

Das österreichische Zentrenkonzept für seltene Erkrankungen: Nationale Umsetzung und Integration in die Europäischen Referenznetzwerke

Till Voigtländer

Stakeholderanlass zum Stand der Umsetzung des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten, Bundesamt für Gesundheit, Schwarzenburgstr. 157, 3097 Bern-Liebefeld, 15. Mai 2018

Inhaltsverzeichnis

- » Der Nationale Aktionsplan für seltene Erkrankungen
 - » Zentrale europäische und nationale Dokumente
 - » Ausarbeitungsprozess
 - » Inhaltsübersicht
- » Das österreichische Konzept für spezialisierte Zentren für seltene Erkrankungen
 - » Stufenmodell Typ A-, Typ B- und Typ C-Zentren
 - » Nationales Designationsverfahren
- » Das Konzept der Europäischen Referenznetzwerke (ERN)

Europäische und nationale Dokumente (1)

- » **Mitteilung** der **Kommission** über seltene Erkrankungen – eine Herausforderung für Europa (2008)
- » **Empfehlung** des **Rates der Europäischen Union** für eine Maßnahme im Bereich SE (2009)
- » **Patientenmobilitätsrichtlinie** 2011/24/EU des Europäischen Parlaments und des Rates (2011)
 - » Artikel 12 („Europäische Referenznetzwerke“)
 - » Artikel 13 („Seltene Erkrankungen“)
- » **Delegierter Beschluss** 2014/286/EU der Kommission (2014)
- » **Durchführungsbeschluss** 2014/287/EU der Kommission (2014)

Europäische und nationale Dokumente (2)

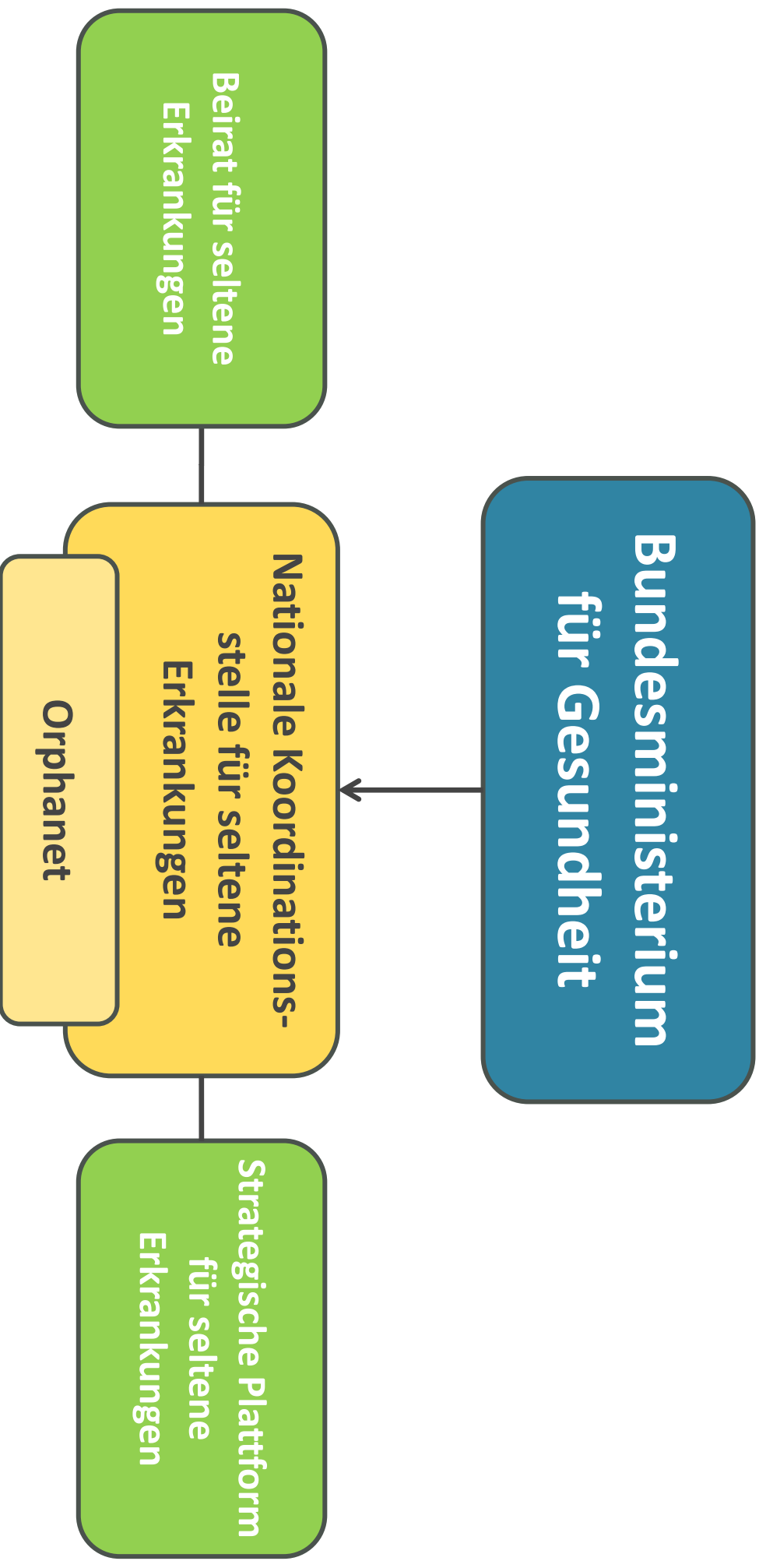
- » **Berichte der Task Force for Rare Diseases (RDTF)** zu den Themen Expertisenzentren für SE und Europäische Referenznetzwerke (2005, 2006, 2008)
- » **Empfehlungen** zu Qualitätskriterien für Expertisenzentren für SE des **European Union Committee of Experts on Rare Diseases** (EUCERD; 2011)
- » **Empfehlungen** des **EUROPLAN¹⁾** Projektes für die Ausarbeitung nationaler Aktionspläne für seltene Erkrankungen (2011)

¹⁾ EUROPLAN: European Project for Rare Diseases National Plans Development (2008–2011)

Europäische und nationale Dokumente (3)

- » **NKSE-Publikation** „Seltene Erkrankungen in Österreich“ (Voigtländer et al. 2012; Gesundheit Österreich GmbH)
- » Dokumente mit rechtlichen Implikationen:
 - » **Rahmen-Gesundheitsziele**
 - » **Gesundheitsreform**
 - » **Kindergesundheitsstrategie**
- » **Nationaler Aktionsplan für seltene Erkrankungen** (2014 – 2018)

Organisationsstruktur NKSE inkl. AG und Gremien



Ausarbeitungsprozess des NAP.se (2)

- » **Expertengruppe für SE**
 - » Selbsthilfegruppen
 - » Österreichische Ärztekammer
 - » Medizinische Expertinnen und Experten (inkl. NGS)
 - » Gesundheitswesen
 - » Sozialwesen und Pflege
 - » Forschung
 - » Sozialversicherung
 - » Krankenanstaltenträger
 - » Bundesländer (W, Vbg)
 - » Arzneimittelzulassung/Arzneimittelsicherheit
 - » Pharmazeutische Industrie
 - » Medizinrecht und Medizinethik
 - » NKSE und Orphanet
- » **Strategische Plattform für SE**
 - » BMG
 - » HVB, WGKK
 - » Länder (Stmk, S)
 - » GÖG

Ausarbeitung des NAP.se (2014 – 2018)

» Durchführung eines abschließenden, mehrstufigen Begutachtungsprozesses

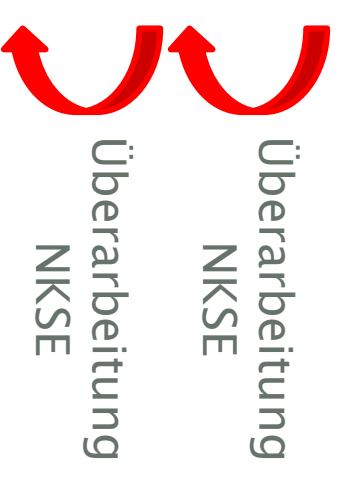
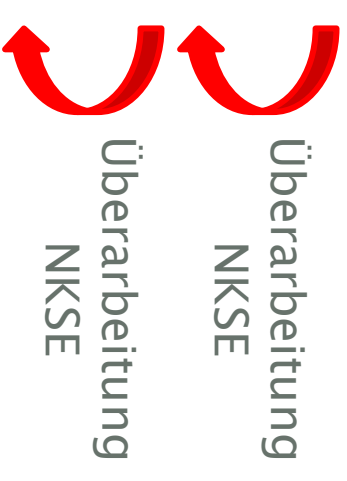
» Begutachtung Expertengruppe für SE

» Begutachtung Strategische Plattform für SE

» Parallele Begutachtung Fachgruppe Planung und Fachabteilungen der Ministerin BMG, BMWFW und BMASK

» Begutachtung Ministerbüro BMG

» Freigabe Ministerbüro BMG



» Publikation des NAP.se zum RDD 2015

Aufbau und Inhalte des NAP.se (2)

Hauptdokument:

- » HF 1: Abbildung der SE im Gesundheits- und Sozialsystem
- » **HF 2: Verbesserung der medizinisch-klinischen Versorgung der von SE Betroffenen**
- » HF 3: Verbesserung der Diagnostik für SE
- » HF 4: Verbesserung der Therapie und des Zugangs zu Therapien für von SE Betroffene
- » HF 5: Förderung der Forschung im Bereich SE
- » HF 6: Verbesserung des Wissens über und des Bewusstseins zu SE
- » HF 7: Verbesserung der epidemiologischen Kenntnisse im Kontext von SE
- » HF 8: Einrichtung ständiger Beratungsgremien für SE beim BMG
- » HF 9: Anerkennung der Leistungen der Selbsthilfe

Aufbau und Inhalte des NAP.se (3)

Anhang:

- » Anhang 1: Entwicklung spezialisierter Zentren für SE und nachfolgende Vernetzung zu Europäischen Referenznetzwerken: Entwicklungen in der EU von 2004–2014
- » **Anhang 2: Das österreichische Stufen-Modell für spezialisierte Zentren für SE:** Darstellung der Zentrumstypen und der Einbindung in die österreichische Versorgungslandschaft
- » **Anhang 3: Tabellarische Darstellung der Leistungs- und Qualitätskriterien für die verschiedenen Typen spezialisierter Zentren für SE in Österreich**

Spezialisierte Zentren für SE („Expertisenzentren“)

- » Österreichisches Modell für spezialisierte Zentren für SE mit **drei Differenzierungsstufen**:
 - » Bezeichnungen:
 - **Typ A**-Zentrum (Expertisecluster)
 - **Typ B**-Zentrum (Expertisenzentrum)
 - **Typ C**-Zentrum (Assoziiertes Zentrum)
 - » Nutzung vorhandener hochspezialisierter Einrichtungen
 - **„Bottom up“**-Komponente (Bewerbung)
 - **„Top down“**-Komponente (Zustimmung auf Ebene der Gesundheitsplanung und der Finanzierung)
 - » Ziele:
 - Ausbildung **schnellerer Versorgungswege**
 - Schaffung **klarer Wege, Strukturen und Prozesse** für das langfristige Management von Betroffenen
 - Möglichst weitgehende **Integration in bestehende Strukturen und Abläufe** in der Praxis

Expertisezentrum (COE) **Typ B**

Charakteristika:

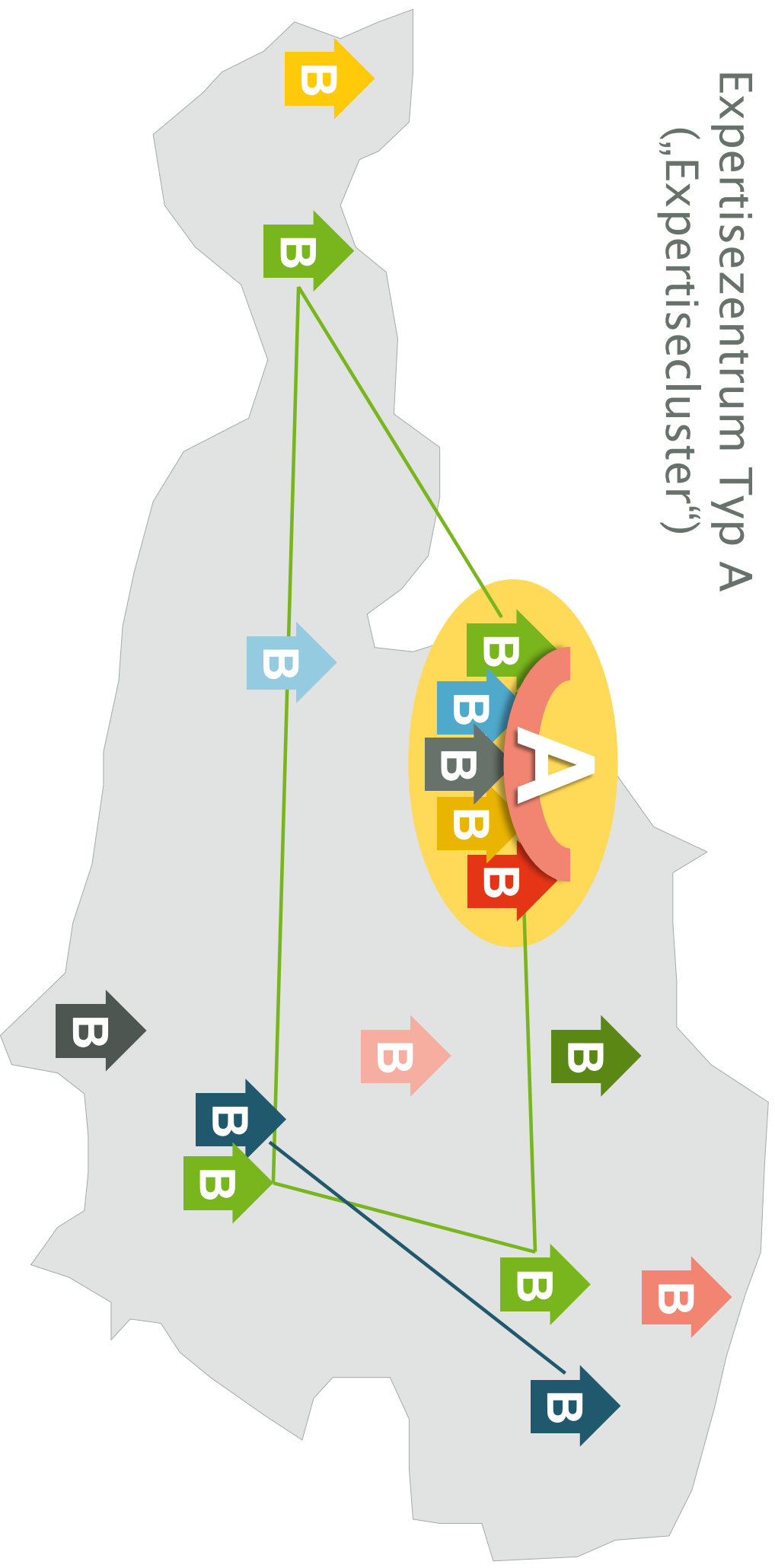
- » Typ B steht im Mittelpunkt des Modells
- » Typ B ist das „klassische“ Expertisezentrum
- » Kennzeichen: **Spezialisiertes Zentrum für eine definierte Gruppe seltener Erkrankungen**
(Ausrichtung an Krankheitsgruppen)
- » Leistungsprofil:
 - Klinische Versorgung: Leistungs- und Qualitätskriterien für Expertisezentren
 - Forschung: Register (fakultativ weitere Forschungsleistungen)
 - Ausbildung: Facharztausbildung mit einem Schwerpunkt im eigenen Expertisebereich

Versorgungslandschaft (Modell)

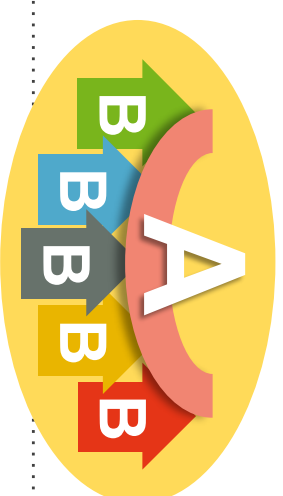
(1)

Expertisезentrum Typ B

Expertisезentrum Typ A
(„Expertisecluster“)



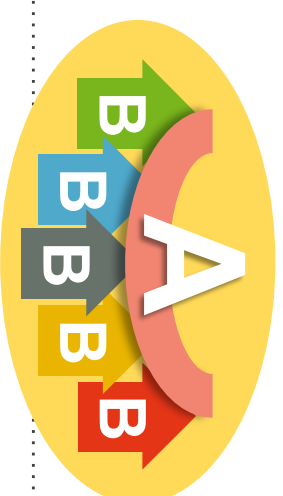
Expertisenzentrum (CoE) **Typ A** („Expertisecluster“)



Charakteristika (1):

- » Typ A ist ein **synergistischer Zusammenschluss** aus ≥ 3 Expertisenzentren vom Typ B
- » Kennzeichen: **Krankheitsübergreifender Zusammenschluss** spezialisierter Einzelzentren für definierte Gruppen seltener Erkrankungen
(**Integration** von **Expertise in übergeordneter Struktur**)
- » Leistungsprofil:
 - Klinische Versorgung:
 - » Versorgung auf Ebene des Typ B
 - » **Übergreifende Struktur** für Versorgung von Patienten/
Patientinnen mit unklarer Diagnose
 - z.B. Einrichtung einer **Koordinations- /Anlaufstelle**
 - z.B. interdisziplinäre **Fallkonferenzen** („SE-Board“)
 - z.B. Einsatz **innovativer Spezialdiagnostik**

Expertisenzentrum (CoE) **Typ A** („Expertisecluster“)



Charakteristika (2):

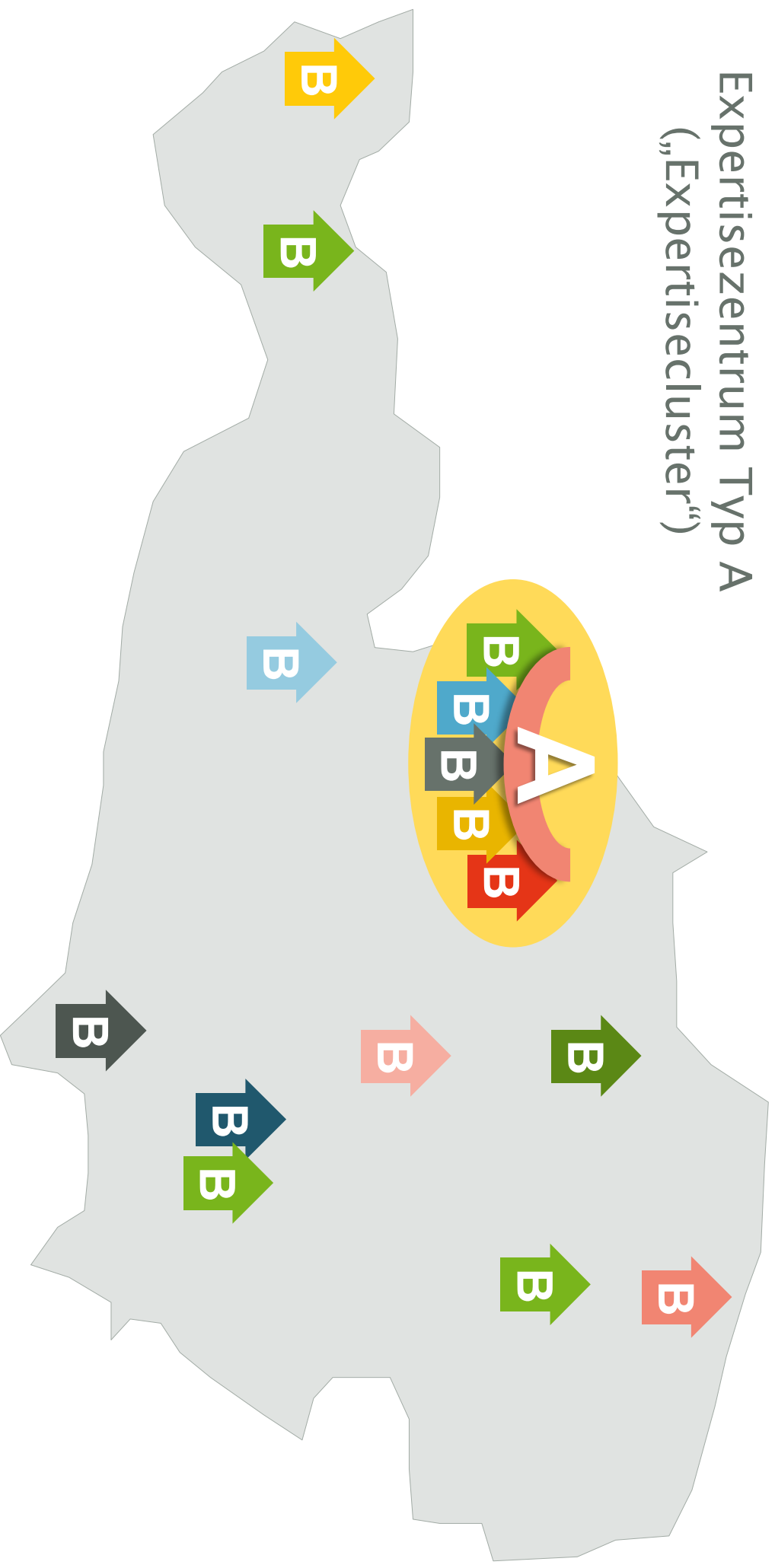
- » Leistungsprofil:
 - Forschung:
 - » Grundlagenforschung
 - » Angewandte (translationale) präklinische Forschung
 - » Klinische Forschung
 - Beteiligung an klinischen Studien
 - Register
- Ausbildung:
 - » Facharztausbildung mit Schwerpunkt im eigenen Expertisebereich
 - » Aus- /Fort- /Weiterbildung für Angehörige nichtärztlicher Gesundheitsberufe
- Beteiligung an Erstellung von „Good practice guidelines“ (optional)

Versorgungslandschaft (Modell)

(1)

Expertisезentrum Typ B

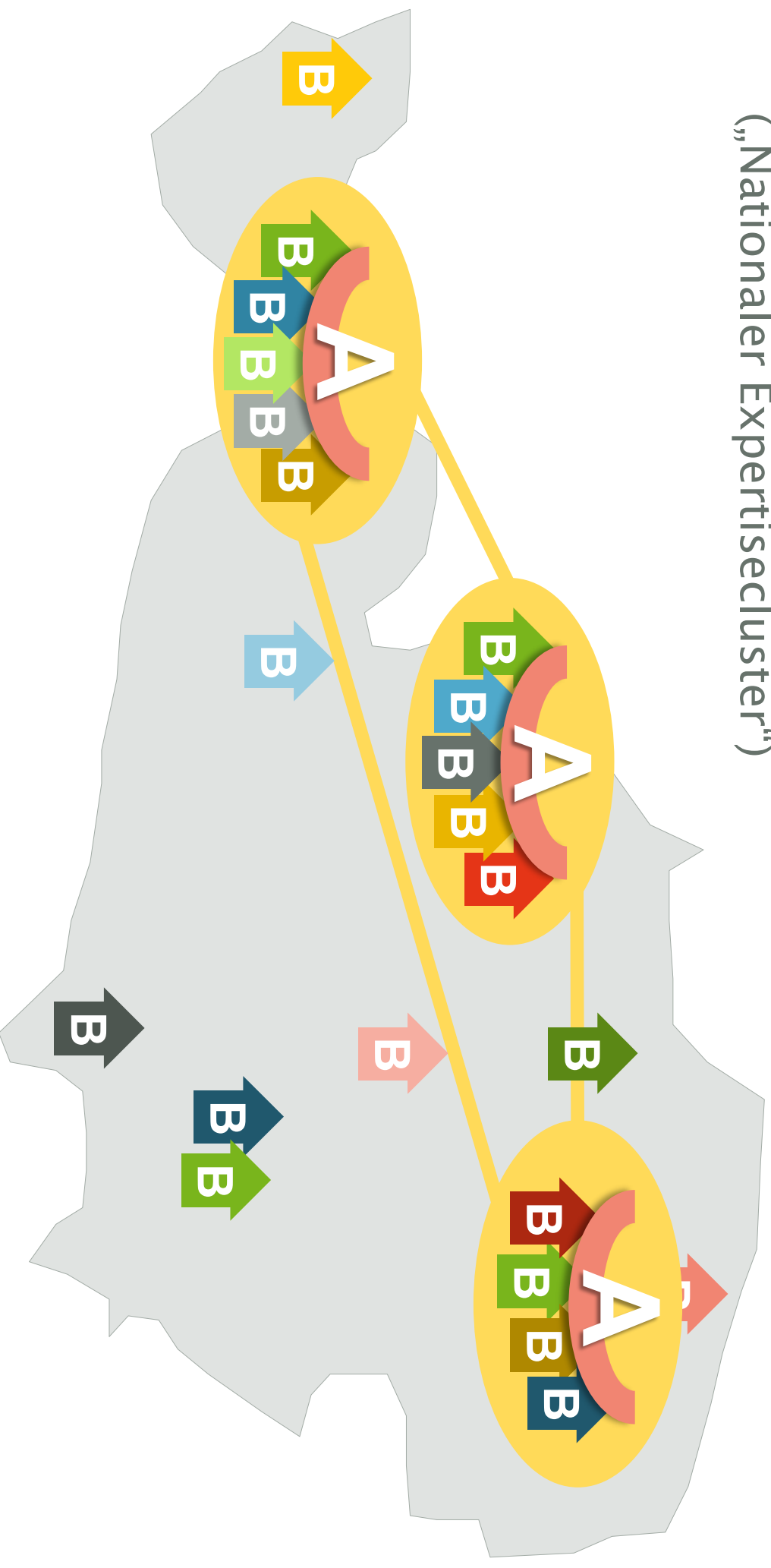
Expertisезentrum Typ A
(„Expertisecluster“)



Versorgungslandschaft (Modell)

(2)

Vernetzung der „Expertisecluster“
(„Nationaler Expertisecluster“)

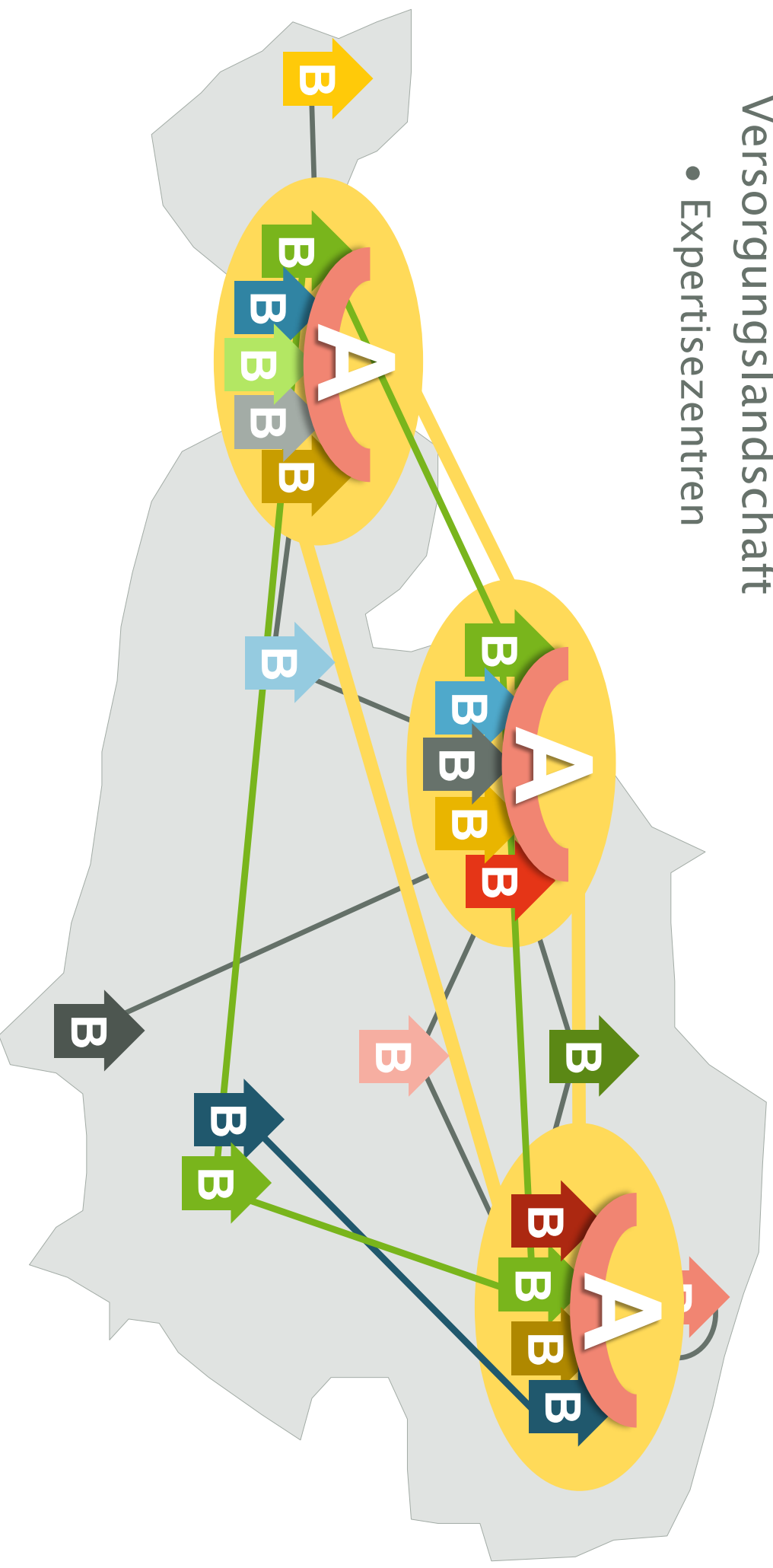


Versorgungslandschaft (Modell)

(2)

Weitere Vernetzung in der
Versorgungslandschaft

- Expertisezentren



Assoziiertes Zentrum **Typ C**

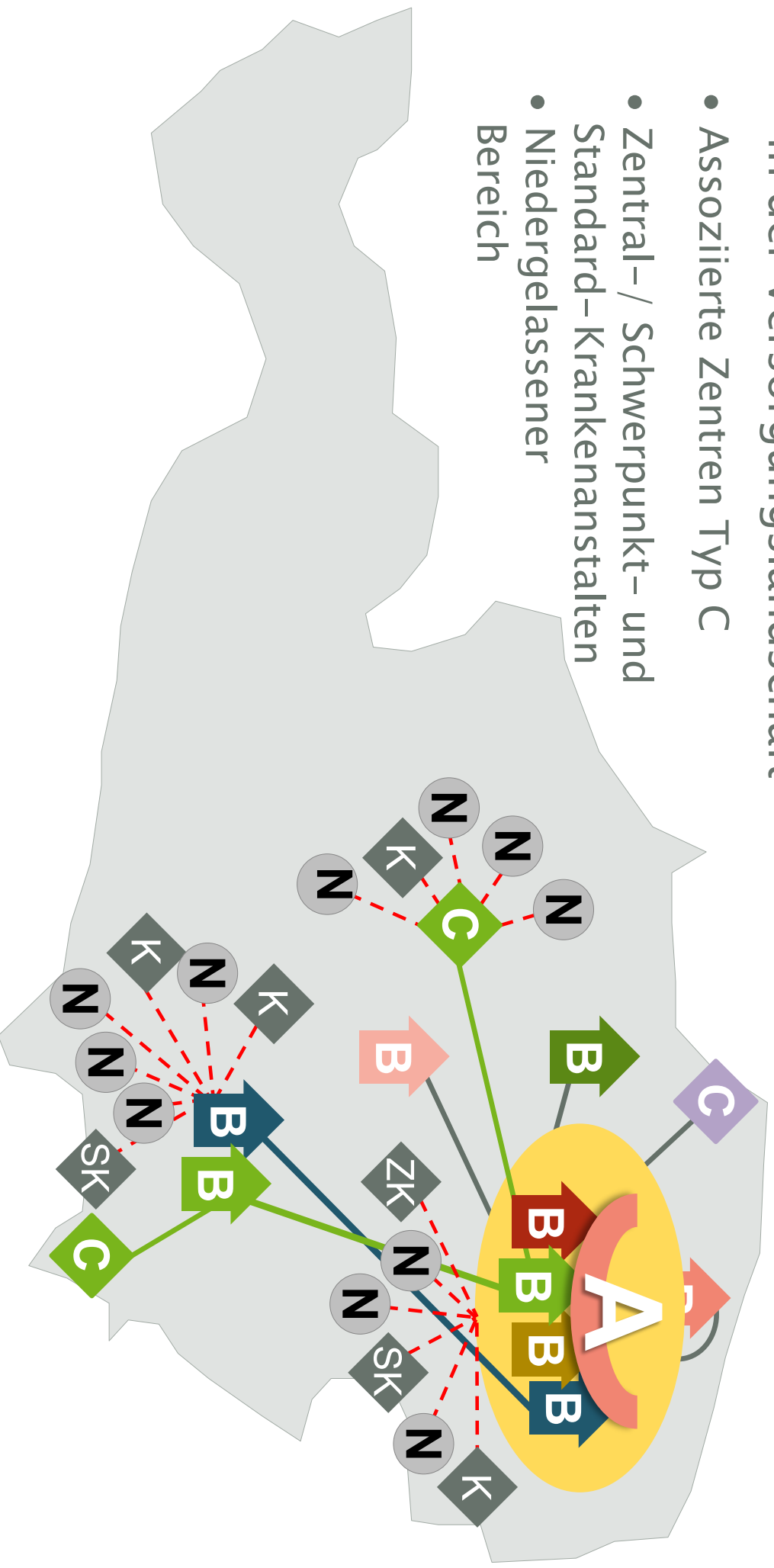
- » Typ C steht **personell** / **ressourcentechnisch** eine Stufe „unter“ dem Expertisезentrum Typ B
- » Kennzeichen: **Spezialisiertes Zentrum für eine definierte Gruppe seltener Erkrankungen (Ausrichtung an Krankheitsgruppen)**
Zwischenstellung zwischen Zentrum Typ B und „reiner“ Universitätsklinik
- » Leistungsprofil:
 - » Klinische Versorgung: Ausgewählte Leistungs- und Qualitätskriterien für Typ C-Zentren
 - » Forschung: Register (fakultativ weitere Forschungsleistungen)
 - » Ausbildung: Facharztausbildung mit einem Schwerpunkt im eigenen Expertisebereich (soweit möglich)

Versorgungslandschaft (Modell)

(3)

Weitere (transsektorale) Vernetzung
in der Versorgungslandschaft

- Assoziierte Zentren Typ C
- Zentral- / Schwerpunkt- und
Standard- Krankenanstalten
- Niedergelassener
Bereich



Zusammenfassung des Zentren-Modells

- » Gleichwertigkeit in der **klinischen Versorgung** zwischen den verschiedenen Typen von Expertisezentren (keine Hierarchie)
- » **Klare Zuordnung** eines definierten Zentrums zu einer definierten Gruppe seltener Erkrankungen (Typ B)
- » **Nutzung des additiven Potentials** krankheitsübergreifender Strukturen (Typ A; der „Cluster“)
- » Entwicklung einer **neuen Versorgungsmöglichkeit** für nicht diagnostizierte Patienten (integratives Expertise-Netzwerk des Typ A)
- » **Stärkung** bestehender und Etablierung neuer **Versorgungspfade**:
 - Potentielle Beschleunigung von Diagnosewegen
 - Klare Strukturen und Wege für das Follow-up Management
 - Realisierbarkeit des Modells
- » Schaffung der **Rahmenbedingungen** für die Integration österreichischer Expertise in europäische Referenznetzwerke

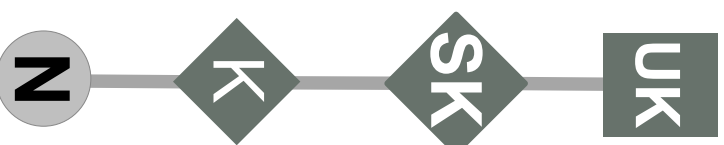
Versorgungsstrukturen für SE – Aktueller Stand

Universitätsklinik
(ggf. andere Zentral-KA¹⁾)

Schwerpunkt-
Krankenanstalten

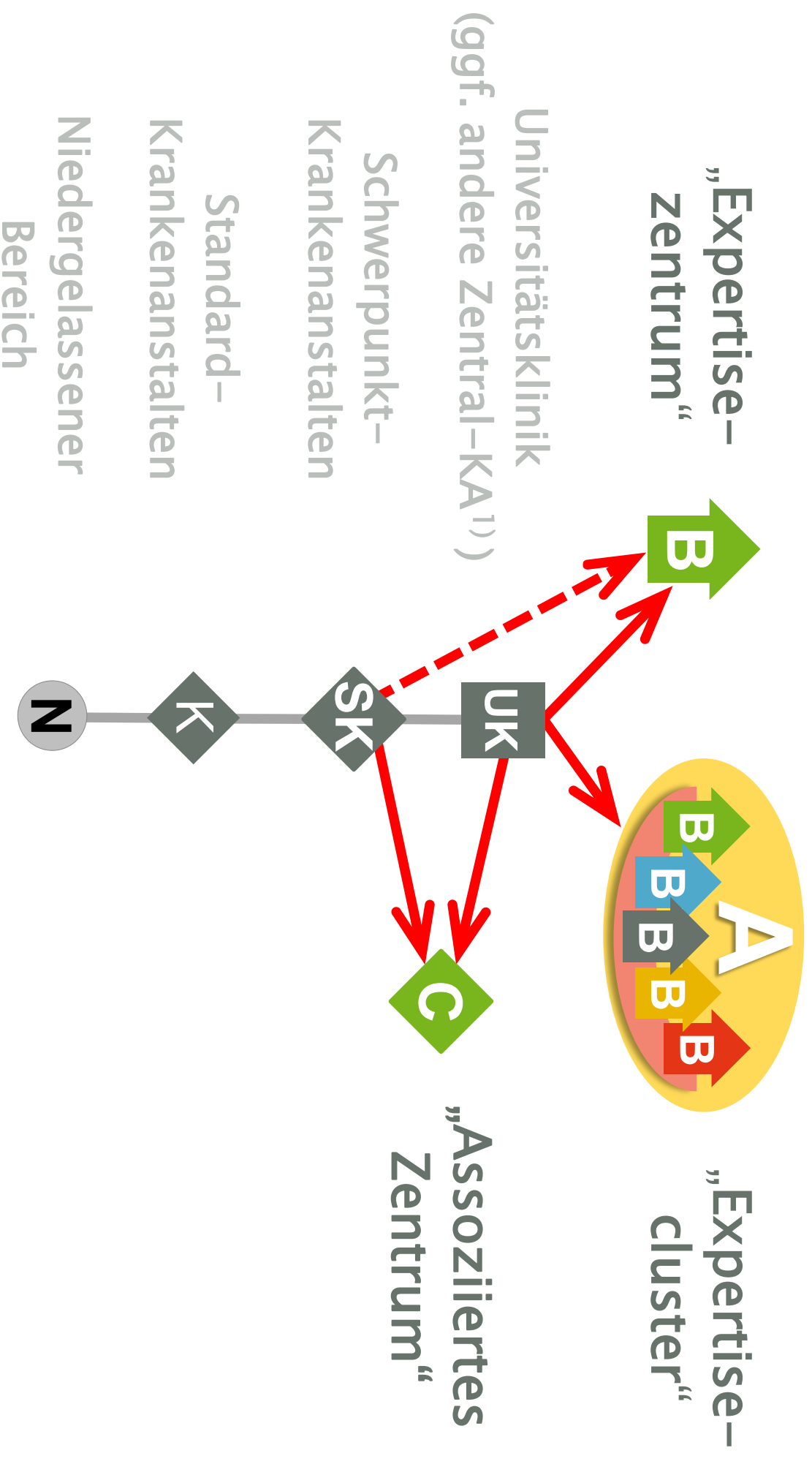
Standard-
Krankenanstalten

Niedergelassener
Bereich



¹⁾KA: Krankenhaus

Versorgungsstrukturen für SE - Neues Konzept



¹⁾KA: Krankenhaus

Grundlagen der Designation von Typ B-Zentren

- » Der Beschluss zur Designation einer sich bewerbenden Einrichtung wird von **zwei gleichwertigen** und **gleichgewichteten Faktoren** bestimmt:
 - » Ausgewiesene **medizinische Spezialexpertise** („Leuchtturm-Funktion“)
 - » Grundlegende **Überlegungen der nationalen Gesundheitsplanung**
- » Der Beschluss zur Designation wird im Konsens auf der Planungsebene gefasst:
 - » Kern-Entscheidungsträger
 - » Bund
 - » Bundesländer
 - » SV-Träger
 - » Zustimmung aller weiteren wichtigen Trägerstrukturen
 - » Integration in den Österreichischen Strukturplan Gesundheit

Designation von Typ B-Zentren

- » Kontinuierliches **Mapping** der **Expertise** (Orphanet)
- » **Bewerbung** von interessierten Einrichtungen
(Phase 1: **Checkliste**)
- » Prüfung und Unterstützung auf Planungsebene
- » **Ausführliche Bewerbung** ausgewählter Einrichtungen
(Phase 2: **Fragebogen**)
- » **Begutachtungs-Verfahren** (international und national)
- » Formaler Beschluss auf Planungsebene (BZK)
- » **Befristete Designation** des Zentrums durch BMG
- » Integration in Österreichischen Strukturplan Gesundheit
- » 5-Jahres-Kreislauf aus **Re-Evaluation** und allfälliger **Re-Designation**

Designation von Typ B-Zentren

- » Kontinuierliches **Mapping** der **Expertise** (Orphanet)

Die **nationale Designation** als
Expertisezentrum Typ B ist **Voraussetzung**
für die Unterstützungserklärung
(Endorsement) des Gesundheitsministeriums
für die Bewerbung um eine
Vollmitgliedschaft in einem **ERN**

- » 5-Jahres-Kreislauf aus **Re-Evaluation** und allfälliger
Re-Designation

Frage- und Gutachterbogen

- » Bewerbung über **Fragenkatalog**
- » Kategorien
 - » 1: Expertise
 - » 2: Interdisziplinäre und multiprofessionelle Struktur
 - » 3: Vernetzung
 - » 4: Forschung
 - » 5: Aus-, Weiter-, Fortbildung und Lehre
 - » 6: Ressourcen und Kapazitäten
 - » 7: Qualitätsmanagement
 - » 8: Ergänzende Angaben
- » Begutachtung über **strukturierte Gutachterbögen**
(ext. Gutachter, NKSE, Patientenorganisation(en))

Zustimmungsebenen Gesundheitsplanung

- » Zustimmung **Bewerbungsverfahren**
 - » (Leitung der Organisationseinheit oder Klinik)
 - » Krankenanstaltenträger
 - » Bundesland der bewerbenden Einrichtung
 - » Finanzier (falls nicht Krankenanstaltenträger)
 - » Kollegiale Führung der Krankenanstalt
 - » Geschäftsführung der Krankenanstalt
 - » Rektorat (bei universitären Einrichtungen)

» **Begutachtung**

- » Zustimmung **Designation**
 - » Fachgremien in hierarchischer Reihenfolge
 - » Bundeszielsteuerungskommission (BZK)

Aufgaben in einem ERN

- » Vollmitglieder:
 - » Teilnahme **Clinical Patient Management System** (CPMS)
 - » Teilnahme Entwicklung „**Good Practice Guidelines**“
 - » Mitarbeit in weiteren ERN-spezifischen Arbeitsgruppen
 - » Teilnahme an Register / Registerentwicklung
 - » Bei Bedarf **Übernahme** und **Behandlung** von **ausländischen PatientInnen**
 - » Gemeinsame Forschungsaktivitäten
 - » Einbringung österreichischer PatientInnen in klinische Studien
 - » Teilnahme an klinischen Studien
- » Weitere Aufgaben

Aufgaben in einem ERN

- » Vollmitglieder:
 - » Teilnahme **Clinical Patient Management System (CPMS)**
 - » Teilnahme Entwicklung „Good Practice Guidelines“

Cave:

Erhebliche Personal- und Zeitressourcen

- » Teilnahme an klinischen Studien
- » Weitere Aufgaben

Europäische Referenznetzwerke (ERN)

Charakteristika:

- » **Zusammenschluss** ausgewählt, auf eine Gruppe / mehrere Gruppen seltener Erkrankungen **besonders spezialisierter Zentren auf europäischer Ebene**
- » Bildung thematisch breit angelegter, das multiprofessionelle Anforderungsprofil der eingeschlossenen seltenen Erkrankungen berücksichtigender Netzwerke
 - » Definition von 26-27 übergeordneten Themenfeldern („thematic domains“) durch das EUCERD
- » **Strukturelle, gesetzlich vereinbarte Zusammenarbeit der Gesundheitssysteme** der verschiedenen **europäischen Mitgliedstaaten**
 - » Erstmals in der europäischen Geschichte
 - » Schwerpunkt ist die **klinische Versorgung** von PatientInnen mit SE
- » **Work in progress**

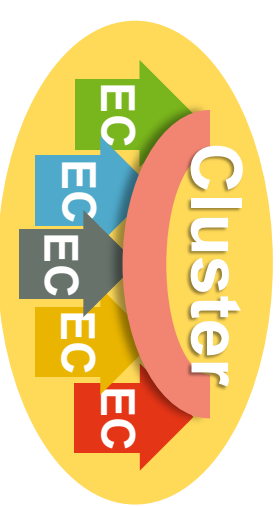
Europäische Referenznetzwerke (ERN)

Charakteristika (2):

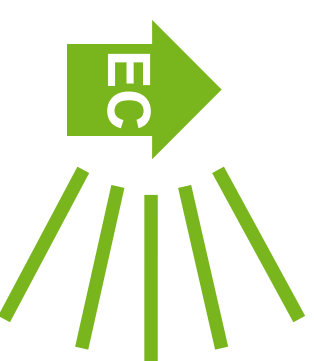
- » Mittelfristige Ziele:
 - » Möglichst breite thematische Abdeckung innerhalb aller medizinischen Gebiete
 - » Möglichst balancierte Beteiligung aus allen Mitgliedstaaten
- » Mehrere **Varianten der Mitgliedschaft**:
 - » **Vollmitglied** (Full member)
 - » **Assoziiertes Nationales Zentrum** (Associated national centre)
 - » (Kooperierendes Nationales Zentrum [Collaborating national centre])
 - » (Koordinations-Hub [Coordination hub])
- » Übergeordnete **Steuerungsgremien**:
 - » Offiziell: **Board of Member States on ERN** (BOMS)
(In Zusammenarbeit mit der Europäische Kommission)
 - » Informell: **European Reference Networks Coordinator's Group** (ERN-CG)

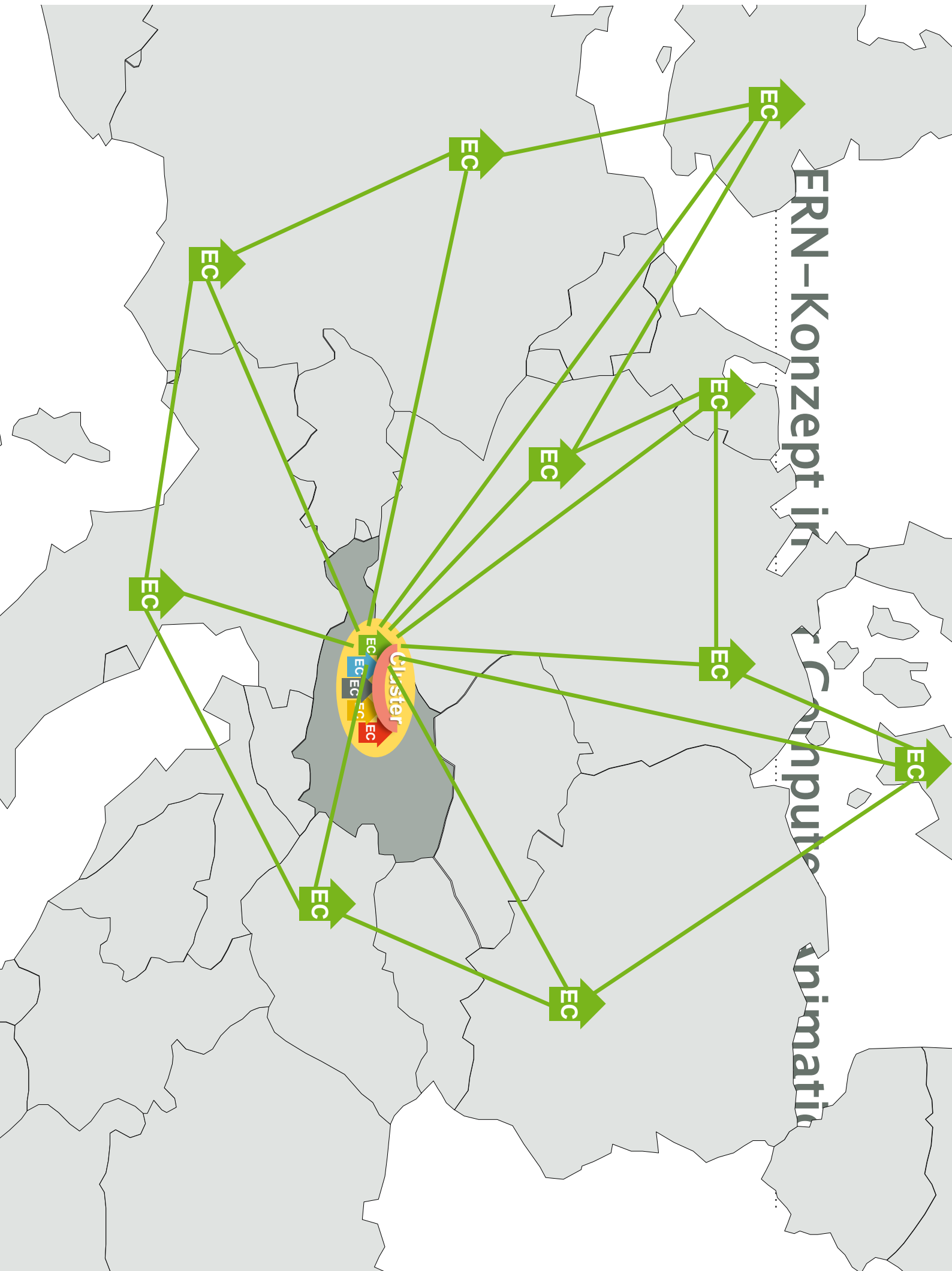
Das Konzept von Expertisezentren und ERN

» Expertisezentren

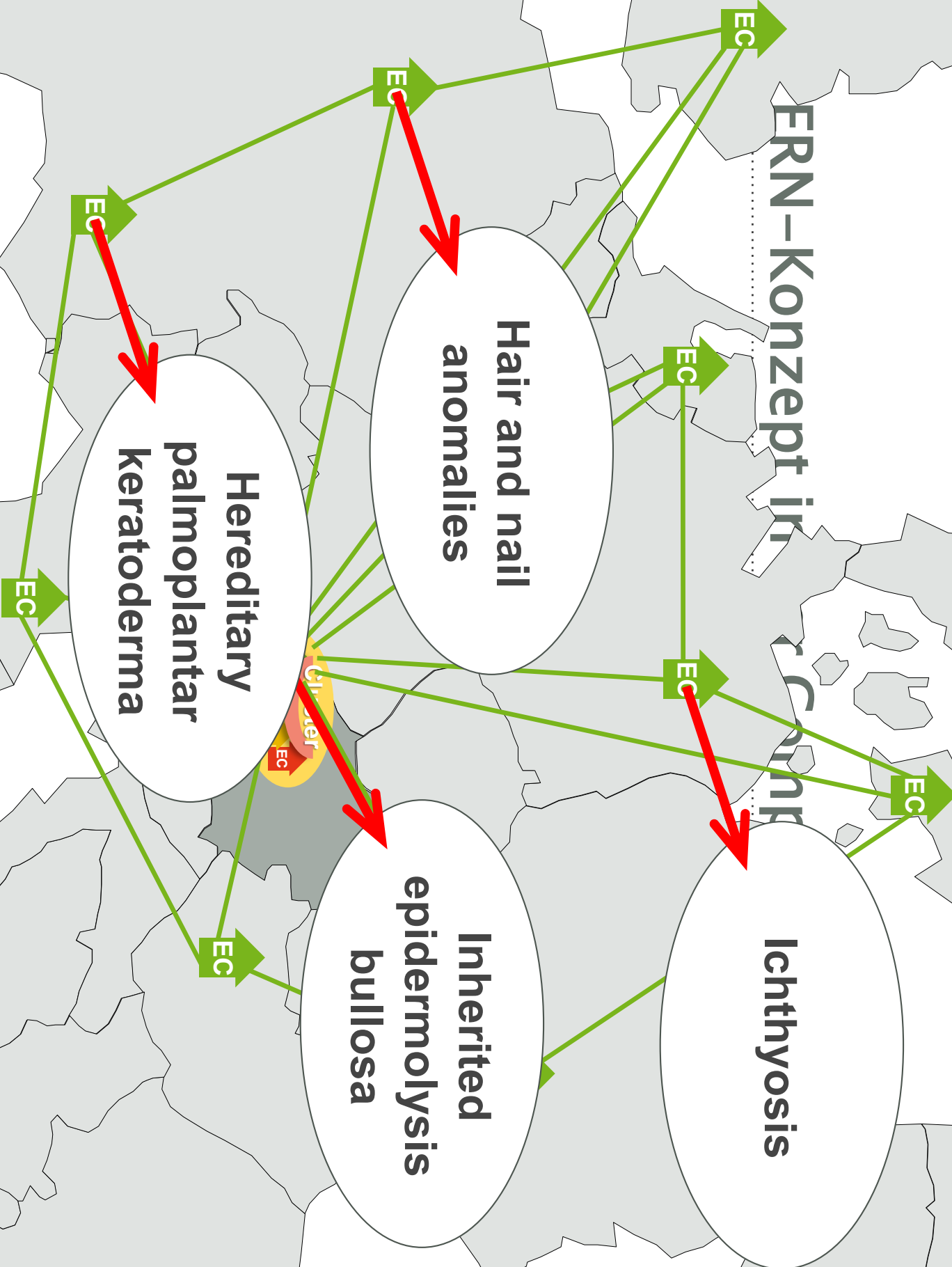


» Europäische Referenznetzwerke

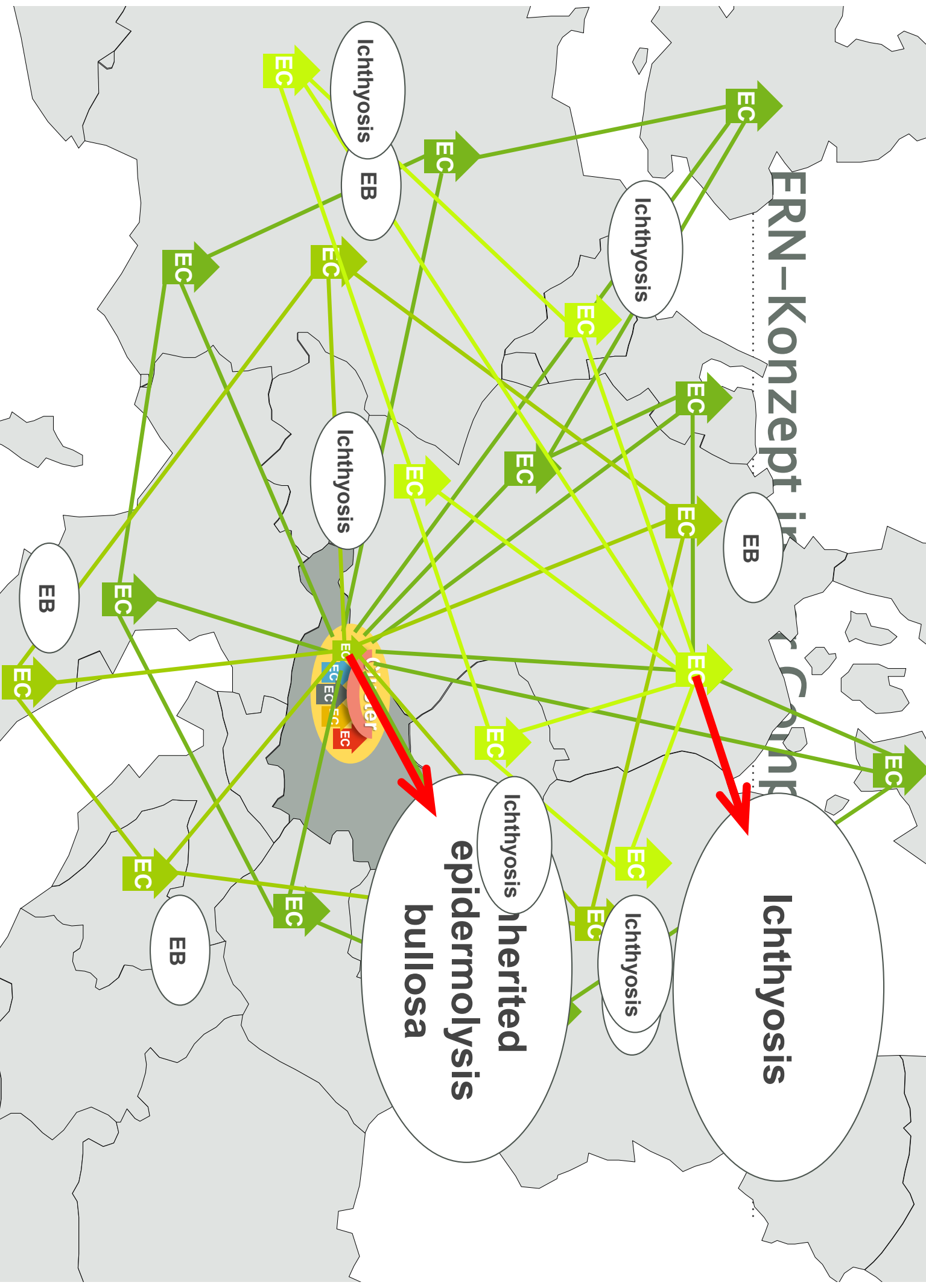




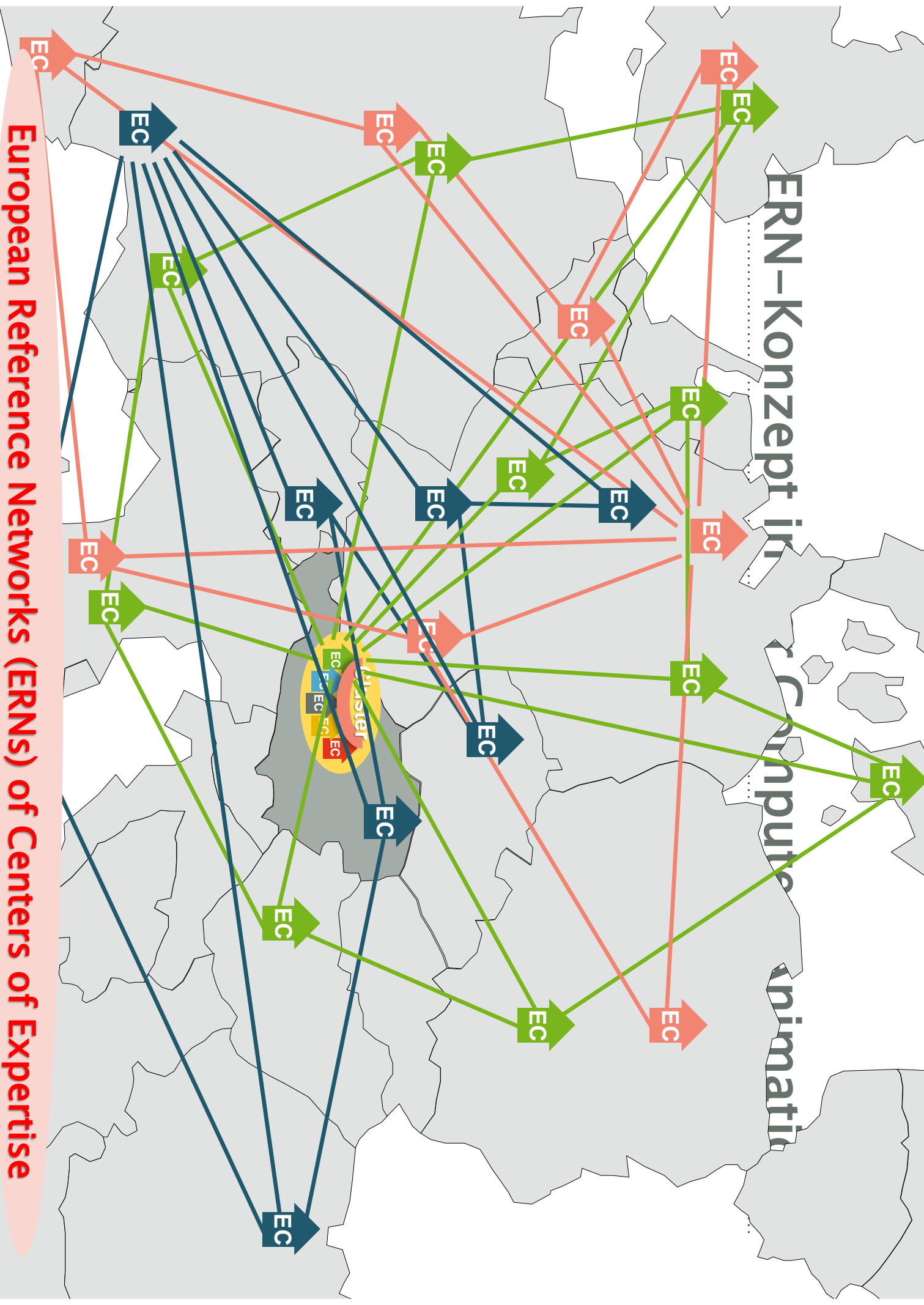
ERN-Konzept in Dermatology



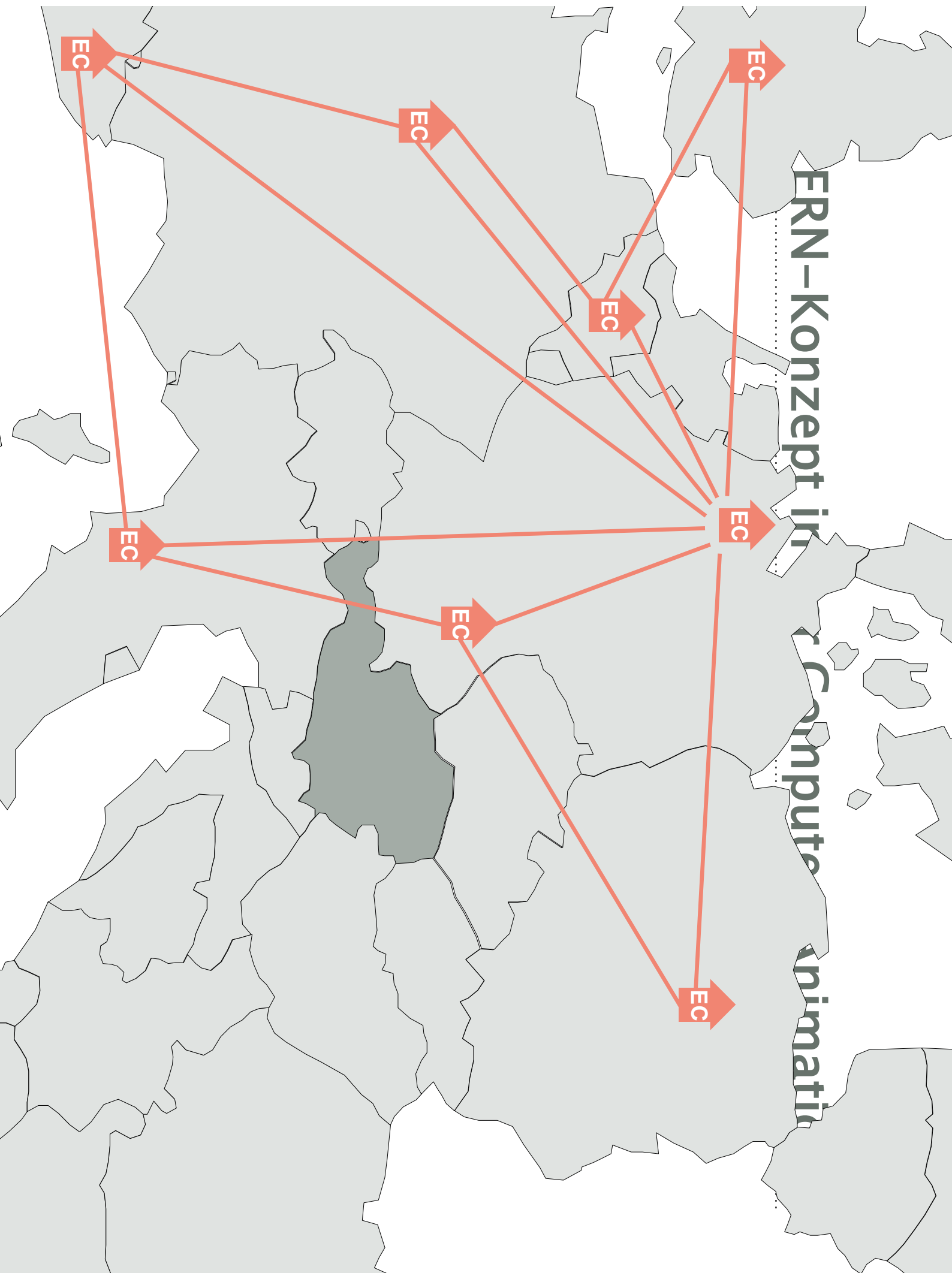
ERN-Konzept in der Genetik



ERN-Konzept in der Computeranimation

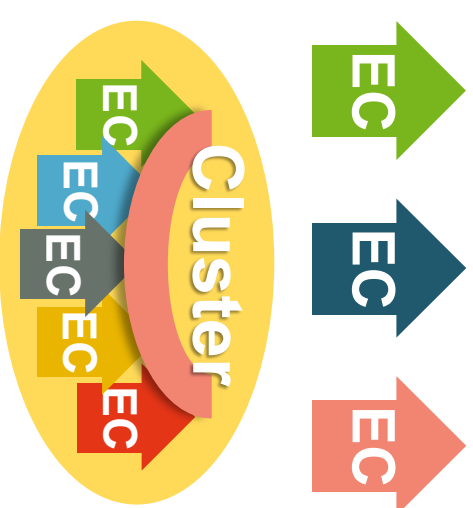


ERN-Konzept in der Computertechnik



Das Konzept von Expertisezentren und ERN

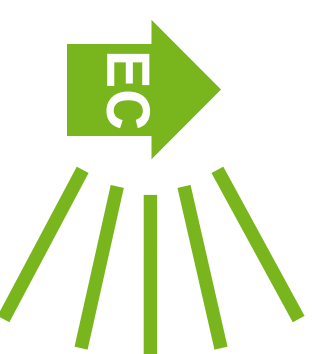
» Expertisezentren



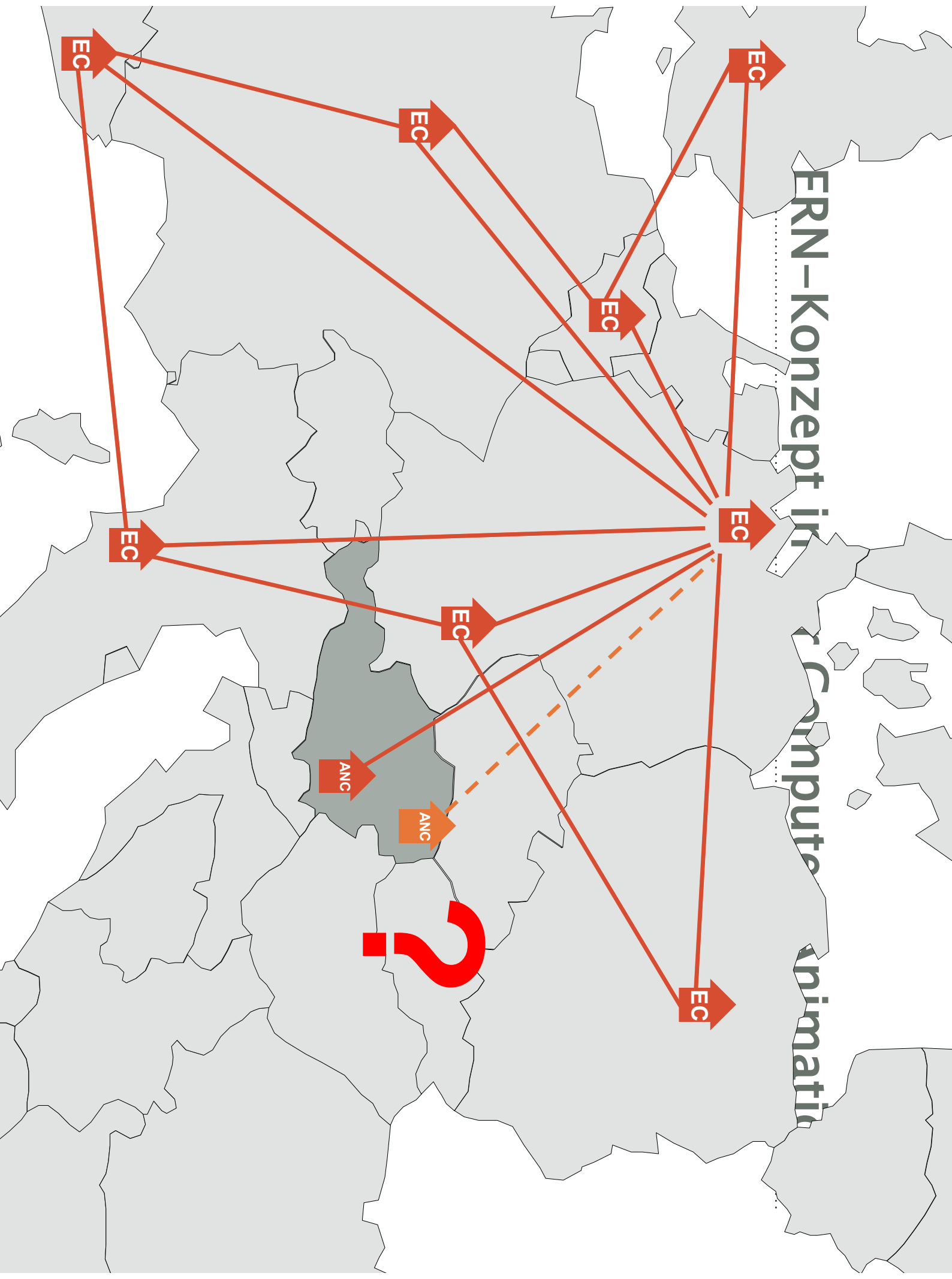
» Assoziiertes Nationales Zentrum



» Europäische Referenznetzwerke



ERN-Konzept in der Computertechnik



Acknowledgements

- » **Nationale Koordinationsstelle für SE**
 - » **Ursula Unterberger, MUW**
 - » Florian Bachner, GÖG
 - » Christine Leopold, GÖG
 - » Joy Ladurner, GÖG
- » **Bundesministerium für Gesundheit**
 - » Magdalena Arrouas, BMG/BMASGK X/2
- » **Europäische Kommission DG Sante**
 - » Enrique Terol

ERN-Konzept in e-Computing Innovation

[http://ec.europa.eu/health/ern/
board_member_states/index_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ern/board_member_states/index_en.htm)

till.voigtlaender@meduniwien.ac.at
till.voigtlaender@goeeg.at

