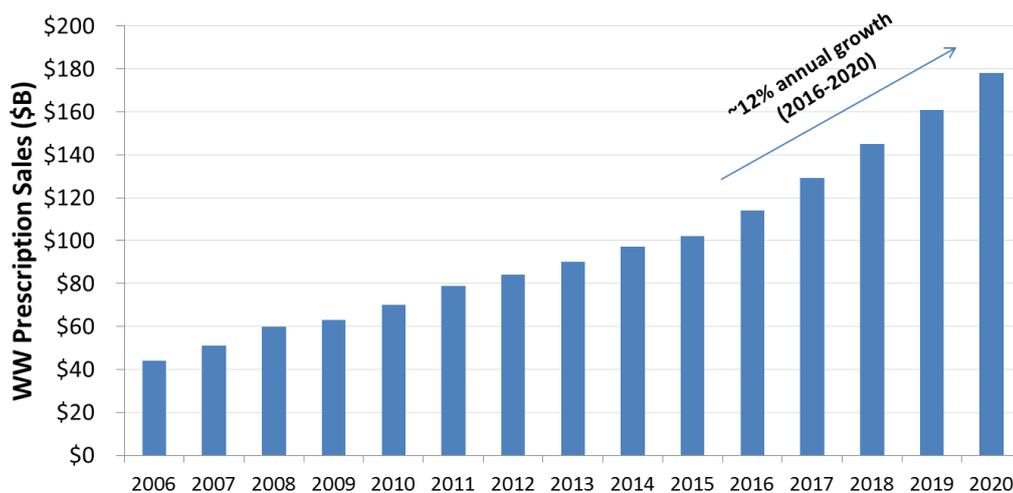


News-letter

Schwerpunkte und Netzwerke für Seltene Erkrankungen



Source: EvaluatePharma "Orphan Drug Report" 2015

Entwicklung der weltweiten Ausgaben für Orphan Drugs

<http://www.behindthepill.com/the-rare-disease-strategy>

Zugang zu wirksamen Orphan Drugs für seltene Erkrankungen zu gerechtfertigten Preisen

Das Schicksal des 12-jährigen steiermärkischen Buben mit SMA 2 hat in den letzten Monaten die Aufmerksamkeit der Medien auf das **Problem der hochpreisigen Orphan Drugs (OD)** für seltene Erkrankungen gelenkt. Eine Analyse des Gegensatzes zwischen den **Kosten pro Behandlungsjahr** bei OD von oft vielen 100.000 € und den **Einschränkungen in sonstiger Patientenversorgung** führt in viele Verzweigungen zwischen Medizin, Gesundheitsökonomie und Ethik. Die Ausgaben für OD wachsen rasch (siehe Grafik). OD können aufgrund der Monopolsituation und dem moralischen Druck zur Behandlung teils zu Preisen verkauft werden, die die Kosten mehrfach decken. Überhöhte Preise führen in einem gedeckelten Gesundheitsbudget zu anderweitigen Einsparungen (Opportunitätskosten), unter denen viele andere Patienten leiden. Einen wesentlichen Teil zur Lösung kann eine **öffentlich kontrollierte Preis-**

gestaltung beitragen. Der Preis könnte dabei aus den offengelegten **Kosten für die Entwicklung plus marktüblicher und wirksamkeitsabhängiger Rendite** berechnet werden. Dieser Preis kann nur durch einen **europäischen Zusammenschluss** durchgesetzt werden, der die nötige Marktmacht verleiht. Ein freiwilliger **gemeinsamer europäischer Einkauf** würde eine Verteilung an alle Mitgliedsstaaten zu solidarischen Preisen erlauben. So maximiert sich die Zahl der Behandelten und die Kosten werden auf mehr Schultern verteilt. Es würden mehr Patienten im In- und europäischen Ausland bei geringeren Preisen konsistent behandelt, die OD-Entwicklung wäre nachhaltig finanzierbar und für andere sinnvolle und wirksame Behandlungen bliebe genug Geld.

Die ineffektiven und inkonsistenten **Einzelfallentscheidungen könnten entfallen** und man könnte sich manche gesundheitsökonomisch-ethische Zwickmühle wie im eingangs erwähnten Fall ersparen.

Erste Schritte wären die Finanzierung von im Krankenhaus administrierten OD über einen **Son-**

dertopf und ein sektorenübergreifendes **nationales Gremium** für die **Kostenübernahmeentscheidung**.

Mehr Details finden Sie im Monatsschriftartikel von Klaus Schmitt und mir [1]. Diese und alternative Vorschläge können während der **Plenarsitzung 2 auf der 56. JT der ÖGKJ** in Linz [2] diskutiert werden, bevor wir Entscheidungsträger ansprechen. (ae)

⇒ [van Egmond & Schmitt Msch. Kinderh. 166, 785-97 \(2018\) \[1\]](#)

⇒ [56. Jahrestagung der ÖGKJ \[2\]](#)

⇒ [Orphan Drug Report 2018 \[3\]](#)

Überleben und Lebensqualität von Patienten mit seltenen Erkrankungen hängen an hochpreisigen Medikamenten

Als Vorsitzende der Gesellschaft für Mukopolysaccharidosen über zwei Jahrzehnte - mit Einblick und Überblick in viele Familienschicksale, aber auch aus der Perspektive einer Mutter, die seit 25 Jahren mit MPS lebt, möchte ich meine Gedanken zum Thema hochpreisige Medikamente mit Ihnen teilen.

Ich möchte MPS also als Beispiel nehmen für verschiedene seltene Erkrankungen, für die es – Gott sei Dank! – nun endlich hilfreiche Therapien gibt. Wir alle haben viel zu lange darauf gewartet und mussten geliebten Kindern beim langsamen Fortschreiten der grausamen Krankheit hilflos zusehen und sie viel zu früh gehen lassen, meist noch lange bevor sie erwachsen werden konnten. Alles was wir ihnen geben konnten, war bis vor kurzem unsere Liebe, unsere Kraft und Energie für ihre Pflege rund um die Uhr und das Aufgeben jeglicher Träume und Pläne; denn MPS ist unberechenbar.

Nun gibt es seit 2014 Enzyersatztherapien für vier verschiedene MPS-Formen und damit endlich die Chance auf eine bessere Lebensqualität, weniger Schmerzen, weniger körperliche Einschränkungen und auf ein Überleben, ein Erwachsenwerden und eine Zukunft! In vielen Fällen eine Zukunft, in der Selbständigkeit möglich wird, in der alleine essen, baden, zur Toilette gehen, Wege zurücklegen oder gar wohnen und arbeiten möglich werden können. Eine Zukunft, in der man das Gefühl hat auch wichtig zu sein, Anerkennung bekommt, weil man etwas leisten kann – ist so eine Zukunft etwas wert? Darf so eine Zukunft etwas kosten?

Oder anders herum gefragt: Zahlen wir lieber für Pflege, Krankenhausaufenthalte, Arztbesuche,

Operationen, Therapeuten, behindertengerechte Umbaumaßnahmen, unzählige Hilfsmittel, diverse Beihilfen, Begleitlehrer, zusätzliche Betreuungspersonen, Folgekosten von typischen Erkrankungen der Pflegepersonen und kaputte Familien?

Ja, diese neuen Therapien sind wirklich teuer. Das steht außer Frage, auch dass Lösungen zur Preisgestaltung gefunden werden müssen.

Aber sie können ein ganzes Leben verändern, es geht hier nicht „nur“ darum, ein Leben vielleicht um drei Monate zu verlängern!

Bei MPS zum Beispiel sind es in ganz Österreich 25 Patienten, die eine solche Therapie erhalten. Das ist eine sehr überschaubare Anzahl, die ganz bestimmt nicht unser Sozialsystem ruinieren wird.

Trotzdem will ich realistisch bleiben und bemerken, dass gewisse Ein- bzw. Ausschlusskriterien für eine so kostenintensive Therapie mit Sicherheit Sinn machen und dass es notwendig ist, sich am tatsächlichen Nutzen für den Patienten zu orientieren.

Genauso würde es allerdings Sinn machen, den Einsatz von Medikamenten, die seit Jahrzehnten mit äußerst fraglichem Erfolg massenhaft eingesetzt werden, zu hinterfragen. Bedenkt man, dass dafür ein Vielfaches der Kosten für Medikamente, mit denen man seltene Erkrankungen nun erfolgreich behandeln kann, ausgegeben werden, sehe ich erst recht keinen Grund, weshalb man den wenigen neuen Medikamenten, auf die wir seit Generationen gewartet haben, so sehr den Schwarzen Peter zuschiebt. Und das, obwohl nicht nur ihre medizinische Wirksamkeit bewiesen, sondern auch ihre Effektivität im Alltag deutlich zu sehen sind...

(Seltene !) Patienten mit einer seltenen Erkrankung sind nicht weniger wert als solche mit anderen, häufigeren Krankheiten! Auch „die Seltenen“ müssen (!) 24 Stunden am Tag mit einem entsetzlichen Schicksal leben. Sie selbst und ihre Angehörigen.

Ich habe persönlich in der eigenen Familie 15 Jahre lang ein Leben ohne Therapie mit sukzessivem Fortschreiten der Erkrankung und ständigen kleinen Abschieden von Fähigkeiten erlebt, durfte dann aber sehen, wie meine Tochter unter Enzyersatztherapie regelrecht aufblühte. Glauben Sie mir, der Unterschied ist nicht die Butter auf dem Brot, sondern das Brot selbst, das man plötzlich bekommt.

Michaela Weigl

Vorsitzende der Ges. für MPS

Vorstandsmitglied Pro Rare Austria

Betroffene Mutter

Vorschau:

9. Kongress der Seltenen Erkrankungen 2018 in Graz



pro rare austria
allianz für seltene erkrankungen



Medizinische Universität Graz



9. Österreichischer Kongress für Seltene Erkrankungen 21.-22. September 2018, MED CAMPUS Graz

Schwerpunkte

- » Neue Möglichkeiten der Diagnostik bei Seltenen Erkrankungen
- » Spezifische Therapieverfahren bei Seltenen Erkrankungen

Abendveranstaltung – öffentlicher Vortrag

„Dr. House und seltene Erkrankungen – was können wir davon lernen?“

Univ.-Prof. Dr. Jürgen Schäfer, Universitätsklinikum Gießen, Marburg
21.09.2018 um 19.00 Uhr, Aula, MED CAMPUS Graz

Weitere Informationen und Anmeldung
www.forum-sk.at

⇒ [Detailliertes Kongressprogramm](#) [4]

Persönliche Erfahrung eines mitbetroffenen Kollegen

Im Mai 2005 wurde meine Frau an einem Phäochromozytom operiert, im Sommer des gleichen Jahres ein multiples Myelom (MM) diagnostiziert und daran anschließend (auf Grund der mit der damaligen Standardtherapie nur 20% Überlebenschance) eine zu diesem Zeitpunkt noch experimentelle Therapie (nur 5 Patienten erhielten vorher diese) durchgeführt, die im Februar des Jahres 2006 eine autologe Knochenmarkstransplantation (TX) einschloss. Dieses Therapieschema wurde erst durchgeführt, nachdem meine Frau das Risiko für ein Versagen der Therapie bzw. für Nebenwirkungen schriftlich selbst übernommen hatte.

In der Phase der Knochenmarksaplasie erlitt sie eine Pilzpnemonie, das deshalb gegebene Medikament führte als Nebenwirkung zu Halluzinationen, differentialdiagnostisch kam auch eine Hirnblutung oder Gehirnentzündung in Frage. Diese psychische Belastung hielten leider nicht alle Familienmitglieder aus...

Nach einer Änderung der Therapie und dem Anwachsen des transplantierten Knochenmarks heilte die Pneumonie, und die Transplantation führte zur völligen Remission des MM durch 3 Jahre.

Da das als Marker dienende pathologische Eiweiß im Blut wieder anstieg, wird seither eine Therapie mit einem inzwischen für diese Erkrankung entwickelten Immunmodulans durchgeführt, durch das die Erkrankung zunächst gut unter Kontrolle blieb. Interkurrent kam es durch die Begleittherapie zu einer Kiefernekrose, die operativ behandelt wurde. Die Kosten dieses immunmodulierenden Medikaments liegen in der Höhe der Kosten eines Kleinwagens pro Monat (!).

Meine Frau ist derzeit noch immer beruflich tätig und führt unseren Haushalt. Von unseren 4 Kindern sind 2 noch nicht ins Berufsleben integriert.

Unsere Fragen:

Wie lange die Therapie wohl durch die Versicherung gedeckt werden wird? Und ob eine neuerliche TX bei einem neuerlichen Rezidiv des MM tragbar bzw. möglich sein wird? Oder ob andere (wahrscheinlich ebenso kostenintensive) Therapien durchgeführt werden können?

Die derzeit gerade begonnene Diskussion über kostenintensive Therapien, deren Bezahlung und gerechte Verwendung für alle Patienten wirft für uns neben gerechten Preisen auch die Frage auf, ob es nicht zusätzliche Möglichkeiten zur Kostenreduktion in unserem Gesundheitswesen gibt, auch damit Patienten wieder die Sicherheit haben, in Zukunft effizient entsprechend dem medizinischen Fortschritt behandelt werden zu können.

(nn)

Österreichs hausgemachte Erhöhung der Kosten für Enzyersatztherapien

In Österreich erhalten zurzeit etwa **120 Patienten** lebenserhaltende **Enzyersatztherapien (EET)**. Die **jährlichen Kosten** liegen zwischen ca. **0,17 bis 1,5 Mill. Euro pro Patienten**, insgesamt geschätzte 50 - 70 Mill. Euro Gesamtkosten pro Jahr.

Von den rund **50 „Financiers“** des österreichischen Gesundheitssystems versuchen manche aufgrund der hohen individuellen Therapiekosten derartige Patienten aus **ihrem Zuständigkeitsbereich auszulagern**.

In der Praxis müssen z.B. durch die **Weigerung bestimmter Krankenkassen** die Kosten für bestimmte Medikamente zu erstatten, Patienten bis zu **4 mal monatlich stationär** aufgenommen werden. Damit **erhöhen** sich unnötigerweise die **Behandlungskosten** um die Spitalskosten. Weiters sind die 50 relativ kleinen „Financiers“ in einer **schlechten Verhandlungsposition** um bei „**Big Pharma**“ nennenswerte Rabatte durchzusetzen, auch wenn zuletzt rührige Versuche zur Allianzbildung unternommen werden.

Der Bitte von Experten, Patientenvertretern, Patientenanwälten und der Volksanwaltschaft um **Finanzierung der teuren EET aus einer Hand** im Jahr 2016 [5] wurde bisher von der Gesundheitsverwaltung nicht nachgekommen.

Die Finanzierung aus einer Hand würde der für die meisten Patienten lästigen und medizinisch nicht gerechtfertigten **Patientenauslagerung die Basis entziehen** und Österreichs **Verhandlungsposition** gegenüber „Big Pharma“ etwas **stärken**.

Am **18.4.2017** wurden alle Unterlagen der damaligen Vorsitzenden des Hauptverbandes der Sozialversicherungen, Mag. **Rabmer-Koller**, vorgelegt. Am **19.4.2017** ist sie wegen „**Reformimmunität des Systems**“ zurückgetreten.

Ob **2018** das „**System**“ **reformfreudiger** ist? (fw)

⇒ [Antrag auf Finanzierung der EET aus einer Hand \[5\]](#)

⇒ [Gastkommentar: Zum Schaden der Patienten \[6\]](#)

Ungleicher Zugang zu hochpreisigen Therapien bei seltenen Erkrankungen? Hochkarätiges Gipfelgespräch auf der Alpbacher Schafalm [7]

„Ein inspirierendes Ambiente auf der Schafalm ist der ideale Nährboden, um ungewöhnliche, innovative Ideen zu entwickeln und gemeinsam über Herausforderungen, Problemstellungen und vor allem über Lösungsmöglichkeiten rund um das österreichische Gesundheitssystem zu diskutieren“, so Mag. Hanns Kratzer von der PERI Group über die 2014 als Denkwerkstatt für Stakeholder, Ex-



24 Top-Experten diskutierten auf der Schafalm über das brisante Thema, wie die Finanzierung von Orphan Arzneimitteln erfolgen soll. [Detail Bild](#) © Gattinger

perten, Entscheidungsträger und Betroffene konzipierten Gipfelgespräche auf der Schafalm. Eines der heurigen Gipfelgespräche im Vorfeld der Gesundheitsgespräche des Europäischen Forums widmete sich den aktuellen Fragen des ungleichen Zuganges zu teilweise hochpreisigen Therapien für Seltene Erkrankungen – im niedergelassenen und stationären Bereich.

Seltene Erkrankungen stellen sowohl eine große medizinische als auch gesellschaftliche Herausforderung dar. Eine hochkarätig zusammengesetzte Runde aus medizinischen Fachexperten, relevanten Stakeholdern und gesundheitspolitischen Entscheidungsträgern diskutierte über mögliche Schritte zur Verbesserung der Versorgungs- und insbesondere auch der Finanzierungssituation, denn die Prognosen über die Kostenentwicklung von Orphan-Arzneimitteln sind gewaltig.

Ein ausführlicher Bericht über das Gipfelgespräch erscheint in der Oktober-Ausgabe des PERISKOP, abrufbar ab Ende Oktober [8]. (ph)

⇒ [35. Gipfelgespräch auf der Schafalm \(Seite 4\)](#) [7]

⇒ [Persikop Oktober 2018](#) [8]

Kostenexplosion Rare Diseases oder rare Kosten mit hohem Wert ?

Zirka 5% der Seltene Erkrankungen sind derzeit mit spezifischen Therapien behandelbar. Steht das solidarisierte Gesundheitssystem hinter Patienten mit hohem medizinischen Bedarf und schlechter Prognose? Die Innovationskraft der pharmazeutischen Industrie muss aufrechterhalten werden, um neue Behandlungsmöglichkeiten auch für kleine Patientengruppen zu ermöglichen.

Die OECD sieht Österreich bei Lohnsteuer und Sozialversicherungsabgaben im Spitzenfeld, gleichzeitig wird behauptet, dass die Innovationen bei seltenen Erkrankungen unser Gesundheitssystem an seine Grenzen bringen – wo liegt die Wahrheit? Wie kann der Balanceakt zwischen Patientenbedürfnissen und Finanzierbarkeit gelingen? Ist eine ganzheitliche Kosten- & Nutzenbetrachtung für das Gesundheitssystem möglich? Wie kann unser Gesundheitssystem seiner Verantwortung nachkommen? Hat Solidarität eine Grenze?

Das Ziel ist gemeinsame Lösungen zu erarbeiten.

RARE DISEASES DIALOG der PHARMIG ACADEMY am 5.11.2018, von 16:00-18:30, im Dachsaaal Urania, 1010 Wien. (Anmeldung ist nötig!) (ch)

⇒ [Rare Disease Dialog der Pharmig-Academy](#) [9]

Europäisches Forum Alpbach 2018: **MED Gesundheitsgespräche** und **35. Gipfelgespräche auf der Schafalm**

Im Rahmen des Europäischen Forums Alpbach fanden unter dem Generalthema „**Diversität und Resilienz**“ von 19. bis 21. August 2018 im Tiroler Bergdorf Alpbach die diesjährigen **Gesundheitsgespräche** statt.

Ulrike Holzer und Dominique Sturz von **Pro Rare Austria** nutzten die Veranstaltung, um sich über aktuelle Entwicklungen zu informieren und sich mit den verschiedenen Stakeholdern auszutauschen. „Wanderschuhe an und rauf auf den Berg“ hieß es für die Damen schließlich bei den **Gipfelgesprächen auf der Schafalm**, welche um die Frage **ungleicher Therapiezugänge bei seltenen Erkrankungen im niedergelassenen und im stationären Bereich** kreisten. Bericht siehe unten (uh, ms, vm)

⇒ [Bericht Gesundheitsgespräche Alpbach 2018](#) [10]

⇒ [Gesundheitsgespräche Alpbach 2018](#) [11]

Gewaltiger **Umbau** im ehemaligen **BM für Gesundheit** vorgesehen?

Mit der Zusammenlegung der BM für Soziales und Gesundheit unter der neuen, türkis-blauen Regierung soll es zu einem gewaltigen Umbau des ehemaligen BM für Gesundheit kommen. Die Sektion III, zuletzt unter provisorischer Leitung von Dr. Arrouas, soll aufgelöst und ihre Agenden in wesentlichen Teilen der Sektion I zugeschlagen werden. Dies erfordert eine Neuausschreibung der Leitung. Der jetzige Chef der Sektion I, Dr. Clemens M. Auer, wird sich angeblich um diese Funktion nicht mehr bewerben.



Dr. Clemens M. Auer

Beide Personen waren an der Schaffung des NAP.se und dessen Umsetzung primäre Ansprechpartner im Ministerium. Dr. Arrouas zeichnete für die laufenden Geschäfte verantwortlich und soll diese Funktion weiter behalten. Dr. Auer, der für die Anliegen des NAP.se immer ein offenes Ohr hatte und die österreichweite, verbindliche Ausrichtung der Referenzzentren durchsetzte, soll Agenden bei der WHO übernehmen. Angeblich soll auch die NKSE aus der GÖG verlagert werden. Für alle, die an seltenen Erkrankungen interessiert sind, ist es wichtig, dass sie weiter klare und engagierte Ansprechpartner im BM haben und der NAP.se zügig umgesetzt wird. Frau Bundesminis-

terin Hartinger-Klein hat dies bei Ihrer Vorstellung im Billrothhaus am 24.1.2018 zugesagt. Es ist absolute Eile geboten; der europäische Zug mit den European Reference Networks (ERNs) ist wahrscheinlich bereits uneinholbar vorgeprescht. Wir alle warten auf die nächsten Schritte. (fw, hd)

⇒ [Presse-Report vom 12.07.2018](#) [12]

Und wieder ist ein Jahr geschafft! Das **Pro Rare Projekt** feiert den **2. Geburtstag**

Pro Rare Austria arbeitet seit September 2016 an einem **Förderprojekt** aus den „Gemeinsamen Gesundheitszielen“ mit dem Titel „**ProNAP – Unterstützung der Umsetzung des NAP.se**“, über welches Beiträge zu 22 Maßnahmen aus dem Nationalen Aktionsplan für seltene Erkrankungen geleistet werden. Im zweiten Projektjahr standen das **Generieren und Verbreiten** von Wissen über die **Selbsthilfe für seltene Erkrankungen** und damit verbunden der Aufbau von Wissensplattformen, die Initiierung von Veranstaltungen zum Thema, die Entwicklung von Informationsmaterial sowie die Mitarbeit in relevanten Entscheidungsgremien im Vordergrund. (vm)

⇒ [Bericht von Victoria Mauric](#) [13]

Short News

Neues zu den „Affilierten Partnern“:

⇒ [Statement on the Timeline for designation](#) [14]

⇒ [Rules of termination](#) [15]

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀◀

13.09.2018

Gesundheit im Dialog: 5 statt 21 – Wie gelingt eine effiziente, moderne und bürgernahe Sozialversicherung?

⇒ [Gesundheit im Dialog](#) [16]

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀◀

11.-14.11.2018

From Rare to Care: Discovery, Modeling and Translation of Rare Diseases (S4)

⇒ [Keystone Symp. on Molec. & Cell. Biol.](#) [17]

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀◀

28.02.2019 18:15 – 22:00

lange nacht der seltenen erkrankungen

Apothekertrakt, Schloss Schönbrunn

Grünbergstrasse, 1130 Wien

⇒ [Details demnächst unter Forum SK](#) [18]

Anmeldung: s.nistl@medahead.at

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀◀

... auch relevant

56. Jahrestagung der
Österreichischen Gesellschaft für
Kinder- und Jugendheilkunde
27. - 29. September 2018
Design Center Linz

Kinderarzt-Quo vadis
Von der Primärversorgung bis zum
Whole Genome Sequencing



Von der Primärversorgung zum Whole Genome Sequencing.

Das ist das Motto der diesjährigen Jahrestagung der **Österreichischen Gesellschaft für Kinder- und Jugendheilkunde**. Damit soll die Breite dieses Faches zum Ausdruck gebracht werden und der praktische Aspekt im Vordergrund stehen.

Seltene Erkrankungen sind in Summe nicht selten und sollten daher für alle Kinder- und JugendärztInnen von **Relevanz** sein. **Orphan Drugs** sind ein **heiß diskutiertes Thema** - nicht nur für die Krankenhäuser.

Es gibt immer mehr **offene Kinderarztstellen**. Wohin geht die Entwicklung der KinderärztInnen als Primärversorger? Die Medizin wird zunehmend weiblich. Die **Ordinationsstrukturen** sind **vielfach nicht adäquat**. Das **Tarifsystem** ist uneinheitlich, kompliziert und oft **unbefriedigend**. Wie können wir unsere Kolleginnen und Kollegen besser auf den Schritt in die Praxis vorbereiten? Was kann das „System“ zu einer **Verbesserung beitragen**? Diese Fragen werden wir in einer Plenarsitzung mit Vertretern des Hauptverbandes, des Gesundheitsministeriums und unserer Gesellschaft erörtern.

Wie sieht es in den **benachbarten Ländern** mit der Versorgung durch Kinder- und Jugendärzte aus? Dazu sind Berichte aus der **Schweiz, Deutschland und Frankreich** vorgesehen.

Alle diese Themen werden 2018 – wie üblich - in zahlreichen praxisrelevanten Sitzungen vorgestellt und diskutiert (ks)

Details unter:

⇒ [56. Jahrestagung der Österreichischen Ges. Kinder- u. Jugendheilk](#) [19]

12. Jahrestagung der Politischen Kindermedizin Medizinisch-therapeutische Versorgung von Kindern und Jugendlichen Wer hat die Verantwortung? Wer nimmt sie wahr?



Foto: © R.Pisepok

9. – 10.11.2018

Salzburg, Parkhotel Brunauer

Warum fallen Patienten oft aus der Versorgung, obwohl jeder sein Bestes gibt?

Wie werden meine **Entscheidungen** durch **Systemkräfte** oder **unbewusstes Rollenverhalten** beeinflusst? Wie groß ist **mein Spielraum** wirklich? Wie sind **Verantwortlichkeiten** zwischen **Politik und Sozialversicherung** verteilt?

Diese und ähnliche Fragen sind die Thematik der heurigen **12. Jahrestagung** der Politischen Kindermedizin.

Bezogen auf das **Gesamtsystem**, die **Versorgung im Speziellen** und die **individuelle Ebene des Behandlers** werden in **4 Sitzungen** Hintergründe und Fakten präsentiert und zur Diskussion gestellt.

Ein **Round Table** mit Verantwortlichen des Gesundheitsbereiches rundet die Tagung ab.

ReferentInnen sind u.a:

Ulrich Hoffrage, Institut für Organisationsverhalten, Universität Lausanne

Walter Pfeil, Bereich Arbeits- und Wirtschaftsrecht, Universität Salzburg

Claudia Wild, Boltzmann-Institut für Health Technology Assessment, Wien

Tanja Pfleger, Sigmund Freud Privatuniversität, Wien

Anna Glechner, Dept. Evidenzbasierte Medizin, Donau-Universität Krems

Thomas Lion, Labida Labordiagnostik GmbH, St. Anna Kinderkrebsforschung Wien

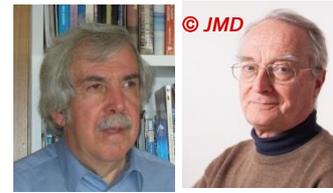
Enrique H. Prat de la Riba, Institut für medizin. Anthropologie und Bioethik, Wien (et)

Details unter:

⇒ [12. Jahrestagung der Politischen Kindermedizin](#) [20]

Editorial

Die Entwicklung einer zunehmenden Anzahl von **Orphan-Drugs** während der letzten beiden Jahrzehnte hat dazu geführt, dass heute doch bereits eine nennenswerte Anzahl von **seltenen Erkrankungen** relativ gut therapiert werden kann und ihnen oft ein stark verbessertes Leben ermöglicht (s.S.2 und 4). Diese Entwicklung ist begrüßenswert, sollte gefördert und nicht behindert werden.



Der **Wermutstropfen**: Die **Kosten für Orphan-Drugs** steigen bis 2024 weltweit jährlich um **11 bis 12 Prozent** und werden dann voraussichtlich etwa 20 Prozent des Medikamentenmarktes ausmachen [3]. Die österreichische Bundesregierung hat sich bei den jährlichen **Gesundheitsausgaben** auf **Wachstumsraten von 3,2 Prozent** bis 2021 geeinigt [21]. Diese Diskrepanz muss zu Problemen führen und ist diesen Sommer bei der Einführung von Spinraza® schlagartig ins öffentliche Bewusstsein getreten. Und der nächste Schritt steht kurz bevor: eine neue immunmodulierende Therapie für B-Zell-Lymphome soll noch im Herbst für Europa zugelassen werden. Kosten rund 400.000 Euro pro Patient [22].

Wie kann dieser Entwicklung, die von einer finanziell überschaubaren Größe auf dem Weg zum finanziellen Debakel ist, **entgegen gewirkt werden**? Theoretisch denkbar wäre, dass etwa die österreichische Politik und Gesundheitsverwaltung alle Therapien **aus einer Hand** begleichen. Dies würde hausgemachte Zusatzkosten vermeiden und vielleicht ein paar Prozent Rabatt beim Arzneimittelkauf bringen (s.S.4). Oder **Big Pharma**, eine der bestverdienenden Branchen, ließe sich auf eine **Gewinnbremse** ein. Das Motto müsste lauten: Kosten plus eine vernünftige Kapitalrendite (s.S. 1;[1]). Ein Weg, der nur auf europäischer Ebene durchsetzbar wäre. Oder die öffentlichen **Krankenkassen** würden sich eher in Richtung **Risikoversicherung** hin entwickeln, die schwere Notfälle verlässlich deckt, aber nicht jede „Kleinigkeit“. Müssen Heil- und Kurbädereaufenthalte im jetzigen Ausmaß öffentlich finanziert werden? Letztlich ließe sich natürlich auch bei der Regierung / Bevölkerung anfragen, ob die **Wachstumsrate für Gesundheitsausgaben** nicht doch um ein Zehntel hinter dem Komma **höher** sein könnte. Es ließe sich schon an einigen Schrauben drehen, auch wenn es kein Honiglecken würde.

Was **nicht geht**, ist **weiter so** wie bisher: Die Kosten werden wesentlich von den Krankenhaueraltern getragen, dafür werden andere wachzunehmende Aufgaben von ihnen nicht mehr adäquat finanziert: z.B. nötige Personal- und Sachausstattung der Abteilungen, bis hin, dass WC-Türen nicht neu gestrichen werden. Schlagwort Opportunitätskosten (s.S.1 und [1]). Dies trifft besonders die pädiatrischen Einrichtungen, weil sie zahlreiche Patienten mit OD Bedarf betreuen und Kinder eine besonders intensive persönliche Betreuung benötigen.

Was **gar nicht gehen sollte**, ist Sparen auf **Kosten des Überlebens** von Patienten (s.S.2 und 4). Wobei der effiziente Einsatz von öffentlich finanzierten, hochpreisigen Therapien außer Streit gestellt sein muss.

Franz Waldhauser

Hans Deutsch

- ⇒ [van Egmond & Schmitt Msch. Kinderh. 166, 785-97 \(2018\) \[1\]](#)
- ⇒ [Orphan Drug Report 2018 \[3\]](#)
- ⇒ [Parlamentskorrespondenz Nr. 534 vom 05.05.2017 \[21\]](#)
- ⇒ [FAZ-Zulassung neuer Krebstherapie \[22\]](#)

Impressum/ Offenlegung (§§ 24, 25 MedienG)

Medieninhaber und Herausgeber : Franz Waldhauser, 1060 Wien, Amerlingstrasse 4 /20; E-Mail: 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*), Michaela Weigl (*mw*), Mag. Petra Hafner (*ph*), Dr.Christa Holzhauser (*ch*), Mag. Dominique Sturz (*ds*), Ulrike Holzer (*uh*); Dipl.-Ing. Victoria Mauric (*vm*), Prim. Univ.-Prof. Dr. Klaus Schmitt (*ks*), HR Dr. Ernst Tatzert (*et*).

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

Kontakt, Informationsaustausch oder Beendigung der Zusendung des Newsletters unter: 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

Mit wegweisenden Therapien komplexen Krankheiten begegnen.

IHR PARTNER BEI LYSOSOMALEN SPEICHER-KRANKHEITEN

www.genzyme.at

SANOFI GENZYME

Detaillierte Adressen der Links:

- [1] van Egmond & Schmitt Monatssch. Kinderheilk.. 166, 785-97 (2018)
<https://link.springer.com/content/pdf/10.1007%2Fso0112-018-0518-y.pdf>
- [2] 56. Jahrestagung der ÖGKJ
<http://www.paediatric2018.at/>
- [3] Orphan Drug Report 2018
<http://info.evaluategroup.com/rs/607-YGS-364/images/OD18.pdf>
- [4] Detailliertes Kongressprogramm
https://www.forum-sk.at/seltene_krankheiten/
- [5] Antrag auf Finanzierung der EET aus einer Hand
http://www.polkm.org/archive/Enzym_Antrag_1606.pdf
- [6] Gastkommentar: Zum Schaden der Patienten
<https://diepresse.com/home/meinung/gastkommentar/5416954/>
- [7] 35. Gipfelgespräch auf der Schafalm
http://www.periskop.at/ausgaben/PER82_final.pdf (Seite 4)
- [8] Persikop Oktober 2018
www.periskop.at
- [9] Rare Disease Dialog der Pharmig-Academy
<https://www.pharmig-academy.at/fortbildung/unser-aktuelles-fortbildungsangebot/seminar/detail/70/>
- [10] Bericht Gesundheitsgespräche Alpbach 2018
<https://www.prorare-austria.org/newsroom/aktuelles/news/europaeisches-forum-alpbach-med-gesundheitsgespraeche-und-gipfelgespraeche-auf-der-schafalm/>
- [11] Gesundheitsgespräche Alpbach 2018
<https://www.alpbach.org/de/event/med18/>
- [12] Presse-Report vom 12.07.2018
<https://diepresse.com/home/innenpolitik/5462977/Dirigent-der-Gesundheitsreform-verliert-durch-MinisteriumsUmbau-Job>
- [13] Bericht von Victoria Mauric
https://www.prorare-austria.org/fileadmin/user_upload/news/ProNAP_Artikel_2Geburtstag_2018o821.pdf
- [14] Statement on the Timeline for designation
https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2018_statementtimeline_ap_en.pdf
- [15] Rules of termination
https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/2018_rulestermination_ap_en.pdf
- [16] Gesundheit im Dialog
<https://www.prorare-austria.org/newsroom/veranstaltungen/event/gesundheit-im-dialog/>
- [17] Keystone Symp. on Molec. & Cell. Biol.
<http://www.keystonesymposia.org/18S4>
- [18] Details demnächst unter Forum Seltene Krankheiten
https://www.forum-sk.at/seltene_krankheiten/wp-content/uploads/2018/02/2018_LN_Selt-Erkrankungen_EINL_310118.pdf
- [19] 56. Jahrestagung der Österreichischen Ges Kinder- Jugendheilkunde
<http://www.paediatric2018.at/>
- [20] 12. Jahrestagung der Politischen Kindermedizin
http://polkm.org/meetings/ann_meeting_18/salzb_18.pdf
- [21] Parlamentskorrespondenz Nr. 534 vom 05.05.2017
https://www.parlament.gv.at/PAKT/PR/JAHR_2017/PK0534/
- [22] FAZ-Zulassung neuer Krebstherapie
<http://www.faz.net/aktuell/wirtschaft/mehr-wirtschaft/neue-krebsmedikamente-wecken-hoffnung-auf-heilung-15754273.html>
- [Bild] 24 Top-Experten diskutierten auf der Schafalm
https://www.expertisenetze.at/storage/veranstaltungen/2018_Teilnehmer-Schafalm.pdf