

Dezember 2020

3 / 4 2020

# News-letter

Schwerpunkte und Netzwerke für Seltene Erkrankungen

**PÄDIATRIE & PÄDOLOGIE**  
Österreichische Zeitschrift für Kinder- und Jugendheilkunde

**Seltene Erkrankungen**  
Probleme und Lösungsmöglichkeiten

**Joint Meeting**  
**10. Kongress für seltene Erkrankungen**  
**13. Jahrestagung Politische**  
**Kindermedizin**  
**Jahrestagung Pro Rare Austria**

Herausgeber:  
Univ. Prof. Dr. Johann Deutsch  
Univ. Prof. Dr. Martin Laimer  
Univ. Prof. Dr. Franz Waldhauser

In Zusammenarbeit mit der

**ÖGKJ**  
ÖSTERREICHISCHE GESELLSCHAFT  
FÜR KINDER- UND JUGENDHEILKUNDE  
www.paediatr.at

 **pro rare austria**  
WIRTSCHAFTS UNIVERSITÄT WIEN

## Das Supplement zum Joint Meeting von FSK, PKM und ProRare Austria in Salzburg, November 2019

Das Supplement 3 von Pädiatrie Pädologie 55, 2020 fasst die Mehrzahl der Vorträge des Joint Meeting 2019 zusammen, das vom Forum Seltene Krankheiten erstmals gemeinsam mit

der Politischen Kindermedizin und ProRare Austria in Salzburg veranstaltet wurde, und damit erstmals alle an diesem Thema Interessierten zusammenbrachte.

Die Tagung war vor allem 3 Hauptthemen gewidmet:

### 1) Bewältigung der hohen Kosten für neue Orphan Drugs:

**C.M. Auer** zeigte eingangs, dass hoch entwickelte Gesundheitssysteme prinzipiell auch hohe Kosten von Innovationen immer integrieren können, dazu braucht es aber ein willensstarkes Management für eine systemische Reallokation der Finanzmittel und eine Selbstdisziplin in der Medizin, d.h. dass nicht alle im fragmentierten Medizinbetrieb alles machen können/dürfen/sollen. Einige Probleme müssten in Zukunft gelöst werden: nicht nur die wissenschaftliche Evidenz, sondern auch die wahren Kosten der neu entwickelten Orphan Drugs (OD)/Therapien müssen in Zukunft offengelegt bzw. objektiv bewertet werden. Vor allem müssen auch die vom Staat finanzierten und öffentlich zugänglichen wissenschaftlichen Ergebnisse im Preis der OD ausreichend berücksichtigt werden. Dies muss auch gesetzlich sichergestellt werden, um den Zugang zu den Therapien für alle PatientInnen in der EU zu ermöglichen.

**M. R. Baumgartner** berichtete über die Situation in der Schweiz, die von der in Österreich nicht sehr unterschiedlich ist: auf Grund eines Entscheids des Schweizerischen Bundesgerichts werden derzeit 100.000 Franken für ein gerettetes Menschenlebensjahr als angemessen betrachtet. Dies führt dazu, dass der Zugang zu OD für jede/n einzelne/n Patienten/in verhandelt werden muss.

Die Sicht der Industrie erläuterte **M. Satory**: ausgehend von den über die letzten 10 Jahre trotz steigender Ausgaben für die Entwicklung von OD gleich gebliebenen Arzneimittelkosten von 12-13% der Ausgaben im Gesundheitssystem wies er v.a. auf das hohe finanzielle Risiko hin, das die Entwicklung von OD für die Industrie bedeutet. Die Entwicklungs- und Markteinführungskosten müssten sich trotz geringer Zahlen von PatientInnen/OD mehr als amortisieren.

Ein verbessertes Modell der Zusammenarbeit zwischen EU, Industrie, ForscherInnen und PatientInnen (MoCA) zeigte laut **A. Buscics**, dass der Zugang von PatientInnen zu OD durch internationale Kooperation und einen intensiven Austausch zwischen allen Stakeholdern gesichert werden kann. Die Ausführungen des Juristen **E. Starz** von der Steiermärkischen KAGES zu den Problemen der Finanzierung wurden leider nicht zur Publikation frei gegeben, da sie derzeit noch nicht offiziell publiziert sind und auch die zuständigen Rechtsinstanzen noch nicht durchlaufen haben, d.h. dass sie eine Privatmeinung darstellten. Einige Punkte wurden während der anschließenden von **R. Kerbl**

geleiteten Round-Table Diskussion besprochen und im Supplement publiziert.

### 2) Ist eine Schwerpunktsetzung in der Kinderchirurgie sinnvoll?

Die in dieser Sitzung gebrachten Ausführungen zu Seltenen Erkrankungen im Bereich der Kinderchirurgie und zur Einrichtung entsprechender Zentren in Österreich waren besonders spannend: Der derzeitige Stand und die Ausgangspunkte wurden von **S. Deluggi** (aus Sicht der jüngeren Kinderchirurgen) und **J. Schalamon** (aus Sicht der Österreichischen Gesellschaft für Kinderchirurgie) gebracht: Voraussetzung sind verlässliche österreichweite Daten. Die Ausführungen von **G. Fülöp** zeigten, dass diese bezüglich der Seltenen Erkrankungen im Bereich der Kinderchirurgie derzeit noch nicht existieren. Aus europäischer Sicht (**E. K. H. Schmiedeke**, Bremen), aus der Sicht der Hand-Missbildungschirurgie (**H. Piza-Katzer**), der Kinder-Herzchirurgie (**R. Mair**, **G. Tulzer**) und aus Sicht der PatientInnen und deren Eltern (**N. Schwarzer**) wäre die Konzentration der Operationen auf einige wenige Zentren sinnvoll.

Durch die an diese Tagung anschließenden Gespräche zwischen den zuständigen Stellen sind die Aussichten auf die Einrichtung und Finanzierung von Registern für Seltene Erkrankungen in diesem Bereich deutlich gestiegen, sodass trotz der derzeitigen Pandemie mit einem baldigen Beginn dieses Registers gerechnet werden darf.

### 3) Der aktuelle Stand der Umsetzung der physischen und psychischen Kinder- und Jugendrehabilitation in Österreich wurde von **B. Lienbacher** und **W. Sperl** behandelt:

Seit 2018 wurden 5 von 6 geplanten Zentren in 4 Versorgungszonen eingerichtet und die ersten Patienten betreut. Die Weiterentwicklung sollte durch regelmäßige Vernetzungstreffen der Zentren untereinander und der Vertreter der Kinder- und Jugendheilkunde und der Kinder- und Jugendpsychiatrie begleitet werden. Die Etablierung einer Transitionskultur an der Schwelle zum Erwachsenenalter unter Einbindung der Erwachsenen-Mediziner, Einrichtungen zur Qualitätssicherung und die Überwindung der vorhandenen Sprachbarrieren sollte auch hier rasch gelingen.

Alle Hauptthemen wurden durch Round-Table-Diskussionen abgeschlossen.

Die Tagung umfasste zusätzlich noch medizinisch-wissenschaftliche Berichte und Mitteilungen über aktuelle Modelle zur Verbesserung der Betreuung und Mitwirkung der betroffenen PatientInnen. Abschließend versuchte **T. Voigtländer**, einen Aus-

blick auf die nächsten Schritte bei der Umsetzung des NAP.se und Einrichtung weiterer Expertisezentren zu geben. Derzeit verfügt Österreich über 9 Expertisezentren in 8 medizinischen Fachbereichen, zusätzlich wurden 42 Einrichtungen als Assoziierte Nationale Zentren der EU-Kommission gemeldet, sodass Österreich in allen Europäischen Referenznetzwerken (ERN) vertreten ist. Wegen der Verschiedenheit der Expertise in weiteren Ein-

richtungen wird die weitere Definition von Expertisezentren wahrscheinlich in Form von Round-Table-Sitzungen organisiert werden müssen. Die Designationen als Expertisezentren sind vorerst für 5 Jahre geplant, danach sollen sie in regelmäßigen Abständen für weitere Perioden verlängert werden. (hd)

⇒ [Päd. & Päd. 55: Supplement 3 \(2020\) \[1\]](#)

## **Fünf Jahre Kampf um den gemeinsamen „Topf“. Ist eine Lösung bei der Finanzierung d. Enzyersatztherapien in Sicht?**

Seit der Einführung der Enzyersatztherapien vor rund 20 Jahren gibt es wegen der hohen Therapiekosten das **Patienten-Karussell**. Das geht so: Das Management eines kleinen Spitals versucht einen Patienten in ein größeres Spital abzuschicken, um die hohen Medikamentenkosten zu vermeiden, die bei dieser Therapie anfallen. Dieses versucht, ihn an eine Uniklinik, in ein anderes Bundesland zu verschieben (anderer Finanzier). Alle miteinander suchen ihn in den niedergelassenen Bereich (Finanzier: KK) zu verlagern. Diese verweigern mit fadenscheinigen Gründen die Kostenübernahme für Medikamente: Hollodaroo, das Radl rennt, und der Patient mit ihm.

Seit fünf Jahren kämpfen wir mit anderen darum, den Irrsinn zu beenden (s. Graphik). Beim Ombudsmann, bei der Volksanwaltschaft, im Parlament [2a,b], in der Öffentlichkeit [3a,b], zuletzt vor Gericht. Eine gemeinsame Finanzierung, alle Finanziere zahlen in einen Topf, daraus werden die Medikamente beglichen und am Best Point of Service dem Patienten verabreicht. Einfach!! Nicht wirklich, wenn man sich nicht einigen kann, wer wie viel in den Topf legt.

Theoretisch sollte es mit der Zusammenführung der Gebietskrankenkassen einfacher geworden sein. Ist es aber nicht (siehe nebenstehende Berichte der Eltern).

Im Sommer hat der Chef der neuen Gesundheitskasse angekündigt, er werde eine Lösung anstreben, bei der Krankenkassen und Länder die Hälfte in den Topf legen.

Im Oktober hat BM Anschöber die Unterstützung zugesagt und auch, dass er das Thema wieder auf die Tagesordnung der Bundeszielsteuerungskonferenz setzen würde.

Vielleicht stoppt die Politik das Patientenkarussell jetzt doch?

Wir werden am Schicksal der beiden unten dargestellten Familien ablesen, ob wir im April 2021 das 5-jährige Aktionsjubiläum als Freudenfest oder Trauerfeier begehen können.

Wie sagt die Mutter von Faruk nach 5 Jahren Kampf? „Es gibt noch immer Hoffnung“.

..... so war es vor 5 Jahren:

Von: [REDACTED]@hotmail.de  
Datum: 2016-05-25 06:15:40  
Betreff: Familie [REDACTED]  
CC:

Sehr geehrte Damen und Herren,  
Ich bin [REDACTED] Gülsen, mein Sohn heißt Faruk und hat eine seltene Krankheit ( MPS Typ IVA ). Unsere Mitglieds-Nummer lautet: [REDACTED] mein Sohn bekommt jede Woche Enzyersatztherapie , darum geht er am Freitag ins Spital und bleibt bis Samstag. Seit 2012, Februar ist er jede Woche nach Frankfurt gefahren, und seit 2014, Juni besucht er AKH. Wir wollen Heimtherapie, aber [REDACTED]KK hat wegen Kosten zwei Mal abgelegt. Muss Faruk warten, bis Heimtherapie genehmigt werde oder könnten Sie uns behilflich sein.

Anbei sende ich den Bescheid von [REDACTED]KK.  
Mit freundlichen Grüßen  
Mein Mail : [REDACTED]@hotmail.de

Wir konnten dem Kinde und der Mutter bisher nicht helfen. Die Mutter hat am 9.5.2019 die KK geklagt, seit 3.8.2020 ruht das Verfahren.

Heute, Freitag den 27.11.2020 11:50, ist die Mutter mit ihrem Sohn gerade wieder im AKH zur Medikamentengabe.

Ja, und die Mutter hat noch immer Hoffnung.



congratulations



An die Bundes-Zielsteuerungskommission  
z.H. von [REDACTED]  
Bundesministerium für Gesundheit  
Radetzkystraße 2  
1030 Wien

Wien, den 11. Mai 2016

Sehr geehrte Damen und Herren der Bundes-Zielsteuerungskommission!

Die unterzeichnenden Organisationen treten an Sie mit folgendem Anliegen heran:

Im Rahmen von Stoffwechselerkrankungen, für deren Behandlung eine **sehr teure Enzymerersatztherapie** benötigt wird, kommt es aufgrund der hohen Finanzierungskosten – 0,25 bis 1,5 Millionen Euro pro Patient pro Jahr – österreichweit in Summe ca. 20 bis 30 Millionen – **oft zu Dissonanzen** unter den potentiellen Kostenträgern über die Kostenübernahme. Dies führt nicht selten **zu beträchtlichen Verzögerungen im Therapiebeginn** und zu kaum zumutbaren Behandlungsorten. Der **Streit** geht um die Frage, ob die nötigen Infusionstherapien stationär, halbstationär oder ambulant durchgeführt werden. Davon hängt ab, ob die **Medikamentenkosten vom Krankenträger oder der Sozialversicherung** zu tragen sind. In der angeschlossenen Dokumentation wird die generelle Problematik und ein Lösungsansatz aufgezeigt, aber auch in welcher grotesken Situation manche Patienten kommen (siehe Anlage).

Wir bitten Sie zur Lösung des Finanzierungsproblems eine „**Topf-Lösung**“ unter den beteiligten Finanzierern zu verhandeln, die folgende Komponenten enthält:

- Bildung eines „**Fonds**“, in den Versicherungen, Länder und Bund nach einem auszuverhandelnden Schlüssel einzahlen.
- Aus diesem Topf werden **alle in Österreich durchgeführten Enzymerersatztherapien bezahlt**. Die Therapien werden am „**best point of service**“ durchgeführt, z.B. Univ.-Klinik, Regionalkrankenhaus oder niedergelassener Arzt (in der Praxis oder beim Patienten zu Hause).
- Die **Indikation** für diese wenigen, sehr teuren Therapien und der „**best point of service**“ werden durch die zu bildenden **Kompetenzzentren für Stoffwechselerkrankungen** lt. Nationalem Aktionsplan für seltene Erkrankungen (NAP.se) gestellt. Bei der Definition des „best point of service“ ist das Prinzip „so wohnortnahe als medizinisch vertretbar“ zu beachten.

Ao.Univ.-Prof. Dr. Daniela Karall  
Forum Seltene Krankheiten

Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Sperl  
Österr. Ges. f. Kinder- u. Jugendheilk.

Ao.Univ.-Prof. Dr. Franz Waldhauser  
AG Schwerpunktsetz. in der Pol. Kindermedizin

Dr. Rainer Riedl  
Pro Rare Austria

Dr. Gerald Bachinger  
ARGE Patientenanhältinnen

Dr. Peter Fichtenbauer  
Österr. Volksanwaltschaft

Dr. Günther Kräuter  
Österr. Volksanwaltschaft

..... und so ist es heute:

**Von:** Peter [REDACTED].  
**Betreff:** Heimtherapie für Finn ..... / Politische Kinder Medizin  
**Datum:** 5. November 2020 um 08:21:53 MEZ  
**An:** [REDACTED]  
Sehr geehrter Herr Prof. Deutsch,

Wir haben Ihren Kontakt von Frau Dr. [REDACTED] bekommen.  
Unser Sohn Finn (6 Jahre alt) ist seit Anfang 2019 bei ihr mit einer angeborenen Stoffwechselerkrankung MPS II (Morbus Hunter) in Behandlung. Dabei erhält er 1x/Woche eine Enzyersatztherapie (Gesamtdauer ca. 4 h in der Tagesambulanz der Kinderklinik [REDACTED]). Er hat bisher eine milde Verlaufsform ohne kognitive Beeinträchtigung.  
Seit Sept. 2020 geht er in die 1. Klasse Volksschule. Nachdem die Tagesambulanz nur für Vormittagsbetrieb eingerichtet ist, versäumt er leider jede Woche 1x/Woche den Unterricht (dzt. ab der 3. Stunde.)  
Es wird von Frau Dr. [REDACTED] schon seit vorigem Jahr versucht, eine Heimtherapie hierfür zu bekommen, was in anderen Österr. Bundesländern möglich ist.  
Mit dieser würde Finn nicht wöchentlich von der Schule fehlen müssen, was neben der Schulleistung für ihn zunehmend auch ein soziales und emotionales Problem darstellt.  
Leider wurde diese Heimtherapie bereits 3x abgelehnt. Wir sind auch seit vorigem Jahr in Kontakt mit der Volksanwaltschaft, was aber bisher nichts gebracht hat.  
Auch gibt es einen Verein MPS Austria, welcher auch andere solche Fälle in Österreich kennt.

Wir möchten gerne dafür kämpfen, dass diese Heimtherapie Kindern in ganz Österreich gleichermaßen ermöglicht wird und würden uns freuen, wenn Sie uns dabei helfen könnten.

Vielen Dank im Voraus,

Mit freundlichen Grüßen,  
Claudia [REDACTED] und Peter [REDACTED] (Finns Eltern)

Was soll man diesen Eltern raten, damit sie zu der nach jeder medizinischen Logik vernünftigen Heimtherapie kommen?

Was würden Sie raten? (fw)

⇒ Parl. Anfrage von Karl Öllinger-29.6.2017 [2a, b]

⇒ Publikation in Tages- und Fachpresse [3a, b]

## Orphan Drugs für seltene Krankheiten - Recht auf Behandlung

Die rasch steigenden Zulassungen von Orphan Drugs (ODs) zur Behandlung Seltener Erkrankungen (SE) belasten aufgrund der hohen Einzelpreise unser finanziell limitiertes Gesundheitssystem. Ak-

tuell sind an die 8.000 SE bekannt. Jährlich werden es um etwa hundert mehr. Sechs Prozent der Bevölkerung haben eine SE, die Hälfte davon sind Kinder. Die dafür anfallenden Kosten übersteigen bereits die Budgets vieler Kinderabteilungen. Einzelne Krankenhäuser lehnen aus diesem Grund Behandlungen ab.

Die EU hat zwar gesetzliche Rahmenbedingungen für den Orphan Drug Status geschaffen. Kostenverhandlungen sind Ländersache geblieben. Die weitgehende Freiheit bei der Preisgestaltung und eine Monopolstellung für 10 bis 12 Jahre machen ODs für die Pharmafirmen zum attraktiven Markt. Die Zahl der Anträge auf OD Status hat sich seit dem Jahr 2000 verzehnfacht. Jährlich kommen 10 - 20 neue ODs dazu. Schon 2016 betrug der OD Umsatz weltweit 100 Milliarden, mit prognostizierten Steigerungsraten bis zu zehn Prozent jährlich. Die Preisgestaltung ist nicht unser Thema. Sie gehört EU weit gelöst. Trotzdem dürfen wir sie nicht ganz beiseiteschieben. Die Kostenübernahme von ODs darf nicht zu Einschränkungen in anderen Bereichen führen. Im Moment (Corona bedingt) spielt Geld für die Gesundheitsversorgung scheinbar keine Rolle. Es wird aber ein ernüchterndes Erwachen geben. Ohne längerfristige Sparkurse wird es nicht gehen. War es schon bis jetzt schwierig, die Finanzierung teurer Therapien zu regeln, wird es in der Zukunft ganz sicher nicht einfacher. Es gibt in manchen Ländern Überlegungen, dem Einzelnen das Recht auf eine wirksame Behandlung dort abzusprechen, wo überhöhte Kosten die Gesundheit der restlichen Bevölkerung unverhältnismäßig schmälern könnten. Im Hinblick auf die zu erwartenden Sparmaßnahmen nach Corona ist es wichtig, dass wir uns entsprechend aufstellen. Die Finanzierung der Enzyersatztherapien zur Behandlung lysosomaler Speicherkrankheiten steht nach vielen Jahren zäher Verhandlungen vor einem Abschluss. Die Kosten für Personal-, Zeitressourcen und Register in spezialisierten Zentren werden dagegen noch nicht adäquat abgegolten. Wir brauchen diese Ressourcen, um Indikationsstellung, Überwachung des Therapieverlaufs und auch über einen eventuell indizierten Therapieabbruch befinden zu können. Dabei handelt es sich bei den Enzyersatztherapien nur um einen Bruchteil des jetzt schon etablierten Einsatzgebietes für OD. Denken Sie auch an andere Bereiche, wie Ersatz der Blutfaktoren, Immuntherapien, die gerade aufkommenden Gentherapien und das gesamte Spektrum der personalisierten Medizin. Die Behandlungen mit teuren ODs erfolgen in Österreich meist intramural. Mit der zunehmenden Zahl an ODs wird die finanzielle Last weiter zunehmen. Die Kostenübernahme eines neuen teuren (manchmal nicht besonders gut wirksamen)

onkologischen Medikamentes ist einfacher zu erreichen, als für pädiatrische ODs. Warum?

Wir sollten die Entwicklungen der teureren Medikamente, die in den nächsten Jahren mit großer Wahrscheinlichkeit zugelassen werden, erfassen und schon jetzt "Budgetpläne" erstellen. Eine Aufstellung durch die Spezialistinnen in den Kliniken soll vorab diese Berechnungen ermöglichen. Meines Erachtens wäre es ideal, wenn es in Österreich für Seltene Erkrankungen abteilungsübergreifende Expertenrunden zur Beurteilung von Behandlungsindikationen gäbe. Patientenregister ermöglichen eine objektive Darstellung der Behandlungsergebnisse, über die Kostenträger nicht hinwegsehen können.

Nutzwertanalysen stellen zusätzliche Kosten durch ein Medikament dem Gewinn an Lebensjahren und der Verbesserung der gesundheitsbezogenen Lebensqualität gegenüber. Wird auf Basis entsprechender Studien und Analysen ein Wirkungsnachweis erbracht, sollte (= muss) die Finanzierung analog zu den Enzymersatztherapien erfolgen. Ziel sollte eine vor Ort Behandlung in Zusammenarbeit mit einem Zentrum sein, ohne Diskussionen um die Kostenübernahme. (ks)

- ⇒ [Preisbegrenzung für Orphan-Drugs](#) [4]
- ⇒ [DÄ - Diskussion über hochpreisige Therapien](#) [5]
- ⇒ [Medizinethiker für Preisdeckelung](#) [6]
- ⇒ [Arzneimittelexperten kritisieren Preispolitik](#) [7]

## Zentren für Seltene Erkrankungen in der Schweiz:

In der Schweiz gibt es 2 verschiedene Arten von Zentren:

- 1) Zentren für Erkrankungen mit besonders hohem diagnostischen und therapeutischen Aufwand (siehe Sennhauser FH, Wapf B: Schweiz - Organisation und Konzentration der Hochspezialisierten Medizin, und Neuhäus TJ: Hochspezialisierte Medizin in der Schweiz: Sicht des Kinderspitals Luzern (in Päd Pädol 50, 2015, Supplement 2, S42-S51) [8 a, b, c]
- 2) Zentren für Seltene Erkrankungen: derzeit sind aktuell 6 Zentren für seltene Krankheiten von der Nationalen Koordination Seltene Krankheiten (kosek) anerkannt [9 a, b]:

Zentren für seltene Krankheiten sind interdisziplinäre Anlaufstellen, an die sich Patientinnen und Patienten mit unklarer Diagnose wenden können, um vertiefte Abklärungen zu machen und eine Di-

agnose zu erhalten. Die Zentren arbeiten krankheitsübergreifend und koordinieren die Fachexpertise der beteiligten Expertinnen und Experten. Sobald eine Diagnose vorliegt, werden die Patienten durch krankheitsspezifische Referenzzentren und Fachpersonen weiterbetreut. Zentren für Seltene Krankheiten unterstützen darüber hinaus Informationsangebote für Betroffene von seltenen Krankheiten (wie zum Beispiel Helplines), organisieren Weiterbildungen und beteiligen sich an der Forschung. Dies unterscheidet sich aber von den in Österreich anerkannten Expertisezentren, die im Wesentlichen auf die Erkrankungen des jeweiligen Expertise Gebietes beschränkt sind.

- **Universitätszentrum für Seltene Krankheiten Basel:** [Website](#)  
[rarediseasesbasel@ukbb.ch](mailto:rarediseasesbasel@ukbb.ch)  
+41 (0)61 704 10 50
- **Zentrum für Seltene Krankheiten Inselspital in Bern:** [Website](#)  
[rare@insel.ch](mailto:rare@insel.ch), +41 (0)31 664 07 77
- **Centre Maladies Rares des Hôpitaux Universitaires de Genève (HUG):**  
[contact@infomaladiesrares.ch](mailto:contact@infomaladiesrares.ch)  
+41 (0)848 314 372
- **Centre Maladies Rares du Centre Hospitalier Universitaire Vaudois (CHUV) in Lausanne:** [Website](#)  
[contact@infomaladiesrares.ch](mailto:contact@infomaladiesrares.ch)  
+41 (0)848 314 372
- **Ostschweizer Zentrum für Seltene Krankheiten (ZSK-O) in St. Gallen:**  
Kontakt für Erwachsene: [info.zsk-o@kssg.ch](mailto:info.zsk-o@kssg.ch)  
+41 (0)71 494 12 22
- **Zentrum für Seltene Krankheiten Zürich:** [Website](#), [selten@kispi.uzh.ch](mailto:selten@kispi.uzh.ch)  
Telefon für Erwachsene und Kinder:  
+41 (0)44 266 83 76

Seit Sommer dieses Jahres läuft in der Schweiz ein weiteres Verfahren zur Anerkennung weiterer Zentren für Seltene Erkrankungen. (hd)

- ⇒ Zentren f. hochspezialisierte Med., Schweiz [8 a, b, c]
- ⇒ Zentren für Seltene Erkrankungen, Schweiz [9 a, b]

### Short News

Univ.-Prof. Dr. Wolfgang Sperl, Stoffwechselexperte und Vorstand der Kinderklinik Salzburg, ist Rektor der Paracelsus Universität Salzburg geworden [10]



## Editorial

„Blickt man auf die letzten 3 Monate zurück und versucht herauszufinden, welche berichtenswerten Fortschritte es bei der Schwerpunktsetzung gegeben hat, kommt man fast zwingend auf Wittgensteins Satz: „Wovon man nicht reden kann, darüber muss man schweigen““. So haben wir das Editorial unseres letzten Newsletters diesen Juni begonnen



und so fortgesetzt: „Die Coronapandemie hat alle Ressourcen okkupiert, nicht nur im ausführenden Gesundheitssystem, sondern auch in Gesundheits-Politik u. –Management. Und das nicht nur in Österreich und in der EU, sondern auf der ganzen Welt.“ Daran hat sich nichts geändert und wahrscheinlich wird es noch einige Monate so weitergehen.

Wenn wir uns heute – nach einem halben Jahr – dennoch kurz zu Wort melden, so ist es primär, um auf eine Publikation hinzuweisen, die im Oktober herausgekommen ist und wesentliche Vorträge unseres Joint Meetings vom November 2019 wiedergibt. Es wurden damals Konzepte und Probleme angesprochen, die im Zusammenhang mit der Schwerpunktsetzung bei der Versorgung von Patienten mit Seltenen Erkrankungen von Bedeutung sind. Ja, und vielleicht gibt es nach fünf Jahren Kampf und Leiden auch eine Lösung für die Finanzierung der Enzymersatztherapien. Das führt zum nächsten, noch wesentlich problematischeren Punkt: wie soll die Finanzierung der Orphan Drugs in Zukunft erfolgen?

Vielleicht bietet die Coronazäsur für die, die nicht so unmittelbar betroffen sind, die Möglichkeit, das eine oder andere Konzept durchzudenken, um dann vorbereitet zu sein, wenn die „normale Medizin“ wieder zu greifen beginnt.

Denn die strukturellen Probleme gehen nicht weg, außer man löst sie.

Franz Waldhauser

Klaus Schmitt

Hans Deutsch

---

### 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: Univ.-Prof. Dr. Klaus Schmitt (*ks*).

Für Layout und elektronische Betreuung verantwortlich: DI Dr. Johann Hochreiter (*hh*).

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

## Detaillierte Adressen der Links:

[1] Päd. & Päd. 55: Supplement 3 (2020)

<https://www.springermedizin.at/paediatric-paedologie-3-2020/18465254>

[2] Parlament. Anfrage von Karl Öllinger-29.6.2017

a [https://www.parlament.gv.at/PAKT/VHG/XXV/J/J\\_13749/fname\\_644885.pdf](https://www.parlament.gv.at/PAKT/VHG/XXV/J/J_13749/fname_644885.pdf)

b [https://www.parlament.gv.at/PAKT/VHG/XXV/AB/AB\\_12957/imfname\\_668465.pdf](https://www.parlament.gv.at/PAKT/VHG/XXV/AB/AB_12957/imfname_668465.pdf)

[3] Publikation in Tages- und Fachpresse

a <https://www.diepresse.com/5416954/zum-schaden-der-patienten>

b <https://www.springermedizin.at/finanzierung-von-medikamenten-fuer-seltene-erkrankungen/16737172>

[4] Preisbegrenzung für Orphan-Drugs

<https://link.springer.com/article/10.1007/s00112-018-0518-y>

[5] DÄ - Diskussion über hochpreisige Therapien

<https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/109332/Hochpreisige-Arzneimittel-befuern-Diskussion-um-Kosten-Nutzen-Bewertung>

[6] Medizinethiker für Preisdeckelung

<https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/109188/Medizinethiker-ruft-Politik-auf-Medikamentenpreise-zu-deckeln>

[7] Arzneimittelexperten kritisieren Hochpreispolitik

<https://www.aerzteblatt.de/nachrichten/106224/Arzneimittelexperten-kritisieren-Hochpreispolitik-der-Pharmaindustrie>

[8] Zentren für hochspezialisierte Medizin, Schweiz

a <https://www.gdk-cds.ch/de/hochspezialisierte-medizin/spitalliste>

b <https://www.springermedizin.at/schweiz-organisation-und-konzentration-der-hochspezialisierten-m/14916230>

c <https://www.springermedizin.at/hochspezialisierte-medizin-in-der-schweiz-sicht-des-kinderspital/14916226>

[9] Zentren für Seltene Erkrankungen, Schweiz

a <https://www.kosekschweiz.ch/versorgung/zentren-seltenen-erkrankungen>

b <https://www.springermedizin.at/berliner-centrum-fuer-seltene-erkrankungen-an-der-charite/14916244>

[10] Sperl – Neuer Rektor der Paracelsus Universität Salzburg

<https://www.pmu.ac.at/news/article/wer-gut-erbt-kann-auch-weiter-gut-investieren-amsantritt-des-neuen-pmu-rektors-prof-wolfgang-sperl.html>