

Juni 2019

2 / 2019

# News-letter

**Schwerpunkte und Netzwerke für Seltene Erkrankungen**

**Save the Date: 8. und 9. 11.2019**



Paracelsus Medizinische Privatuniversität, Haus c  
Auditorium Rehn, Strubergasse 22, 5020 Salzburg

## Joint Meeting Forum Seltene Krankheiten, Politische Kindermedizin und Pro Rare Austria

### Joint Meeting

Am 8. und 9. November 2019 halten die obigen Organisationen in Salzburg ein gemeinsames Treffen ab. Es kommen die aktuellsten Probleme in der Betreuung von Patienten mit Seltenen Erkrankungen (SE) zur Sprache.

Schwerpunkte sind:

- Werden die Kosten für Orphan Drugs zu einem Problem für das Gesundheitssystem? Gibt es einen für alle Beteiligten sinnvollen Konsens?
- Nationale (ELGA, NAP.se) und Internationale (ERNs, ePAGS, NAMSE, ZSE-Duo) Mover zur Betreuungsoptimierung von SE
- Braucht man Schwerpunkte in der chirurgischen Betreuung von Kindern und Jugendlichen mit SE?
- Kinderrehabilitation
- Div. medizinische Sachthemen: Gefäßmissbildungen, seltene autoimmunologische Erkrankungen, Gentherapie bei Augenerkrankungen, Nachsorge etc.

### **\*Abkürzungen**

|                |                                                                          |
|----------------|--------------------------------------------------------------------------|
| <b>ANZ</b>     | Assoziierte Nationale Zentren                                            |
| <b>BMASGK</b>  | Bundesministerium für Arbeit, Soziales, Gesundheit und Konsumentenschutz |
| <b>ePAG</b>    | European Patient Advocacy Group                                          |
| <b>EZ</b>      | Expertisezentren                                                         |
| <b>ERN</b>     | European Reference Network                                               |
| <b>ELGA</b>    | Elektronische Gesundheitsakte                                            |
| <b>GÖG</b>     | Gesundheit Österreich GmbH                                               |
| <b>MOCA</b>    | Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products             |
| <b>NAMSE</b>   | Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltene Erkrankungen          |
| <b>NAP.se</b>  | Nationaler Aktionsplan für Seltene Erkrankungen                          |
| <b>NKSE</b>    | Nationale Koordinationsstelle für Seltene Erkrankungen                   |
| <b>SE</b>      | Seltene Erkrankungen                                                     |
| <b>ZSE-DUO</b> | Zentrum für Seltene Erkrankungen – Duo (Projekt)                         |

Auf drei dieser Themen soll in diesem Newsletter im Detail eingegangen werden. (fw)

⇒ [Up-date: Forum SK](#) [1]

⇒ [Up-date: PKM](#) [2]

⇒ [Up-date ProRare](#) [3]

## **Werden die Kosten für Orphan Drugs zum Problem für das Gesundheitssystem?**

Im Arbeitsalltag und für den Versorgungsauftrag von Kinderärztinnen und Kinderärzten spielen Kosten oft eine bedeutsame Rolle. Der Kostendruck im Gesundheitswesen führt zu Personalverknappung auch und gerade in der Pädiatrie, mit Einschränkungen in der ambulanten Versorgung vor allem von chronischen Erkrankungen wie z.B. Adipositas und Entwicklungsstörungen, was sich als Zeitbombe erweisen könnte. Angesichts sehr hochpreisiger Medikamente für Seltene Erkrankungen stellen sich daher gesundheitspolitische und ethische Fragen auch im Hinblick auf Mechanismen für eine nachhaltige und gerechte Preisge-

staltung und die Wahrung der Verteilungsgerechtigkeit.

Die Vortragenden werden in Sitzung 4 des Kongresses die Frage der Kosten von Orphan Drugs aus verschiedenen Perspektiven beleuchten:

Da dieses Problem alle Nationen betrifft und letztlich nur durch internationale Zusammenarbeit gelöst werden kann, wird **Clemens Martin Auer** die europäische Perspektive auf das Kostenproblem bei Orphan Drugs darstellen. Er war langjährig Leiter der Sektion I im Bundesministerium für Gesundheit und Vorsitzender der eHealth Networks der Europäischen Kommission.

### **Joint Meeting FSK-PKM-ProRare - Sitzung 4**

#### **Werden die Kosten für Orphan Drugs zu einem Problem für das Gesundheitssystem?**

**Vorsitz:** J.W. Bauer, A van Egmond-Fröhlich

#### **Die Kosten für Orphan Drugs - eine europäische Perspektive**

CM Auer

#### **Die Kosten für Orphan Drugs – die schweizerische Perspektive**

M Baumgartner

#### **Die Kosten für Orphan Drugs – Situationsanalyse und Lösungsvorschläge der Industrie**

W Schnitzel

#### **Welchen Rechtsanspruch haben Patienten auf hochpreisige Therapien**

E Starz

#### **Wie könnte ein für alle Betroffenen befriedigender Konsens aussehen**

A Bucsis

#### **Diskussionsrunde, Round Table (Referenten), Publikumsdiskussion**

Moderation: R Kerbl

Die Sichtweise der Expertisezentren, an denen Seltene Erkrankungen behandelt werden, wird durch **Matthias Baumgartner** präsentiert. Er ist Professor of Pediatrics & Metabolism der **Universität Zürich**, Direktor des Children's Research Centers, und Leiter der Stoffwechselabteilung und der Rare Disease Initiative in Zürich. Er stellt dar, wie die Behandlung mit sehr teuren Medikamenten möglichst effektiv umgesetzt werden kann und sollte.

Von den mehr als 8.000 Seltenen Erkrankungen steht für die große Mehrzahl noch keine spezifische Therapie zur Verfügung. Die fortgesetzte Entwicklung von Orphan Drugs basiert großteils auf der Grundlage universitärer Forschung und ökonomisch motivierter Forschungs- und Entwicklungsarbeit der Pharmaindustrie. **Wolfgang Schnitzel** wird eine Analyse der Situation und Vorschläge zur Lösung aus Sicht der Industrie vortragen. Er ist **Vorsitzender der AG Rare Disease** in der Pharmig und Manager bei Takeda.

Medikamentenpreise für sehr Seltene Erkrankungen liegen oft weit über den üblichen Grenzwerten, bezogen auf die erzielte Verbesserung der Lebensqualität und Lebensdauer. Welchen Rechtsanspruch haben Patienten auf hochpreisige The-

rapien? **Edgar Starz**, Jurist und Leiter des Einkaufs der **Krankenanstaltengesellschaft (KAGes m.b.H.)** wird diese rechtlich und ethisch brisante Frage beleuchten. Sie hat einerseits Auswirkungen auf die Verhandlungsposition der Kostenträger in Verhandlungen mit der Industrie und damit auf die Preisgestaltung und andererseits auf Betroffene, denen womöglich die Kostenübernahme für ein zugelassenes Medikament verweigert wird.

**Anna Bucsics** kommt der Versuch einer Synthese aus diesen Perspektiven zu. Sie ist klinische Pharmakologin, langjährige Leiterin der Abteilung **Vertragspartner Medikamente des Hauptverbandes der Sozialversicherungen** und als **Beraterin beim MoCA Project** (Mechanism of Coordinated Access to Orphan Medicinal Products) mit der Materie aus den Perspektiven der Stakeholder und der Patienten bestens vertraut. Ihr kommt die mühsame Suche nach konsensuellen, nachhaltigen Lösungen zu. (ae)

⇒ [Orphan Drugs](#) [4]

⇒ [Pharmig-Info](#) [5]

⇒ [NZZ – Mia ist krank](#) [6]

⇒ [MoCA](#) [7]

## Nationale (ELGA, NAP.se), deutsche (NAMSE, ZSE-Duo) und internationale (ERNs, ePAGS) Mover zur Betreuungsoptimierung von SE

Grau ist alle Theorie und grün des Lebens goldner

Baum: In den letzten Jahren haben innovative, ge-

| Joint Meeting FSK-PKM-ProRare - Sitzung 5                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Nationale und Internationale Mover zur Betreuungsoptimierung von SE</b><br>Vorsitz: NN                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                                            |
| <p><b>ELGA: praxisorientierter Nutzen für den Patienten</b><br/>R Novak</p> <p><b>Translate NAMSE - Lessons learned</b><br/>H Krude</p> <p><b>ZSE Duo – Lessons learned</b><br/>H Hebestreit</p> <p><b>NAP.se Zukunftsperspektiven</b><br/>T Voigtländer (angefragt)</p> <p><b>ERNs: aktueller Überblick und Nutzen für Patienten</b><br/>NN</p> <p><b>ePAGS: Erfahrungsberichte.</b><br/>C Röhl, D Sturz (angefragt)</p> <p><b>Diskussionsrunde</b> (Erfahrungsaustausch, Best Practice, Verbesserungswünsche):<br/>Referenten, 6 amtierende österreichische ePAGs, Publikum<br/>Moderation: NN</p> |

sundheitspolitische Konzepte für Seltene Erkrankungen – in Österreich ebenso wie in den europäischen Nachbarländern – zu greifbaren Änderungen in der Infrastruktur mit Expertisezentren, neuen Netzwerken und Plattformen geführt. Welche konkreten Aufgaben übernehmen sie, welche Erfahrungen gibt es bisher mit ihnen? Haben sie Nutzen für die Patienten und ihre Angehörigen?

Die „Elektronische Gesundheitsakte (ELGA)“ ist sicher einer der gesundheitspolitischen Aufreger der letzten Jahre in Österreich! **R. Novak**, der **eHealth-Beauftragte des Landes Salzburg** wird zeigen, was sie für SE bisher gebracht hat. **Till Voigtländer**, Leiter der **Nationale Koordinationsstelle für Seltene Erkrankungen (NKSE)** und Urgestein der Bemühungen um Patienten mit SE in Österreich, wird über den Stand der Umsetzung des österreichischen **Nationalen Aktionsplan für Seltene Erkrankungen (NAP.se)** berichten. **Heiko Krude**, Professor an der Charité in Berlin, wird über die „Lessons“ berichten, die das deutsche **Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit SE (NAMSE)** bei der Umsetzung ihres Aktionsplans für Menschen mit SE lernen musste.

Ein ganz besonderes Projekt ist **ZSE-DUO**: ein Organomediziner und ein Kinderpsychiater/-psychoso-

matiker begleiten Patienten mit SE durch das Labyrinth der Diagnose. Der Projektleiter, **H. Hebestreit**, Professor an der Univ. Würzburg, zeigt die ersten Resultate.

Als größte Mover im Gesundheitsbereich hat sich zweifellos die Gründung der **24 European Reference Networks (ERNs)** auf europäischer Bühne herausgestellt. Wie ist der Status? Was hat es bisher gebracht? Hilft es schon Patienten? Wichtige Themen, denen bei einer derartigen Tagung entsprechend Raum gegeben werden muss. Eines der innovativsten Assets in den ERNs ist die direkte **Teilnahme von Patientenvertretern (ePAGS)**. Sie sitzen in den medizinischen Fachgremien. Was machen sie unter den europäischen Top-Spezialisten? Zwei österreichische ePAGS (**C Röhl und D Sturz**) werden berichten. Am Schluss soll noch betont werden: dieser Programmblock ist primär auf Initiative von ProRare entstanden. (vm,fw)

⇒ [Umsetzung eHealth Salzburg](#) [8]

⇒ [NAP.se](#) [9]

⇒ [NAMSE](#) [10]

⇒ [Translate NAMSE](#) [11]

⇒ [ZSE - Duo](#) [12]

⇒ [24 European Reference Networks \(ERNs\)](#) [13]

## Kinderrehabilitation

Vor einigen Jahren ist es gelungen, die Rehabilitation von Kindern und Jugendlichen als eigene Kasernenleistung in Österreich einzuführen. Für die Pädiatrie haben sich daraus interessante Entwicklungsfelder aufgetan, und an einigen Standorten in Österreich sind zum Teil sehr spezialisierte Kinder-Reha-Zentren entstanden. Für die Kinder- und Jugendpsychiatrie sieht das leider nicht so gut aus.

Zum einen ist sie als Begriff „Mental Health“ unter die Pädiatrie gelegt worden und zum anderen sind die Strukturqualitätskriterien, die zur Anwendung gekommen sind, für die Kinder und Jugendlichen, sowohl was die Qualität der Alltagsversorgung, aber auch die Qualität der therapeutischen Versorgung betrifft, deutlich unter dem aktuellen Stand eingeordnet worden. Die Sitzung soll einerseits die

| Joint Meeting FSK-PKM-ProRare - Sitzung 6                                                                                                                                                                                                                                                                                          |
|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <p><b>Kinderrehabilitation</b><br/> <b>Vorsitz:</b> L Thun-Hohenstein, W Sperl</p>                                                                                                                                                                                                                                                 |
| <p><b>Kinderrehabilitation: pädiatrisch</b><br/> AM Cavini, E Lechner<br/> <b>Kinderrehabilitation: psychiatrisch</b><br/> B Lienbacher<br/> <b>Pädiatrische Rehabilitation in Österreich: Aktueller Stand.</b><br/> W Sperl, M Wieser</p> <p><b>Diskussionsrunde</b> Referent*Innen und L Thun-Hohenstein<br/> Moderation: NN</p> |

gelungene Umsetzung der pädiatrischen Reha verdeutlichen und gleichzeitig die doch erheblichen Defizite der kinder- und jugendpsychiatrischen Reha diskutieren. (lt)

- ⇒ [Kinderrehab-Zentren](#) [14]
- ⇒ [Kinderrehab-Graphik](#) [15]
- ⇒ [Kinderrehab-Kompass](#) [16]
- ⇒ [Kinderrehab-Förderverein](#) [17]

## Teure neue Therapien? Ein heißes Thema, das viele Patienten derzeit noch kalt lässt

Die jüngste Mitgliederbefragung von Pro Rare Austria zum Thema „Problemlagen bei der Kostenerstattung für Arzneimittel, Therapien und Rehabilitation für Seltene Erkrankungen“ zeigt auf: Teure neue Therapien sind – jedenfalls derzeit noch – für viele Patienten ein Randthema, wenn es um den Zugang zu Therapie geht. Aktuell gibt es für über 95 Prozent der bekannten Seltenen Erkrankungen gar keine Therapie und daher hat nur eine verschwindend geringe Anzahl an Personen überhaupt die Möglichkeit, auf hochpreisige Medikamente zu setzen. Tatsächlich stoßen Betroffene und Angehörige bereits in grundlegenden Bereichen auf massive Hürden. (vm)

⇒ [Teure neue Therapien](#) [18]

## Black Pearl Award für Seltene Erkrankungen

Till Voigtländer hat als 2. Nichtpolitiker den „Nobelpreis für Seltene Erkrankungen“ in der Kategorie „European Rare Disease Leadership“ von EURORDIS, der Allianz von 837 Patientenorganisationen in 70 Ländern Europas, erhalten.

Er leitet seit 2004 Orphanet Austria, die Datenbank seltener Erkrankungen und organisierte 2008 die Petition für einen Nationalen Aktionsplan (NAP). 2009 rief er den Marsch der Seltenen Erkrankungen ins Leben und baute die Nationale Koordinationsstelle für Seltene Erkrankungen (NKSE) auf. Bis 2013 wurde der Nationale Aktionsplan für Seltene Erkrankungen (NAP.se) zusammen mit allen Playern im Gesundheitssystem erarbeitet und ein Designationsverfahren für die Etablierung von Zentren festgelegt: dieses wurde 2 Jahre später publiziert. Parallel dazu wurden auf europäischer Ebene die gesetzlichen Voraussetzungen für die Etablierung von Netzwerken für Seltene Erkrankungen und die Verankerung der Mobilitätsrichtlinie zu einer grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung geschaffen. Derzeit wird intensiv an der Umsetzung einer besser strukturierten und nachhaltig gesicherten Zentrumslandschaft mit 3 verschiedenen Arten hochspezialisierter Zentren gearbeitet, um das volle Potential dieser Umstrukturierung erreichen zu können. Europäische Referenznetzwer-

ke sollen über eine virtuelle Diskussionsplattform Ärzten aus ganz Europa ihr Wissen für spezielle Fragestellungen zur Verfügung stellen.

Im Interview mit Susanne Hinger [19] meinte er, dass trotz eines völlig neuen Bewusstseins für Seltene Erkrankungen in Österreich nun eine ausreichende Grundfinanzierung nicht mehr gesichert zu sein scheint: Die Koordinationsstelle (NKSE) soll nicht nur verkleinert werden, sondern es soll ein neues nationales Büro zur Umsetzung und Weiterentwicklung des NAP.se an der Medizinischen Universität Wien eingerichtet werden, das auch eine entsprechende Finanzierung bräuhete. Und daran, wie auch an der Schnelligkeit der Umsetzung des geschilderten Konzeptes in Österreich, spießen sich die Vorstellungen der verschiedenen finanziellen Player – in der Vergangenheit wurde ja davon ausgegangen, dass diese Umstrukturierung nicht nur ohne zusätzliche Finanzierungen auskommen, sondern sogar zu Ersparnissen führen sollte, wie Dr. C.M. Auer, damals Sektionschef im BM für Gesundheit und Frauen, beim der 9. Kongress für SE letzten Herbst in Graz meinte. (hd)

⇒ [Interview Voigtländer](#) [19]

### Short News

Neues zu den „Assoziierte Nationale Zentren“ (ANZ):

Wie soll die **Integration von ANZ** in die ERNs ablaufen ?

- ⇒ [Stellungnahme - ERN-Koordinatoren](#) [21]
- ⇒ [Stellungnahme – ERN-Board of Member States](#) [22]

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀

13.06.2019

Personalisierte Medizin

⇒ [105. Gesundheitspolitisches Forum](#) [23].

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀

## 5. Rare Diseases Dialog: Gibt es ein Recht auf die bestmögliche Therapie?



5. Rare Diseases Dialog: Dr. Schnitzel und Podiumsteilnehmer

© E.Prokofieff Details: [Hier](#)

Welchen Einfluss haben ökonomische Erwägungen bei der Behandlung von Seltenen Erkrankungen und wie können Patienten ihr Recht auf die jeweils bestmögliche Therapie wahrnehmen? Diese Fragen wurden beim 5. Rare Diseases Dialog der Pharmiq Academy aus unterschiedlichen Perspektiven beleuchtet.

Die Verwendung von allgemeinen Begriffen in den gesetzlichen Grundlagen in Österreich führt zu Auffassungsunterschieden, wenn konkrete Therapieentscheidungen getroffen werden sollen, erklärt Patientenanwalt **Gerald Bachinger** in seiner Keynote. Eine rechtliche Klarstellung des Therapieanspruchs ist möglich, dauert aber für den betroffenen Patienten meist zu lange. Laut WGKK bilden bei Festlegung der Kostenerstattungskriterien stets der neueste Stand der Wissenschaft und die Beurteilung des relevanten Patientennutzens die Basis der ökonomischen Bewertung. Patienten und Ärzte kritisieren aber, dass ökonomische Kriterien in der Therapieentscheidung meist den Ausschlag geben, regionale Bewertungsboards im Krankenhausbereich oft nicht mit entsprechenden Experten besetzt und Entscheidungsfindungsprozesse intransparent sind. Der speziellen Evidenzlage von Orphan Drugs, die im Vergleich zu häufigen Erkrankungen naturgemäß mit kleineren Patientenzahlen in den Studien auskommen müssen, wird nicht ausreichend Rechnung getragen. Einig war man sich über die Notwendigkeit der Etablierung eines bundesweit einheitlichen und klaren Verfahrens hinsichtlich Therapie-

entscheidung und Kostenerstattung. Die Experten riefen dazu auf, Bewertungs- und Entscheidungsprozesse diesbezüglich transparenter zu gestalten, einheitliche und länderübergreifende Regelungen zu schaffen und Patienten ein Mitspracherecht in entsprechenden Gremien einzuräumen.

### Zu Gast waren

- **Günther Bernert**, Präsident der Österreichischen Muskelforschung & Vorstand der Kinder- u. Jugendheilkunde am SMZ Süd mit Muskelambulanz
- **Cornelia Dechant**, Patientenvertreterin EPP Austria & Fachärztin für Innere Medizin und Kardiologie
- **Michael Mayrhofer**, Institute of Technology (LIT) Law Lab und Fachbereich Öffentliches Recht, JKU Linz
- **Silke Näglein**, Stellvertretende Ärztliche Direktorin, Wiener Gebietskrankenkasse (WGKK)
- **Klaus Offner**, Wirtschaftsdirektor, Uniklinikum Salzburg
- **Ferdinand Rudolf Waldenberger**, Medizinischer Direktor, Klinikum Klagenfurt, Lehrstuhl Organisations-Ethik SFU

**Keynote Speaker:** Gerald Bachinger, NÖ Patienten- und Pflegeanwaltschaft, Sprecher der Patienten- und PflegeanwältInnen und NÖ PatientInnen- und Pflegeanwalt. **Moderation:** Tarek Leitner, ORF. (sp)

⇒ [Impressionen und Video der Veranstaltung](#) [20]



Pharmiq 5. Rare Diseases Dialog

## Editorial

Es ist so banal wie wahr: **niemand kann alles, aber gemeinsam können wir mehr.** Kräfte bündeln, Expertise und Erfahrungswerte vernetzen und zusammen weiterentwickeln, Synergien nutzen, unnötige Redundanzen abbauen, gegenseitiges Verständnis und gemeinsam tragfähige Lösungen suchen – all das hilft nicht nur allgemein im Leben. Nein, es hilft ganz besonders, um den vielschichtigen Herausforderungen von Seltenen Erkrankungen unter anderem im Kontext restriktiver Rahmenbedingungen eines komplexen Gesundheitswesens und einer von Innovationskraft, Wissenszuwachs, zunehmender Diversifizierung und (Sub-) Spezialisierung geprägten Medizin begegnen zu können.



**Dialog und Zusammenarbeit** über individuelle Interessengruppen hinweg sind notwendig, um die Auswirkungen einer verstärkt industrieprozedural geprägten Ökonomisierung der Medizin in ihrer Gesamtheit aufmerksam zu verfolgen. Sie sind aber auch notwendig, um die Zweckmäßigkeit und Treffsicherheit von überwiegend quantitativ betonten Effizienz- und Leistungsparametern für die Allokation begrenzter Ressourcen hinsichtlich der Sicherstellung einer nachhaltig verbesserten Versorgungsqualität umfassend zu bewerten.

**Im Sinne eines solch universellen Vernetzungsgedankens** findet am 8. und 9. November 2019 in Salzburg der vom Forum Seltene Krankheiten ausgetragene **10. Nationale Kongress für Seltene Erkrankungen** als Joint-Meeting mit der **13. Jahrestagung der Politischen Kindermedizin** sowie dem **Jahrestreffen von ProRare Austria** statt.

Inhaltlich sollen mit diesem gemeinschaftlich erstellten Format noch integrativer medizinisch-wissenschaftliche, politische und gesellschaftliche Aspekte von Seltenen Erkrankungen, die Belange der Selbsthilfeorganisationen und die Positionen von staatlichen wie privaten Trägerinstitutionen des Gesundheitssystems aufbereitet und zusammengeführt werden. Die Schwerpunktthemen der Tagung umfassen u.a. **vaskuläre Malformationen, Kinderrehabilitation und chirurgische Versorgungsstrukturen für Kinder** sowie die Entwicklung von Strategien für den **Kostenfaktor Orphan Drugs** im Gesundheitssystem. Zudem teilen renommierte in- und ausländische ExpertInnen ihre Erfahrungswerte zur **Implementierung nationaler Expertisenzentren** bzw. zum **Status europäischer Referenznetzwerke** mit uns und berichten über Vertretungsstrukturen und **Aktivitäten europäischer Patienteninteressengruppen** (ePAGs).

Somit soll im Herbst im Herzen der Mozartstadt zusammentreffen, was zusammengehört, um gemeinsam und gestärkt mehr für unsere PatientInnen zu erreichen. Voraussetzung hierfür ist Ihre unterstützende Teilnahme.

Es würde mich freuen!

Martin Laimer  
Gesamtkoordinator des Joint-Meetings

### Impressum/ Offenlegung (§§ 24, 25 MedienG)

Medieninhaber und Herausgeber: Franz Waldhauser, 1060 Wien, Amerlingstrasse 4 / 20; E-Mail: [nl@expertisenetze.at](mailto:nl@expertisenetze.at)

Für Inhalt und Zusammenstellung verantwortlich: Univ.-Prof. Dr. Franz Waldhauser (*fw*), Univ.-Prof. Dr. Johann Deutsch (*hd*).

Weitere Beiträge sind gekennzeichnet und in Verantwortung der jeweiligen Autoren: Dr. Andreas van Egmond-Fröhlich (*ae*), Dipl.-Ing. Victoria Mauric (*vm*), Univ.-Prof. Dr. Leonhard Thun-Hohenstein (*lt*), Mag. Stefan Prims, Pharmig (*sp*).

Für Layout und elektronische Betreuung verantwortlich: DI Dr. Johann Hochreiter.

Kontakt, Informationsaustausch oder Beendigung der Zusendung des Newsletters unter: [nl@expertisenetze.at](mailto:nl@expertisenetze.at)

Erklärung über die grundlegende Richtung iS des § 25 Abs 4 MedienG siehe:

[http://www.expertisenetze.at/NL/2017-02/Erklaerung\\_iS\\_MedienG.pdf](http://www.expertisenetze.at/NL/2017-02/Erklaerung_iS_MedienG.pdf)

Mit wegweisenden  
Therapien komplexen  
Krankheiten begegnen.

IHR PARTNER BEI LYSOSOMALEN SPEICHER-KRANKHEITEN

www.genzyme.at

SANOFI GENZYME

morbus FABRY MPS I morbus GAUCHER morbus POMPE

## Detaillierte Adressen der Links:

- [1] Up-date: Forum SK  
[https://www.forum-sk.at/seltene\\_krankheiten/](https://www.forum-sk.at/seltene_krankheiten/)
- [2] Up-date: PKM  
<http://polkm.org/>
- [3] Up-date ProRare  
<https://www.prorare-austria.org/newsroom/veranstaltungen/event/10-oesterreichischer-kongress-fuer-seltene-erkrankungen/>
- [4] Orphan Drugs  
<https://www.springermedizin.de/oeffentliche-lenkung-und-preisbegrenzung-fuer-orphan-drugs/15861550>
- [5] Pharmig-Info  
<https://www.pharmig-academy.at/FileDownload/4561>
- [6] NZZ – Mia ist krank  
<https://nzzas.nzz.ch/hintergrund/vertex-orkambi-mia-ist-krank-aber-ihr-medikament-kostet-150-000-franken-ueber-das-machtspiel-pharmaindustrie-ld.1418469?reduced=true>
- [7] MoCA  
<https://www.eurordis.org/content/moca>
- [8] Umsetzung eHealth Salzburg  
[https://www.salzburg.gv.at/gesundheit\\_/Documents/eHealth\\_Umsetzung\\_Salzburg\\_So1-1\\_20180627.pdf](https://www.salzburg.gv.at/gesundheit_/Documents/eHealth_Umsetzung_Salzburg_So1-1_20180627.pdf)
- [9] NAP.se  
[https://www.sozialministerium.at/site/Gesundheit/Krankheiten\\_und\\_Impfen/Krankheiten/Seltene\\_Krankheiten/Seltene\\_Erkrankungen\\_in\\_Oesterreich](https://www.sozialministerium.at/site/Gesundheit/Krankheiten_und_Impfen/Krankheiten/Seltene_Krankheiten/Seltene_Erkrankungen_in_Oesterreich)
- [10] NAMSE  
<https://www.namse.de/>
- [11] Translate NAMSE  
<https://translate-namse.charite.de/>
- [12] ZSE - Duo  
[https://www.achse-online.de/de/was\\_tut\\_ACHSE/Projekte/FL\\_ZESE\\_Duo\\_18d.pdf](https://www.achse-online.de/de/was_tut_ACHSE/Projekte/FL_ZESE_Duo_18d.pdf)
- [13] 24 European Reference Networks (ERN)  
[https://ec.europa.eu/health/ern/networks\\_en](https://ec.europa.eu/health/ern/networks_en)
- [14] Kinderrehab-Zentren  
<http://www.hauptverband.at/cdscontent/?contentid=10007.776326&viewmode=content>
- [15] Kinderrehab-Graphik  
<http://www.hauptverband.at/cdscontent/load?contentid=10008.643215&version=1500878079>
- [16] Kinderrehab-Kompass  
<https://rehakompass.goeg.at/#/allgemein>
- [17] Kinderrehab-Förderverein  
<https://www.foerderverein-kinderreha.at/>

- [18] Teure neue Therapien  
<https://www.prorare-austria.org/newsroom/aktuelles/news/teure-neue-therapien-ein-heisses-thema-das-viele-patienten-derzeit-noch-kalt-laesst/>
- [19] Interview Voigtländer  
<https://www.medmedia.at/arzt-und-praxis/eine-ganz-neue-dimension-der-versorgung/>
- [20] Impressionen und Video der Veranstaltung  
<https://www.pharmig-academy.at/newsroom/5-rare-diseases-dialog-gibt-es-ein-recht-auf-die-bestmoegliche-therapie/>
- [21] Stellungnahme - ERN-Koordinatoren  
[https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/20190403\\_news\\_en.pdf](https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/20190403_news_en.pdf)
- [22] Stellungnahme – ERN-Board of Member States  
[https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/20190404\\_news\\_en.pdf](https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/20190404_news_en.pdf)
- [23] 105. Gesundheitspolitisches Forum  
[https://www.gesundheitspolitischesforum.at/wp-content/uploads/2019/05/1906-Einladung\\_105Gpf.pdf](https://www.gesundheitspolitischesforum.at/wp-content/uploads/2019/05/1906-Einladung_105Gpf.pdf)