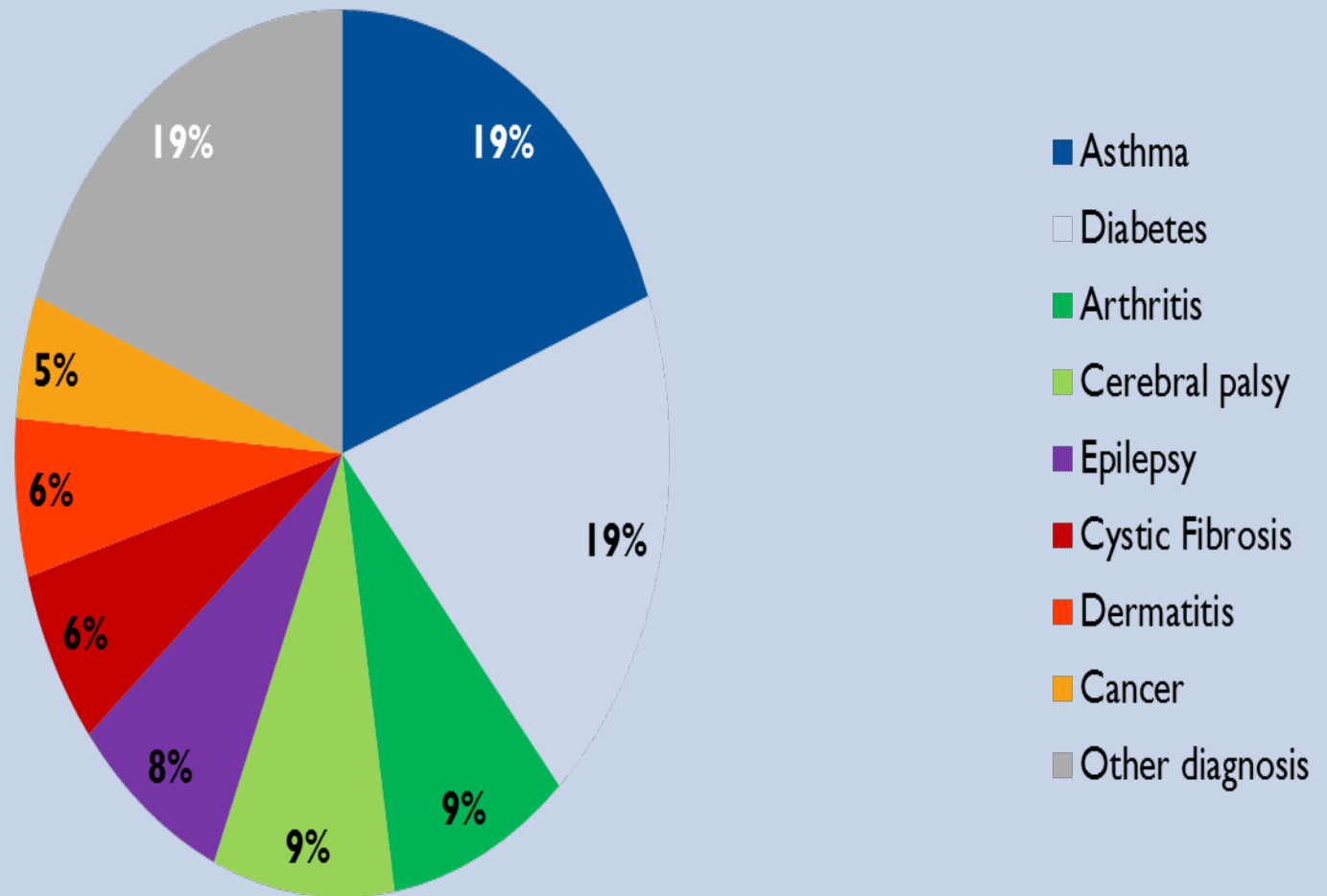
Number of publications per country



Number of publications by informants



Number of publications by health conditions



Die Zukunft von DISABKIDS:

Publizierte Arbeiten

- Analyse der psychometrischen Kennwerte des DISABKIDS
- Beschreibung der Lebensqualität bei unterschiedlichen chronischen Erkrankungen
- Analyse der Einflußfaktoren auf die Lebensqualität aus Eltern- und Kindersicht

Sammlung der Originaldaten von Nutzern (30.000)

- Reanalyse und Überprüfung des Messmodells mithilfe von Strukturgleichungsmodellen

Kleinwuchs und Lebensqualität

Lebensqualität kleinwüchsiger junger Menschen (5-18 J) mit Wachstumshormonmangel (GHD) bzw. ohne (ISS)

- Psychosoziale Beeinträchtigungen im Vergleich Nichtbetroffenen
- Kinder mit ISS geringere Lebensqualität als mit GHD, nach GH Therapie höhere Lebensqualität in einigen Studien
- Hinweis auf die Notwendigkeit, die emotionalen und sozialen Bedürfnisse der kleinwüchsigen Kinder zu unterstützen

(Stephen et al., 2011)

Kleinwüchsige Kinder sind häufiger von **Hänseleien und Schikane** durch Gleichaltrige betroffen, zeigen jedoch nicht mehr Verhaltensprobleme. (Lee et al., 2009)

Es fehlen **kleinwuchsspezifische Instrumente** zur Erfassung der Lebensqualität

Quality of Life in Short Stature Youth

Ziel der QoLISSY Studie

Entwicklung und Validierung eines kleinwuchsspezifischen Fragebogens zur Erfassung gesundheitsbezogener Lebensqualität bei Kindern und Jugendlichen mit GHD und ISS.

❖ Altersgruppe:

8 bis 18 Jahre – Kinder/ Jugendliche & Eltern

4 bis 7 Jahre – Eltern

❖ Selbstbericht und Elternversion

❖ Kleinwuchsformen ISS & GHD

❖ Behandelt mit Wachstumshormon/unbehandelt

❖ Aus 5 Ländern (D, GB, S, F, ES) plus NL, B, I, USA, GR



Entwicklungsschritte



Länderübergreifende simultane Fragebogenentwicklung

1. Fokusgruppen zur Identifikation relevanter HrQoL Konzepte für Kleinwüchsige (Ki/J und Eltern)

→ Modell- u. Itementwicklung

2. Pilottest zur Itemselektion mit Cognitive Debriefing

3. Feldtest (Ki 267/ Elt 318) Retest

Fokusgruppendifkussionen

- 1800 Statements von 96 Kindern und Jugendlichen und 2500 Statements von 128 Eltern aus allen fünf teilnehmenden Ländern
- Zuordnung der Statements zu den Dimensionen physisch, sozial, emotional, Bewältigung, Behandlung und Wirkung auf die Eltern mit je 20 bis 40 Statements per Dimension
- Auswahl von 118 Items für Kinder und Jugendliche und 166 für Eltern

QoLISSY Fokus Gruppen Ergebnisse

In meinem Leben stört mich eigentlich, dass mir die Größten aus meiner Klasse dann auch immer sagen: "Du bist so klein, du wächst ja nicht mehr"

„It bothers me that the tall children from my class always tell me: you're so small, you won't grow.“

Diskriminierung

Discrimination

age group 3, GHD+, Hamburg

Die tun mir andauernd weh. In der Schule hauen und schlagen die mich und sagen böse Wörter. Und ich weiß nicht warum.

They hurt me all the time and say bad words and I don't know why

Wird geschlagen in Schule.
Beaten at school.

Ich finds doof, wenn ich halt immer geärgert werde, so "Gartenzwerg" oder "Zwerg" oder so. Und auch du "kleine Kanalratte" und sowas. Und tun als würden sie mich nicht hören. Und sagen ich gehöre in die erste Klasse.

I feel bad when they tease me and call me garden gnome or gnome and rat and so on or they pretend that they don't hear me and say I belong into the first grade

teasing (dwarf, grade 1)

Child, age group 2, ISS-, Erlangen

Es hänseln die anderen, ich hatte früher einen in der Klasse der hat mich immer gehänselt, zum Glück ist der durchgefallen.

Others tease me, especially one did but fortunately he had to repeat the year

teasing

Child, age group 2, ISS-, Erlangen

oup 2, GHD+, Bonn

Pilot Test & Cognitive Debriefing

Der Pilot-Fragebogen wurde 100 Kindern & 113 Eltern zum Ausfüllen und kognitiven Interview vorgelegt.

- Reduktion der Items von 118/166 auf 53 relevante Items für Kinder und Jugendliche und 68 Items für Eltern
- Modifikation einzelner Items nach Auswertung der Aussagen zur Relevanz und zum Verständnis der einzelnen Items
- die explorative psychometrische Analyse des Pilotfragebogens bestätigte die im Modell angenommene Skalenstruktur.

Feld- und Re-Test

- Testung der psychometrischen Eigenschaften des QOLISSY Fragebogens.
- Validierung bei den Kindern ab acht Jahren und allen Eltern mittels DISABKIDS und KIDSCREEN
- Bestimmung der Re- Test Reliabilität : Eltern und Kindern wird der Fragebogen nach zwei Wochen erneut zugeschickt.

Schweden	79 Kinder/Jugendliche	86 Eltern
UK	32 Kinder/Jugendliche	35 Eltern
Deutschland	68 Kinder/Jugendliche	89 Eltern
Spanien	59 Kinder/Jugendliche	80 Eltern

Feld Test:
**351 Eltern &
288 Kinder/Jugendliche**

Frankreich 50 Kinder/Jugendliche 61 Eltern

Re-Test:
**171 Eltern &
141 Kinder/Jugendliche**

QoLISSY Fragebogen

QOLISSY



- ❖ 22 Items im Hauptmodul
Die Dimensionen **physisch**, **sozial** und **emotional** bilden den Gesamtwert der Lebensqualität.
- ❖ Transformation der Rohwerte in Bereich **zw. 0 und 100**
- ❖ **Beispielitem:**
„Wegen meiner Größe werde ich ausgelacht oder geärgert.“
- ❖ **5-stufiges Antwortformat:**
„stimmt überhaupt nicht“ - „stimmt genau“

Reliabilität

Dimension	N	α	Split-half	N	ICC
Physisch	263	.84	.83	120	.80
Sozial	265	.87	.83	121	.80
Emotional	259	.88	.88	121	.85
Coping	244	.82	.65	110	.56
Einstellung zur Körpergröße	263	.85	.85	117	.83
Behandlung	143	.87	.74	72	.73
QoL Gesamt Kinder	251	.95	.92	120	.88
QoL Gesamt Eltern	296	.95	.91	145	.86

Konvergente Validität

Korrelation QoLISSY und KIDSSCREEN (Selbstbericht)

Inter-Skalen-Korrelation		KIDSCREEN 52									
		Physisches Wohlbefinden	Psychisches Wohlbefinden	Stimmung	Selbstwahrnehmung	Autonomie	Eltern	Finanziell	Sozial	Schule	Mobbing
QoLISSY	Physisch	.20**	.25**	.33**	.50**	.25**	.25**	.30**	.23**	.21**	.40**
	Sozial	.18**	.29**	.38**	.51**	.29**	.29**	.28**	.28**	.24**	.51**
	Emotional	.25**	.37**	.41**	.58**	.34**	.34**	.30**	.29**	.29**	.43**
	Coping	.16*	.20**	.09	.15*	.16*	.17**	.11	.23**	.18**	.10
	Einstellung Körpergröße	.22**	.31**	.41**	.47**	.33**	.31**	.22**	.24**	.21**	.32**
	Einstellung Behandlung	.23**	.20*	-.01	.24**	.11	.14	.08	.16*	.12	.08
	QoL Gesamt	.23**	.33**	.41**	.57**	.32**	.32**	.32**	.29**	.27**	.48**

** . Korrelation ist signifikant auf dem 0.01 Niveau (2-seitig)

* . Korrelation ist signifikant auf dem 0.05 Niveau (2-seitig)

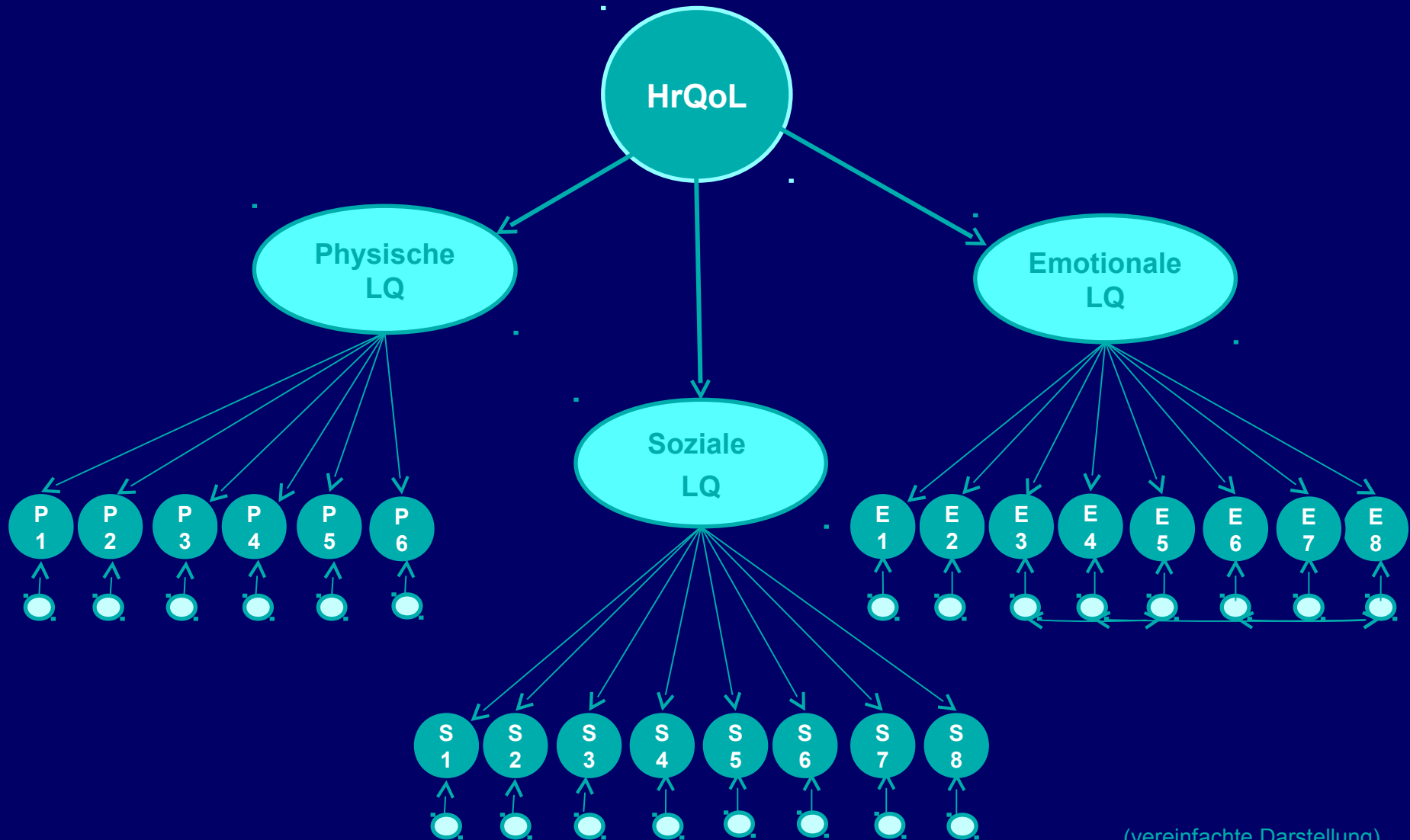
Diskriminante Validität

QoL Gesamtwert (Selbstbericht)

Diagnose des Kindes							<i>t</i>	<i>df</i>	<i>p</i>
ISS		GHD		<i>M</i>	<i>SD</i>				
<i>M</i>	<i>SD</i>	<i>M</i>	<i>SD</i>						
68.41	21.93	79.96	18.66			4.50	266	<.001	
Behandlungsstatus des Kindes							<i>t</i>	<i>df</i>	<i>p</i>
behandelt		unbehandelt		<i>M</i>	<i>SD</i>				
<i>M</i>	<i>SD</i>	<i>M</i>	<i>SD</i>						
79.49	18.95	65.90	21.77			5.42	266	<.001	
Standardabweichung der Körpergröße							<i>F</i>	<i>df</i>	<i>p</i>
> -1,499		-1,5 bis -2,499		< -2,5					
<i>M</i>	<i>SD</i>	<i>M</i>	<i>SD</i>	<i>M</i>	<i>SD</i>				
85.59	13.90	69.33	21.67	59.47	19.60	32.04	244	<.001	

- Jüngere Kinder (8-12 Jahre) berichten eine geringere QoL als Ältere (13-18 Jahre)
- Keine signifikanten Geschlechtsunterschiede

3-Faktorenmodell - QoLISSY



(vereinfachte Darstellung)

Modellüberprüfung

Globale Gütemaße – gesamt (Selbstbericht)

χ^2/df	CFI	TLI	RMSEA	SRMR
2.5 akzeptabel	.909 akzeptabel	.896 akzeptabel	.076 akzeptabel	.05 gut - akzeptabel



(Kriston et al., 2011; Hair et al., 2006; Kline, 2005)

Interkulturelle Validierung (QoLISSY Selbstbericht)

		<i>n</i>	Multiple-group Analysis		
			$\Delta\chi^2$	Δdf	<i>p</i>
<ul style="list-style-type: none"> • Taking out... 	Gesamtmodell	263			
	France	213	7.80	22	.998
	Germany	197	17.23	22	.750
	Spain	219	6.69	22	.999
	Sweden	191	11.87	22	.960
	UK	232	0.91	22	1.000

Nutzen der LQ Erfassung am Beispiel des krankheitsspezifischen QoLISSY

- ❖ kann in **Klinik, Forschung und Gesundheitsversorgung** als **reliables und valides Messinstrument** angewendet werden.
- ❖ kann **LQ bei Kleinwuchs unabhängig von spezifischer Diagnose erfassen** (ist entwickelt für Patienten mit GHD und ISS und deren Eltern, aber übertragbar).
- ❖ beschreibt den **Einfluss des Kleinwuchses** und der **Behandlung** auf Befinden und Funktionalität **des Kindes** aus kindlicher und elterlicher Perspektive.
- ❖ kann zur **Erfassung pädiatrischer LQOutcomes** in **klinischem Kontext** , in epidemiologischen Studien sowie in **der Versorgungsforschung** dienen
- ❖ kann Bedarfe offenlegen und **kleinwüchsigen Kindern/Jugendlichen** und ihren Eltern eine **Mitsprache in der Gesundheitsversorgung** ermöglichen.
- ❖ **kann zur Entwicklung und Evaluation von Interventionen genutzt werden**

Einsatz des QoLISSY Instruments bei durch Skelettdysplasie bedingtem Kleinwuchs

Interventionsstudie:

Ein modularisiertes Konzept zur Verbesserung der Lebensqualität von Familien mit Achondroplasien

VeLeFaAch

BMBF Projekt:

Patientenorientierte Beratung in der Versorgung seltener Erkrankungen

Achondroplasie

- seltene Erkrankung (Prävalenzrate 4,5/100.000 in Deutschland)
- zählt zu den Skelettdysplasien, ausgeprägter disproportionierter Kleinwuchs, vielfach erschwerte Alltagsbewegungen, Körpergröße meist unter 140 cm
- erhöhte Komorbidität , insbesondere Schmerzen
(z.B. vorzeitige Osteoarthrose, Spinalkanalstenosen, Schlafapnoe)
- Probleme hinsichtlich der medizinischen Versorgung
keine ursächliche Behandlung; lediglich Symptombehandlung
- wenige spezialisierte Zentren für Skelettdysplasien und die Betroffenen in Deutschland, aber starke Patientenorganisationen



Bedarf besteht sowohl in der **fachlich medizinischen Beratung** in den Kliniken, als auch in der **individuellen Begleitung** und in der **psychologischen Betreuung** der Betroffenen. Letzteres wird primär durch Selbsthilfe geleistet wie z.B. dem BKMF

Methodik

Qualitativ:

Fokusgruppeninterviews

Zur Ermittlung spezifischer Aspekte in Bezug auf die Lebensqualität und psychosoziale Belastungsfaktoren.

... zielen auf eine Gewinnung von Informationen über:

- die aktuelle Lebenssituation,
- die relevanten Problembereiche
- den Versorgungsbedarf

der teilnehmenden Personen bzw. Familien.

Quantitativ:

Fragebogenerhebung

Zur Erfassung einer Veränderung im Zielkriterium der gesundheitsbezogenen Lebensqualität mittels QoLISSY, DISABKIDS, KIDSCREEN sowie klin. und soziodem. Daten

T0: Baseline-Erhebung

T1: direkt vor der Intervention

Seminare der BKMF Selbsthilfe*

T2: nach der Intervention

* Bundesverband Kleinwüchsiger Menschen und ihrer Familien

Implikationen

Beinträchtigungen der Lebensqualität und Versorgungsbedarf

Relevante Themen

Kontakte mit
Freunden u.
Familie

Körperliche
Einschränkungen
u. Schmerzen

Mitgestaltung der
gesellschaftl.
Rahmenbedingunge
n

Erfahrungen mit
Stigmatisierungen u.
Bewältigungsmöglichkeiten

neben der medizinischen Betreuung
eine intensive **psychosoziale
Beratung** etablieren

besonderer **Schwerpunkt bei Kindern**
im Alter von 8 bis 12 Jahren

Angebot auch an **Eltern und
Geschwister** von Betroffenen richten

Beratungsangebot – Beispiele

„Du bist, was du zeigst – Selbstdarstellung und Selbstverwirklichung“

Ziel: Ausschöpfen der individuellen Möglichkeiten und Talente bzw. auf das Erkennen und **Äußern** eigener **Wünsche, Sehnsüchte und Ziele**.

- **Selbstsicherheit gewinnen**
- **Förderung von Selbstbestimmung**
- **Wünsche, Vorstellungen, Erwartungen und Ziele formulieren**

ICH ²

„Stark sein - Selbstsicherheit und kommunikative Kompetenz

Ziel: sich besser Gehör zu verschaffen ohne „verletzend“ zu werden, um Auftritte im öffentlichen Raum selbstsicher zu bewältigen

- **Training der Selbstbehauptung und des Durchsetzungsvermögens**
- **Schulung von Sprache und Ausdruck**
- **Erarbeitung positiver Grundhaltungen**


Lebensqualität vor und nach Intervention bei Achondroplasie

Skala	Haupteffekt	Ausprägung	Differenz T1 zu T2 (M ± SE)	95% Konfidenzintervall	p
LQ gesamt	Gruppe	Teilnehmer	5,33 ± 1,55	2,25 – 8,41	0,009
		nicht-Teilnehmer	-2,88 ± 2,68	-8,22 – 2,45	
	Respondent	Kinder	4,67 ± 1,62	0,84 – 7,29	0,002
		Eltern	-1,61 ± 1,94	-5,45 – 2,22	
Physische LQ	Respondent	Kinder	6,66 ± 1,79	1,29 – 10,98	0,014
		Eltern	0,53 ± 2,28	-10,98 – 1,29	
Soziale LQ	Gruppe	Teilnehmer	6,51 ± 1,90	2,74 – 10,28	0,021
		nicht-Teilnehmer	-2,55 ± 3,32	-9,17 – 4,07	
Emotionale LQ	Gruppe	Teilnehmer	5,20 ± 1,72	1,79 – 8,60	0,016
		nicht-Teilnehmer	-4,27 ± 3,03	-10,29 – 1,75	
	Respondent	Kinder	3,07 ± 1,82	-0,53 – 6,67	0,008
		Eltern	-2,15 ± 2,24	-6,59 – 2,29	

Haemoqol Fragebogen

- Selbstbericht für Kinder und Jugendliche (4-7, 8-12, 13-16 Jahre) und für Eltern
- Unterschiedliche Itemzahl nach Altersgruppe (I:21, II:64; III:77 items).
- Gute psychometrische Qualität
Cronbach's alpha Total score $\alpha = .82 - .89$.
- Entwicklung des Haemo-QoL in 6 Europäischen Ländern (*Germany, Italy, Spain, France, U.K., Netherlands*), inzwischen in 40+ Sprachen verfügbar.

9. Here we would like to know something about haemophilia and your **PHYSICAL HEALTH**



In the past 4 weeks...

	never	seldom	some-times	often	all the time
1. ... my swellings hurt	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
2. ... I had pain in my joints	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
3. ... it was painful for me to move	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
4. ... my joints felt stiff	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
5. ... it was difficult for me to move my arms or legs	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
6. ... I had difficulty walking as far as I wanted to	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
7. ... I was afraid of hurting myself	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

European Study on Clinical Health economical and Quality of Life Outcomes in Europe (ESCHQOL) Regions according to Factor VIII consumption

Region 1 (> 5 IU)

Austria



Denmark



France



Germany



Sweden



United Kingdom



Region 2 (2-5 IU)

Portugal



Slovenia



Slovakia



Spain



Switzerland



Belgium



Finland



Greece



Hungary



Italy



Region 3 (< 2 IU)

Poland



Romania



Turkey



Czech Republic

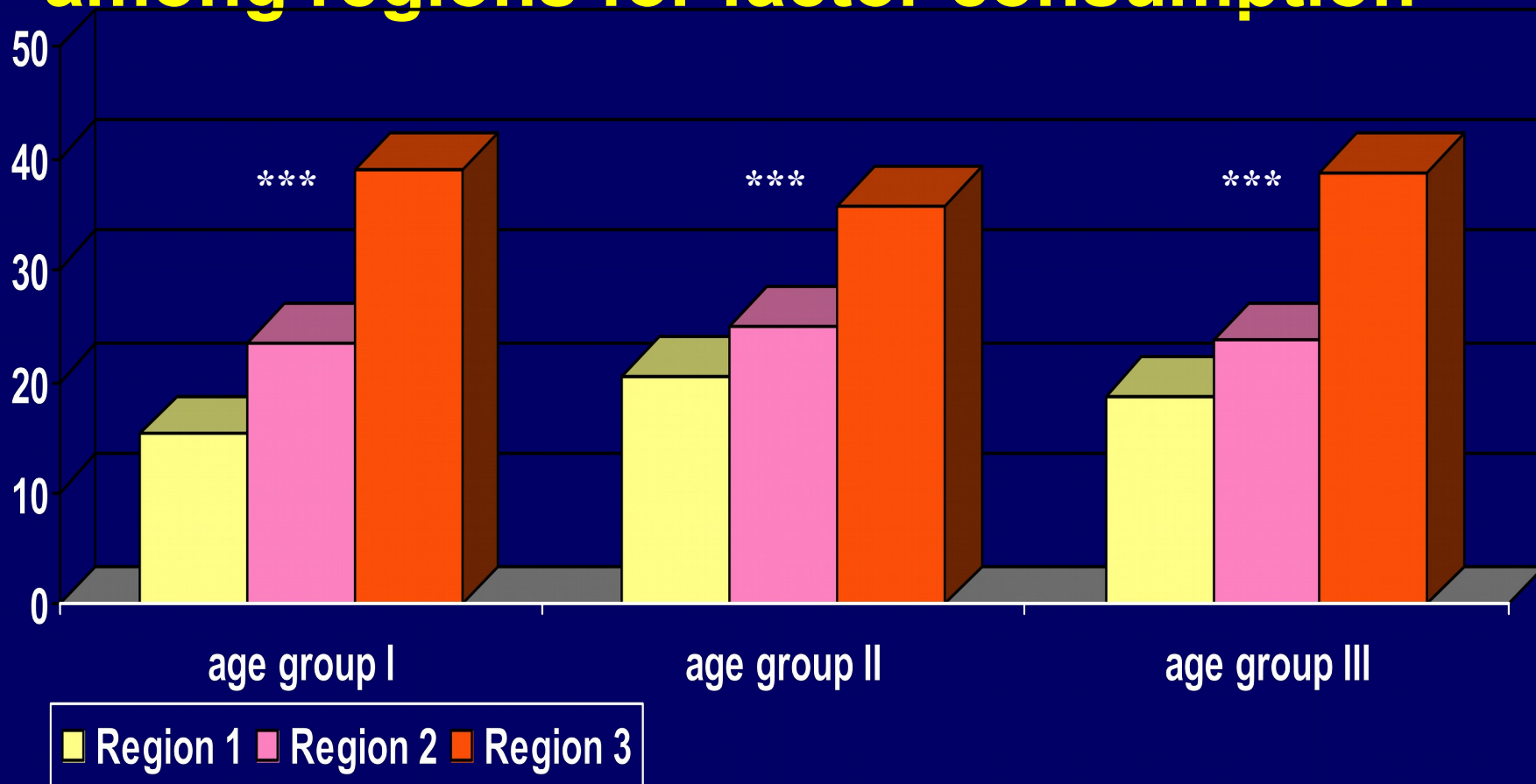


Lithuania



ESCHQOL Study in 23 countries

HrQoL impairments (Haemo-QoL, age I-III) among regions for factor consumption



Neuere Ansätze der Lebensqualitätserfassung

- **Computerbasierte Vorgabe**
Ökonomischer Einsatz der Verfahren
- **Item Response Theorie (IRT)**
Maßschneidern von Fragebögen, Kurzformen
- **Computer adaptives Testen**
Minimierung der Beantwortungsanforderungen,
Präzision, reduzierte Patientenbelastung
- **Entwicklung von Itembanken (PROMIS)**
Auswahl der besten Items aus vorhandenen
Instrumenten zur Erfassung von LQ Dimensionen

Ziele der Lebensqualitätserfassung

- Beschreibung von Wohlbefinden /Funktionsfähigkeit
(epidemiologische Perspektive)
- Evaluation von Behandlungseffekten
(klinische Perspektive)
- Analyse von Qualität und Kosten der Behandlung
(gesundheitsökonomische Perspektive)
- Optimierung von Versorgungsangeboten
(gesundheitspolitische Perspektive)

Patientenorientierung in der Arzneimittelbewertung

- Nach europäischer Rechtsprechung aus 2006 müssen Medikamente für Kinder auch an Kindern getestet werden- also klinische Studien nötig, die auch LQ messen sollten
- Frühe Nutzenbewertung nach AMNOG (2011) regelt die Bepreisung von Medikamenten nach deren Nutzen
- Definition : „Unter Nutzen eines Arzneimittels wird der patientenrelevante therapeutische Effekt eines Arzneimittels verstanden“. Wesentliche Kriterien sind
 - Verbesserungen des Gesundheitszustandes,
 - die Verkürzung der Krankheitsdauer,
 - die Verlängerung des Überlebens,
 - die Verringerung von Nebenwirkungen
 - **die Verbesserung der Lebensqualität.** (SGB V, § 35a)

Zusammenfassung

- In der Pädiatrie ist die Erfassung der Lebensqualität etabliert
- Krankheitsübergreifende, -vergleichende und -spezifische Ansätze existieren, und haben oft gute methodisch Qualität
- Es existieren wenige RCTs mit dem Zielkriterium Lebensqualität- besonders bei Kindern, daher geringe Datenbasis
- Erst weitere Studien werden Evidenz erbringen über die Lebensqualitätsveränderungen nach Interventionen
- Daten zu Lebensqualität müssen hinsichtlich ihrer klinischen Relevanz transparenter werden
- Die Rolle von Lebensqualitätsmaßen in der Arzneimittelzulassung ist ein wichtiges Forschungsfeld, insbesondere vor dem Hintergrund des AMNOG und der europäischen Rechtsprechung zur Testung von Arzneimitteln (aus 2006)

Dankeschön!



Bullinger@uke.de