IG Seltene Krankheiten
CI Maladies rares
CI Malattie rare

Situation der Menschen mit seltenen Krankheiten

Dr.med. et Dipl. Biochem. Gert Printzen
Senior Consultant und Laborarzt FAMH
Mitglied des FMH Zentralvorstandes
Departementsverantwortlicher Heilmittel
Analytica Medizinische Laboratorien AG
Falkenstrasse 14, 8024 Zürich

Geschichte und Definition der „Seltenen Krankheiten (SK)“

- Was sind „SK“?
- Was ist „selten“?
- Ab wann reden wir von SK?
- Wie viele SK gibt es?
- Patienten-Organisationen im Bereiche der SK
- Merkmale SK?
- Nützliche Webseiten

- Konsequenz aus diesen Punkten → GRÜNDUNG der IGSK mit dem Ziel
  - Lobbying,
  - Bekanntmachen,
  - Fördern,
  - Gehör verschaffen,
  - Sensibilisieren,
  - Voranbringen
  - ….

Seltene Krankheiten „SK“

- **Was sind „SK“**
  - Durch eine Prävalenzschwelle definiert = Anzahl Patienten zu einer bestimmten Zeit von dieser Krankheit betroffen
- **Was ist „selten“**
  - Weniger als 230‘000 **Betroffene pro Krankheit** in EU
  - Weniger als 4'000 in der Schweiz.
- **Ab wann SK**
  - CH & EU → **≤** 5:10`000
- **Wieviele SK gibt es**
  - ca. 5`000 bis 7`000 (~ 17`000 bis 20`000)

Öffentliche Aufmerksamkeit

- **2008** wurde in Europa und Kanada erstmals am **29. Februar**, dem nur alle vier Jahre vorkommenden Schalttag, der **Tag der seltenen Krankheiten** begangen, der fortan an jedem 29. Februar begangen werden soll. In normalen Jahren wird der Tag, allerdings mit weniger Aufmerksamkeit, am 28. Februar begangen
- Jedes Jahr werden die seltenen Erkrankungen unter einem besonderen Blickwinkel betrachtet und mit einem Slogan in den Mittelpunkt der **weltweiten Aktionen** gestellt:
- 2014 - Gemeinsam für eine bessere Versorgung (Join together for better care)
- 2013 - Solidarität ohne Grenzen (Rare disorders without borders)
- 2012 - Selten doch gemeinsam stark (Rare but strong together)
- 2011 - Selten aber gleich (Rare but equal)
- 2010 - Patienten und Wissenschaftler: Partner für das Leben (Patients and researchers - partners for life)
- 2009 - Seltene Erkrankungen als eine Priorität der öffentlichen Gesundheit (Rare diseases as a public health priority)
- 2008 - Seltene Erkrankungen als eine Priorität der öffentlichen Gesundheit (Rare diseases as a public health priority)

Seltene Krankheiten „SK“

- **Merkmale SK**
  - Treten in der Praxis eines Allgemein-Mediziners höchstens einmal pro Jahr auf – wenn überhaupt
  - Anspruchsvolle Diagnose und Behandlung
  - Häufig Gen-Defekt
  - Oft lebensbedrohlich oder chronisch invalidisierend
- **Patienten-Organisationen**
  - Unzählige Kleinst-PO
  - Dachorganisation ProRaris
- **Nützliche Webseiten**
  - www.ig-seltene-krankheiten.ch
  - www.bag.admin.ch/themen

Seltene Erkrankungen

- Seltene Erkrankungen bilden eine sehr heterogene Gruppe von zumeist komplexen Krankheitsbildern
- Gemeinsam ist allen Seltenen Erkrankungen, dass sie
  - meist chronisch verlaufen
  - mit Invalidität und/oder eingeschränkter Lebenserwartung einhergehen und
  - häufig bereits im Kindesalter zu Symptomen führen
- Etwa 80 % der seltenen Erkrankungen sind genetisch bedingt oder mitbedingt
- Selten sind sie heilbar

Besonderheiten der Seltenen Erkrankungen

- Dazu zählen vordringlich
  - die geringe Anzahl an Patientinnen und Patienten mit einer seltenen Erkrankung
  - eine die Durchführung von Studien erschwerende überregionale Verteilung und
  - eine geringe Anzahl von räumlich verteilten Expertinnen und Experten
    - die an einer seltenen Erkrankung arbeiten und
    - die Versorgung sicherstellen

Besonderheiten der SK

- Die Wege zu guten Behandlungs- und Versorgungsmöglichkeiten sind häufig nicht klar ersichtlich
  - Dies führt auch dazu, dass
    - die Einzelnen sich oft mit ihrer Erkrankung alleine gelassen fühlen und
    - eine Diagnose in der Regel erst deutlich verzögert gestellt wird

„Erschwerung“ / Probleme

- Die Seltenheit der einzelnen Erkrankungen **erschwert** aus medizinischen und ökonomischen Gründen häufig die **Forschung** und die **medizinische Versorgung** der betroffenen Patientinnen und Patienten
- Diagnose und Therapie der Erkrankungen stellen alle Beteiligten (Betroffene, Angehörige, medizinisches, therapeutisches und pflegerisches Personal) vor **besondere Herausforderungen**

Herausforderung Koordination

- Bündelung der Kompetenzen
- Know how-Transfer
- Aus- und Weiterbildung - auch der Fachleute
- Zugang
- Vergütung und Recht (Rechtssicherheit)
- Partikularinteresse(n)

- Sensibilisierung
- Vernetzung & Netzwerk
- Beziehungsgeflecht
- Information / PR
- Lokale Aktionen
- Kooperationen
- Vorurteil → zu „selten“

IG Seltene Krankheiten
CI Maladies rares
CI Malattie rare

Was wird bereits getan?

- Ambulante spezialfachärztliche Versorgung
- Fördergelder für Forschung
- Selbsthilfegruppen
- Bericht des Bundesamtes für Gesundheit (BAG) zur Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen
- In „CH“ → IGSK
- In „D“ →Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE)
- Nationaler Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen
- Aktivitäten auf europäischer Ebene

Beispiel DACH:„D“„A“„CH“

- Die **<u>medizinische Versorgung</u>** von Patientinnen und Patienten und der Zugang zu Ärztinnen und Ärzten, Fachärztinnen und Fachärzten und Spezialkliniken → „DACH“-Länder → gut
- **<u>Neue innovative Arzneimittel</u>** – auch solche, die speziell zur Behandlung seltener Erkrankungen auf den Markt gebracht werden – stehen den Patientinnen und Patienten relativ schnell zur Verfügung
- Zur **<u>frühzeitigen Diagnostik</u>** gibt es **<u>Screening-Programme</u>**, mit denen bestimmte seltene Erkrankungen zuverlässig erkannt und umgehend behandelt werden können → zum Beispiel Phenylketonurie
  - Das Neugeborenen-Screening erfasst zwölf Zielerkrankungen, von denen die meisten selten sind

Lösungsansätze

- Z.B. durch **entsprechende Richtlinie(n)** den Versorgungsbereich der ambulanten spezialfachärztlichen Versorgung näher ausgestalten und weitere Regelungen u.a. zur Konkretisierung der Erkrankungen und des Behandlungsumfangs, zu sächlichen und personellen Anforderungen an die Leistungserbringung sowie zu sonstigen Anforderungen an die Qualitätssicherung zu treffen
- Im Gesetz **Katalog** vorgeben, der auf Antrag eines Antragsberechtigten (z. B. einer Trägerorganisationen, der Unparteiischen oder der Patientenorganisationen) **periodisch um weitere (seltene) Erkrankungen oder hochspezialisierte Leistungen** ergänzt werden kann

Fördergelder für Forschung

- Es gibt eine ganze Reihe von seltenen Erkrankungen, die immer noch nicht zufriedenstellend erkannt und behandelt werden können
- Um die Situation zu verbessern, ist die **Erforschung von diagnostischen und therapeutischen Massnahmen für seltene Erkrankungen** weiter zu fördern
  - **Anreizsysteme und Fördergelder** zur Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Erkrankungen im Rahmen der exklusiv europäischen Zulassungsverfahren promovieren
    - Der Erfolg dieser Massnahmen ist messbar → am 1. April 2015 waren 82 dieser speziellen Arzneimittel, davon 10 mit zwei und mehr Anwendungsgebieten, in der EU zugelassen und über 1.000 in der Entwicklung befindliche Arzneimittel(-therapien) haben eine Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden (**Orphan-Drug-Status**) erhalten

Fördergelder für Forschung

- Aus diesen Projekten → hoffentlich in den nächsten Jahren weitere Zulassungen
- Der Orphan-Drug-Status gewährt dem entwickelnden Unternehmen
  - zehnjähriges Marktexklusivitätsrecht in der EU ab Marktzulassung,
  - wissenschaftliche Beratung und Unterstützung bei der Entwicklung und
  - Ermässigung von Zulassungsgebühren
- Die deutsche Bundesregierung fördert z.B. seit einigen Jahren die Forschung und weitere vielfältige Massnahmen im Bereich der seltenen Erkrankungen
  - Auch das deutsche Bundesgesundheitsministerium hat mit einem eigenen Förderschwerpunkt bis zum Jahr 2015 **fünf Millionen Euro** zur Verfügung gestellt.
  - Teil dieses Förderschwerpunktes → Bildung eines "Zentralen Informationsportals Seltene Erkrankungen" (ZIP-SE) und ein "Versorgungsatlas Seltene Erkrankungen" kurz: "se-atlas".

Fördergelder für Forschung

- Auch in den kommenden Jahren wird in „D“ das Bundesministerium für Gesundheit weitere Projekte aus dem Themenbereich "Seltene Erkrankungen" fördern
- Neben den bereits genannten Fördermassnahmen des Bundesministeriums für Gesundheit fördert das Bundesministerium für Bildung und Forschung (***BMBF***) seit 2003 die Etablierung von nationalen Netzwerken in Form von Forschungsverbünden
  - **<u>Ziel</u> → Krankheitsmechanismen aufklären, genetische Ursachen erforschen und neue diagnostische und therapeutische Verfahren entwickeln**
    - Im Rahmen der allgemeinen Projektförderung wird die Forschung zu seltenen Erkrankungen seit Jahren mit **mehr als 20 Mio. € pro Jahr** unterstützt
  - Für die speziell auf Seltene Erkrankungen ausgerichtete Projektförderung wurden **seit 2003 116 Mio. € zur Verfügung** gestellt

Fördergelder für Forschung

- Darüber hinaus beteiligt sich das BMBF mit seiner Förderung von nationalen Verbünden für seltene Erkrankungen an dem **"International Rare Disease Research Consortium" (IRDiRC)**
- Das Konsortium wurde 2010 von der EU-Kommission gemeinsam mit dem US National Institute of Health (**NIH**) gegründet und vereint mehr als 30 internationale Partner
  - Ziel des Konsortiums ist es, **bis 2020** die Entwicklung von 200 neuen Therapien für seltene Erkrankungen und Diagnosemittel für die meisten seltenen Erkrankungen zu ermöglichen
- Weitere Informationen → www.bmbf.de

Selbsthilfegruppen

- Ergänzend zur medizinischen Versorgung stellt die Selbsthilfe immer mehr eine **zentralen Säule** im Gesundheitssystem dar
  - Selbsthilfegruppen ergänzen das professionelle Versorgungssystem und bieten den Betroffenen zusätzliche Ressourcen durch Erfahrungsaustausch und gegenseitige Hilfe
- Deshalb fördert das Bundesministerium für Gesundheit
  - die Selbsthilfeaspekte von seltenen Erkrankungen und
  - unterstützt diese Arbeit von Verbänden und Gruppen in verschiedenen Projekten

Selbsthilfegruppen Unterstützung

- Dabei → Selbsthilfeengagement in den einzelnen Organisationen gestärkt und
- Zugänge zur Selbsthilfe aufgezeigt
- Ausserdem besteht die Möglichkeit, dass Selbsthilfegruppen nach der gesetzlichen Regelung zur Selbsthilfeförderung (in „D“ § 20h SGB V) von den Krankenkassen unterstützt werden können

Forschungsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zur Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen

- Das BMG hat im August 2009 einen Forschungsbericht mit dem Titel *"Massnahmen zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland*" veröffentlicht
- Ziel war es, die derzeitige Versorgungssituation für Menschen mit Seltenen Erkrankungen in Deutschland zu analysieren, prioritäre Handlungsfelder sowie Verbesserungsvorschläge abzuleiten und Lösungsszenarien zu entwickeln

Forschungsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zur Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen

- Die Studie kommt zusammenfassend unter anderem zu folgenden zentralen Ergebnissen:
  - Im **pluralistisch strukturierten** Gesundheitswesen Deutschlands können **nachhaltige Verbesserungen** in Prävention, Diagnostik und Therapie seltener Erkrankungen **nur** dann erreicht werden, **wenn** es gelingt,
    - **Initiativen zu bündeln** und
    - ein gemeinsames, koordiniertes, zielorientiertes **Handeln aller Akteure** zu bewirken

Forschungsbericht des Bundesministeriums für Gesundheit zur Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen (28. August 2013)

- Die Studie unterstreicht desweiteren:
  - Zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation im Bereich der Seltenen Erkrankungen kann die Einführung eines **Nationalen Aktionsplans** für Menschen mit Seltenen Erkrankungen sinnvoll sein
    - Dieser sollte eng mit den entsprechenden Entwicklungen auf EU-Ebene korrespondieren

Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE)

- Auf Initiative des BMG wurde mit dem Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) und dem **ACHSE e. V.** (**Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen**), einem Dachverband von Selbsthilfeorganisationen aus dem Bereich Seltener Erkrankungen, das **N**ationale **A**ktionsbündnis für **M**enschen mit **S**eltenen **E**rkrankungen (**NAMSE**) gegründet
- Es besteht aus ≥28 Bündnispartnern (Spitzen- und Dachverbände der wesentlichen Akteure im Gesundheitswesen)

Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE)

- Das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen hat insgesamt **52 Massnahmenvorschläge** zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Erkrankungen im Konsens entwickelt und
- in einem **Nationalen Aktionsplan** für Menschen mit Seltenen Erkrankungen zusammengetragen

Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE)

- Ziel ist es, medizinisches Personal sowie Betroffene und deren Angehörige **besser zu informieren**
  - →betroffenen Menschen schneller zu einer verlässlichen Diagnose kommen
- Die medizinischen Versorgungsstrukturen sollen ausgebaut und Kompetenzen in Fachzentren gebündelt werden
- Ausserdem wird die Forschung im Bereich der Seltenen Erkrankungen verstärkt

Aktivitäten auf europäischer Ebene

- Mit der *Empfehlung des Rates der Europäischen Union für Europäisches Handeln im Bereich der Seltenen Krankheiten* aus dem Jahr 2009 wurde den Mitgliedstaaten unter anderem die
  - **Bildung von Zentren** und die
  - Ausarbeitung von Plänen zur Steuerung von Massnahmen auf dem Gebiet der seltenen Erkrankungen empfohlen
- Mit dem "Nationalen Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen" setzt Deutschland diese Ratsempfehlung um

Aktivitäten auf europäischer Ebene

- Des Weiteren hat die EU mit *Beschluss vom 30.7.2013* eine Expertengruppe der Kommission für seltene Krankheiten eingesetzt, die die Arbeit des Sachverständigenausschusses für Seltene Krankheiten (**EUCERD**) zur Unterstützung der EU-Kommission fortsetzt

Aktivitäten auf europäischer Ebene

- Die Verbesserung der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen ist auch ein Anliegen der EU-Richtlinie 2011/24/EU über die Ausübung der Patientenrechte in der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung
  - In dieser Richtlinie ist der Aufbau sogenannter "**Europäischer Referenznetzwerke (ERN)**" vorgesehen,
    - die zum wesentlichen das Ziel haben,
      - den **Zugang zur Diagnose** und die Bereitstellung einer hochwertigen Gesundheitsversorgung für alle Patienten zu verbessern, deren Gesundheitsprobleme eine verstärkte Konzentration von Ressourcen oder Fachwissen erfordern

Europäische Referenznetzwerke

- Seltene und hochkomplexe Krankheiten erfordern eine hochspezialisierte Gesundheitsversorgung
- Die EU will durch eine Reihe von Massnahmen erreichen, dass **Kräfte und Mittel zur Diagnose und Behandlung solcher Erkrankungen gebündelt** werden und **Fachwissen über Grenzen hinweg ausgetauscht** wird
  - Unter anderem verfolgt sie das Ziel, Gesundheitsdienstleister in den EU-Mitgliedstaaten, die Erfahrungen und Kenntnisse auf diesem Gebiet haben, zu vernetzen
    - In Artikel 12 der **Richtlinie Patientenmobilität** der Europäischen Union (2011/24/EU) ist zu diesem Zweck die Errichtung Europäischer Referenznetzwerke (**ERN**) vorgesehen

Europäische Referenznetzwerke

- Die ERN sollen Patientinnen und Patienten in allen EU-Mitgliedstaaten den Zugang zur Diagnose und Behandlung seltener und hochkomplexer Erkrankungen ermöglichen und erleichtern
  - Die Voraussetzungen für die Teilnahme eines Gesundheitsdienstleisters an einem ERN, wie auch das Vorgehen bei der Errichtung und Bewertung von ERN sind im Delegierten Beschluss 2014/286/EU und im Durchführungsbeschluss 2014/287/EU der Europäischen Kommission geregelt

Ausgangslage in der Schweiz

- 2010 – Erste Runde Tische (Furrer.Hugi&Partner)
- 2011 – Postulat Ruth Humbel: Forderung «Nationale Strategie Seltene Krankheiten»
- 2012 – Gründung IGSK

IG Seltene Krankheiten
CI Maladies rares
CI Malattie rare

Träger der IGSK

- FMH
- Industrie
  - Interpharma
  - vips
- Orphanet Suisse
- Patienten-(Dach-)Organisation ProRaris
- Pharmasuisse
- Spitäler
  - Kantonsspitäler AG & SG
  - Unversitäts-Spitäler / G15
- Präsidentin: Ruth Humbel

IG Seltene Krankheiten
CI Maladies rares
CI Malattie rare

Ziele IGSK

- **Versorgung der Patienten verbessern**
  - Sicherstellen des Zugangs zu Diagnostik, wirksamen Therapien und Betreuung für alle betroffenen Patienten
  - Regelung der Finanzierung von Massnahmen im Bereich seltene Krankheiten
  - Abbau von administrativen Hürden
- **Nationale Strategie mitgestalten**
  - Die nationale Strategie im Bereich der seltenen Krankheiten aktiv begleiten, mitgestalten und fördern
- **Sensibilisierung erhöhen**
  - Sensibilisierung von Politik, Verwaltung, Medien und Öffentlichkeit für die Thematik
  - Etablierung einer Austausch- und Koordinationsplattform (Runder Tisch) für den Informations- und Wissenstransfer

Ziele IGSK

- **Forschung und Entwicklung stärken**
  - Priorisierung seltener Krankheiten in der Grundlagenforschung und der klinischen Forschung
- **Schaffung nationaler Referenz-Zentren**
  - Zusammenarbeit mit europäischen / internationalen Referenzzentren
  - Netzwerke stärken
  - Abbau von administrativen Hürden
  - Informationsaustausch und Zusammenarbeit von Fachleuten, Betroffenen und Verwaltung verbessern

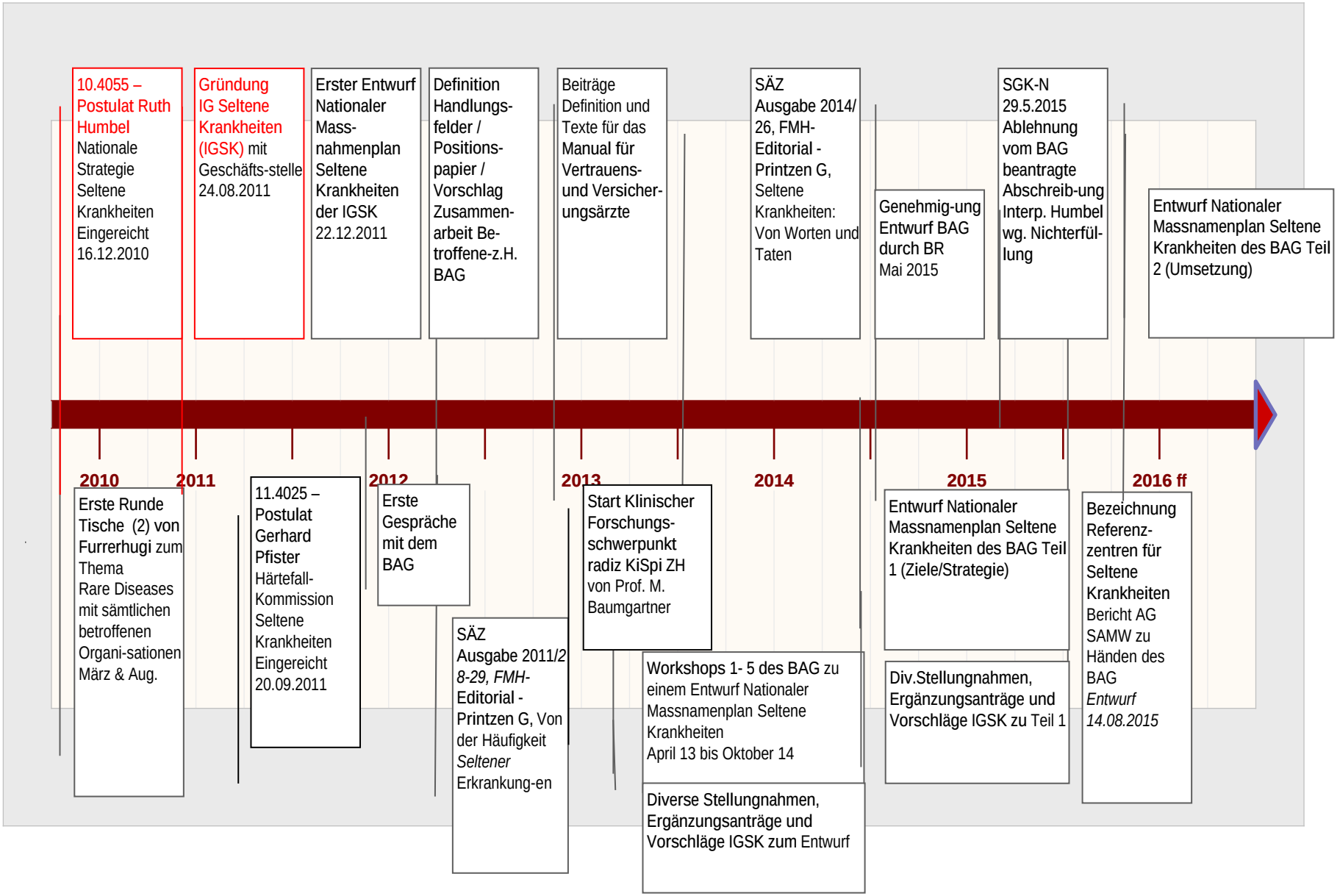
Handlungsfelder IGSK

Diagnose	Behandlung	Zugang	Finanzierung	Forschung
• Zusammenführen von Fachwissen/ Informationstransfer • Datenbank/ Zentrales Register • Aus-, Fort- und Weiterbildung	• Kantonsübergreifende Referenzzentren • Verbesserung integrierte Versorgung	• Rechtssicherheit / Vergütung (Diagnose, Tests, Therapie, Betreuung) • Entwicklung regulatorischer Leitlinien für Therapien • Abbau administrativer Hürden	• Finanzierung Umsetzung Massnahmen	• Entwicklung und Forschung Innovation/ Forschungsstandort • Beseitigung administrativer Hürden

Rückblick

Was passierte bisher / Resultate / Konsequenzen

Zeitstrahl


10.4055 – Postulat Ruth Humbel Nationale Strategie Seltene Krankheiten Eingereicht 16.12.2010
Gründung IG Seltene Krankheiten (IGSK) mit Geschäfts-stelle 24.08.2011
Erster Entwurf Nationaler Mass-nahmenplan Seltene Krankheiten der IGSK 22.12.2011
Definition Handlungs-felder / Positions-papier / Vorschlag Zusammen-arbeit Be-troffene-z.H. BAG
Beiträge Definition und Texte für das Manual für Vertrauens- und Versicher-ungsärzte
SÄZ Ausgabe 2014/ 26, FMH-Editorial - Printzen G, Seltene Krankheiten: Von Worten und Taten
Genehmig-ung Entwurf BAG durch BR Mai 2015
SGK-N 29.5.2015 Ablehnung vom BAG beantragte Abschreib-ung Interp. Humbel wg. Nichterfül-lung
Entwurf Nationaler Massnamenplan Seltene Krankheiten des BAG Teil 2 (Umsetzung)
2010
2011
2012
2013
2014
2015
2016 ff
Erste Runde Tische (2) von Furrerhugi zum Thema Rare Diseases mit sämtlichen betroffenen Organi-sationen März & Aug.
11.4025 – Postulat Gerhard Pfister Härtefall-Kommission Seltene Krankheiten Eingereicht 20.09.2011
Erste Gespräche mit dem BAG
SÄZ Ausgabe 2011/*28-29, FMH*-Editorial - Printzen G, Von der Häufigkeit *Seltener* Erkrankung-en
Start Klinischer Forschungs-schwerpunkt radiz KiSpi ZH von Prof. M. Baumgartner
Workshops 1- 5 des BAG zu einem Entwurf Nationaler Massnamenplan Seltene Krankheiten April 13 bis Oktober 14
Diverse Stellungnahmen, Ergänzungsanträge und Vorschläge IGSK zum Entwurf
Entwurf Nationaler Massnamenplan Seltene Krankheiten des BAG Teil 1 (Ziele/Strategie)
Div.Stellungnahmen, Ergänzungsanträge und Vorschläge IGSK zu Teil 1
Bezeichnung Referenz-zentren für Seltene Krankheiten Bericht AG SAMW zu Händen des BAG *Entwurf 14.08.2015*

Abdeckung Fachmedien –
„Verbandszeitung“ = offizielles Organ der FMH

- SÄZ Ausgabe 2015/22, Aktuell - Printzen G.:
  Seltene Krankheiten: Umsetzung nationaler Massnahmenplan läuft an
- SÄZ Ausgabe 2014/26, FMH/Editorial - Printzen G.:
  Seltene Krankheiten: Von Worten und Taten
- SÄZ Ausgabe 2012/93 FMH/Editorial - Printzen G.:
  Orphan diseases – die Waisenkinder erwachen
- SÄZ Ausgabe 2011/*28-29,* FMH/Editorial - Printzen G.:
  Von der Häufigkeit Seltener Erkrankungen

Seltene Krankheiten

Umsetzung nationaler Massnahmenplan läuft an

Gert Printzen

Dr. med., Mitglied des Zentralvorstandes der FMH, Departementsverantwortlicher eHealth – Medizinische Informatik und Dokumentation / Heilmittel

Das Bundesamt für Gesundheit hat die Umsetzung des Nationalen … Krankheiten in vier Teilprojekte gebündelt. Die Umsetz… serungen ist eine grosse Herausforderung, einzeln… abschliessend geklärt. Das Postulat von N… noch nicht «abgeschrieben» we…

Bei der IG Seltene Krankheiten steht der Patient im Mittelpunkt. **Patienten mit einer Krankheit haben mit vielfältigen Herausforderungen zu kämpfen** – von der D… den Zugang zu Therapien bis zur Vergütung der Behandlung durch die Krankenversicherer. … werden müssen auch Rechtsunsicherheiten.

Es braucht politischen D…

GESELLSCHAFT

«Die notw… Kriterien … von der P… vorgegebe… vom Bunde… für Gesundh… konkret umge… werden.»

Eine nationale Strategie

Schweizerische Ärztezeitung

…phan Diseases – die Waisenkinder erwache…

Auch bei den Orphan Diseases besteht Handlungsbedarf.

Die Politik, Medizin … sensibilisieren für … die Bedürfnisse … ein Ziel der IG S…

Editorial

Seltene Krankheiten: Von Wor…

Voraussichtlich noch vor den Sommerferien will das Bundesamt für Gesundheit (BAG) seinen Entwurf eines «Konzepts Seltene Krankheiten» vorstellen. Es soll das Postulat von Nationalrätin Ruth Humbel vom 16.12.2010 erfüllen, welches eine «Nationale Strategie zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Krankheiten» verlangt. Um der Forderung nach einem nationalen Massnahmenplan Nachdruck zu verleihen, wurde im … gangs … Übertritts von der IV in das KVG, der Bildungs- und Forschungsförderung sowie der Massnahmenfinanzierung.

Die vier BAG-Workshops haben auch gezeigt, dass das BAG den Projekt-Lead beansprucht. Dies gehört selbstverständlich zur hoheitlichen politischen Aufgabe des Bundes. Soll der angestrebte Massnahmenplan aber ein griffiges Instrument werden, muss dieser breit abgestützt sein: Nur so lassen sich die Situation von Menschen mit seltenen Krankheiten und die Arbeitsbedingungen der sie betreuenden Fachleute, beispielsweise Ärztinnen und Ärzte, verbessern. Die betroffenen Organisationen sind aktiv und direkt in den Erarbeitungsprozess einzubeziehen und in ihren Anliegen ernst zu nehmen.

Kooperation SAMW & BAG

- Sondersitzungen zum „Abstimmen“ der Positionen → Federführung Prof. Kind
  - SAMW (Generalsekretär Amstad)
  - BAG (Projektleiterin a.i. Clarinval)
  - IGSK
  - Universitäten und KS [Insel, USZ, HUG & gr. KS (SG & AG)]
- Schärfung Definition Seltene Krankheiten (Abgrenzung Onkologie)
- Definition und Bezeichnung von Referenzzentren für Seltene Krankheiten - *(Bericht einer SAMW-Arbeitsgruppe zuhanden des Bundesamtes für Gesundheit - Entwurf 14.08.2015)*
- Anforderungen
  - Standorte (Sprachregionen & Erreichbarkeit)
  - Aufgaben
  - Rechte und Pflichten
  - Mitsprache Vergütungsentscheide

SAMW
Schweizerische Akademie der Medizinischen Wissenschaften

ASSM
Académie Suisse des Sciences Médicales

ASSM
Accademia Svizzera delle Scienze Mediche

SAMS
Swiss Academy of Medical Sciences

[redacted]

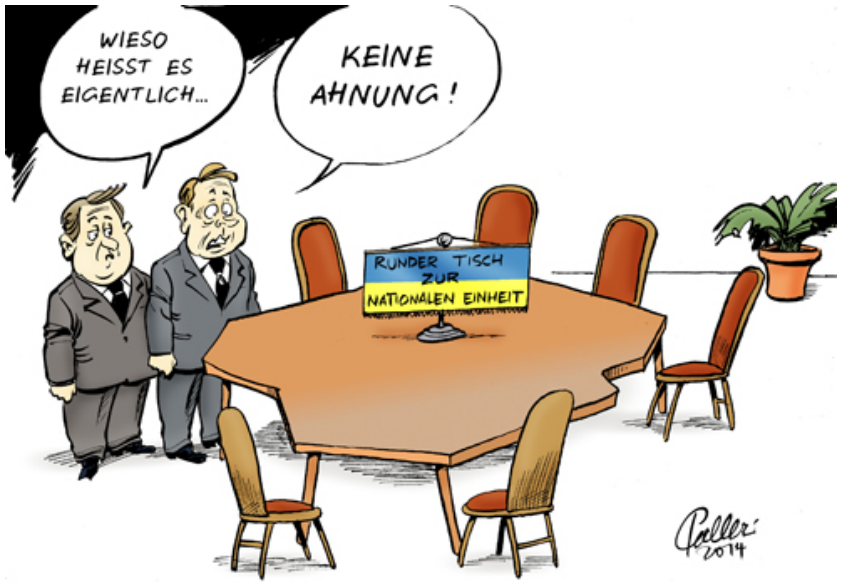
Bundesamt für Gesundheit BAG

Die Eidgenössische Kommission für Drogenfragen (EKDF) diskutierte Regulierungsmodelle für Cannabis Bern, 25.03.2014

[redacted]

Rückmeldung bisheriger Prozess

- 5 Runde Tische des BAG
- Grosser „Bahnhof“
  - Sämtliche Stakeholder, die vom Thema betroffen sind, wurden eingeladen (rund 20 Organisationen)
- Alibi–Übung & „partizipatives Feigenblatt“ – Anregungen aus Teilnehmerkreis wurden nur berücksichtigt, wenn kongruent mit den Absichten des BAG



Status quo

- Entwurf Massnahmenplan **Teil 1** (Ziele und Definition Umsetzungsprojekte) liegt vor und wurde vom BR genehmigt (Mai 2015)
- Abschreibung der Motion Humbel – wie von BAG gewünscht – durch SGK abgelehnt, da noch nicht alle Forderungen erfüllt sind
  - Zeitgerechter Lobbying-Artikel in der SÄZ *&* Medienmitteilung
- Nach wie vor keine Aussagen zu Finanzierung der Massnahmen, zu Rechtsgleichheit und -sicherheit bei der Vergütung sowie zur Förderung der Grundlagenforschung
- Entwurf Massnahmenplan **Teil 2** (Umsetzungsplanung) Q4 2015
- 6 Handlungs-Felder der IGSK
- Massnahmenplan der IGSK

Umsetzungsplanung BAG

- Die **4 Teilprojekte des BAG** zum Nationalen Massnahmenplan

  - Projekt **Nr. 1**: Referenzzentren, Patienten-Unterstützung, Register und Kodierungssysteme
  - Projekt **Nr. 2**: Kostenübernahme, Liste der Geburtsgebrechen und GGML
  - Projekt **Nr. 3**: Information, Einbindung der Patientenorganisationen
  - Projekt **Nr. 4**: Ausbildung, Forschung

Umsetzungsplanung BAG

Anhang 2: Zeitplan für die Umsetzung des Konzepts Seltene Krankheiten

	2015				2016				2017			
Massnahmen	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4	Q1	Q2	Q3	Q4
M1 Bezeichnungsprozess												
M2 Bezeichnung Referenzzentren												
M3 Finanzierung der Informationsplattformen												
M4 Zusammentragen von Informationen												
M5 Information der Gesundheitsfachleute												
M6 Kodierung (vgl. auch M17)												
M7/8 Ausbildung												
M9 Koordinatoren für seltene Krankheiten (Kantone)												
M10 Koordinatoren für seltene Krankheiten (Spitäler)												
M11 Unterstützung von pflegenden Angehörigen												
M12 Selbsthilfe												
M13 Standardisierte Verfahren												
M14 Genetische Analysen bei Angehörigen												
M15 Geburtsgebrechenliste/GGML												
M16 Forschung												
M17 Register												
M18 Patientenorganisationen (Register und Forschung)												
M19 Nachhaltigkeit (fortlaufende Querschnittsaufgabe)												

Farblegende:

Projekt 1		Projekt 2		Projekt 3		Projekt 4	

Offene Forderung der IGSK

- Verbindliche Aussagen zur Finanzierung, Zeitachse und Zuständigkeit Umsetzung Massnahmen
- Definition Rechte und Pflichten der Referenzzentren
- Verbindliche Massnahmen zur Sicherstellung der Rechtssicherheit und -gleichheit bei der Vergütung von Diagnose und integralen Therapien (inkl. Ernährung und Bewegung)
- Verbindliche Massnahmen zur Forschungsförderung
- Verbindliche Regelung Übertritt IV → OKP mit 21 Jahren
- Partizipative Zusammenarbeit bei der Umsetzung (analog NAMSE in „D“)

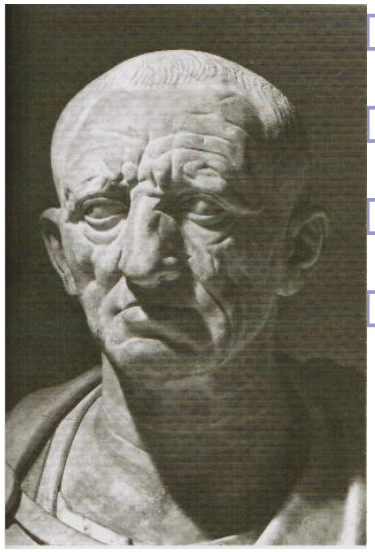
Kurzsichtigkeit vs. Fernsicht «Myopie vs. Presbyopie»

- Nationale Bedürfnisse und Vorgaben
- Nationale Möglichkeiten

- Internationale Kooperationen
- Internationale Organisationen
  - NAMSE
  - Orphanet (nat/internat)

Wie weiter ?

- Offizielle Angaben des BAG
  - Bearbeitung der 4 Handlungsfelder
  - Zeitliche Planung und Umsetzung
  - Infoveranstaltung des BAG 18.04.16
  - Frau Neiditsch seit 01.04.16 Gesamtprojektlei-terin Umsetzung



- Planung der IGSK
  - Reflektion Umsetzung Massnahmenplan
  - Stellungnahmen Umsetzung
  - Medienarbeit Fachmedien
  - Sitzungen
  - Lobbying
  - „ceterum censeo“ →
    - jede Gelegenheit nutzen

Cato Censorius oder auch «Cato der Ältere» genannt

Vielen Dank
für Ihre
Aufmerksamkeit