



IG Seltene Krankheiten

CI Maladies rares

CI Malattie rare

ZUSAMMENFASSUNG

Von Geschäftsstelle IGSK

Datum 6. März 2021

Betreff **11. Internationaler Tag der Seltenen Krankheiten in der Schweiz**
«Die spezialisierten Zentren für seltene Krankheiten im Fokus»

Videokonferenz

Begrüssung und Einleitung Anne-Françoise Auberson (Präsidentin ProRaris) und Jacqueline de Sà (Generalsekretärin ProRaris)

Rede

Fokus

- Einschätzung des Berichts des BAG zur Finanzierung, der nur bestätigt, was ProRaris schon weiss, dass die juristische Basis fehlt. Aus diesem Grund wird sehr viel Freiwilligenarbeit geleistet.

Die Nationale Koordination Seltene Krankheiten kosek

- Prof. Jean-Blaise Wasserfallen, Präsident kosek

Präsentation

Übersicht über den Werdegang der kosek, ihre Strukturen, die Zentren für seltene Krankheiten sowie die Referenzzentren und ihr Netzwerk, Ausblick auf 2021 und das Fazit.

Zentren für seltene Krankheiten:

- 5 Hauptrollen: Koordination & Administration, Information, Klinische Behandlung, Forschung, Weiterbildung
- Abdeckung aller drei Sprachregionen durch die bestehenden sechs Zentren; aktuell sind keine weiteren neuen Kandidaturen vorgesehen
- Definitive Validierung

Referenzzentren

- Akkreditierung / Validation bis Dezember 2021
- Nach den Pilotprojekten «Metabolische Erkrankungen» + «Neuromuskuläre Erkrankungen» sollen für 2022 weitere Kandidaturen in weiteren Gebieten evaluiert werden wie z.B. Endokrinologie, Rheumatologie, Ophthalmologie, Knochenerkrankungen, Lungenkrankheiten Schlafkrankheiten

Kosek ab 2022

- Rolle: Management der Kandidaturen, Zurverfügungstellen von Informationen via Orphanet und Registerführung.
- Bericht des Bundesrates zur gesetzlichen Grundlage und finanziellen Rahmenbedingungen zur Sicherstellung der Versorgung im Bereich seltene Krankheiten: Enttäuschung über die Schlussfolgerungen, des im Februar 2021 veröffentlichten Berichts. Er bestätigt, dass ein legaler Rahmen für die Grundlagen und die Finanzierung notwendig ist. Das sagt die kosek seit langem, aber es wurde nichts unternommen.
- Die Kandidaturen muss man professionalisieren. Die Zahl wird steigen und die Kosten werden von den Spitälern getragen.
- Orphanet wurde professionalisiert und auch auf die Deutschschweiz ausgerichtet. Die Kosten tragen HUG und unimedsuisse. Eigentlich müssten die Kantone finanzieren, doch der Ball wird hin- und her gespielt.
- Gute Nachrichten gibt es nur beim Register: Eine jährliche Finanzierung von CHF 250'000 über 5 Jahre unter der Bedingung, dass die Spitäler eine ebenso hohe Summe bereitstellen. Die Finanzierung des Registers ist bis 2024 gesichert.

Fazit

- Die Zentren und Referenzzentren wurden technisch aufgesetzt. Nun braucht es politische Unterstützung, um eine legale Basis zu legen und auf diese Weise die Finanzierung sicherzustellen.

Die Fachgruppe Versorgung der kosek

Dr. Fabrizio Barazzoni, Leiter Fachgruppe Versorgung

Präsentation

- Die Zentren für seltene Krankheiten sind eine Struktur für diejenigen Patienten, die noch keine klare Diagnose haben.
- Der Prozess, um als Leistungserbringer diesen Status zu erhalten, ist transparent auf der kosek-Webseite (Kandidatur und Entscheidungen).
- Die Kandidaturenevaluation erfolgt in der Expertengruppe, wobei die Entscheidungen bis jetzt immer einstimmig gefällt wurden. Es gibt verschiedene Entscheidungsmöglichkeiten (akzeptiert mit/ohne Einschränkungen oder abgelehnt – wobei letzteres bis jetzt noch nicht vorgekommen ist).
- Die Entscheidung wird dem BAG mitgeteilt und vom BAG oder den Kantonen publiziert. Die Zentren bieten eine echte, nationale Abdeckung.
- Die Zentren veröffentlichen koordiniert mit Orphanet einen Jahresbericht. Ausserdem gibt es Audits und alle 4 Jahre eine Re-Evaluation.
- Methodologie der Expertengruppe: Die Evaluation der Kandidatur erfolgt binomisch, d.h. aus der Sichtweise Arzt wie auch Patient (komplementäre Kompetenzen). Den Entscheid fällt schliesslich die kosek aufgrund des Vorschlags.
- Die 6 Zentren sind auch mit den Netzwerken verbunden.
- Im Netzwerk vereinen sich die Kompetenzen von Arzt und Patient; für eine Gruppe von seltenen Krankheiten werden alle Institutionen und Spezialisten vereint.

Fragerunde zur kosek

- **Wie werden Krankheiten zugeteilt, die nicht von einer einzelnen Disziplin abgedeckt werden?**

Beispiel CF: Hier wird eine der Disziplinen verantwortlich sein. Das Modell funktioniert bereits bei den Tumorboards, wo die Onkologie federführend ist. Dieses Prinzip wird übernommen in den Referenzzentren.

- **Finanzierung über Grundlagengremien wie die SAMW möglich?**

Diese Frage wurde bereits gestellt. Bei Forschungsprojekten ist es schwierig, die Grundversorgung zu bezahlen. Hier sind wir wiederum in einem Bereich, wo die gesetzlichen Grundlagen fehlen.

- **Was ist der Sinn eines Netzwerks (Vor- und Nachteile)?**

Wir sind davon ausgegangen, dass die Zentren die Bedürfnisse der Patienten aufnehmen, insbesondere in einem Kanton an der Peripherie wie es das Tessin ist. Wenn ich mit einer seltenen Krankheit in Lugano ins Spital gehe, soll ich die gleichen Möglichkeiten wie in Zürich oder Lausanne haben. Es reicht nicht, die Zentren zu akkreditieren. Es braucht eine Zusammenarbeit in einer formellen Struktur, welche den freundschaftlichen Austausch und das Engagement strukturieren. Das ist die Funktion des Netzwerks, das damit nicht nur lokal die Bedürfnisse eines einzigen Zentrums abdeckt, weil damit auch die Kompetenzen einen Wert erhalten. Forschung, Weiterbildung und die Integration der Patienten sind weitere Vorteile. Wir sind überzeugt, dass dies der richtige Weg ist, auch wenn es Zeit braucht, für den Aufbau.

- **Eine Bewerbung ist aufwändig. Wieso sollten sich Spitäler bewerben?**

Das ist eine zentrale Frage. Ökonomisch gesehen ist es nicht rentabel. Es ist aber wichtig für die Spezialisierung an den Spitälern. Und für die Netzwerke ist es zentral. Auch um den besten Spezialisten in der Schweiz etwas anzubieten. Deshalb muss die Finanzierung dringend geregelt werden.

- **Was braucht es für politische Unterstützung?**

Da bin ich nicht kompetent. Was es für Massnahmen braucht, das müssen die Politiker entscheiden.

- **Gibt es eine aktive Vernetzung der ultraseltenen Krankheiten auf internationaler Ebene?**

Die Netzwerke sorgen dafür, dass es eine internationale Vernetzung gibt. Die Netzwerke in der Schweiz strahlen aufgrund ihrer Expertise auch

international aus. Die Netzwerke erhalten so auch Zugang zu Kompetenzen in Australien oder in den USA, weil die Experten so gut vernetzt ist. Die Patienten können auch selbst eine Rolle spielen. Wenn sie ihre Geschichte teilen, dann gibt es Rückmeldungen von internationalen Experten. Das müssen wir noch weiter fördern.

- **Wie soll die Finanzierung der Pilotprojekte aussehen. Wer soll das übernehmen, der Bund?**

Die Finanzierung der Pilotprojekte wird heute Nachmittag behandelt. Wer finanziert das Nationale Konzept Seltene Krankheiten langfristig? Kosek und Orphanet sind nicht finanziert und der Bund verweist auf die Kantone. Die Kantone sind der Ansicht, dass die Leistungen bereits finanziert sind. Es braucht hier also einen finanziellen Rahmen.

- **Für die Pilotprojekte der Referenzzentren wurde sehr viel Gratisarbeit geleistet. Das sollte verdankt werden.**

Am Ende der ersten Phase der Akkreditierung braucht es eine Evaluation. Man muss auch auf die vorherige Arbeit aufbauen. Die Fragebogen werden mit hohem Aufwand ausgefüllt; in der Schweiz sind wir sehr perfektionistisch. Man kann aber nicht alles herausfinden, weil die Orphacodes fehlen. Das ist einer unserer nächsten Aufgaben, um die Patienten besser zu identifizieren.

- **Die kosek arbeitet mit verschiedenen Interessengruppen. Was sind die Chancen und Vorteile?**

In der öffentlichen Gesundheit arbeiten wir multidisziplinär. Vorteile sind gross, weil man inter- und multidisziplinär die Probleme auf verschiedenen Ebenen angeht. Nicht nur als Mediziner, sondern auch als Patient. Es gibt eigentlich keine andere Herangehensweise. Auch durch das Einbringen der Versicherungssicht etc. berücksichtigt man unterschiedliche Sensibilitäten. Die Integration und der Einbezug verschiedener Kompetenzen ist ein Vorteil, weil danach die Synthese von allen getragen wird. Es handelt sich um eine privilegierte Beziehung, denn man hört sich zu. Es gibt unterschiedliche Perspektiven, aber keinen Konflikt. Alle Schritte, die man gemacht hat und auch die Entscheidungen, die gefällt wurden, waren immer einstimmig. Das ist sehr wichtig. Das charakterisiert unsere Gruppe. Wir suchen immer eine gute Lösung.

Allenfalls müssten noch weitere Vertretungen in die Kosek aufgenommen werden und eventuell muss auch das Präsidium wechseln. Da sind wir offen, es muss nicht universitär sein.

Ein gutes Beispiel, das zeigt, wie Patienten einbezogen werden.

- **Fehlt in der Kosek nicht ein Politiker, um die Finanzierung zu sichern?**
- Die Politik muss integriert werden, wenn man die legale Basis und Finanzierung sichern will.

Das Schweizer Register für seltene Krankheiten (SRSK) geht in eine nächste Etappe

- Prof. Claudia Kühni, Forschungsgruppenleiterin
- PD Dr. Michaela Fux, Projektkoordinatorin Schweizer Register für seltene Krankheiten
Institut für Sozial- und Präventivmedizin (ISPM), Universität Bern

Präsentation

Grundsätzliches

- Register soll Vernetzung und Wissensaustausch fördern und die Forschung unterstützen.
- Es besteht nun nach einer Zwischenfinanzierung durch die Universität Zürich und das ISPM Bern eine Grundfinanzierung für 5 Jahre (bei den Daten für Basisdaten/Routinestatistik; personell für Projektleitung und IT)
- Das Patientenselbstregierungsportal können wir mit der Finanzierung noch nicht abdecken.

Datenerfassung

- Identifizierung durch die Ärzteschaft oder Betroffene registrieren sich selbst (noch im Aufbau)
- Validierung der Daten
- Vorgehen in den Spitälern: Start in den Referenzzentren, weil sie bereits die Orphacodierung haben und die Ärzteschaft schon informiert ist.
- Immer mit Einwilligung der Betroffenen; Einwilligung kann auch verweigert werden.

- Daten der Krankenakte: Es werden keine neuen Daten erhoben.
- Datenquellen: Verknüpfung mit Routinestatistik (BfS) und weitere zusätzlich zu sammelnde Daten.
- Vernetzung der Betroffenen aufgrund der Basisdaten, aber auch der Experten.
- Webplattform läuft noch nicht. Wer sich registrieren möchte, kann das Register kontaktieren oder beim Arzt nachfragen.

Forschung

- Möglichkeiten sind etwa Lebensqualität, sozioökonomische und psychosoziale Outcomes, klinische Verläufe, randomisierte klinische Studien etc.

Ausblick

- Webseite zum Register soll 2021 geschaffen werden und durch Berichte in den Medien sowie an Veranstaltungen bekannt gemacht werden
- Betroffene sollen sich selbst registrieren können, auch für klinische Studien. Weitere Funktionen sollen die Vernetzung von Betroffenen sein und eine Anlaufstelle für Fragen.

Fragerunde zum SRSK

- **Wie können sich Patientenorganisationen einbringen?**
Politische Unterstützung ist wichtig, wir haben wenig Erfahrung und wenig Gewicht. Eine zusätzliche Finanzierung muss gefunden werden. Wichtig und hilfreich ist auch der Wissensaustausch. Wir werden die Patientenorganisationen regelmässig einladen.
- **Was bedeutet Validierung?**
Es braucht eine möglichst korrekte Diagnose. Wir würden nachfragen, um die Bestätigung der Diagnose beim Arzt einzuholen.
- **Wird der Kontakt zu Betroffenen möglich?**
Wir werden keine Adressen herausgeben. Wir können eine Vermittlerfunktion übernehmen, die weitere Organisation liegt bei den Betroffenen selbst.

- **Können Patienten ihre Daten selbst abrufen oder selektionieren?**
Der Zugang zu Daten wird wegen des Datenschutzes restriktiv sein. Auch eine Klinik hat nur Zugang zu Daten ihrer Patienten. Ein Patient hat nur Zugang zu seinen eigenen Daten. Ein Direktzugang zur Datenbank ist nicht möglich. Wir geben den Berechtigten Auskunft, was registriert ist; Änderungen werden von uns gemacht (Datenqualität!). Ob eine Datenanpassung via Webplattform möglich sein wird, muss sich erst zeigen. Es ist uns wichtig, die Bedürfnisse der Betroffenen so weit möglich aufzunehmen.
- **Veränderung der Daten von Patienten: Wer ist in der Pflicht?**
Die Verlaufsdaten prüfen wir übers Bundesamt für Statistik. Im Basisdatensatz kann sich die Diagnose ändern. Das wird ein Kernprozess sein regelmässig die neuen Diagnosen aufzunehmen. Betroffene können uns direkt kontaktieren. Da bräuchte es sicher auch mehr Personal. Die HIV-Kohorte erhält CHF 2,5 Mio vom Bund (bei weniger Betroffenen und guten Therapiemöglichkeiten). Längerfristig bräuchte es mehr Unterstützung.
- **Ist es möglich, dass ein Patient mehrmals erfasst wird?**
Wir würden es merken und die Daten aktualisieren.
- **Gilt die von der Ethikkommission erteilte Bewilligung für alle Kantone oder braucht jedes Referenzzentrum eine eigene Bewilligung für die Datenerfassung?**
Wenn ein «informed consent» vorliegt, braucht es keine zusätzliche Ethik-Bewilligung. Wenn Daten von neuen Registern angegliedert werden, das Narkolepsie-Register ist z.B. ein Kandidat, dann muss man vorher abklären, ob die Vorgaben einen solchen Datentransfer bewilligen. Ansonsten müssten die Anpassungen vorgenommen werden.
- **Wann kann Retina Suisse sein Patientenregister mit 1000 Datensätzen ins SRSK integrieren?**
Wir nehmen diese Angebote gerne entgegen. Gewisse Schritte kann man bereits vorbereiten, wie die ethischen Vorgaben. Es gibt rund 500 Register, die schrittweise integriert werden könnten.
- **Ab wann ist eine Infokampagne zum SRSK geplant?**
Angedacht ist eine Zusammenarbeit mit den Leitern der Referenzzentren. Am 1. September wird voraussichtlich eine Infoveranstaltung über das

Register stattfinden für Referenzzentren und andere Stakeholder. Weiteres ist noch nicht geplant. Die Webseite wird erst aufgebaut.

- **Wie registrieren beispielsweise Hausärzte?**

Das geschieht aktiv über ein Portal, wie die Betroffenen auch. Diese Möglichkeit wird es aber in den nächsten zwei Jahren noch nicht geben. Zuerst wird die Registrierung über die Kliniken etabliert.

« Itinerare » Universitärer Forschungsschwerpunkt seltene Krankheiten

- Prof. Janine Reichenbach, Leiterin Fachbereich Somatische Gentherapie, Universität Zürich und Universitätskinderspital Zürich, und Leiterin Forschungsschwerpunkt seltene Krankheiten

Präsentation

Grundsätzliches

- Durchschnittliche Dauer von 9 Jahren bis zur Diagnose
- Nur 5 Prozent der Krankheiten mit zugelassenen Behandlungen!
- Fragmentierte Unterstützung und Forschung
- Sehr wenig Interesse bei der Pharma für Entwicklung von Therapien
- Erkrankungen haben zu 90 Prozent eine genetische Ursache
- Langjähriges Engagement in Zürich für die Forschung bei seltenen Krankheiten: Radix – drug discovery network - acceleRare – ImmuGene – Zentrum für seltene Krankheiten – Itinerare
- UZH-Engagement für 12 Jahre
- Starkes Netzwerk (akademische Kollaborationen, Forschungsverbünde, Patienten Netzwerke und Interessengruppen)
- Neu im Web: www.itinerare.uzh.ch

Arbeitsweise

- Felder: Gentherapien und molekulare Therapien (RNA oder DNA)
- Interdisziplinäres Team: Medizin, Rechtswissenschaften, Naturwissenschaften, Theologie und Sozialwissenschaften

- Interdisziplinäres Konzept: Beispielhafte seltene Krankheiten, innovative Technologien & Therapien, Integration von Ethik, sozialen und rechtlichen Aspekten, gemeinsames Aus- und Weiterbildungsprogramm, Einbezug von Patienten (Vertretung im Programm, Studienteilnehmende, Einbezug in Aus- und Weiterbildung)

Ziele

- Neue Behandlungen, neuartige Technologien, Patienten-fokussierte Richtlinien, Experten in allen gesellschaftlichen Bereichen
- Therapieentwicklung mit Patientenfürsprache.
- Für Studien mit wenigen Teilnehmenden braucht es ein neues Design, das wollen wir entwickeln.
- CAS für innovative Therapien
- Politischer Diskurs
- Präzisionsmedizin (Therapien für einen einzigen Patienten)

«Wie es ist, als Patient an einer klinischen Studie teilzunehmen?»

- Dr. Alfred Wiesbauer, Vize-Präsident ProRaris

Videos

Drei Videos zeigen am Beispiel von Sophie Wiesbauer (die an der seltenen Stoffwechselkrankheit Morbus Morquio leidet) und ihrer Familie, was die Hoffnungen, Herausforderungen, Risiken und Ergebnisse einer Studienteilnahme sein können. Bei Sophie Wiesbauer lautet das Fazit ihres Vaters Alfred Wiesbauer: «Sophie hatte sich eigentlich aufgegeben und erhielt wieder Lebenslust. Sie hat die Krise überstanden und ist eine sehr zufriedene Erwachsene. Ohne die Studienteilnahme würde sie nicht mehr leben!»

Das Nationale Konzept Seltene Krankheiten

- Anne Lévy, Direktorin Bundesamt für Gesundheit

Speaking note

Anne Lévy ist seit 1. Oktober 2020 Direktorin des Bundesamts für Gesundheit und hat zum ersten Mal am RDD teilgenommen. Sie hat keine Fragen beantwortet.

Kurze Zusammenfassung:

- Würdigung der beeindruckenden Fortschritte durch ProRaris in den letzten 10 Jahren, was sie optimistisch macht.
- Weitere positive Entwicklungen sind die durch die kosek 6 anerkannten Diagnosezentren, die Pilotprojekte, die auf Kurs sind und damit die Erfüllung des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten NKSK (schnellere Diagnose und Zugang zu Therapien)
- Hinweis auf Sprechung der Finanzhilfe von jährlich CHF 250'000 für das Schweizer Register Seltene Krankheiten im September 2020 für 5 Jahre
- Überarbeitung der Geburtsgebrechenliste konnte 2020 abgeschlossen werden, wobei in der Begleitgruppe auch Mitglieder von ProRaris eingebunden waren
- ProRaris ist eng eingebunden beim NKSK, so dass die Lösungen praxistauglich sind: Dank und Gratulation!
- Postulatsbericht zu den gesetzlichen Grundlagen wurde im Februar 2021 publiziert
- Besonders wichtig sind Handlungsoptionen für die Schaffung spezialisierter Versorgungsstrukturen und die Aufbereitung von Infos für Betroffene und Gesundheitsfachpersonen
- Nimmt die Kritikpunkte am Bericht auf und ist zuversichtlich, dass der auf Freiwilligkeit beruhende Prozess gelingt.
- Auf der Basis des Berichts muss man nun bestmöglich vorankommen.
- Das BAG arbeitet seit längerem an einer Orientierungshilfe für Betroffene zusammen mit der GDK, ProRaris und der kosek, die im Internet aufgeschaltet werden soll. Es braucht Anlaufstellen für Beratungen (rechtlich, administrativ, sozial, schulisch und beruflich)
- Der Bundesrat schlägt vor, zu prüfen, ob eine rechtliche Grundlage für die Finanzierung der Beratungs- und Informationstätigkeit von Patientenorganisationen geschaffen werden soll.

- Off-Label-Vergütung: Der Evaluationsbericht liegt vor. Off-Label ist ein wichtiger Bestandteil der Versorgung, weshalb unter Einbezug der Akteure Massnahmen getroffen werden. Ziel ist u.a. eine einheitlichere Beurteilung und die Erhöhung der Effizienz
- Dank für den Einsatz.
- Betonung, dass Chancengleichheit zur Gesundheitsstrategie 2030 gehört und ihr besonders am Herzen liegt.

Ergänzungen:

- Jacqueline de Sà/ProRaris: Wir schätzen den Beitrag des BAG und die Weiterführung der Begleitung der Massnahmen, die noch nicht abgeschlossen sind. Unser Wunsch ist es, dass die Freiwilligkeit in einer nächsten Etappe finanziert wird.
- Agnes Nienhaus/kosok: Auftrag des Parlaments war es, die gesetzlichen Anpassungen aufzuzeigen, die notwendig sind, um die Versorgung bei seltenen Krankheiten zu verbessern. Der Bericht stellt nun lediglich das Bekannte fest, dass nämlich keine gesetzlichen Grundlagen bestehen. Können Sie darlegen, welche Gesetzesanpassungen geprüft werden?
- Alfred Wiesbauer/ProRaris: Als Rare Disease Betroffener danke ich Frau Lévy von Herzen, dass sie hier gesprochen hat! Bitte lassen Sie bald Taten folgen, wir warten schon seit Jahren, dass es vorwärtsgeht.

Das Pilotprojekt «Stoffwechselkrankheiten»

- Dr. Matthias Gautschi, Präsident Swiss Group for Inborn Errors of Metabolism (SGIEM) und Oberarzt Stoffwechsel Universitätsklinik für Kinderheilkunde Inselspital, Bern

Präsentation

Grundsätzliches:

- Leitmotiv: Umgang mit Grenzen
- Seltene Vielfalt: 25% der genetisch bedingten Erkrankungen (1'200) sind Stoffwechselkrankheiten, darunter sehr viele ultraseltene.
- Grenzen: Expertise, Therapien, Forschung.

- Nur 40% der Betroffenen sind in spezifischen Patientenorganisationen vertreten.
- Viel Forschung und viele neue Therapien, die aber auch sehr aufwändig sein können (Verweis auf Beitrag Alfred Wiesbauer)
- Seltene Krankheiten sind auch unter sich sehr heterogen. Viele Organe sind betroffen, manchmal alle.
- Hohe Herausforderung, die Wirkung einer Therapie zu beweisen auch, aber auch ob sie keine Wirkung hat. Grosse Komplexität bei Abklärungen und Behandlungen

Pilotprojekt

- Bewerbung fürs Netzwerkeingereicht.
- Aufgabe des Netzwerks inspiriert durch ERN.
- Prinzip: Ein Referenzzentrum für die ganze Schweiz an 3 Standorten in Zürich, Bern und Lausanne, darum herum gruppieren sich assoziierte Kliniken.
- Realistische Umsetzung: Vorhandene Strukturen werden genutzt, optimiert und koordiniert. Zahlbar, Ressourcen werden eher freigemacht.
- Fördert nicht die Konkurrenz, sondern Kooperation.
- Nicht der übliche Prozess für die kosek-Akkreditierung, die eigentliche Zentren vorsieht.
- Vorteil bei der Forschung, da ein Studienzentrum.

Zukunft

- Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen (Workshop Ende Januar 2021)
- 60% der Betroffenen haben keine spezifische Patientenorganisationen: Entwicklungsbedarf (Wie kann man diese Patienten abholen und integrieren? Unirares ist wichtig, aber die einzelnen Krankheiten sind nicht sichtbar und die Identifikation nicht so einfach).
- Facebook ersetzt nicht die Kontakte. Es besteht hier noch Bedarf und es gibt Entwicklungspotential für die Patientenorganisationen.
- Patientenorganisationen können Mitglied werden beim SGIEM
- GV am 21. April – Teilnahme ist möglich.

Fragen

- **Sind die Schweizer Projekte voll in die ERN integriert?**
- Die Schweiz hat aus finanziellen Gründen die Patientenfreizügigkeit nicht ratifiziert. Wir können was die Patienten betrifft, alles leisten. Eine Zweitmeinung im Ausland einzuholen, das funktioniert (seit den ERNs ist das kostengünstiger geworden). Da sind wir nicht eingeschränkt. Studienteilnahme im Ausland, das können wir mit den Familien anschauen. Wir versuchen auch Studien in die Schweiz zu holen. Strukturelle Nachteile bestehen aber schon.
- **Interdisziplinäre Zusammenarbeit: Wie werden Schulen etc. integriert, wer ist zuständig?**
- Da ist sehr individuell. Ansprechpersonen sind die betreuenden Ärzte.
- **Wie erreicht man eine gleiche Versorgung in allen Zentren (also Physio, Logopädie etc., die spezialisiert ist auf seltene Krankheiten)?**
- Das ist tatsächlich eine Herausforderung und noch nicht überall erreicht.
- **Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen bisher und wie in Zukunft?**
- Bisher v.a. persönliche Kontakte und Gremienkontakte. Wir wollen jemand haben, der spezifisch für die Kontakte zuständig sein wird, schweizweit. Erweiterter Vorstand soll mit Patientenorganisationen erweitert werden und auch die Beteiligung in Arbeitsgruppen erreicht werden.
- **Wie gelangen die Erkenntnisse in die Ausbildungen?**
- Wir sind involviert in verschiedene Weiterbildungsaktivitäten. Regelmässige Einheiten für seltene Krankheiten; wir debattieren auch nötige Strukturen. Junge ÄrztInnen werden eingeladen und andere Berufsgruppen. Regelmässige Weiterbildungen 1x jährlich national. Wir geben auf verschiedenen Ebenen Wissen weiter und schauen nach neuen Wegen.

Das Pilotprojekt «Neuromuskuläre Krankheiten»

- Martin Knoblauch, Geschäftsführer Muskelgesellschaft und Vorstandsmitglied ProRaris

Präsentation

Grundsätzliches:

- Neuromuskuläre Krankheiten, im Volksmund «Muskelschwäche»: nicht alle Betroffenen sind im Rollstuhl. Alle Erkrankungen führen zu einer verkürzten Lebensdauer.
- Es gibt auch solche, die nur eine Person in der Schweiz oder in Europa betreffen.
- Ziele: So viel Autonomie wie möglich erlangen/finanzielle Autonomie erreichen und Autonomie/Mobilität erhalten und finanzielle Autonomie erhalten.
- Themen: Hilfe, Kosten, medizinische Möglichkeiten und Forschung. Vernetzung mit anderen Betroffenen, Sozialleben, Krankheitsverlauf
- Erst jetzt werden langsam Therapien verfügbar
- Aufgabe Muskelgesellschaft: Hilfe, Förderung Selbsthilfe, Finanzierung, politische Arbeit, Netzwerk mit Fachpersonen und Versorgungseinrichtungen, Ferien/Ferienlager

Netzwerk

- Netzwerk-Idee bereits 2002, da nicht überall gleich gute Versorgung (Finanzierung Beratung/Betreuung wird durch OKP bezahlt, Versorgung in der Region, gleiches Niveau von Therapie/Diagnose)
- Zusammenarbeit mit Unispitälern und regionale Versorgung erreichen und Fachleute vernetzen.
- Koordination der Termine war wichtig anfangs, damit man an einem Tag alles durchlaufen kann.
- Reha ist integriert. Lehrstuhl für Neuromuskuläre Krankheiten (heute in Basel).
- 2010: Zusammenarbeit mit 7 Zentren.
- Aktuell tauschen sich 7 Muskelzentren aus
- Jedes Muskelzentrum kann jede Krankheit behandeln, aber es gibt Spezialisierungen.
- Register wurde gegründet und von den Ärzten ehrenamtlich geführt, nun integriert ins ISPM
- War ein Hoffnung an das NKSK, dass es eine Finanzierung gibt.
- Neue Therapien, v.a. für SMA, keine Heilung, aber trotzdem revolutionäre wesentliche Beeinflussung. Abgabe der Therapien sehr teuer. Verbunden

mit Begleitstudien, hoher Mehraufwand, der mit den klassischen Tarifen nicht abgebildet wird.

- Zusammenarbeit Ärzte, Care-Management und Patientenorganisationen hilft bei der politischen Meinungsbildung.
- Ehrenamtliche Arbeit im Moment.
- Netzwerk funktioniert über Patientenorganisation, weil unser Interesse ist, aber das kann nicht weiter so laufen.
- Es lohnt sich aber auch als kleine Organisation.

Zukunft

- Neustes Projekt: Versorgungsforschung im Netzwerk mit der ZHAW. Nationales Forschungsprojekt: Teilnehmende werden gesucht.
- Ziel = kosek-Anerkennung. Im Moment ist es ein freiwilliger Zusammenschluss.
- Erwartungen: gleiche Codierung
- Irgendwann muss es sich auch lohnen, finanziert durch die öffentliche Hand. Befürchtung kosek-Administrationsmonster.
- Patientennetzwerk wird ausgebaut.
- Pflege noch zu wenig eingebunden. Es gibt auch Pflege zu Hause. Das muss jemand noch aufbauen (wollen)
- Reha sollte eine eigene Gruppe werden. Auch Forschung und Fachgesellschaften
- Die Menge an Involvierten wird aufgebläht, das ist eigentlich heute schon an der Grenze. Diskussion läuft bereits.

Erkenntnisse:

- Grosses Engagement, hunderte Stunden pro Jahr unentgeltliche Leistungen, enge Kooperation bringt den Patienten grosse Vorteile (Diagnose, Versorgung!)
- Übergang eines informellen Netzwerks in anerkannte Organisation birgt auch Risiken: Wir sind unabhängig, können auch Nein sagen. Gibt die Befürchtung, wenn es formalisiert ist, die Eigenständigkeit zu verlieren, dafür lohnt es sich finanziell langfristig.

Fragen

- **Deutschland kennt eine jährliche Förderung der Selbsthilfvereine via die Krankenkassen. Wäre das nicht auch ein Modell für die Schweiz?**

Das wäre schön. Das war auch die Idee bei Myosuisse. Für die Umsetzung wurden ca. 15 Jahre im Minimum geschätzt, wobei es unklar wäre, ob es durchkäme!

- **Vorteil wenn die Projektleitung bei der Patientenorganisation ist anstelle der Ärzteschaft?**

Der Fokus ist anders. Wir können nicht mitbestimmen, wie ein Zentrum am besten organisiert ist. Wir können nur mitteilen, was notwendig wäre. Der Vorteil ist, wir treiben es vorwärts und können die Themen selbst besser bestimmen. Bei der Finanzierung und Administration ist es eine Herausforderung, da können wir nur Forderungen stellen und Ideen geben. Wichtig ist, dass man zusammenarbeitet.

- **Wieviel ist finanziert durch externe Quellen oder Spenden und wie viel ist Freiwilligenarbeit?**

Die Stellen finanzieren weitgehend die Spitäler und nicht mehr wir als Patientenorganisation. Die Netzwerkarbeit, die wir leisten, erfolgt meistens abends. Das sind ein paar hundert Stunden jährlich.

Schlusswort von

- Dr. Therese Stutz Steiger, Vize-Präsidentin ProRaris

Rede

Fokus

- Als Patientin und Ärztin bin ich privilegiert, aber es ist auch für Profis häufig schwierig mit einer chronisch Erkrankten und Medizinerin zu sprechen.
- Aktive Patienten sind gefragt und es ist an den organisierten Patienten die nötigen Reformen und vielleicht sogar Revolutionen anzustossen und zu unterstützen und Veränderungen zugunsten der Kranken und Behinderten, insbesondere der von seltenen Krankheiten Betroffenen zu unterstützen
- Aufruf: Wer kann, möge sich aktivieren und engagieren, damit wir nicht mehr überhört werden, denn wir sind noch in der Minderheit.