

Frau
Präsidentin des Nationalrates
Doris Bures
Parlament
1017 Wien

GZ: BMGF-11001/0050-I/A/5/2017

Wien, am 31. März 2017

Sehr geehrte Frau Präsidentin!

Ich beantworte die an meine Amtsvorgängerin gerichtete schriftliche parlamentarische **Anfrage Nr. 11715/J der Abgeordneten Dr. Dagmar Belakowitsch-Jenewein und weiterer Abgeordneter** nach den mir vorliegenden Informationen wie folgt:

Vorab eine Anmerkung:

Die Umsetzung der im NAP.se genannten Maßnahmen obliegt nicht nur dem BMGF und der von diesem an der Gesundheit Österreich GmbH (GÖG) eingerichteten Nationalen Koordinationsstelle für seltene Erkrankungen (NKSE), sondern allen im NAP.se angeführten Institutionen.

Frage 1:

➤ *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 1 (Abbildung der seltenen Erkrankungen im Gesundheits- und Sozialsystem) gesetzt?*

Dokumentation (Ziel 1)

- Seit 2015 wird an einem Kodierungssystem gearbeitet, das eine präzisere Abbildung der seltenen Erkrankungen im Gesundheitssystem ermöglicht.
- Etablierung einer Kooperation mit dem Deutschen Institut für Medizinische Dokumentation und Information (DIMDI).
- Europäische Ebene: Etablierung der Orphanet-Klassifikation als gemeinsames Kodierungssystem für seltene Erkrankungen in Europa unter Mitarbeit der GÖG/NKSE im Rahmen der Joint Action „RD-Action“ (2015-2018).

Patienteninformationskarte (Ziel 3)

- Konzept für eine Patienteninformationskarte wurde entwickelt und im Beirat für SE präsentiert.

Frage 2:

- Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 2 (Verbesserung der medizinisch-klinischen Versorgung der von seltenen Erkrankungen Betroffenen) gesetzt?

1. Designation spezialisierter Zentren für in Gruppen zusammengefasste SE

Zusammenfassung einzelner SE zu medizinisch sinnvollen Krankheitsgruppen (Ziel 1)

- Ausarbeitung Konzept zur Gruppierung von SE durch die NKSE in Kooperation mit Orphanet Austria. Berücksichtigung von EU-Aktivitäten zu ERN, Abstimmung mit den begleitenden Gremien der NKSE und Einbindung der medizinischen Fachgesellschaften.

Designation spezialisierter Zentren für definierte Gruppen von SE (Ziel 2)

- Flächendeckendes Mapping der klinischen Expertise zu SE in Österreich
- Ausarbeitung konkreter operationaler Leistungs- und Qualitätskriterien für Expertisezentren für SE (sog. Typ B-Zentren), Designationsprozess, Pilotverfahren und Pilotdesignation (zwei Einrichtungen, erste bereits erfolgt), Aktivitäten zur Bekanntmachung des Zentrumskonzepts
- Abbildung von SE in geeigneten Planungsinstrumenten (z. B. im ÖSG)

Bereitstellung von Rahmenbedingungen für die Integration österreichischer Expertise in ERN (Ziel 4)

- Entsendung eines Mitglieds der NKSE als Expertin/Experte in das für ERN verantwortliche Gremium der Europäischen Kommission
- Laufende aktive Beteiligung am ERN-Prozess im Rahmen des BoMS

2. Einrichtung einer nationalen Koordinationsstelle für seltene Erkrankungen

- Beauftragung der NKSE für die Jahre 2012-2017 durch das BMGF

Ziel 1 und Ziel 2 (Defizite hinsichtlich SE im Gesundheits- bzw. Versorgungssystem erheben sowie Nationale Strategie zur Behebung der identifizierten Defizite im Bereich SE (NAP.se) erarbeiten) wurden als Grundlage bearbeitet.

Umsetzung der nationalen Strategie für SE (NAP.se) begleiten (Ziel 3)

- Zentraler Inhalt der Arbeit der NKSE u. a. ersichtlich durch die Definition von Jahresschwerpunkten, Präzisierung von Zuständigkeiten, Berichtslegung sowie Diskussion und Abstimmung in/mit den die NKSE begleitenden Gremien etc.

Erhebung und Strukturierung des medizinischen Leistungsangebots im Bereich SE (Ziel 4)

- Siehe auch Punkt 3 (Orphanet) – laufende Erhebung und Aktualisierung der Leistungen zu spezialisierten klinischen Einrichtungen, diagnostischen Labors, Selbsthilfegruppen, klinischen Studien, Forschungsprojekten, Registern und

Biobanken durch Orphanet Austria; 2015/2016 gezieltes flächendeckendes Mapping klinischer Spezialeinrichtungen (siehe auch Ziel 2).

Einheitlichen Zugang zu medizinischer Versorgung fördern (Ziel 5)

- Siehe Punkt 1 und Frage 4

Informationsdrehscheibe für SE (Ziel 6)

- Siehe alle Fragen/Handlungsfelder (HF), jedoch insbesondere HF 6 und HF 8

Vernetzung auf europäischer Ebene zur Gewährleistung eines kontinuierlichen Austausches im Bereich von SE (Ziel 7)

- Entsendung eines Mitglieds der NKSE als Expertin/Experte in das für ERN verantwortliche Gremium der Europäischen Kommission sowie als Expertin/Experte in die European Commission Expert Group on Rare Diseases
- Mitwirkung an der aktuellen Rare Disease Joint Action (s. nächster Punkt)

3. Einrichtung und nachhaltige Unterstützung eines umfassenden Informationssystems (Orphanet)

- Seit 2002 Orphanet-Länderteam in Österreich (Orphanet Österreich)

Ausbau der Inhalte der Datenbank sowie Sicherstellung einer langfristigen Finanzierung von Orphanet Austria (Ziel 1)

- Mitwirkung Österreichs an 2 Joint Actions (JA)
- Erfassung und Abbildung der Expertise zu SE in Österreich (siehe Ziel 4)
- Lieferung zentraler Inputs zu Pkt. 1 (Gruppierung SE, Mapping Expertise zu SE)

Frage 3:

➤ *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 3 (Verbesserung der Diagnostik von seltenen Erkrankungen) gesetzt?*

Ausarbeitung und Implementierung von Qualitäts- und Leistungskriterien für diagnostische Laboratorien für SE (Ziel 1)

- Einrichtung und Befassung einer Unterarbeitsgruppe des Beirats für seltene Erkrankungen sowie ausgewählter zusätzlicher Expert/inn/en.
- Ausarbeitung von Qualitäts- und Leistungskriterien für diagnostische Labors, die Diagnostik für seltene Erkrankungen durchführen.

Frage 4:

➤ *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 4 (Verbesserung der Therapie und des Zugangs zu Therapien für von seltenen Erkrankungen Betroffene) gesetzt?*

Vernetzung auf europäischer Ebene, um die Finanzierung von Orphan Drugs nachhaltig zu sichern (Ziel 1)

- Teilnahme an Europäischen Kooperationsprojekten z. B. MoCA-OMP
- Beitritt Österreichs zur Benelux-Initiative mit dem Ziel, dem Trend der steigenden Arzneimittelkosten bzw. hochpreisigen Medikamente zu begegnen.

Ermittlung der Kosten ausgewählter Arzneimittel ohne Indikationsüberschneidung zur Behandlung von Personen mit SE sowohl im niedergelassenen als auch im intramuralen Bereich (Ziel 2)

- Erhebung zu Medikamenten zur Behandlung von SE in Österreich (intramuraler sowie niedergelassener Bereich).

Gewährleistung eines einheitlichen Zugangs zu Therapien am „Best Point of Service“ (Ziel 3)

- Etablieren von optimierten Versorgungsabläufen am jeweiligen BPoS
- Maßnahmen zur Minimierung von Problemlagen im Bereich Therapien für SE

Erstellung eines bundesweit einheitlichen Leistungskataloges für ausgewählte Heilbehelfe und Hilfsmittel (Ziel 4)

- Präsentation der Ergebnisse im Beirat für SE sowie Übermittlung an den HV der österr. SV-Träger

Gewährleistung eines kontinuierlichen Zugangs zu adäquater medikamentöser Versorgung (Ziel 5)

- Regelmäßiger Austausch zwischen Chefärzt/inn/en der sozialen Krankenversicherung und Patientenvertreter/inne/n
- Maßnahme zur Entwicklung eines trägerübergreifenden einheitlichen Kriterienkatalogs für die Bewilligung von Orphan Drugs

Frage 5:

➤ *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 5 (Förderung der Forschung im Bereich seltene Erkrankungen) gesetzt?*

Sichtbarmachen von und Bewusstsein schaffen für vorhandene nationale und internationale Fördermöglichkeiten für SE in der wissenschaftlichen Community (Ziel 1)

- Platzierung von Link zu SE-relevanten Inhalten auf NKSE-Webseite

Schaffen von strukturellen Rahmenbedingungen, um qualitativ hochwertige Bewerbungen zu gewährleisten (Ziel 2) → Konnex zu HF 2, Pkt. 1

Vernetzung heimischer mit anderen europäischen Expertisezentren, um gemeinsam an internationalen Förderprogrammen teilzunehmen (Ziel 3)

- Status von ERN https://ec.europa.eu/health/ern/policy_en

Frage 6:

- Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 6 (Verbesserung des Wissens über und des Bewusstseins hinsichtlich seltene/r Erkrankungen) gesetzt?

Ausbau des Wissensstandes bei den wichtigsten Informationsquellen (Ziel 1)

- Zahlreiche Aktivitäten zur Steigerung des Wissens und Bewusstseins hinsichtlich SE auf nationaler und EU-Ebene, siehe beispielhaft:
 - Jahresberichte der GÖG www.goeg.at
 - EUROPLAN-Konferenz <http://www.goeg.at/de/Bereich/Europlan.html>

Stärkung der Patient/inn/ensicherheit und Gesundheitskompetenz durch objektive, qualitätsgesicherte und zielgruppenspezifische Informationen und dadurch Förderung des Zugangs zu Leistungen und Leistungserbringung am „Best Point of Service“ (Ziel 2)

- Z.B. Ergänzung eines Schwerpunkts zu SE im Gesundheitsportal unter <https://www.gesundheit.gv.at/krankheiten/seltene-krankheiten/inhalt> sowie sukzessiver Ausbau der dort abgebildeten Informationen

Erhöhung des Bewusstseins für SE in allen Zielgruppen und Sensibilisierung für das Thema (Ziel 3)

- Definition konkreter Ansprechpartner/innen für das Thema und Vernetzung u. a. konkret durch Aktivitäten folgender Akteure/Gremien:
 - BMGF:
http://www.bmgf.gv.at/home/Gesundheit/Krankheiten/Seltene_Erkrankungen_in_Oesterreich
 - NKSE: <http://www.goeg.at/de/Bereich/Koordinationsstelle-NKSE.html>
 - Orphanet Austria: <http://www.orpha.net/national/AT-DE/index/startseite/>
- Beantwortung zahlreicher SE-Anfragen durch das BMGF und die NKSE
- Zur Öffentlichkeitsarbeit siehe Ziel 1

Frage 7:

- Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 7 (Verbesserung der epidemiologischen Kenntnisse im Kontext seltener Erkrankungen) gesetzt?

Etablierung eines umfassenden, qualitätsgesicherten, epidemiologischen Erfassungssystems für Patient/inn/en mit SE in Österreich (Ziel 1)

- Diverse Vorarbeiten: Abhaltung Workshop, Abgleich mit Aktivitäten auf EU-Ebene, Erhebung in Österreich vorhandener Patient/inn/enregister für SE durch Orphanet Austria

Frage 8:

- *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 8 (Einrichtung ständiger Beratungsgremien für seltene Erkrankungen beim BMG) gesetzt?*

Dauerhafte Einrichtung von Gremien - Beirat für SE, Strategische Plattform für SE (Ziel 1)

- Beirat <http://www.goeg.at/de/Bereich/ab/389.html> (vormals Expert/inn/engruppe für SE)
- Strategischen Plattform <http://www.goeg.at/de/Bereich/ab/392.html>.

Nationaler Beirat für SE: Kontinuierliche Bereitstellung von Expert/inn/enwissen bzw. Wissen aus Forschung und Praxis zu SE (Ziel 2)

- Bislang 5 Sitzungen des Beirats für SE (2015-2016)

Strategische Plattform für SE: strategische Begleitung der NKSE-Arbeiten (Ziel 3).

- Bislang 9 Sitzungen der Strategischen Plattform für SE (2012-2017)

Frage 9:

- *Welche Maßnahmen wurden bisher zur Umsetzung des HF 9 (Anerkennung der Leistungen der Selbsthilfe) gesetzt?*

Klärung der Rolle der Selbsthilfe, Förderung von Unabhängigkeit und Transparenz mit dem Ziel der Sicherstellung einer langfristigen Finanzierung (Ziel 2)

- Initiierung Austausch mit ARGE Selbsthilfe
- Diverse Aktivitäten von Pro Rare Austria und ARGE Selbsthilfe

Anerkennen der Expertise und Erfahrungen von Personen mit SE und jener von Angehörigen und Schaffen partizipativer Entscheidungsstrukturen (Ziel 3) –

- Vertretung der Selbsthilfe in für SE relevanten Entscheidungsgremien (siehe z.B. Pkt. 8, Ziel 1)

Stärkung des Images der Selbsthilfe in der Öffentlichkeit (Ziel 5)

- Zahlreiche Veranstaltungen und Aktivitäten zu SE z.B. z. B. Marsch der SE, diverse Konferenzen und/oder Beiträge in diversen Medien

Dr.ⁱⁿ Pamela Rendi-Wagner, MSc

