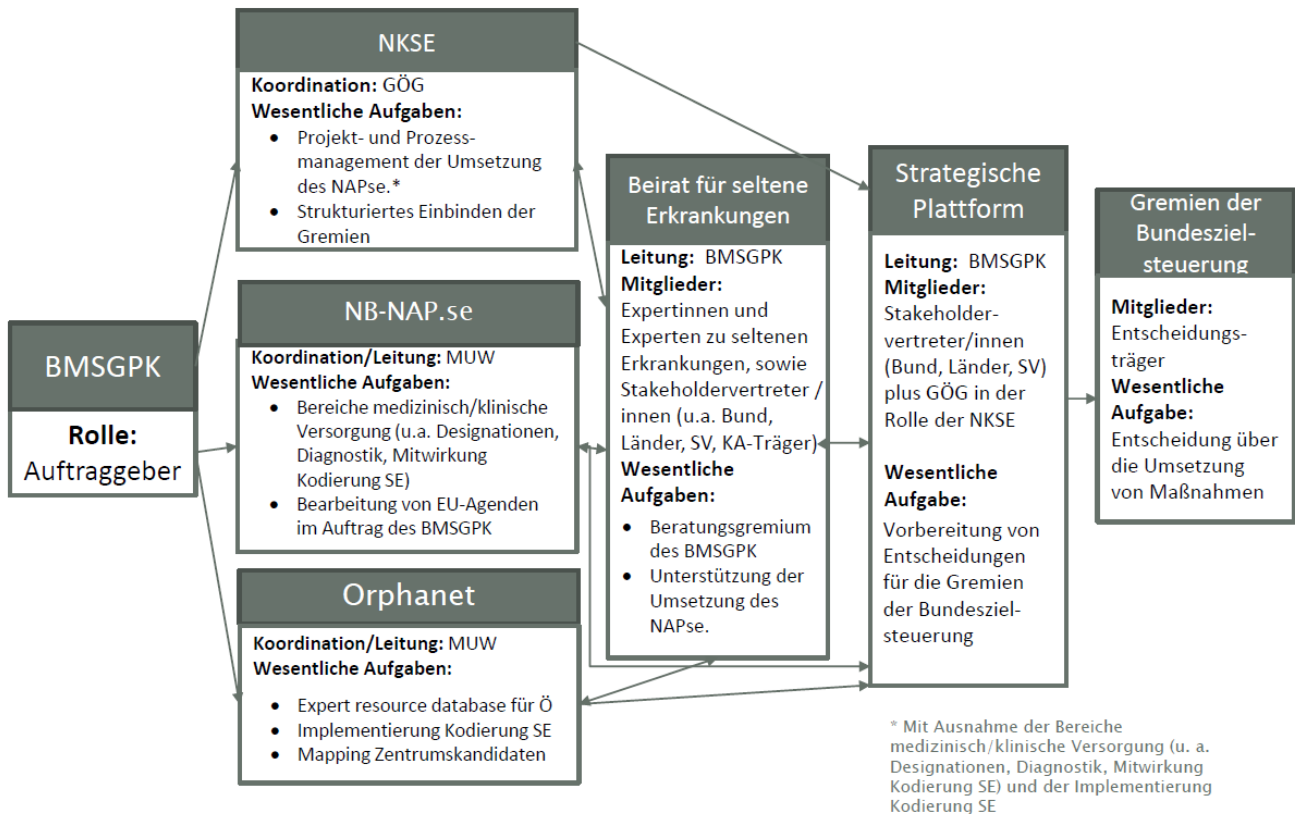


News-letter

Schwerpunkte und Netzwerke für Seltene Erkrankungen



© BMSGPK, Abkürzungen siehe Seite 2

Organigramm der an der Umsetzung des Nationalen Aktionsplans für Seltene Erkrankungen (NAP.se) beteiligten Gremien

Strukturen und Gremien des Gesundheitsministeriums zur Umsetzung des NAP.se

Im Jahr 2011 richtete das Bundesministerium für Gesundheit an der Gesundheit Österreich GmbH (GÖG) die **Nationale Koordinationsstelle für Seltene Erkrankungen (NKSE)** ein [1], mit dem Ziel, die Versorgung von Personen mit Seltene Erkrankungen in Österreich zu verbessern und Akteure im Bereich der Seltene Erkrankungen zu vernetzen. Dafür wurde zunächst die Bedarfserhebung „Seltene Erkrankungen in Österreich“ durchgeführt und ein Bericht dazu Ende 2012 publiziert. Auf dieser Basis wurde der Nationale Aktionsplan für Seltene Erkrankungen (NAP.se) ausgearbeitet

Gesundheit Österreich
GmbH ● ● ●
Nationale Koordinationsstelle für seltene Erkrankungen

und im Februar 2015 veröffentlicht. Mit der Begleitung der Umsetzung des NAP.se wurde die NKSE beauftragt. Ein erster Schwerpunkt wurde auf die Designation von Expertisezentren (EZ) gelegt, um Strukturen für eine bessere Versorgung von Menschen mit Seltene Erkrankungen zu definieren und sichtbar zu machen. Das Konzept der Expertisezentren für Seltene Erkrankungen in Österreich wurde in Abstimmung mit den Entwicklungen auf europäischer Ebene - den „Europäischen Refe-

renznetzwerken (ERNs)“ – vor allem von Till Voigtländer (Medizinische Universität Wien (MUW), Abt. für Neuropathologie und Neurochemie) und Ursula Unterberger (MUW, Zentrum für Anatomie und Zellbiologie) erstellt und weiterentwickelt.



In Ergänzung zur NKSE wurde daher für diese umfangreichen Arbeiten ab 2019 das **Nationale Büro für die Umsetzung des NAP.se (NB-NAP.se)** (Leiter: PD Dr. Till Voigtländer) an der Medizinischen Universität Wien vom Gesundheitsministerium etabliert. Das NB-NAP.se übernimmt darüber hinaus die Federführung bei der Umsetzung von Maßnahmen in medizinischen Belangen.

Sowohl die nationale Koordinationsstelle (NKSE) als auch das nationale Büro (NB-NAP.se) werden von zwei Gremien des Gesundheitsministeriums fachlich unterstützt, dem Beirat für Seltene Erkrankungen (vormals Expertengruppe für Seltene Erkrankungen) und der Strategischen Plattform für Seltene Erkrankungen.

Im Jahr 2020 wurde die bisherige Umsetzung des NAP.se von der GÖG evaluiert, die Ergebnisse wurden in einem Evaluierungsbericht zusammengefasst [2]. Ein zentrales Ergebnis dieser Evaluierung war, dass eine transparente Darstellung der Aufgaben der Gremien des NAP.se und ein zentrales Projekt- und Prozessmanagement die weitere Umsetzung von Maßnahmen befördern würde.

Auf dieser Grundlage wurde die NKSE mit dem Projekt- und Prozessmanagement der weiteren Umsetzung des NAP.se beauftragt. Davon ausgenommen sind Maßnahmen der Bereiche mit überwiegend medizinisch-klinischem Charakter (u.a. Designation spezialisierter Zentren), Orphanet (Länderkoordinatorin und Projektmanagerin: Dr. Ursula Unterberger) [3a, b] und der Austausch mit den Gremien der Europäischen Kommission, da für diese Aufgaben weiterhin das Nationale Büro für Seltene Erkrankungen und Orphanet (beides an der MUW angesiedelt) zuständig sind.

Im Jahr 2021 wurde von der NKSE (Leiterin: Mag.^a Barbara Fröschl) eine Umfrage zur Priorisierung von Maßnahmen des NAP.se durchgeführt. Um die weitere Umsetzung voranzutreiben, wird nun ein konkreter Umsetzungsplan für diese priorisierten Maßnahmen (ebenfalls auf Grundlage der Empfehlungen der Evaluation) erstellt. Dies passiert in engem Austausch mit dem NB-NAP.se und den anderen Gremien. (fz)

- ⇒ [Nationale Koordinationsstelle für SE](#) [1]
- ⇒ [Evaluation des NAP.se](#) [2]
- ⇒ [Orphanet](#) [3a, b]
- ⇒ [SE im Gesundheitsministerium](#) [4]
- ⇒ [SE im Gesundheitsportal](#) [5]

*Abkürzungen	
ACHSE	<i>Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen</i>
AIHTA	<i>Austrian Institute for Health Technology Assessment</i>
BMSGPK	<i>Bundesministerium für Soziales, Gesundheit, Pflege und Konsumentenschutz</i>
e-Urogen	<i>ERN for rare and complex urogenital diseases and conditions</i>
EZ	<i>Expertisezentren</i>
ERN	<i>European Reference Network</i>
ERNICA	<i>ERN for rare Inherited and Congenital (digestive and gastrointestinal) Anomalies</i>
GÖG	<i>Gesundheit Österreich GmbH</i>
G-BA	<i>Gemeinsamer Bundesausschuss (Deutschland)</i>
NAP.se	<i>Nationaler Aktionsplan für Seltene Erkrankungen</i>
NB-NAP.se	<i>Nationales Büro für die Umsetzung des NAP.se</i>
NAKSE	<i>Nationale Konferenz für Seltene Erkrankungen (Deutschland)</i>
NKSE	<i>Nationale Koordinationsstelle für Seltene Erkrankungen</i>
MUW	<i>Medizinische Universität Wien</i>
OBMEAs	<i>Outcome-Based Managed-Entry Agreements</i>
SE	<i>Seltene Erkrankungen</i>
SMA	<i>spinale Muskelatrophie</i>
SV	<i>Sozialversicherungen</i>
VASCERN	<i>ERN on Rare Multisystemic Vascular Diseases</i>
ZSE	<i>Zentrum für Seltene Erkrankungen (Deutschland)</i>

Kosten der kinderchirurgischen Interventionen bei angeborenen Fehlbildungen: Bericht von Prof. Schalamon



Prof. Dr. Johannes Schalamon, Präsident der Österr. Ges. f. Kinder- und Jugendchirurgie; ©J.Fechter

Seit vielen Jahren wird seitens der öffentlichen Geldgeber immer wieder das Argument genannt, dass die Behandlung von Seltenen Erkrankungen keine besondere Aufmerksamkeit erfordert, weil sich der finanzielle Aufwand dafür in Grenzen hält. Die Österreichische Gesellschaft für Kinder- und Jugendchirurgie hat daher in Zusammenarbeit mit der Gesundheit Österreich GmbH (GÖG) eine Datenanalyse zu diesem Thema durchgeführt. Wir konnten zeigen, dass die Behandlungskosten von Seltenen kinderchirurgischen Krankheiten im Vergleich zu allen anderen Krankenhausaufenthalten in Österreich bis zu 15-mal höher sind.

Dies zeigt deutlich: Die Behandlung von Seltenen Erkrankungen ist mit einem hohen finanziellen Aufwand verbunden. Maßnahmen zur Behandlungsoptimierung sind daher auch aus finanzieller Sicht sinnvoll. Auch wenn die Schaffung einer prospektiven, österreichweiten Datenbank ebenfalls mit entsprechenden Kosten verbunden ist, so ist dieser erste Schritt auf der Basis unserer Studie absolut zu rechtfertigen. Eine derartige Datenbank kann die Vereinheitlichung der Therapie und der Implementierung modernster internationaler Behandlungswege bei Seltenen kinderchirurgischen Krankheitsbildern unterstützen.

Gasparella, P.; Singer, G.; Kienesberger, B.; Arneitz, C.; Fülöp, G.; Castellani, C.; Till, H.; Schalamon, J. The Financial Burden of Surgery for Congenital Malformations — The Austrian Perspective. Int. J. Environ. Res. Public Health 2021, 18, 11166. [6]

(js)

⇒ [Kosten kinderchirurgischer Interventionen](#) [6]

Fortschritte in der Bildung von Expertisenzentren in der Kinderchirurgie

Vor genau zwei Jahren, bei der 13. Jahrestagung der Politischen Kindermedizin in Salzburg, wurde die Frage nach einer **Schwerpunktsetzung in der Kinderchirurgie** heftig diskutiert und aus verschiedenen Blickwinkeln beleuchtet [7]. Besonders deutlich forderten die Patientenorganisationen eine Schwerpunktsetzung in der Kinderchirurgie.

Seither ist Bewegung in die Entwicklung von Expertisenzentren in der Kinderchirurgie gekommen. Dabei spielen die drei Europäischen Netzwerke **ERNICA** (Zwerchfellhernien, Bauchwanddefekte und gesamter Gastrointestinaltrakt) [8], **e-Urogen** (Anorektale Malformationen und kinderurologische Fehlbildungen) [9] sowie **VASCERN** (Gefäßmalformationen) [10] in der Bewerbung die entscheidende Rolle.

Nach nunmehr längeren Vorbereitungen und Gesprächen mit den verantwortlichen Abteilungen auf nationaler Ebene, nach Zustimmung durch Kollegiale Führungen und Geschäftsführungen, durch Rektorate und Landesregierungen in den Bundesländern werden die Zentrumsbewerber in der aktuellen Sitzung der Bundeszielsteuerungskommission vorgestellt.

Die positiv bewerteten Zentren sind berechtigt, in ein Designationsverfahren einzutreten. Damit ist der Startschuss für die Bewerbung auf europäischer Ebene gegeben.

Ja, die **Kinderchirurgie bewegt sich** – in die richtige Richtung! (sd)

⇒ [Joint Meeting 2019, Salzburg](#) [7]

⇒ [ERNICA](#) [8]

⇒ [e-Urogen](#) [9]

⇒ [VASCERN](#) [10]

Short News

Die deutsche Koordinierungsstelle der Forschungsverbände für Seltene Erkrankungen führt neben relevanten Infos zur Forschung einen [Kalender](#) über zukünftige Veranstaltungen [11].

▶▶▶▶▶ Save the Date ◀◀◀◀◀

14.12.2021 (Wien, hybrid)

121. Gesundheitspolitisches Forum:

[Mehr Mut zu Innovationen im österreichischen Gesundheitssystem](#) [12].

26.2.2022 (Wien, hybrid)

Pro Rare Austria: [Tag der Seltenen Erkrankungen](#) [13].

7./8. 10. 2022 (Linz)

12. Österreichischer Kongress für Seltene Krankheiten [Details folgen].

Preisbildung bei sehr teuren Medikamenten für SE

Sowohl bei der letzten Tagung der politischen Kindermedizin (PKM) zu den Problemen und Lösungsmöglichkeiten bei der Betreuung von Patienten mit Seltenen Erkrankungen (SE) [14], wie auch in einer Stellungnahme des Austrian Institute for Health Technology Assessment (AIHTA) im Juli dieses Jahres [15, 16] oder während des letzten Pharmig-Dialogs am 10.11.2021 [17] wurde sowohl von EU-Seite wie auch von Österreichischer Seite auf die Wichtigkeit der Zusammenarbeit und Inklusion aller beteiligten Stellen (aus Wissenschaft, Patientengruppen, Versicherungen, Gesundheitssystem und Politik) bei der Entwicklung und Finanzierung von Medikamenten für SE hingewiesen:

Neue Empfehlungen für teure Medikamente [15, 16]

In den vergangenen Jahren sind jährlich zwei bis vier neue hochpreisige Medikamente auf den Markt gekommen. Das teuerste Medikament der Welt für Kinder mit spinaler Muskelatrophie (SMA) kostet etwa 1,69 Millionen Euro. Bisher sind die Kosten der Medikamente für das Gesundheitssystem im gleichen Rahmen der Gesamtkosten geblieben, aber die Übernahme der Finanzierung erfolgte meist nur im Rahmen von Einzelfallentscheidungen, und es betraf nicht alle Patienten mit der gleichen Erkrankung in ganz Österreich. Wie zuletzt berichtet, hat die ÖGK mit einem Bundesland Österreichs eine Vereinbarung zur Bezahlung der hohen Kosten für die Enzymtherapie abgeschlossen.

Um das Gesundheitssystem durch ev. steigende Kosten dieser Medikamente in Zukunft nicht zu gefährden, haben Experten neue Empfehlungen für Österreich erstellt:

Ob die teuren Therapien die erhoffte Wirkung haben, können Krankenanstalten und Sozialversicherungsträger oft nur schwer abschätzen, da zum Zeitpunkt der Zulassung meist nur wenige Daten über den tatsächlichen mittel- bis langfristigen Nutzen dieser Medikamente vorliegen: primär kleine, meist einarmige Studien, in denen es (lt. Claudia Wild, Leiterin des AIHTA) nur eine Beobachtungs- und keine Kontrollgruppe gibt. Eine Möglichkeit, das Risiko gerecht auf die Öffentliche Hand und die Herstellerfirmen aufzuteilen, liegt in sogenannten **Outcome-Based Managed-Entry Agreements** (OBMEAs). Durch solche Vereinbarungen werden Therapien unter klar definierten Bedingungen von der Öffentlichen Hand finanziert. Das AIHTA erhob, welche internationalen

Erfahrungen es mit OBMEAs bereits gibt. Danach wurde ein Good-Practice-Modell generiert, das als Vorbild für die Implementierung von OBMEAs in Österreich dienen soll.

Der erste Schritt liegt in der **Initiierung** eines OBMEA. Hier wird geklärt, für welche Therapien klar definierte Vereinbarungen getroffen werden sollen. Es gilt festzustellen, welche Unsicherheiten es gibt und welche Daten gebraucht werden, um diese Unsicherheiten zu beseitigen. Es muss von Anfang an klar sein, welche klinischen Ergebnisse erzielt werden müssen, damit es zur Kostenübernahme durch die Sozialversicherungsträger kommt.

Der zweite Schritt umfasst das **Studiendesign**. Welche Patienten werden in die Studie inkludiert, welche relevanten Endpunkte sollen erhoben werden? Es ist zu klären, welchen Nutzen man sich von der Therapie erwartet. Das heißt auch, dass festgelegt werden muss, ab wann die Therapie abgebrochen wird. Die Öffentliche Hand sollte die Finanzierung übernehmen und die Datenhoheit über diese Register haben [15, 16].

Die dritte Phase des OBMEA ist die **Evidenzgenerierung**. Die vereinbarten Daten werden nach einem vorher festgelegten Zeitplan erfasst und die Datenqualität und -validität regelmäßig geprüft. Schließlich kommt es zur **Re-Evaluierung** des OBMEAs, bei der Kliniker und Patienten in die Interpretation der Ergebnisse eingebunden werden. Zudem wird entschieden, ob die Kostenerstattung unter den bestehenden Vereinbarungen aufrecht bleibt oder zu geänderten Bedingungen fortgesetzt wird.

Transparente Preisbildung

Es braucht völlig transparente Vereinbarungen, die auch an Patienten und Angehörige kommuniziert werden. Nicht zuletzt ist die Preisbildung der Pharmaindustrie für diese teuren Therapien infrage zu stellen, zumal die Grundlagenforschung der Therapieansätze bereits durch die öffentlichen Forschungsfördergeber bezahlt wurde und in diese Preisbildung derzeit nicht einfließt [15, 16] (hd)

⇒ [Joint Meeting 2019 von Forum SK, PKM und Pro Rare Austria](#) [14]

⇒ [IHTA Projektbericht Nr. 138](#) [15]

⇒ [ORF-Science-Bericht vom 1.10.2021](#) [16]

⇒ [10. RARE DISEASES DIALOG: Therapeutische Zukunft bei seltenen Erkrankungen](#) [17]

NAKSE 2021

Ende September fand in Deutschland die 2. nationale Konferenz für Seltene Erkrankungen (NAKSE) statt [18]. Sie wurde kooperativ von ACHSE [19], dem deutschen Pendant zu Pro Rare Austria, und den Zentren für SE (ZSE), als zweitägige Onlineveranstaltung abgehalten. Ich habe einige Gesprächsnotizen gesammelt, um zu einem Nachschauen der NAKSE anzuregen.

Helge Hebestreit (Sprecher der ARGE ZSE) erzählt in einem kurzen Rückblick über die Fortschritte bei den Zentrenanforderungen und deren Finanzierung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA), dem Finanzier des deutschen Gesundheitswesens [20]. Detaillierter ist seine Darstellung zu Patienten ohne Diagnose. Dazu wird in Bayern auch unter dem Titel **Base Net** ein Datennetzwerk etabliert, um Patienten, Ärzte und Zentren zu verbinden. Als Hemmnis für die deutschlandweite Anwendung nennt er die unterschiedlichen Datenschutzvorschriften der Bundesländer.

Christine Mundlos (ACHSE-Lotsin, Ansprechperson für Mediziner, Wissenschaftler und Therapeuten) beschreibt ihr Arbeitsumfeld mit umfangreichen Leistungskatalogen, die aber letztendlich zu undurchschaubaren und intransparenten Systemen führen. Dazu gesellen sich auch noch Mängel bei der Informationsverteilung und Koordination.

Ruth Biller (ARVC-Selbsthilfe) erzählt aus eigener Erfahrung über diagnostische Odyssees und zählt auf, was dringend fehlt: Zeit für Anamnese (um nicht zum Psychotherapeuten abgeschoben zu werden) und Abklärung unklarer Symptome. Die Probleme dabei sind vor allem wenig Zeit und die Unwissenheit über Symptome und Differentialdiagnosen, ebenso wie das Ausbleiben eines Weiterüberweisens für eine Zweitmeinung.

Sonja Laag (Barmer) erzählt über ein Lotsenprojekt für geriatrische Patienten, die in unüberschaubaren Systemen ebenso untergehen wie Patienten mit SE, und plädiert für strukturierte Versorgungspfade mit lokalem Management. Wettbewerbe, Projekte, hier und da ein wenig Fördermittel hält sie für untaugliche Lösungsversuche und wirbt stattdessen für eine Umstrukturierung des Gesundheitswesens mit Inkludierung des Sozialsystems.

Martin Mücke erzählt von seinem täglichen Kampf, in dem ein Spezialist in Bittstellerrolle mit

viel Aufwand eine detailliert begründete Verordnung einreicht, diese von einem unbelasteten Arzt aber ganz einfach mit einer nichtssagenden Worthülle abgelehnt wird. Über den schmalen Grat zwischen motivierender Aufgabe und Resignation.

Jürgen Schäfer (ZSE Marburg, „Dr. House“) schließt nahtlos an, indem er fragt, mit welchen Begründungen die Expertise der Experten angezweifelt wird – aus ärztlicher Sicht und aus Sicht des medizinischen Dienstes.

Er wirbt dafür, den Sondertatbestand „SE“ im niedergelassenen Bereich einzuführen und Genehmigungsverfahren nicht von fachfremden Personen ausführen zu lassen. Er verortet mangelndes Problemverstehen in der Politik, weil ein Expertenpanel zur Beurteilung besser sein sollte als ein Orthopäde, der eine Stoffwechselsituation beurteilt. Weiters sollten Ablehnungsgründe und Ablehnungsraten pro Gutachter offengelegt werden.

Der zweite Veranstaltungstag stand ganz unter dem Motto „Netzwerke und Therapie“.

Anke Widenmann-Grolig und **Alexandra Berger** erzählen darüber, wie Vernetzung und Zusammenarbeit über Organisations- und Sektorengrenzen, aber auch über föderale und nationale Grenzen hinweg, sowie eine Kooperation von medizinischen Experten und qualifizierten Patientenvertretern noch in den Kinderschuhen stecken. Und die allermeisten Netzwerkaktivitäten passieren in der Freizeit.

Bastiaan Bloem aus den Niederlanden erzählt über das *ParkinsonNet* als Modellbaukasten für eine gute Versorgung. Am Beispiel Niederlande und *ParkinsonNet* zeigt er, dass das Netzwerk nicht gratis ist, aber schon nach kurzer Zeit Gesamtkosten dramatisch reduziert. Das liegt vor allem daran, dass die Patienten gesünder sind, ihr Self Management besser und die Versorgung effizienter ist.

An einem missglückten Etablierungsversuch zählt er auch die Gründe des Scheiterns auf:

- fehlende Leitpersönlichkeit
- fehlende lokale Projektleitung
- fehlende lokale Ausbilder für Akzeptanz und Nachhaltigkeit

In der Diskussionsrunde **Was muss sich verbessern, damit gute Vernetzung gelingt?** kochen viele Kongress Themen wieder hoch. Allen voran die Leitfrage: „Wer ist der Kümmerer, der Treiber der Vernetzung?“ Aktuell sind die Kümmerer, die Anreifer, die Verantwortung wahrnehmenden Personen solche mit intrinsischer Motivation.

Netzwerkfinanzierung ist natürlich immer ein Thema, weil nicht jeder im Netzwerk Patientenkontakt hat und damit die Finanzierung schwer wird. Auch ist ein Problem, dass gute Therapie, die mit weniger Aufwand auskommt, auch geringer honoriert wird.

Auf eine Frage nach Sektorgrenzen gibt es ein verhaltenes Stöhnen und ernüchternde Erlebnisse aus der Praxis.

Es reiche nicht über **A-B-C-Zentren** zu reden, man müsse über **A-B-C-Netzwerke** reden. Und ohne nachhaltige Finanzierung wird es nicht gehen.

Mein Resümee: der **NAKSE war cool**.

Der Blick zu den Nachbarn ist für mich nicht nur meist eine sehr passende Reflektion der eigenen Situation hierzulande, sondern auch großteils ein Blick in die Zukunft.

Es gibt die Ergebnisbroschüre zwar noch nicht, die **Vorträge können aber noch nachgesehen werden** (Zugangsdaten auf Anfrage [21]). (hh)

⇒ [NAKSE bei ACHSE](#) [18]

⇒ [ACHSE](#) [19]

⇒ [Gemeinsamer Bundesausschuss](#) [20]

⇒ [NAKSE 2021 Zugangsdaten Videoarchiv](#) [21]

Editorial

Trotz der Corona-Pandemie hat es in den letzten eineinhalb Jahren einige erfreuliche Entwicklungen geben, denen dieser News-letter (NL) gewidmet ist.

Fast unbemerkt hat sich im Gesundheitsministerium (BMSGPK) eine Änderung im Ablauf und eine Konkretisierung des **ministeriellen Vorgehens** bei der **Umsetzung des NAP.se** (Nationalen Aktionsplans für Seltene Erkrankungen) ergeben. Wir bringen eine Rückschau und einen Überblick über den Ist-Stand. In der Folge Nummer unseres NL ist eine Detaildarstellung der involvierten Gremien vorgesehen.

Mit großer Freude berichten wir über die mutigen Schritte der **österreichischen Kinderchirurgen** zur **objektiven Datenerfassung** ihrer Tätigkeit bei der Versorgung von Kindern mit SE und ihre **Intentionen zur Schwerpunktsetzung** und Partizipation an den ERNs (europäischen Referenznetzwerken).

Ein Thema, das manche Patienten mit SE direkt und schwerwiegend betrifft, ist die **Finanzierung der hochpreisigen Medikamente**. Im Sommer hat das **Institute for Health Technology Assessment (AIHTA)** unter der Leitung von PD Dr. Claudia Wild dazu ein Diskussionspapier publiziert, das wir mit Freude vorstellen. Für die nächste Nummer unseres Newsletters hat die Pharmig einen Diskussionsbeitrag zugesagt.

Oft erlaubt der **Blick ins benachbarte Ausland** eine Ahnung über zukünftige Entwicklungen bei uns. Manche Themen, die bei der zweitägigen **nationalen Konferenz für Seltene Erkrankungen (NAKSE)** in Deutschland aufgeworfen wurden, könnten bei uns - vielleicht in etwas abgeänderter Form - bald Relevanz bekommen. Wir stellen **einige dieser Themen** vor und hoffen, dass - während des vorweihnachtlichen Lock-Downs - die Videos der dazugehörigen Vorträge aufgerufen werden. Die Zugangsdaten zum Videoarchiv können noch angefordert werden [21].

Zum Schluss noch, beste Wünsche für die Weihnachtsfeiertage und das kommende Jahr.



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: Mag. Dr. Friederike Zechmeister-Machhart, BMSGPK (*fz*), Univ.Prof. Dr. Johannes Schalamon, Universitätsklinik für Kinder- und Jugendchirurgie Graz (*js*), OA Dr. Stefan Deluggi, Abtlg. Kinder- und Jugendchirurgie, Kepler Universitätsklinikum, Linz (*sd*)

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

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

Detaillierte Adressen der Links:

[1] Nationale Koordinationsstelle für SE
https://goeg.at/GOEG_NKSE

[2] Evaluation des NAP.se
https://goeg.at/Evaluation_NAP_SE

[3] Orphanet
a <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>
b <http://www.orpha.net/national/AT-DE/index/startseite>

[4] SE im Gesundheitsministerium
<https://www.sozialministerium.at/Themen/Gesundheit/Seltene-Krankheiten.html>

[5] SE im Gesundheitsportal
<https://www.gesundheit.gv.at/krankheiten/seltene-krankheiten/inhalt>

[6] Kosten kinderchirurgischer Interventionen
<https://doi.org/10.3390/ijerph182111166>

[7] Joint Meeting 2019, Salzburg
<https://link.springer.com/journal/608/volumes-and-issues/55-3/supplement>

[8] ERNICA
<https://ern-ernica.eu/about/ernica/>

[9] e-Urogen
<https://eurogen-ern.eu/>

[10] VASCERN
<https://vascern.eu/>

[11] Veranstaltungskalender der deutschen Koordinierungsstelle der Forschungsverbände für SE
<https://www.research4rare.de/aktuelles/veranstaltungen/>

[12] 121. Gesundheitspolitisches Forum: Mehr Mut zu Innovationen im österreichischen Gesundheitssystem
<https://www.gesundheitspolitischesforum.at/>

[13] Pro Rare Austria: Tag der seltenen Erkrankungen
<https://www.prorare-austria.org/newsroom/veranstaltungen/event/save-the-date-der-pro-rare-austria-tag-der-seltenen-erkrankungen/>

[14] Joint Meeting 2019 von Forum SK, PKM und Pro Rare Austria
<https://link.springer.com/journal/608/volumes-and-issues/55-3/supplement>

[15] Institute for Health Technology Assessment: Projektbericht Nr. 138
https://eprints.ihata.at/1329/1/HTA-Projektbericht_Nr.138%20.pdf

[16] ORF-Science-Bericht vom 1.10.2021
<https://science.orf.at/stories/3209007/>

[17] 10. RARE DISEASES DIALOG: Therapeutische Zukunft bei seltenen Erkrankungen
<https://www.pharmig.at/themen/seltene-erkrankungen/rare-diseases-dialoge/>

[18] NAKSE bei ACHSE
https://www.achse-online.de/de/was_tut_ACHSE/NAKSE-2021.php

[19] ACHSE
<https://www.achse-online.de/de/>

[20] Gemeinsamer Bundesausschuss
<https://www.g-ba.de/>

[21] NAKSE 2021 Zugangsdaten Videoarchiv
<mailto:NAKSE2021@expertisenetze.at?subject=Zugangsdaten%20Videoarchiv%20NAKSE2021%20anfordern>

Mit wegweisenden
Therapien komplexen
Krankheiten begegnen.

morbus
FABRY

MPS I

morbus
GAUCHER

morbus
POMPE

IHR PARTNER BEI LYSOSOMALEN SPEICHER-KRANKHEITEN

www.genzyme.at

SANOFI GENZYME