

Inhaltsverzeichnis

Inhaltsverzeichnis	I
Tabellenverzeichnis	IV
Abbildungsverzeichnis	VI
Abkürzungsverzeichnis	VII
1 Einleitung	1
1.1 Hintergrund und Motivation	1
1.2 Aufbau der Arbeit und Forschungsfragen	3
2 Grundlagen	8
2.1 Seltene Erkrankungen.....	8
2.1.1 Definition und Prävalenz	8
2.1.2 Charakteristika seltener Erkrankungen	12
2.2 Mukoviszidose	19
2.2.1 Krankheitsmerkmale	19
2.2.2 Diagnostik und Therapie	22
2.3 Gesundheitsökonomische Aspekte seltener Erkrankungen	26
2.3.1 Gesundheitsökonomische Herausforderungen	26
2.3.2 Versorgungsforschung bei seltenen Erkrankungen	33
3 Spezialisierte Versorgung seltener Erkrankungen	39
3.1 Versorgungssituation und Versorgungsdefizite	39
3.1.1 Versorgungsstrukturen und Vergütungsprobleme.....	39
3.1.2 Diagnose und Therapie.....	53
3.1.3 Information und Erfahrungsaustausch	57
3.1.4 Forschung.....	66
3.2 Lösungsansätze und Versorgungskonzept	72
3.2.1 Referenzzentren und europäische Referenznetzwerke	72
3.2.2 Vernetzte Versorgungsstrukturen	75
3.2.3 Nationale und europäische Zusammenarbeit	81
3.3 Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	83

4	Empirische Erhebung bei Mukoviszidose.....	87
4.1	Konzeption der Erhebung	87
4.1.1	Studiendesign und Zielsetzung.....	87
4.1.2	Erhebungsinstrumente.....	95
4.2	Überblick über die Patientenpopulation.....	99
4.2.1	Patientenzahlen und soziodemographische Daten.....	99
4.2.2	Klinische Daten.....	102
4.3	Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	108
5	Ambulante Versorgung bei Mukoviszidose	109
5.1	Ambulante Behandlung im Krankenhaus	109
5.1.1	Routinebehandlung in Mukoviszidose-Ambulanzen.....	109
5.1.2	Personalsituation in Mukoviszidose-Ambulanzen	115
5.2	Kosten der ambulanten Behandlung bei Mukoviszidose.....	122
5.2.1	Bisherige Kostenerhebungen bei Mukoviszidose.....	122
5.2.2	Gesamtkostenermittlung für die ambulante Behandlung	128
5.2.3	Subgruppenanalyse nach Kosteneinflussfaktoren	134
5.3	Vergütung für ambulante Leistungen bei Mukoviszidose.....	140
5.3.1	Aktuelle Vergütungssituation.....	140
5.3.2	Versorgungsdefizite bei Mukoviszidose	144
5.3.3	Lösungsansätze für zukünftige Vergütungsformen.....	149
5.4	Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	157
6	Arzneimittelversorgung bei seltenen Erkrankungen	160
6.1	Orphan Drugs und Off-Label-Use	160
6.1.1	Definition und Markt für Orphan Drugs	160
6.1.2	Orphan-Drug-Gesetzgebung und Anreizwirkungen	162
6.1.3	Zulassung von Orphan Drugs	168
6.1.4	Zugang und Kostenerstattung von Orphan Drugs.....	174
6.1.5	Off-Label-Use.....	180
6.2	Empirische Analyse der Arzneimittelkosten bei Mukoviszidose	184
6.2.1	Kosten der ambulanten medikamentösen Behandlung.....	184
6.2.2	Subgruppenanalyse nach Kosteneinflussfaktoren	191

6.2.3	Regressionsanalyse der Medikamentenkosten	195
6.3	Lösungsansätze für die zukünftige Arzneimittelversorgung	204
6.4	Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	211
7	Lebensqualität bei Mukoviszidose	214
7.1	Gesundheitsbezogene Lebensqualität	214
7.1.1	Psychische Folgen bei Mukoviszidose.....	214
7.1.2	Krankheitsbewältigung	218
7.2	Empirische Analyse der Lebensqualität	223
7.2.1	Gesamtauswertung der Lebensqualität nach EQ-5D und CFQ	223
7.2.2	Korrelations- und Subgruppenanalyse	231
7.3	Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	236
8	Soziale Aspekte bei Mukoviszidose	241
8.1	Empirische Analyse sozialer Aspekte	241
8.1.1	Berufliche Einschränkungen	241
8.1.2	Finanzielle Situation.....	245
8.1.3	Zeitliche Belastungen.....	248
8.2	Aspekte einer „gerechten“ Ressourcenverteilung	252
8.3	Zusammenfassung des Kapitels und Zwischenfazit.....	260
9	Fazit.....	263
9.1	Zusammenfassung.....	263
9.2	Ausblick.....	268
Anhang: Muster Erhebungsbögen.....		271
Anhang 1: Patienten-Fragebogen (Erwachsene).....		272
Anhang 2: Gesundheitsfragebogen EQ-5D-Y (Kinder)		276
Anhang 3: Behandlungsfragebogen		278
Anhang 4: Allgemeine Angaben der Ambulanzen		282
Anhang 5: Personal-Fragebogen.....		288
Literaturverzeichnis		290