

Abstract

Background and objectives: People pursue healthcare with the belief that the treatment, care, and guidance they receive will lead to either improvement or maintenance of their health. While the current assessment of healthcare quality is not widely aligned with these objectives, Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) offer the opportunity to assess the self-perceived health status of patients, through generic, disease-specific, or treatment-specific questionnaires. PROMs can be used for different purposes on the individual and system levels, including clinical care adjustments, benchmarking, remote monitoring, or feedback to healthcare professionals and patients. There is currently a lack of research on how to upscale PROM utilization to a system level and understand possible PROM use cases in the German healthcare system context. To close this research gap, this dissertation first identifies the status quo and opportunities to expand PROM utilization (chapter A). Second, investigations into specific use cases of PROMs are presented: the effectiveness of remote Patient-Reported Outcome (PRO)-monitoring and alerts post-hip- and knee-replacement surgery (chapter B), the utilization of PROMs to uncover gender health inequities (chapter C), and new ways to use PROMs as quality indicators and support tools (chapter D). A discussion draws implications for patients, providers, and policymakers alike and outlines areas for further research, especially in the context of the German healthcare system. The overall objective of this dissertation is to identify the potential of PROMs to facilitate people-centered healthcare – healthcare that recognizes the holistic needs of patients and shifts the focus from diseases to individuals, their families, and communities.

Methods: The cumulative dissertation relies on qualitative and quantitative research methods. The publications in chapter A are based on over 50 semi-structured interviews with PROM experts and patient representatives from different countries, supported by scientific and gray literature in the field. Based on the grounded theory methodology insights were distilled from the interviews to create a PROM Health System Implementation Framework (PROM-HSIF) enabling country, state, and regional comparisons. Four publications are based on the dataset of the ‘PROMoting Quality’ trial, a randomized-controlled trial investigating a PROM-based remote monitoring and alert intervention one, three- and six-months post-hip- and knee-replacement surgery across nine German hospitals. Various statistical models including descriptive statistics, mixed effect models, and machine learning models were employed to answer the respective research questions. One paper additionally relies on a dataset of patients undergoing hip- and knee-replacement surgeries in two locations of a private German hospital chain. The last paper is the ‘PROMchronic’ study protocol that specifies the analyses to be conducted in the prospective cohort study.

Results: The country comparison revealed varying stages of PROM implementation across different Western countries, despite having experienced similar challenges and success factors in the process. Success factors comprised a patient-centric approach, clinical champions, standardization efforts, robust

information technology (IT) infrastructure and interoperability, incentives, and political will. Front-runners in terms of implementation were the Netherlands and Wales, whereas Germany showed fewer implementation efforts with fragmented initiatives that did not reach a national level. The first PRO use-case PRO-monitoring and alerts led to statistically significant small health benefits in health-related quality of life (HrQoL) and fatigue compared to the standard of care among hip- and knee-replacement patients and in depression symptoms among hip-replacement patients. The intervention was more effective for specific patient demographics, notably patients who were female, over 65 years of age, had a blood pressure disease, were not working, reported no back pain, and were adherent. In terms of detecting health disparities through PROMs, the analyses revealed that men compared to women reported a better health status pre-surgery across five health dimensions, with the gender health gap disappearing in some dimensions at discharge from the hospital and diminishing completely twelve months post-surgery. The analysis of the subdimensions of the 5-level EQ-5D version (EQ-5D-5L) measuring HrQoL showed that men experienced significantly better health in most subdimensions despite the self-care dimension. Moreover, preoperative PRO-thresholds are presented for a numerical ten-point pain scale, the Hip Disability/Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score Physical Function Short Form (HOOS-PS/KOOS-PS) measuring joint functionality, and the EQ-5D-5L as predictors of meaningful improvement after surgery, with the EQ-5D-5L threshold showing the best predictive performance. The ‘PROMchronic’ study protocol presents the selection and selection criteria of PROMs for chronically ill patients in Germany and the analyses that will be employed to identify the representativeness of response, quality of care variations, and the potential implications of PRO-feedback on patient health behaviors.

Conclusion: This dissertation showcases the use cases of PROs in different countries and supports that PROs can not only create a more holistic understanding of healthcare quality but also pave the way for improved care follow-ups and appropriateness of care considerations while potentially supporting the move towards people-centered healthcare through patient involvement. The country comparison revealed that activities in various complementary implementation dimensions in PRO-measurement and PRO-utilization, supported by cultural factors and stakeholder involvement, are essential to upscale PRO-utilization to the system level. While the PRO-monitoring and alert intervention was found to be effective in improving some health dimensions, further studies are required to distill the effects of the different intervention steps and to identify solutions for subgroups not benefiting from the current intervention while being on critical recovery paths post-surgery. The identified pre-surgery gender health gap at the disadvantage of women reflects the need for further analyses and initiatives to address differences in the care-seeking and care-provision dynamics before hip- and knee-replacement surgery. Both, the identified pre-surgery PRO-thresholds and planned analyses in the ‘PROMchronic’ study give an outlook on utilizing PROMs for the assessment of high and low-value care and the use of PROs as decision support tools and patient feedback.

Zusammenfassung

Hintergrund und Ziele: Menschen suchen Gesundheitsversorgung in der Überzeugung auf, dass dortige Behandlungen, Pflege und Anweisungen entweder die eigene Gesundheit verbessern oder eine Verschlechterung der Gesundheit verhindern. Während die aktuelle Bewertung der Versorgungsqualität die Messung der Gesundheit aus Patient:innensicht häufig nicht einschließt, bieten Patient-Reported Outcome Measures (PROMs) die Möglichkeit, den selbst wahrgenommenen Gesundheitszustand der Patient:innen durch generische, krankheitsspezifische oder behandlungsspezifische Fragebögen zu erfassen. PROMs können auf individueller Ebene von Gesundheitspersonal oder Patient:innen und auf Systemebene verwendet werden. Nutzungszwecke schließen beispielsweise Benchmarking, Monitoring oder das Feedback an Gesundheitspersonal und Patient:innen ein. Wie man die Nutzung von PROMs auf Systemebene ausweiten und PROMs im Kontext des deutschen Gesundheitssystems für verschiedene Nutzungszwecke effektiv einsetzen kann, ist noch unzulänglich erforscht. Um diese Forschungslücke zu schließen, wurden für diese Dissertation zunächst der Status quo der PROM Implementierung sowie die Möglichkeiten zur Erweiterung der PROM-Nutzung auf Systemebene untersucht (Kapitel A). Darauffolgend wurden spezifische Anwendungsfälle von PROMs erforscht: die Wirksamkeit des Patient-Reported Outcome (PRO) Monitorings verbunden mit einem Alarmsystem nach Hüft- und Kniegelenkersatzoperationen (Kapitel B), die Nutzung von PROs zur Aufdeckung von geschlechtsspezifischen Unterschieden der Gesundheit (Kapitel C) und neue Möglichkeiten zur Verwendung von PROMs als Qualitätsindikatoren und Unterstützungsinstrumente (Kapitel D). Eine Diskussion zieht Implikationen für Patient:innen, Leistungserbringer:innen und Entscheidungsträger:innen und skizziert Bereiche für weitere Forschung, insbesondere im Kontext des deutschen Gesundheitssystems. Insgesamt zielt diese Dissertation darauf ab, das Potenzial von PROMs zur Förderung der personenorientierten Gesundheitsversorgung zu identifizieren („people-centered healthcare“).

Methodik: Diese kumulative Dissertation stützt sich auf qualitative und quantitative Forschungsmethoden. Die Veröffentlichungen in Kapitel A basieren auf über 50 halbstrukturierten Interviews mit PROM-Expert:innen und Patient:innen aus verschiedenen Ländern sowie unterstützender Literatur. Auf Grundlage der Grounded-Theory-Methodik wurden Erkenntnisse aus den Interviews abgeleitet, um ein „PROM Health System Implementation Framework“ (PROM-HSIF) zu erstellen, das Vergleiche zwischen Ländern, Staaten und Regionen ermöglicht. Vier Veröffentlichungen basieren auf dem Datensatz der randomisiert kontrollierten Studie „PROMoting Quality“, die eine PROM-basierte Monitoring und Alarmintervention ein, drei und sechs Monate nach Hüft- und Kniegelenkersatzoperationen in neun deutschen Krankenhäusern untersucht. Verschiedene statistische Modelle wurden verwendet, um die Forschungsfragen zu beantworten. Die Analysemethoden inkludierten deskriptive Statistiken, gemischte Effektmodelle und maschinelles Lernen. Eine weitere Publikation stützt sich auf einen Datensatz von Patient:innen, die Hüft- und

Kniegelenkersatzoperationen in zwei Standorten einer privaten deutschen Krankenhauskette durchführen ließen. Kapitel D umfasst das „PROMchronic“ Studienprotokoll, das die durchzuführenden Analysen der prospektiven Kohortenstudie spezifiziert.

Ergebnisse: Die Ergebnisse des Ländervergleichs veranschaulichen die unterschiedlichen Phasen der PROM-Implementierung in denen sich verschiedene westliche Länder befinden sowie die vergleichbaren Herausforderungen und Erfolgsfaktoren. Die Erfolgsfaktoren der PROM Implementierung umfassten einen patient:innenzentrierten Ansatz, klinische Vorreiter:innen, Standardisierung, IT-Infrastruktur und Interoperabilität, Anreize und politischen Willen. Die Pioniere der PROM-Implementierung waren die Niederlande und Wales, während Deutschland mit fragmentierten Initiativen keine auf nationale Ebene reichende PROM-Nutzung aufweisen konnte. Die Studien zum ersten untersuchten PROM Nutzungszweck, dem PRO Monitoring, zeigten statistisch signifikant höhere Verbesserungen in der gesundheitsbezogenen Lebensqualität (HrQoL) und der Niedergeschlagenheit in der Interventionsgruppe im Vergleich zur Standardversorgung bei Hüft- und Kniegelenkersatzpatient:innen sowie bei Depressionssymptomen bei Hüftgelenkersatzpatient:innen. Die Intervention war für bestimmte Patient:innengruppen wirksamer, insbesondere für Patient:innen, die weiblich waren, über 65 Jahre alt, an einer Bluthochdruckerkrankung litten, nicht berufstätig waren, über keine Rückenschmerzen berichteten oder adhärent waren. Hinsichtlich der geschlechtsspezifischen Unterschiede in der Gesundheit zeigte sich, dass Männer im Vergleich zu Frauen vor Hüft- oder Knieoperationen in fünf Gesundheitsdimensionen einen besseren Gesundheitszustand berichteten, wobei diese Unterschiede nur in manchen Gesundheitsdimensionen bei Entlassung bestehen blieben und zwölf Monate nach der Operation vollständig verschwanden. In der Analyse der Subdimensionen des 5-Level EQ-5D Fragebogens (EQ-5D-5L) berichteten Männer in den meisten Subdimensionen von besserer Gesundheit, außer in der Dimension der Selbstfürsorge. Darüber hinaus konnten präoperative PRO-Schwellenwerte errechnet werden, die als Prädiktoren für eine erwartete klinisch relevante Verbesserung nach Hüft- und Kniegelenkersatzoperationen dienen sollen. Die PRO Schwellenwerte wurden für die drei folgenden PROMs identifiziert: eine numerische zehn-Punkte Schmerz-Skala, den Fragebogen „Hip Disability/Knee Injury and Osteoarthritis Outcome Score Physical Function Short Form“ (HOOS-PS /KOOS-PS) zur Messung der Gelenkfunktionalität und den EQ-5D-5L zur Erfassung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität (HrQoL). Der Schwellenwert für den EQ-5D-5L zeigte die beste Vorhersagekraft. Das Studienprotokoll für „PROMchronic“ präsentiert die Auswahl sowie die Auswahlkriterien der PROMs für chronisch erkrankte Patient:innen und stellt die verwendeten Analysen vor, um Qualitätsunterschiede in der Versorgung sowie die potenziellen Auswirkungen von Patient:innen PRO-Feedback auf das Gesundheitsverhalten zu identifizieren.

Schlussfolgerungen: Diese Dissertation zeigt die unterschiedlichen Anwendungsfälle von PROs in verschiedenen Ländern und unterstützt die These, dass PROs nicht nur ein ganzheitlicheres Verständnis von Versorgungsqualität schaffen können, sondern auch den Weg für verbesserte Nachsorge und Analysen zur Angemessenheit einer Behandlung ebnen können. Zusätzlich wird ein Ausblick gegeben,

wie PROs möglicherweise die Patient:innenbeteiligung unterstützen, um eine Bewegung Richtung personensorientierter Gesundheitsversorgung zu ermöglichen. Der Ländervergleich spiegelte wider, dass Aktivitäten in verschiedenen komplementären Implementierungsdimensionen der PRO-Messung und PRO-Nutzung, unterstützt durch die Einbindung von Interessengruppen, von entscheidender Bedeutung sind, um die PRO-Nutzung auf die Systemebene zu steigern. Während die „PROMoting Quality“-Intervention zur Verbesserung einiger Gesundheitsdimensionen als wirksam befunden wurde, sind weitere Studien erforderlich, um die Auswirkungen der verschiedenen Interventionsschritte zu verstehen und Lösungen für Subgruppen zu identifizieren, die von der aktuellen Intervention nicht profitieren, deren Gesundheit sich jedoch nach der Operation ebenfalls kritisch entwickelt. Darüber hinaus spiegeln die identifizierten geschlechtsspezifischen Gesundheitsunterschiede bei Einweisung ins Krankenhaus für Operationen die Notwendigkeit weiterer Analysen und Initiativen wider, die auf die Patient:innenentscheidung sowie die Empfehlungen für Behandlungen abzielen. Sowohl die identifizierten präoperativen PRO-Schwellenwerte als auch die geplanten Analysen in der „PROMchronic“-Studie geben einen Ausblick auf weitere Nutzungszwecke von PROMs – zur Bewertung von Qualitätsunterschieden in der Versorgung, als klinische Entscheidungsunterstützung oder für Patient:innen-Feedback.