



Herr  
Präsident des Nationalrates  
Parlament  
1010 Wien

Mag.<sup>a</sup> Beate Hartinger-Klein  
Bundesministerin

Stubenring 1, 1010 Wien  
Tel: +43 1 711 00 – 0  
Fax: +43 1 711 00 – 2156  
Beate.Hartinger-Klein@sozialministerium.at  
www.sozialministerium.at  
DVR: 0017001

**GZ: BMASGK-10001/0142-I/A/4/2018**

Wien, 2.5.2018

Sehr geehrter Herr Präsident!

Ich beantworte die an mich gerichtete schriftliche parlamentarische **Anfrage Nr. 467/J des Abgeordneten Mag. Locker, Kolleginnen und Kollegen**, wie folgt:

**Frage 1:**

a. Unter Federführung von BMASGK/NKSE/Orphanet Austria wurden bisher 33 Maßnahmen umgesetzt (bzw. erfordern manche Maßnahmen laufendes Handeln wie z. B. Teilnahme an internationalen Gremien), bei weiteren sieben Maßnahmen wurde mit der Umsetzung begonnen:

- 1) Mitarbeit bei der Entwicklung eines Kodierungssystems für SE
- 2) Einführung einer geeigneten Dokumentation (Kodierung) für SE in Expertisezentren (in Umsetzung)
- 8) Fortsetzen und Abschließen der Arbeiten zur Gruppierung von SE
- 9) Fortsetzen und Abschließen der Arbeiten zur Zuordnung der einzelnen SE zu (hauptverantwortlichen) Organ- bzw. Querschnittsfächern
- 11) Regelmäßige Überprüfung/Aktualisierung der Gruppierung von SE
- 12) Öffentliche Information zur Gruppierung von SE
- 13) Verankerung der generellen Leistungs- und Qualitätskriterien für Typ A-, Typ B- und Typ C-Zentren in geeignetem Planungsinstrument
- 14) Ausarbeiten der spezifischen Leistungs- und Qualitätskriterien für Typ B- sowie konsekutiv Typ C-Zentren für vorgegebene Gruppen von SE; Verankerung der Kriterien in geeignetem Planungsinstrument (in Umsetzung)
- 15) Entwicklung eines Bewerbungs-, Begutachtungs- und Designationsverfahrens für Typ A-,

- Typ B und Typ C-Zentren; Abstimmung mit korrespondierenden Verfahren auf EU-Ebene (in Umsetzung)
- 16) Definition einer Designationsstelle; Definition einer koordinierenden Stelle zur technischen Administration des Bewerbungsverfahrens
  - 17) Durchführung von (Top-down- und Bottom-up-)Bewerbungsrunden und Designation von Typ B-, Typ C- sowie konsekutiv Typ A-Zentren (in Umsetzung)
  - 18) Öffentliche Information zu den designierten spezialisierten Zentren (in Umsetzung)
  - 22) Unterstützung bei der europäischen Vernetzung mit ERN (in Umsetzung)
  - 23) Versorgungsbedarf der Patientinnen/Patienten mit SE in Österreich erheben
  - 24) Erstellen eines Nationalen Aktionsplans für SE
  - 25) Begleiten des Umsetzungsprozesses des NAP.se
  - 26) Bereitstellen von SE-relevanten Informationen für ausgewählte Zielgruppen
  - 27) Teilnehmen an Treffen von Gremien der Europäischen Kommission im Kontext von SE
  - 28) Entwickeln eines Konzepts für eine langfristige Finanzierung für Orphanet Austria (in Umsetzung)
  - 29) Komplettieren und Fortführen der Orphanet-Datenbank unter Berücksichtigung des Orphanet-Qualitätsschemas
  - 30) Fortsetzen und Abschließen der Definition von Leistungs- und Qualitätskriterien für medizinische Laboratorien, die mit der Diagnostik von SE befasst sind
  - 31) Definieren von Anforderungen an die Kompetenz der mit der Befundung von SE befassten Fachleute
  - 39) Einrichten eines ständigen wissenschaftlichen Beirats für das österreichische Neugeborenen-Screening
  - 42) Preiserhebung von ausgewählten Orphan Drugs im intramuralen sowie niedergelassenen Bereich (inkl. Einkaufsmodalitäten wie gemeinsamer Einkauf und mögl. Managed Entry Agreements)
  - 52) Designation von Expertisezentren mit einem Schwerpunkt auf Forschung
  - 54) Dialog mit den relevanten Stakeholdern, insbesondere mit Förderagenturen sowie SE-relevanten Forschungseinrichtungen
  - 58) Information für relevante Behörden im Gesundheits- und Sozialbereich
  - 60) Ergänzen eines Schwerpunktes zu SE im Gesundheitsportal
  - 61) Definition konkreter Ansprechpartner (Person/Abteilung) für Interessengruppen im Bereich SE
  - 62) Vernetzung und Dissemination von Wissen fördern
  - 63) Öffentlichkeitsarbeit
  - 64) Bestandsaufnahme bestehender Patientenregister für SE und ggf. weiterer relevanter Datenerfassungssysteme in Österreich
  - 69) Konstituieren des neuen, die Expertengruppe für SE ersetzenden "Beirats für seltene Erkrankungen" als Beirat gemäß § 8 Bundesministeriengesetz
  - 70) Beibehalten der Strategischen Plattform für SE
  - 71) Teilnahme an Treffen des Beirates für SE und beratende Funktion bei der Umsetzung des NAP.se und bei anderen Fragestellungen im Kontext von SE
  - 72) Dissemination von Informationen und Empfehlungen des Beirates für SE in den jeweiligen Institutionen und Interessenvertretungen

- 73) Teilnahme an Treffen der Strategischen Plattform für SE
- 74) Strategische Begleitung bei der Umsetzung des NAP.se und bei anderen Fragestellungen im Kontext von SE
- 79) Nicht-materielle sowie strukturelle Förderung der Selbsthilfe (z.B. Räumlichkeiten, Fortbildungsangebote etc.)
- 82) Öffentlichkeitsarbeit: z.B. Beiträge in Medien, Veranstaltungen, öffentliche Anerkennung

**b.** Zwei Maßnahmen wurden federführend vom Hauptverband der österreichischen Sozialversicherungsträger umgesetzt:

- 41) Teilnahme an europäischen Kooperationsprojekten zur Sicherung der nachhaltigen Finanzierung von Orphan Drugs, wie z. B. Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products in Europe (MoCA-OMP)
- 47) Etablieren einer Diskussionsgruppe zur Einführung eines einheitlichen Leistungskataloges für Heilbehelfe

**c.** Es wurden keine Maßnahmen federführend durch die Bundesländer umgesetzt (dies war bei keiner der Maßnahmen vorgesehen).

Insgesamt wurde bei 68 Maßnahmen das BMASGK bzw. die NKSE/Orphanet Austria als federführend für die Umsetzung verantwortlich vorgesehen. Bei fünf Maßnahmen sind Patientenvertretungen erstgenannt, hier wurde eine Maßnahme vollständig umgesetzt (Maßnahme 75), drei weitere sind in Umsetzung (Maßnahmen 6, 48, 81). Die Ärztekammer bzw. Berufsverbände sind bei vier, der Hauptverband der österreichischen Sozialversicherungsträger ebenfalls bei vier und das Wissenschaftsministerium bei einer Maßnahme erstgenannt. Weitere Interessengruppen im Bereich der seltenen Erkrankungen sind mitgenannt und damit in zweiter Linie an der Umsetzung beteiligt.

## Frage 2:

- a.**
  - i.** Die Expertengruppe (als Vorläufergremium des Beirates) für seltene Erkrankungen tagte erstmals am 7.11.2011. Insgesamt gab es bis einschließlich 12.12.2013 neun Sitzungen.
  - ii.** Die Expertengruppe für seltene Erkrankungen war das Nachfolgegremium der entsprechenden Unterkommission im Obersten Sanitätsrat, die ihre Tätigkeit im Frühjahr 2009 aufgenommen hatte. Die meisten Mitglieder wurden aus dieser Unterkommission in die Expertengruppe übernommen. Ziel war die Einbeziehung folgender Akteure im Gesundheitswesen: Ministerien für Gesundheit, Soziales, Wissenschaft und Forschung; Hauptverband der Sozialversicherungsträger; Ärztinnen/Ärzte (inkl. Standesvertretung); Patientinnen/Patienten; pharmazeutische Industrie; nationale Expertin im Committee for Orphan Medicinal Products (COMP). Die jeweiligen Institutionen wurden um Entsendung geeigneter Personen ersucht (für die medizinischen Expertinnen/Experten waren dies die Fachgesellschaften für Humangenetik, Kinder- und Jugendheilkunde und Dermatologie; die Patientenvertretung wurde aus dem Kreis der Obleute von Selbsthilfegruppen für seltene Erkrankungen in Österreich

gewählt). Dazu wurde ein Experte für Medizinethik der Universität Wien eingeladen. Bei Konstituierung der Expertengruppe 2011 wurden noch Vertreterinnen/Vertreter der Bundesländer, der Krankenanstaltenträger und der Gesundheit Österreich GmbH einbezogen (die Nominierung der konkreten Personen erfolgte wiederum auf Einladung des Gesundheitsministeriums an die jeweiligen Institutionen).

iii. 2. Die Expertengruppe wurde laut Maßnahme 69 des NAP.se abgelöst durch den Beirat für seltene Erkrankungen (der Originaltext der Maßnahme lautet: *Konstituieren des neuen, die Expertengruppe für SE ersetzenden „Beirats für seltene Erkrankungen“* als Beirat gemäß § 8 Bundesministeriengesetz); siehe auch nächste Frage.

- b.
- i. Die konstituierende Sitzung des Beirats für seltene Erkrankungen als Nachfolgegremium für die Expertengruppe für seltene Erkrankungen fand am 18.6.2015 statt. Insgesamt gab es bisher bis einschließlich 16.10.2017 sieben Sitzungen (d. h. mindestens zwei Sitzungen pro Jahr laut Arbeitsprogramm der NKSE).
  - ii. Die unter 2. a. ii. genannten Institutionen wurden vom Gesundheitsministerium erneut offiziell eingeladen, wobei die entsandten Personen überwiegend die gleichen blieben. Ein zusätzliches Mitglied aus der Patientenschaft (vier statt wie in der Expertengruppe drei Mitglieder) wurde von Pro Rare Austria nominiert.
  - iii. Die Mitglieder des Beirates und die von ihnen repräsentierten Institutionen sind auf der Webseite des BMASGK unter folgendem Link zu finden:  
[https://www.bmgf.gv.at/home/Gesundheit/Krankheiten/Seltene Erkrankungen/](https://www.bmgf.gv.at/home/Gesundheit/Krankheiten/Seltene%20Erkrankungen/)
- c.
- i. Die erste Sitzung der Strategischen Plattform für seltene Erkrankungen fand am 19.3.2012 statt. Insgesamt gab es bisher zwölf Sitzungen, die letzte am 1.3.2018.
  - ii. Die Strategische Plattform für seltene Erkrankungen sollte die drei Hauptakteure im Gesundheitswesen (Bund/Länder/ Sozialversicherungsträger) im Sinne eines strategisch beratenden und lenkenden Gremiums zusammenbringen. Die Nominierung konkreter Vertreterinnen/Vertreter erfolgte durch die entsprechenden Institutionen auf Einladung des Gesundheitsministeriums. Ergänzt wurde die Zusammensetzung durch eine Vertretung der Geschäftsleitung der Gesundheit Österreich GmbH.
  - iii. Namentlich sind die Mitglieder nicht öffentlich einsehbar, da es in dem Gremium um die Repräsentation der Funktion der jeweiligen Institutionen geht. Die teilnehmenden Institutionen sind auf der Webseite des BMASGK unter dem bei lit. b iii.1.2 angeführten Link zu finden.

**Frage 3:**

- a. Ein Evaluierungsbericht ist vorgesehen (siehe Buchstabe b.)
- b. Die Laufzeit des NAP.se wurde von 2014-2018 anberaumt, sodass derzeit die Implementierung noch im Gange ist. Eine Evaluation der Maßnahmen wird nach Ablauf dieser ersten Phase durchgeführt werden, einschließlich eines entsprechenden Berichts.

**Frage 4:**

a. Der Aktionsplan sieht hier als Maßnahme die „Gründung einer österreichweiten Dachorganisation der Selbsthilfegruppen von Personen mit SE“ vor (Maßnahme 75). Im Dezember 2011 wurde Pro Rare Austria, Allianz für seltene Erkrankungen, von Betroffenen unterschiedlicher seltener Erkrankungen und deren Angehörigen gegründet und wird seither von einem ehrenamtlich tätigen Vorstand geführt. Pro Rare Austria ist österreichweit tätig und auch aktives Mitglied des Europäischen Dachverbands EURORDIS. Derzeit hat Pro Rare Austria rund 60 Mitglieder (entweder selbst Patientenorganisationen oder Einzelpersonen, die wegen der Seltenheit der Erkrankung diese repräsentieren).

b. Die Umsetzung des NAP.se fällt zeitlich mit der Neuorganisation der Selbsthilfe auf Bundesebene zusammen. Die neu etablierten Strukturen, bestehend aus der „Österreichischen Kompetenz- und Servicestelle für Selbsthilfe (ÖKUSS)“ und dem „Bundesverband Selbsthilfe Österreich“, werden gemeinsam vom Hauptverband der Sozialversicherungsträger (HVB), dem Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit und Konsumentenschutz (BMASGK) sowie dem Fonds Gesundes Österreich (FGÖ) getragen.

Durch aktives Herantreten an die federführenden Akteure auf Bundesebene konnte sich Pro Rare Austria als Mitglied einer entsprechenden Arbeitsgruppe im HVB engagieren und neben einem neuen Fördermodell für Selbsthilfeorganisationen auch die Koordinierungs- und Unterstützungsstelle für Selbsthilfe sowie den Bundesdachverband Selbsthilfe Österreich mitgestalten.

Eingebracht werden konnten dabei u. a. dringend erforderliche Ausnahmeregelungen und Erleichterungen für Selbsthilfeorganisationen für seltene Erkrankungen, um diesen einerseits den Zugang zu der über ÖKUSS ausgeschütteten Förderung und andererseits die Mitgliedschaft im Bundesverband Selbsthilfe Österreich zu ermöglichen.

c. Seitens Orphanet/NKSE/BMASGK wurden Vertreterinnen/Vertreter von Selbsthilfeorganisationen von Anfang an als Mitglieder in die Unterkommission des Obersten Sanitätsrats bzw. die Expertengruppe für seltene Erkrankungen (später Beirat für seltene Erkrankungen) integriert. Die Zahl der Vertreterinnen/Vertreter war ursprünglich mit drei festgelegt und wurde 2015 im Zuge der Implementierung des Beirats auf vier erhöht. Patientenvertreterinnen und -vertreter sind außerdem Teil des wissenschaftlichen Gremiums für das Neugeborenen-Screening und in den Prozess der Designation von Expertisezentren für seltene Erkrankungen involviert. Auch bei der Neuorganisation der Selbsthilfe auf Bundesebene (vgl. 4b) gab es einen entsprechenden partizipativen Prozess. An der Etablierung von Strukturen

für einen periodischen Austausch zwischen Patientenvertretung und Chefärztinnen/Chefärzten der Krankenkassen wird derzeit gearbeitet (Maßnahme 48).

**d.** Aktuell werden von Pro Rare Austria Diplomarbeiten an der Donauuniversität und der FH Krets im Zusammenhang mit den Effekten von Selbsthilfe betreut (Themen: „Evaluation der Qualität und Effektivität von Selbsthilfegruppen für Seltene Erkrankungen“, „Erhebung von Strukturen und strukturellen Problemlagen in der Selbsthilfe für PatientInnen mit einer seltenen Erkrankung und deren Angehörige“). Eine weitere Arbeit ist derzeit ausgeschrieben.

**e.** Pro Rare Austria verfügt über ein Maßnahmen-Portfolio, welches laufend aktualisiert wird und sämtliche Maßnahmen zur Öffentlichkeitsarbeit dokumentiert. Diese reichen von Newsletteraussendungen, Presseartikeln und Drucksachen bis hin zu Auftritten in TV und Rundfunk, Vorträgen und Veranstaltungen. Wie eine kürzlich durchgeführte Umfrage zeigt, gilt als eine der erfolgreichsten Maßnahmen zur Öffentlichkeitsarbeit der Dialog der seltenen Erkrankungen, eine jährlich stattfindende Veranstaltung anlässlich des Internationalen Tages der seltenen Erkrankungen, im Rahmen derer die rund 300 Besucher über die Selbsthilfe für seltene Erkrankungen informiert werden.

#### **Frage 5:**

**a. und b.** Der NAP.se enthält in seiner jetzigen Form zunächst konkrete Maßnahmen in den Bereichen Diagnostik, klinische Betreuung und Therapie. Die Entwicklung weiterer Maßnahmen, die die Bereiche Rehabilitation und Pflege betreffen, ist erst in der Folge geplant.

**c.** Das Pflegegeld gebührt bei Zutreffen der übrigen Anspruchsvoraussetzungen, wenn auf Grund einer körperlichen, geistigen oder psychischen Behinderung oder einer Sinnesbehinderung der ständige Betreuungs- und Hilfsbedarf (Pflegebedarf) voraussichtlich sechs Monate andauern wird oder würde.

Bei der Beurteilung des Pflegebedarfes und der Beurteilung der Arbeitsfähigkeit ist die verursachende Erkrankung grundsätzlich von nachrangiger Bedeutung. Entscheidend ist vielmehr, welche Funktionseinschränkungen (ungeachtet der Ursache) festgestellt werden und welcher Pflegebedarf bzw. welche Leistungseinschränkung aufgrund der Funktionseinschränkungen vorliegt.

Ein individuelleres und flexibleres Modell ist daher nicht erforderlich.

#### **Frage 6:**

Der Hauptverband erkennt an, dass es für besonders seltene Erkrankungen bzw. dementsprechende vulnerable PatientInnengruppen zur Förderung der Medikamentenentwicklung und Forschung in diesem Bereich sinnvoll ist, spezielle Regelungen im Rahmen der Zulassung anzuwenden.

Die Vergabe des Status als Arzneimittel für seltene Erkrankungen (Orphan-Status) findet auf europäischer Ebene durch die Europäische Kommission, nach Prüfung des Antrages durch den Ausschuss für Arzneimittel für seltene Erkrankungen der Europäischen Arzneimittelbe-

hörde, statt. Darauf hat der Hauptverband keinen Einfluss. Arzneimittel für seltene Erkrankungen müssen die Marktzulassung bei der EMA nach dem zentralen Zulassungsverfahren beantragen.

Auf europäischer Ebene wird derzeit evaluiert, ob die europarechtlichen Regelwerke im Hinblick auf neue Problemlagen noch zeitgemäß oder adaptierungsbedürftig sind.

Wie bei allen besonderen Förderungen und Privilegien ist es auch beim Orphan-Status und beim Patentschutz zweckmäßig, periodisch zu reevaluieren, welche Auswirkungen diese Regelungen haben, ob die entsprechende Regelung oder Förderung in der gegebenen Form noch zweckmäßig ist, die Folgen noch der Intention des Gesetzgebers entsprechen oder auch Fehlentwicklungen auftreten und es daher einer Anpassung bedarf.

#### **Frage 7:**

Bisher haben zwei Typ B-Zentren (Expertisezentren) den Designationsprozess vollständig abgeschlossen (Zentrum für Genodermatosen mit Schwerpunkt Epidermolysis bullosa (EB-Haus) in Salzburg, Zentrum für pädiatrische Onkologie (St. Anna Kinderspital in Wien). Der stufenweise Ausbau der Zentrumslandschaft wurde bewusst mit Typ B-Zentren begonnen, die Erweiterung auf Typ C- und Typ A-Zentren wird im Anschluss erfolgen.

**a.** Derzeit befinden sich sieben weitere Einrichtungen im Designationsprozess zum Typ B-Zentrum (geplanter Abschluss der Verfahren abhängig vom jeweiligen Beginn zwischen Frühjahr und Herbst 2018).

**b.** Die Leistungs- und Qualitätskriterien für spezialisierte Zentren für seltene Erkrankungen in Österreich sind im Anhang 3 des NAP.se dargestellt (S. 99 ff). Bei ihrer Ausarbeitung wurden die auf europäischer Ebene entwickelten Qualitätskriterien („EUCERD Recommendations on Quality Criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States“:

[http://www.eucerd.eu/?post\\_type=document&p=1224](http://www.eucerd.eu/?post_type=document&p=1224); „Delegierter Beschluss der Kommission vom 10. März 2014 über die Kriterien und Bedingungen, die Europäische Referenznetzwerke und Gesundheitsdienstleister, die sich einem Europäischen Referenznetzwerk anschließen möchten, erfüllen müssen (2014/286/EU)“: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014D0286&from=EN>; „ERN Assessment Manual for Applicants: 4. Operational Criteria for the Assessment of Healthcare Providers“:

[http://ec.europa.eu/research/participants/data/ref/other\\_eu\\_prog/hp/guide/pse/hp-asses-manual-ern-op-criteria-hc-providers\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/research/participants/data/ref/other_eu_prog/hp/guide/pse/hp-asses-manual-ern-op-criteria-hc-providers_en.pdf)) – wo immer möglich und für das österreichische Gesundheitssystem sinnvoll – berücksichtigt.

#### **Frage 8:**

Mit Stand Ende März 2018 wurden bisher insgesamt 40 Interessenbekundungen für eine Designation als Expertisezentrum (Typ B-Zentrum) eingereicht.

**a.** Für bisher neun antragstellende Einrichtungen wurde durch die Bundeszielsteuerungskommission die Einleitung eines Designationsverfahrens beschlossen (bei zwei dieser Einrichtungen wurde das Verfahren vollständig abgeschlossen, siehe Frage 7.).

**b.** Derzeit durchlaufen sieben Einrichtungen den Designationsprozess. Begonnen wurden die Designationsverfahren jeweils nach dem entsprechenden Beschluss zu deren Einleitung in der Bundeszielsteuerungskommission (für vier der Einrichtungen am 30.6.2017, zwei am 7.12.2017, eine am 6.4.2018).

**Frage 9:**

Derzeit liegen (abzüglich der bereits durch die Bundeszielsteuerungskommission beschlossenen) 31 weitere Anträge auf Designation als Expertisezentrum vor.

Das BMASGK weist in diesem Zusammenhang darauf hin, dass die Entscheidung zur Designation eines Expertisezentrums gleichermaßen die nachgewiesene hochspezialisierte medizinische Expertise im betreffenden Bereich als auch die Relevanz für die landesweite Gesundheitsplanung berücksichtigt und einvernehmlich von den Systempartnern Bund, Bundesländer und Sozialversicherungsträger zu treffen ist. Wie viele der 31 derzeit eine Designation anstrebenden Einrichtungen sich am Ende für eine Designation als Expertisezentrum qualifizieren, können daher erst die nächsten Runden des blockweise angelegten Designationsprozesses zeigen.

**Frage 10:**

**a.** Nein.

Oberstes Ziel der Heilmittelpolitik der Sozialversicherung ist es, kranken Menschen alle für ihre Heilung oder den Erhalt ihrer Lebensqualität notwendigen Medikamente zur Verfügung zu stellen.

Im Rahmen der Gesundheitsreform wurde von der Bundes-Zielsteuerungskommission (zusammengesetzt aus VertreterInnen des Bundes, der Länder und der Sozialversicherung) die Einrichtung einer Reihe von Expertisezentren für seltene Erkrankungen beschlossen. Diese Expertisezentren sind ein Teil eines europäischen Netzwerks und befassen sich in umfassender Weise mit den besonderen Bedürfnissen von Menschen mit seltenen Erkrankungen.

Das österreichische Sozialversicherungssystem ist darauf bedacht sicherzustellen, dass es einen bundesweit einheitlichen Zugang zu Medikamenten gibt. Ungeachtet dessen, ob die Erkrankung selten oder häufig ist, soll jede/r PatientIn die medikamentöse Versorgung erhalten, die er/sie benötigt. Das Erstattungssystem kennt in Österreich daher keine getrennten Regelungen für Arzneispezialitäten für die Behandlung von seltenen Erkrankungen (Orphan Drugs).

Jedes Medikament muss sich denselben Kriterien des ASVG und der VO-EKO (Verfahrensordnung zur Herausgabe des Erstattungskodex nach § 351g ASVG) stellen: der pharmakologischen, der medizinisch-therapeutischen und der gesundheitsökonomischen Evaluation. Die Krankenbehandlung muss gemäß § 133 Abs. 2 ASVG ausreichend und zweckmäßig sein, darf das Maß des Notwendigen jedoch nicht überschreiten.

Mit Stand 26. Februar 2018 waren von den 172 am Markt verfügbaren Produkten zur Behandlung von seltenen Erkrankungen 38 im Erstattungskodex (EKO) gelistet, viele der Orphan Drugs sind jedoch als Spitalsprodukte zu qualifizieren. Der erhebliche Anstieg der Ausgaben der Sozialversicherung für Orphan Drugs von rund € 75 Mio. im Jahr 2009 auf rund € 170 Mio. im Jahr 2017 (Basis Kassenverkaufspreise) zeigt, dass sich die Versorgung mit Orphan Drugs stark intensiviert hat.

Allgemein gilt, dass Arzneispezialitäten nur dann auf Rechnung eines Sozialversicherungsträgers abgegeben werden können, wenn sie im EKO angeführt sind (vgl. § 31 Abs. 3 Z 12 ASVG). In begründeten Einzelfällen ist die Erstattungsfähigkeit auch dann gegeben, wenn die Arzneispezialität nicht im EKO angeführt ist, aber die Behandlung aus zwingenden therapeutischen Gründen notwendig ist und damit die Verschreibung in diesen Einzelfällen nicht mit Arzneispezialitäten aus dem EKO durchgeführt werden kann. Somit wird gewährleistet, dass jede/r PatientIn auch bei seltenen Erkrankungen die notwendige Behandlung erhält.

**b.** Bei den allermeisten Medikamenten ist es klar, ob sie in die Verantwortung des niedergelassenen oder intramuralen Bereichs fallen. Es gibt einzelne Medikamente, bei denen die aktuelle Finanzierungslösung länder- oder kassenseitig zur Diskussion gestellt wird. Dies ist auch ein Thema der Gesundheitsreform, und diese bildet einen guten Rahmen, um die Zusammenarbeit im Medikamentenbereich zwischen beiden Sektoren zu intensivieren.

**c.** Es zählt zu den Aufgaben der österreichischen Sozialversicherung, die Versorgung von kranken Menschen mit hochwertigen Arzneimitteln zu ökonomisch vernünftigen Preisen sicher zu stellen. Eine Balance zwischen angemessener Versorgung und nachhaltiger Finanzierbarkeit des durch Beiträge der Dienstnehmer und der Dienstgeber finanzierten Systems zu finden, erweist sich angesichts der steigenden Heilmittelausgaben als stetige Herausforderung. Die Basis bildet der 2005 geschaffene Erstattungskodex. Der Hauptverband ist stets bemüht, das System der sozialen Sicherheit im Gleichgewicht zu halten, sei dies durch die Forcierung der Einhaltung der Richtlinien für die ökonomische Verschreibeweise von Heilmitteln und Heilbehelfen, durch Vereinbarungen mit der Industrie (z. B. Rahmen-Pharmavertrag 2016 - 2018) oder durch die Anregung gesetzlicher Änderungen (ASVG-Novelle, BGBl. I Nr. 49/2017).

In Österreich bekommt jede/r Patient/in die notwendige Behandlung, dies ist leistungsrechtlich so festgelegt. Der Anspruch auf eine ausreichende und zweckmäßige Behandlung, wie schon unter Punkt 10a angeführt, ist im ASVG gesetzlich verankert. Um diese Leistungen finanziell zu ermöglichen, versucht die Sozialversicherung einen zielführenden Einsatz von Medikamenten zu steuern, z. B. durch die Beachtung bestimmter Kriterien in der Verwendung (etwa nachrangiger Einsatz teurerer Produkte erst nach Ausschöpfung medizinisch bewährter und günstigerer Standardtherapien, etc.). Eine Einschränkung der Leistungen per se für PatientInnen sieht der Hauptverband grundsätzlich als bedenklich. Politisch ist aber zu diskutieren, wie weit sich ein öffentliches, solidarisch finanziertes Gesundheitssystem unethischen Praktiken einzelner Firmen beugen soll (z. B. wenn Kosten von mehreren Hunderttausend Euro pro Patient pro Jahr bei bedrohlichen Erkrankungen für Medikamente mit keiner nachweislich relevanten Wirkung gefordert werden). Dies ist auch Gegenstand intensiver politischer Diskussionen auf EU-Ebene.

**Frage 11:**

- a.** Im Zuge eines 2017 durchgeführten Priorisierungsprozesses zur Designation von Expertisezentren für seltene Erkrankungen wurden Einrichtungen, die Kinder betreuen, vorrangig für ein Designationsverfahren vorgeschlagen. Von den sieben sich derzeit im Designationsverfahren befindlichen Zentren (siehe Frage 8., Buchstabe b.) betreuen sechs ausschließlich oder zumindest auch Kinder. Insgesamt werden daher nach Abschluss dieser Designationsrunde (d. h. im letzten Trimester 2018) acht von neun dann in Österreich bestehenden Expertisezentren der Betreuung von Kindern gewidmet sein.
- b.** Im Rahmen der bereits laufenden Implementierung des NAP.se soll dieser Aspekt nach Möglichkeit berücksichtigt werden (siehe z. B. Buchstabe a.)

**Frage 12:**

- a.** Bislang ist eine Fortführung im Sinne einer kontinuierlichen nationalen Strategie mit jährlicher Festlegung neuer Inhalte geplant.
- b.** Dies ist abhängig vom Ergebnis der Evaluation der ersten Phase des NAP.se und voraussichtlich ab 2020 relevant.
- c.** Eine Einbeziehung der Selbsthilfe ist wie bei der Ausarbeitung des derzeitigen NAP.se auch in Zukunft vorgesehen. Dies erfolgt über die vier Mitglieder des Beirats für seltene Erkrankungen, die von Pro Rare Austria nominiert werden.

**Frage 13:**

- a.** Das BMASGK wird durch mich sowie Expertinnen/Experten der NKSE vertreten sein.
- b.** Am 11. Mai 2018 werde ich eine Keynote Ansprache im Rahmen der Plenarsitzung halten. Prof. Dr. Till Voigtländer von der NKSE ist Mitglied des Programmausschusses und als solcher in die Gestaltung des Kongresses direkt involviert. Dr. Ursula Unterberger (ebenfalls NKSE) wird beim im Rahmen des Kongresses stattfindenden ePAG-Treffen (European Patient Advocacy Groups) für einen Workshop zur Verfügung stehen.
- c.** Durch die Teilnahme der NKSE, die bereits jetzt international mit vielen zentralen Interessengruppen sehr gut vernetzt ist, ist sichergestellt, dass im Rahmen des Kongresses gewonnenes Wissen und Informationen für die seltenen Erkrankungen in Österreich zur Verfügung stehen und in die weitere Arbeit einfließen.

Mit freundlichen Grüßen

Mag.<sup>a</sup> Beate Hartinger-Klein



