Gemeinsamer
Bundesausschuss
Innovationsausschuss

Stand: 14.07.2025

Dokumentation der Rückmeldungen

zum Beschluss des Innovationsausschusses beim Gemeinsamen Bundesausschuss gemäß § 92b Absatz 3 SGB V zum abgeschlossenen Projekt *PRO-Kind-Rheuma* (01VSF18031)

Der Innovationsausschuss berät bei geförderten Projekten der Versorgungsforschung innerhalb von drei Monaten nach Eingang der jeweiligen bewertbaren Schluss- und Ergebnisberichte über die darin dargestellten Erkenntnisse. Dabei kann er eine Empfehlung zur Überführung in die Regelversorgung beschließen. Dies kann auch eine Empfehlung zur Nutzbarmachung der Erkenntnisse zur Verbesserung der Versorgung sein. In seinem Beschluss konkretisiert der Innovationsausschuss, wie die Überführung in die Regelversorgung erfolgen soll. Zudem stellt er fest, welche Organisation der Selbstverwaltung oder welche andere Einrichtung für die Überführung zuständig ist.

Gemeinsamer Bundesausschuss Innovationsausschuss

Stand: 14.07.2025

A. Beschluss mit Begründung

Der Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss hat in seiner Sitzung am 20. Dezember 2024 zum *Projekt PRO-Kind-Rheuma - Handlungs- und Therapie-Protokolle in der Kinderrheumatologie* (01VSF18031) folgenden Beschluss gefasst:

I. Die im Projekt erzielten Ergebnisse werden an die Deutsche Gesellschaft für Kinder- und Jugendmedizin e. V. (DGKJ), die Gesellschaft für Kinder- und Jugendrheumatologie e. V. (GKJR), die Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie und Klinische Immunologie e. V. (DGRh) und die Deutsche Rheuma-Liga Bundesverband e. V. zur Information weitergeleitet.

Begründung

Das Projekt hat erfolgreich untersucht, ob die Anwendung von Handlungsempfehlungen mit bestimmten Therapiepfaden, die ein Treat-to-Target (T2T)-Vorgehen bei Kindern und Jugendlichen mit chronisch entzündlich-rheumatischen Erkrankungen beinhalten, zu einem frühen Erreichen einer inaktiven Erkrankung beiträgt. Diese Handlungsempfehlungen, die von der Kommission PRO-KIND (der Gesellschaft für Kinder- und Jugendrheumatologie (GKJR)) erarbeitet wurden, finden in der Versorgung bereits Anwendung, jedoch nicht flächendeckend in allen kinderrheumatologischen Einrichtungen. Daher war es Ziel des Projekts, die Implementierung der Handlungsempfehlungen im Sinne eines strategischen Vorgehens im Therapieablaufrheumatischer Erkrankungen zu fördern. Zur Evaluation der Frühversorgung von Kindern und Jugendlichen mit chronisch entzündlich-rheumatischen Erkrankungen wurde eine prospektive multizentrische Beobachtungsstudie (PRO-Kind-Rheuma-Kohorte) umgesetzt. Es wurden alle in der GKJR organisierten Kinder- und Jugendrheumatologinnen und -rheumatologen für eine Teilnahme eingeladen, unter der Annahme, dass die Handlungsempfehlungen bei den Behandelnden bereits Eingang in die Versorgungsalltaggefunden haben. Dem Projekt gelang es von insgesamt 69 im Projektzeitraum an der Kerndokumentation rheumakranker Kinder und Jugendlicher (Kinder-KD) teilnehmenden Einrichtungen, 23 für eine Teilnahme an der PRO-Kind-Rheuma-Kohorte zu gewinnen. In diesen 23 Einrichtungen konnten insgesamt 662 Kinder und Jugendliche mit neudiagnostizierter/m juveniler idiopathischer Arthritis (JIA), systemischen Lupus erythematodes (SLE) und juveniler Dermatomyositis (JDM) rekrutiert werden. Für einen Vergleich der Behandlung wurden u. a. Daten der Kinder-KD Kohorte aus den Jahren 2020bis 2022 genutzt, um Zeitpunkt sowie Art und Dauer des Therapiebeginns (mitkrankheitsmodifizierenden Medikamenten) zwischen PRO-Kind-Rheuma-Einrichtungenmit jener der Kinder-KD Einrichtungen, zu vergleichen und die Versorgungssituation abzubilden. Eine Intervention fand im Projektverlauf nicht statt. Als primärer Endpunktwurde das Erreichen einer inaktiven (oder wenigstens minimal aktiven) Erkrankung (nach6 und 12 Monaten) festgelegt. Die sekundären Endpunkte umfassten patienten-/elternberichtete Outcomes (u. a. gesundheitsbezogene Lebensqualität, Alltagsfunktion, Schmerz und Teilhabe). Die Ergebnisse zeigten, dass die neu erkrankten Kinder und Jugendlichen sowohl in PRO-Kind-Rheuma (T2T-Vorgehen) als auch in der

Kinder-KD Einrichtungen (kein T2T-Vorgehen) früh intensiv behandelt wurden: über die Hälfte der neu erkrankten Kinder und Jugendlichen erhielten bereits im ersten Behandlungsjahr krankheitsmodifizierende Medikamente. In der Gruppe mit JIA wurde das Erreichen einer inaktiven (oder wenigstens minimal aktiven) Erkrankung (nach 12 Monaten) statistisch signifikant häufiger bei den T2T-Behandelten im Vergleich zu den Nicht-T2T-Behandelten erreicht. Für die Gruppe mit SLE und JDM konnte hingegen kein statistisch signifikanter Effekt gezeigt werden, wenngleich jedoch (nach 12 Monaten) eine nummerische Verbesserung hinsichtlich einer inaktiven Erkrankung bei T2T-Behandelten im Vergleich zu Nicht-T2T-Behandelten beobachtet wurde. Die Ergebnisse der patienten-/elternberichteten Outcomes, waren bei T2T-Behandelten bei der JIA (nach 12 Monaten) ebenfalls besser als bei Nicht T2T-Behandelten. Statistisch signifikant unterschieden sich die T2T-Behandelten von den Nicht-T2T-Behandelten in den patienten-/elternberichteten Outcomes Allgemeines Wohlbefinden, Schmerz, Müdigkeit, gesundheitsbezogene Lebensqualität und körperlicher Lebensqualität.

Insgesamt war das Studiendesign der Beobachtungsstudie für die deskriptive Beschreibung der Versorgung und der längsschnittlichen Ergebnisse in der PRO-Kind-Rheuma Kohorte grundsätzlich angemessen. Die Aussagekraft ist jedoch durch die uneinheitlichen Messzeitpunkte in den verschiedenen Kohorten und den hohen Drop-out von ca. 50 % nach 12 Monaten eingeschränkt. Aufgrund der Selektion bei der Rekrutierung kann nicht davon ausgegangen werden, dass die Ergebnisse repräsentativ für alle kinderrheumatologischen Einrichtungen sind. Die Aussagekraft der Ergebnisse zu den Fragestellungen zur Wirksamkeit der Handlungsempfehlungen ist aufgrund des Studiendesigns (Beobachtungsstudie mit (externen) Kontrollgruppen mit unterschiedlichen Erhebungsmethoden) und keiner klar abgegrenzten Exposition in den Kohorten insgesamt stark eingeschränkt.

Der Innovationsausschuss beim Gemeinsamen Bundesausschuss schätzt die Optimierung der Frühversorgung von Menschen mit chronisch entzündlich-rheumatischen Erkrankungen in Hinblick auf die bestehenden Versorgungsdefizite nach wie vor, sowohl allgemein, als auch mit besonderem Fokus auf die besonders vulnerable Gruppe der Kinder und Jugendlichen, als hoch relevant ein. Im Einklang mit dem Projektkonsortium wird weiterer Forschungsbedarf in diesem Bereich gesehen. Dementsprechend wurde auch das Folgeprojekt zu *Pro-Kind T2T – Handlungs- und Treat-To-Target (T2T)-Protokolle in der Kinder-Rheumatologie* (01VSF24058) zur Förderung ausgewählt. Ziel des Projekts wird es sein, die Verbesserung der therapiefreien Remission durch Anwendung des T2T-Konzepts zu evaluieren.

Stand: 14.07.2025

B. Dokumentation der Rückmeldungen

Nachfolgend aufgeführt die Rückmeldungen der einzelnen Adressaten:

Adressat	Datum	Inhalt
Deutsche Gesellschaft für Rheumatologie und Klinische Immunologie e. V. (DGRh)	19.02.2025	*„[...] Das Verbundprojekt PRO-Kind-Rheuma evaluierte die frühe fachspezifische Versorgung von Kindern und Jugendlichen mit juveniler idiopathischer Arthritis (JIA), juvenilem systemischen Lupus erythematodes (SLE) und juveniler Dermatomyositis (JDM). Es wurde untersucht, inwieweit die von der Gesellschaft für Kinder- und Jugendrheumatologie (GKJR) publizierten konsensbasierten Treat-to-Target (T2T)-Empfehlungen im klinischen Alltag bereits Anwendung finden und welche Behandlungsergebnisse erzielt werden.* *Hierzu wurden über 660 Kinder und Jugendliche mit JIA, SLE und JDM eingeschlossen und durchschnittlich 10 Monate lang beobachtet. Trotz der Herausforderungen durch die COVID-19-Pandemie konnten die 23 teilnehmenden kinderrheumatologischen Einrichtungen während des Rekrutierungszeitraums nahezu jedes zehnte bundesweit neu an JIA erkrankte Kind in die Studie aufnehmen.* *Die Ergebnisse zeigen, dass die teilnehmenden Zentren mehrheitlich nach dem T2T-Prinzip behandelten. Dieses adaptive Therapievorgehen war signifikant mit besseren Behandlungsergebnissen im Vergleich zu einem nicht-strukturierten Routinevorgehen assoziiert.*

Stand: 14.07.2025

		Die Resultate wurden intensiv auf gemeinsamen Fachtagungen der Deutschen Gesellschaft für Rheumatologie und Klinische Immunologie (DGRh) und der GKJR diskutiert und legen nahe, dass konsensbasierte Behandlungsprotokolle die Versorgungspraxis vereinheitlichen und eine frühe, konsequente Therapie die kurzfristige Prognose von JIA-Patienten verbessern kann. *In den letzten zwei Jahrzehnten hat der Fortschritt in der Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit JIA das Ziel einer inaktiven Erkrankung erreichbar gemacht. Dennoch bleibt sowohl zu Beginn als auch im Verlauf der Behandlung oft unklar, welche Strategie für den einzelnen Patienten optimal ist. Auch bei einem Therapieversagen lässt sich häufig nicht eindeutig bestimmen, welche Alternative die bessere gewesen wäre. Daher müssen Behandlungspläne wiederholt an den individuellen Krankheitsverlauf und die Therapieantwort angepasst werden. Während randomisierte klinische Studien hierfür nur begrenzte Evidenz liefern, könnten mehrstufige adaptive randomisierte Studien wertvolle Erkenntnisse ermöglichen – sind aber aufgrund der geringen Fallzahlen bei den seltenen pädiatrisch-rheumatischen Erkrankungen schwer umsetzbar.* *Aus diesem Grund sind die von der GKJR entwickelten, konsensbasierten und in PRO-Kind-Rheuma evaluierten Therapieempfehlungen von großer Bedeutung. Die im Rahmen von PRO-Kind-Rheuma gewonnenen Beobachtungsdaten ermöglichen eine vergleichende Untersuchung adaptiver Therapieansätze in der klinischen Praxis. Durch komplexe statistische Analysen lassen sich aus den in PRO-Kind-Rheuma erfassten klinischen Verlaufsdaten valide Erkenntnisse zur Wirksamkeit verschiedener Therapieansätze ableiten, die Ärztinnen und Ärzte in ihren Therapieentscheidungen unterstützen können.*

Stand: 14.07.2025

		Ein streng standardisiertes Studienprotokoll mit systematischer Effektivitätsmessung hätte einer klassischen klinischen Studie entsprochen – ein Ansatz, der bewusst vermieden wurde. Insbesondere für den juvenilen SLE und die JDM, für die es kaum explizit zugelassene Medikamente gibt, wäre ein solches Vorgehen methodisch problematisch gewesen. *Die Ergebnisse zeigen jedoch klar: Die Anwendung des T2T-Prinzips führt zu besseren Behandlungsergebnissen bei der JIA. Daraus ergibt sich, dass eine frühe, konsequente Behandlung nach T2T-Standards als potenzieller Qualitätsindikator für die JIA-Versorgung herangezogen werden kann.* *Das Vorhaben demonstriert eindrucksvoll das Potenzial evaluativer Begleitforschung zur Optimierung der Versorgung rheumakranker Kinder und Jugendlicher. Das von der Kommission PRO-Kind der GKJR initiierte und mit großem Engagement der teilnehmenden Kinderrheumazentren erfolgreich umgesetzte Projekt PRO-Kind-Rheuma ist ein wegweisender Fortschritt für die GKJR. [...]“*