



BERICHT ZUM ARBEITSPAKET 1

**BERICHT ÜBER DIE ANALYSE DER RECHTLICHEN, FINANZIELLEN UND
ERSTATTUNGSMECHANISMEN SELTENER ERKRANKUNGEN FÜR DIE
BEHANDLUNGSKOSTEN VON PATIENTEN MIT SELTENEN ERKRANKUNGEN IN
DER EMR**

Projekträger des Arbeitspakets	Universität Maastricht
AP Nr. und Titel	AP 1
Aktivität Nr. und Titel	Aktion 1.2 Rechtliche und finanzielle Situation für SE-Patienten in der EMR
Verbreitungsgrad	Öffentlich
Abgabedatum	23.03.2020
Status	Endgültige Version
Sprachen, in denen der Bericht verfügbar ist	ENG - FR - NL - DE



lead partner



With the support of



INHALTSVERZEICHNIS

Autorenliste	4
Projektbeschreibung	5
Haftungsausschluss	5
Zusammenfassung	6
Einleitung	9
1 Politische Maßnahmen im Bereich seltener Erkrankungen	10
1.1 EU-Politik für seltene Erkrankungen	10
1.1.1 Leitlinien zu nationalen Aktionsplänen für seltene Erkrankungen	10
1.1.2 Finanzierung des SE-Projekts	11
1.1.3 EU-Fachausschüsse	11
1.1.4 Europäischen Referenznetze (ERN)	12
1.1.5 Verordnung über Arzneimittel für selten Leiden (Orphan Drugs)	14
1.2 Nationale politische Maßnahmen.....	16
1.2.1 Nationale Pläne für seltene Erkrankungen	16
1.2.1.1 Deutschland	16
1.2.1.2 Belgien.....	16
1.2.1.3 Niederlande.....	17
1.2.1.4 Prioritäts- und Aktionspunkte	17
1.2.1.5 Umsetzungsstrategien für die nationalen Pläne für seltene Erkrankungen	27
1.2.1.5.1 Belgien	27
1.2.1.5.2 Niederlande	28
1.2.1.5.3 Deutschland	28
1.2.2 Nationale Informationspolitik für seltene Erkrankungen	29
1.2.2.1 Belgien.....	29
1.2.2.2 Niederlande.....	30
1.2.2.3 Deutschland	30
1.2.3 Richtlinienentwicklung.....	32
1.2.3.1 Belgien.....	32
1.2.3.2 Niederlande.....	32
1.2.3.3 Deutschland	32
1.2.3.4 Vergleich	32
1.2.4 BeNeLuxA: Eine Initiative mehrerer Länder zur gemeinsamen Arbeit an Orphan Drugs 33	33
1.2.5 Abschluss.....	33
2 Bestimmungen für den Zugang zu grenzüberschreitender Gesundheitsversorgung.....	34
2.1 EU-Gesetzgebung.....	34
2.1.1 Verordnungen 883/2004 und 987/2009.....	34
2.1.2 Richtlinie 2011/24/eu	35
2.1.2.1 Geltungsbereich der Richtlinie.....	35
2.1.2.2 Bedingungen für eine vorherige Genehmigung.....	36
2.1.2.3 Erstattung.....	37
2.1.2.4 Rechtsgrundlage für freiwillige Kooperationsstrukturen	37
2.1.3 Vergleich der Rechte aus der Richtlinie mit den Rechten aus der Verordnung	39
2.1.4 Grenzüberschreitende Engpässe im Gesundheitswesen: Das Beispiel der Wachstumshormontherapie für Kabuki-Kinder in der EMR	40
2.2 Multilaterale Abkommen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung.....	42
2.2.1 IZOM.....	42

2.2.2	Die Ostbelgien-Regelung.....	43
3	Sonstige Bestimmungen und Regelungen, die sich auf die Lage, medizinische Versorgung und finanzielle Situation von Patienten mit seltenen Erkrankungen auswirken.....	46
3.1	Kurze Einführung in die Gesundheitssysteme	46
3.1.1	Belgien.....	46
3.1.2	Niederlande.....	46
3.1.3	Deutschland	47
3.2	Arzneimittel für seltene Leiden (Orphan Drugs).....	48
3.2.1	Belgien.....	48
3.2.2	Niederlande.....	49
3.2.3	Deutschland	50
3.3	Sozialleistungen	51
3.3.1	Belgien.....	51
3.3.2	Niederlande.....	52
3.3.3	Deutschland	53
3.4	Behindertenstatus.....	54
3.4.1	Belgien.....	54
3.4.1.1	Allgemeine Anerkennung von Behinderung	55
3.4.1.2	Erklärung und Anerkennung der Arbeitsunfähigkeit aus gesundheitlichen Gründen..	56
3.4.2	Niederlande.....	56
3.4.2.1	Beurteilung zur Feststellung der Arbeitsunfähigkeit	57
3.4.2.2	Beurteilung für die Langzeitpflege/Pflege im Heim.....	57
3.4.3	Deutschland	58
3.5	Telemedizin.....	60
3.5.1	Belgien.....	60
3.5.2	Niederlande.....	61
3.5.3	Deutschland	63
3.5.4	Rechtliche und regulatorische Ebene: EU-Gesetzgebung für Telemedizin.....	65
3.5.4.1	Flankierende Maßnahmen für die Telemedizin in der Patientenrechtsrichtlinie.....	66
3.5.4.2	Die Arbeit des eHealth-Netzwerks gemäß Artikel 1	67
4	Schlussfolgerungen	70
5	Liste der Abkürzungen und Akronyme.....	71
6	Literaturverzeichnis.....	73

AUTORENLISTE

Vorname/Familienname	Name der Institution	Kontakt E-Mail-Adresse
Hauptautor(en)		
Timo Clemens	Universität Maastricht	timo.clemens@maastrichtuniversity.nl
Co-Autor(en)		
Rok Hrzic	Universität Maastricht	r.hrzic@maastrichtuniversity.nl
Peter Schröder-Bäck	Universität Maastricht	peter.schroder@maastrichtuniversity.nl
Helmut Brand	Universität Maastricht	helmut.brand@maastrichtuniversity.nl

Danksagung

Die Autoren möchten Marlou Smits und Guido Willekens für ihre freundliche Unterstützung bei der Datenerfassung für den Vergleich der nationalen Pläne für seltene Erkrankungen (Abschnitt 1.2.1) und ihrer Implementierungsstrategien (Abschnitt 1.2.1.2) danken. Alle noch verbleibenden Fehler liegen in der alleinigen Verantwortung der Autoren.

Das EMRaDi-Projekt wird im Rahmen des Programms Interreg V-A Euregio Maas-Rhein umgesetzt und von der Europäischen Union und dem Europäischen Fonds für regionale Entwicklung mit einem Betrag von € 1.687.675 unterstützt.

Das Programm Interreg V-A Euregio Maas-Rhein (EMR) investiert bis 2020 fast 100 Millionen EUR in die Entwicklung der Interreg-Region. Dieses Gebiet erstreckt sich von Löwen im Westen bis an die Grenzen von Köln im Osten. Es verläuft von Eindhoven im Norden bis hinunter an die Grenze zu Luxemburg. Über 5,5 Millionen Menschen leben in diesem Grenzgebiet, in welchem das Beste dreier Länder zusammenkommt und so echte europäische Kultur entsteht.

Mit der Investition von EU-Mitteln in Interreg-Projekte investiert die Europäische Union direkt in die wirtschaftliche Entwicklung, Innovation, die territoriale Entwicklung sowie in die soziale Inklusion und Bildung dieser Region.

Mit Unterstützung von



provincie limburg



Wallonie

Ministerium für Wirtschaft, Innovation,
Digitalisierung und Energie
des Landes Nordrhein-Westfalen



Rare diseases do not stop at borders

PROJEKTBE SCHREIBUNG

„EMRaDi“ steht für **Euregio Meuse-Rhine Rare Diseases**, zu Deutsch: Seltene Erkrankungen in der Euregio Maas-Rhein. Das Projekt startete am 1. Oktober 2016 und endete am 31. März 2020.

Dieses Projekt umfasste eine **grenzübergreifende Zusammenarbeit** zwischen Krankenversicherern, Universitätskliniken, Patientenverbänden und einer Universität in der Euregio Maas-Rhein. Es war Teil des Programms INTERREG V-A Euregio Maas-Rhein der Europäischen Union.

Dank ihrer langjährigen Erfahrung bei grenzübergreifender Gesundheitsversorgung haben sich die Projektpartner dazu entschieden, ihre Kräfte im speziellen Bereich der Seltenen Erkrankungen zu bündeln. Dieses EMRaDi-Projekt war insofern innovativ, als dass es sich um ein patientenorientiertes und sektorübergreifendes Projekt handelte. Das Konsortium der Partner umfasste die wichtigsten Akteure im Gesundheitsbereich, die Patienten mit Seltenen Erkrankungen und deren Verwandte beim täglichen Patientenpfad einer Seltenen Erkrankung unterstützen.

Durch die **Projekt-Aktivitäten** sollte das EMRaDi-Projekt Folgendes erreichen:

- Erhöhung der Transparenz von Bedürfnissen und Verfügbarkeit von Leistungen im Bereich Seltener Erkrankungen in der Euregio Maas-Rhein (EMR);
- Entwicklung von EMR-Modellen für *Patientenpfade für Seltene Erkrankungen*, um im Zusammenwirken mit nationalen und europäischen Entwicklungen patientenorientierte Empfehlungen zu erstellen;
- Verbesserung des Netzwerks von Gesundheitsversorgern, Krankenversicherern und Patientenverbänden sowie Schaffen von (öffentlichem) Bewusstsein für Seltene Erkrankungen.

Das allgemeine langfristige Ziel bestand darin, **die Lebensqualität dieser Patienten zu verbessern**.

www.emradi.eu

HAFTUNGS AUSSCHLUSS

Dieser Bericht wurde im Rahmen des EMRaDi-Projekts erstellt. Die Fakten und Ansichten, die in diesem Artikel präsentiert werden, liegen in der alleinigen Verantwortung der Autoren und spiegeln nicht zwangsläufig die Position der EMRaDi Partnerorganisationen wider.

Alle im Rahmen des EMRaDi-Projekts erhobenen personenbezogenen Daten wurden gemäß der Europäischen Verordnung 2016/679 (EU) zum Schutz personenbezogener Daten (DSGVO) verarbeitet. Bei der Verarbeitung der Daten der befragten Patienten wurde ein strenges Protokoll eingehalten, das von den Ethikkommissionen der 3 am Projekt beteiligten Universitätskliniken genehmigt wurde.

ZUSAMMENFASSUNG

Dieser Bericht über die rechtliche und finanzielle Situation von Patienten mit seltenen Erkrankungen (SE) in der Euregio Maas-Rhein (EMR) enthält eine Analyse der einschlägigen EU- und nationalen Politiken zu seltenen Erkrankungen, einschließlich einer vergleichenden Analyse der nationalen Aktionspläne und Leitlinien für seltene Erkrankungen. Darüber hinaus werden die Möglichkeiten für den Zugang zu grenzüberschreitender Versorgung auf der Grundlage der in der EMR bestehenden EU-, bilateralen und lateralen Bestimmungen ermittelt und deren Relevanz für SE-Patienten analysiert. Schließlich werden andere wichtige nationale Bestimmungen bewertet, darunter die Abbildung von Mechanismen für die finanzielle Rückerstattung von Arzneimitteln für seltene Leiden und sozialarbeiterische Leistungen im Zusammenhang mit seltenen Erkrankungen, die Verfahren und Bedingungen für die Gewährung eines Behindertenstatus und für den Umfang von telemedizinischen Diensten.

Vor zwanzig Jahren hat die Europäische Union ihre Aktivitäten im Bereich seltener Erkrankungen begonnen, wobei der Schwerpunkt auf Orphan Drugs und der Finanzierung des Netzwerkaufbaus und der medizinischen Grundlagenforschung zum Verständnis bestimmter SE lag. In jüngerer Zeit war die EU maßgeblich daran beteiligt, die Aufmerksamkeit von SE durch die nationalen Aktionspläne (NAP) auf nationale Foren auszudehnen und europäische Referenznetze (ERN) einzurichten, die Bürgern/SE-Patienten einen praktischen europäischen Mehrwert bieten sollen. Sowohl für NAP als auch für ERN sind die praktischen Vorteile in größerem Umfang in den kommenden Jahren noch abzuwarten, da derzeit NAP implementiert werden und der Umfang der ERN ausgedehnt werden muss, um die Aktivitäten zu erweitern.

Ein Großteil der nationalen Maßnahmen in Bezug auf SE wird derzeit in den nationalen Plänen für SE in Belgien, den Niederlanden und Deutschland konzentriert und zusammengeführt. Inhaltlich unterscheiden sich die Pläne nicht wesentlich – es gibt nur geringe Abweichungen in Bezug auf ihre Aktivitäten – was angesichts der gemeinsamen EU-Vorlage, der sie folgen, nicht überraschend ist. Die drei Länder unterscheiden sich jedoch in ihren Implementierungsstrategien. Dies zeigt sich noch deutlicher in den anderen bereits bestehenden Maßnahmen (Informationspolitik, Richtlinienentwicklung), die in diesem Abschnitt überprüft werden und deren Umfang und Schwerpunkte unterschiedlich sind.

Die Richtlinienentwicklung für SE scheint in den Niederlanden am weitesten fortgeschritten zu sein, da kürzlich in die Entwicklung von Qualitätsprodukten investiert wurde. Andere Entwicklungen in den Leitlinien für die klinische Praxis (CPG) sind eher auf Allgemeinmediziner (AM) und die Primärversorgung ausgerichtet. In Deutschland hingegen beruht die Richtlinienentwicklung eher auf den Bestrebungen der Fachärzte und ihrer Verbände. Belgien hat die Entwicklung von Leitlinien für die klinische Praxis in seinem nationalen Plan für SE vorgesehen.

In Bezug auf die Möglichkeiten des grenzüberschreitenden Zugangs zur medizinischen Versorgung scheint die Richtlinie 2011/24/EU kein geeigneter Weg für SE-Patienten zu sein, da die Krankenhausversorgung eine vorherigen Genehmigung erfordern kann. Dies bedeutet, dass einige Leistungen für SE-Patienten, die (noch) nicht im Leistungsspektrum oder (noch) nicht in den Standard-Erstattungssystemen enthalten sind, nicht bezahlt werden. Darüber hinaus kann gerade die

Rare diseases do not stop at borders

medizinische Versorgung und Diagnose seltener Erkrankungen mit sehr hohen Gebühren/Rechnungen verbunden sein, die im Voraus bezahlt werden müssen. Die EU-Verordnung 883/2004 kann hingegen ein geeigneter Weg für SE-Patienten mit weniger Administrationsaufwand und weniger Unsicherheit sein, ist jedoch mit dem Hindernis der vorherigen Genehmigungspflicht verbunden.

Trotz eines etablierten Rechtsrahmens für die grenzüberschreitende medizinische Versorgung in Europa treten praktische und administrative Probleme hinsichtlich des Umgangs mit bestimmten Verfahren und der Auslegung von Bestimmungen auf. Das Beispiel der Wachstumshormontherapie für Kabuki-Kinder zeigt diese Barrieren auf.

Die Ostbelgien-Regelung bietet Zugang zu medizinischen Fachdiensten an der Universitätsklinik Aachen sowie zu anderen Sekundär- und Tertiärversorgungen in deutscher Sprache (in der Region Aachen, Bitburg, Daun und Prüm), sofern diese nicht in der deutschen Grenzregion von Belgien verfügbar sind und/oder unter bestimmten Bedingungen. Angesichts der Situation von SE-Patienten in der gesamten EMR reicht die Ostbelgien-Regelung jedoch nicht aus, um die Versorgung von SE-Patienten in der gesamten EMR abzudecken. Belgier anderer Regionen sowie deutsche und niederländische SE-Patienten können sich also nicht auf diese Bestimmung verlassen, sondern müssen auf die bestehenden EU-Bestimmungen zurückgreifen. Die Ostbelgien-Regelung gewährt keinen Zugang zur Sekundär- und Tertiärversorgung in den Universitätskliniken in den Niederlanden und anderen Teilen Deutschlands und darf nur andere spezialisierte Hilfsbehandlungen (spezielle Ernährungsberatung, Physiotherapie usw.) im Rahmen eines Krankenhausaufenthalts abdecken.

In Belgien, den Niederlanden und Deutschland gibt es umfassende nationale Bestimmungen für die Finanzierung von Orphan Drugs wie z. B. Programme zur Compassionate-Verwendung und Off-Label-Verwendung, soziale Dienste einschließlich Langzeitversorgung und die Feststellung des Behindertenstatus. Diese Bestimmungen unterscheiden sich natürlich zwischen Belgien, den Niederlanden und Deutschland hinsichtlich der Art der zuständigen Institute, der Verfahren und der anwendbaren Kriterien. Ihre Umsetzung in der Praxis und inwieweit sie auf Fälle seltener Erkrankungen zugeschnitten sind, variiert jedoch von Fall zu Fall und geht über den Rahmen dieses Berichts hinaus.

Eine formale Standardisierung der Telemedizin und ihre Interoperabilität wurde in der EU bisher nicht erreicht. Ein uneinheitlicher EU-Rechtsrahmen und Fragen zur Finanzierung und Erstattung von Telemedizin-Diensten scheinen erhebliche Hindernisse für den groß angelegten Einsatz interoperabler Telemedizin-Lösungen im Allgemeinen zu sein. Die Infrastruktur des Europäischen Referenznetzes hat bisher erst begonnen, einen Teil der Probleme anzugehen. Diese Fragen sind jedoch für Patienten mit seltenen Erkrankungen von entscheidender Bedeutung, um in der gesamten EU und unabhängig von den Grenzen leichter und umfassender Zugang zu Spezialbehandlungen zu erhalten.

Viele nationale politische Maßnahmen und Vorarbeiten der EU haben in den letzten 20 Jahren den Weg geebnet, um seltene Erkrankungen auf die Tagesordnung zu setzen und die Aufmerksamkeit von Entscheidungsträgern, Medizinern und der Öffentlichkeit zu gewinnen. Es wurden viele wichtige Meilensteine erreicht, um die medizinische Versorgung und Situation von Menschen mit SE zu verbessern, beispielsweise die Einrichtung von Strukturen wie den nationalen Fachzentren und europäischen Referenznetzen oder die Umsetzung nationaler SE-Aktionspläne. Es ist jedoch noch viel

mehr erforderlich, z. B. das Erstellen von SE-Registern oder die Bereitstellung von SE-Codierungen in größerem Maßstab, um nur einige Maßnahmen zu nennen. Darüber hinaus muss vieles, was in den letzten Jahren begonnen wurde, sich noch in der Praxis bewähren, da die Umsetzung noch nicht abgeschlossen ist.

EINLEITUNG

Ziel dieses ersten Arbeitspakets 1 im Rahmen des EMRaDi-Projekts ist es, die **Transparenz der Bedürfnisse und die Verfügbarkeit von Diensten im Bereich seltener Erkrankungen in der EMR zu erhöhen**. Die Teilaktion 1.2 zielt auf die rechtliche und finanzielle Situation von SE-Patienten in der EMR (M1-M12) ab und

- umfasst eine vergleichende Analyse der nationalen Aktionspläne und Leitlinien für seltene Erkrankungen
- die Identifizierung grenzüberschreitender Versorgungsmöglichkeiten
- eine Analyse der Relevanz anderer EU-Politiken und
- die Abbildung von Mechanismen für die Erstattung von Versorgungsdiensten für SE-Patienten
(aus dem Projektantrag entnommen)

Methoden

Aktion 1.2 konzentriert sich auf die Makroebene in Bezug auf die finanziellen und rechtlichen Regelungen. Damit unterstützt sie das übergeordnete Ziel des Arbeitspakets 1, die aktuelle reale Situation von SE-Patienten und die Versorgung in der EMR abzubilden, die in nachfolgenden Aktionen mit der gewünschten Situation auf der Grundlage der Bedürfnisse von SE-Patienten verglichen wird. Darüber hinaus werden die Ergebnisse dieser Aktion verwendet, um zu einem späteren Zeitpunkt Empfehlungen für Behandlungspfade zu formulieren.

Es wurde eine Literatur- und Dokumentenanalyse durchgeführt. Basierend auf den Zielen von AP3, das Organisationsmodelle für das Management von SE vorschlägt, wurden entsprechende Quellen und relevante Aspekte der finanziellen und rechtlichen Situation mitberücksichtigt.

1 POLITISCHE MAßNAHMEN IM BEREICH SELTENER ERKRANKUNGEN

Seit zwei Jahrzehnten sind seltene Erkrankungen aufgrund ihrer Seltenheit und der knappen Ressourcen in den Mitgliedstaaten zunehmend zu einem vorrangigen Aktionsbereich der EU im Gesundheitsbereich geworden. Seltene Erkrankungen (SE) können von der Zusammenarbeit der EU profitieren, um Ressourcen, Wissen und Informationen zu bündeln.

Neben der Entwicklung einer EU-Agenda für SE hat die EU ihren politischen Rahmen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung verbessert und teilweise mit dem Bereich der SE verknüpft.

In diesem Kapitel werden sowohl die EU-Politik zu seltenen Erkrankungen als auch die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung weiter untersucht.

1.1 EU-POLITIK FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN

Durch die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden (OMP) wurde eine offizielle Definition einer seltenen Erkrankung (SE) in der Europäischen Union festgelegt¹. Diese Verordnung legt auch die Kriterien für Orphan Drugs fest, einschließlich einer Beschreibung der Möglichkeiten, Anreize für Forschung und Entwicklung in diesem Bereich zu schaffen. In dieser Verordnung wird eine seltene Erkrankung definiert als:

Artikel 3(a)

... eine lebensbedrohliche oder chronisch schwächende Erkrankung, von der nicht mehr als fünf von zehntausend Personen in der Gemeinschaft betroffen sind²

1.1.1 LEITLINIEN ZU NATIONALEN AKTIONSPLÄNEN FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN

Im Jahr 2009 wurde die „Empfehlung für eine Aktion im Bereich der SE“³ verabschiedet. In der Empfehlung wurden Aktionen festgelegt, die die Mitgliedstaaten ergreifen sollten, einschließlich der Erarbeitung nationaler Aktionspläne für seltene Erkrankungen.⁴ Die Erstellung nationaler Aktionspläne (NAP) in den Mitgliedstaaten wurde durch das Europäische Projekt zur Entwicklung nationaler Pläne für seltene Erkrankungen (EUROPLAN) erleichtert. Das EUROPLAN-Projekt basiert auf drei Hauptaktionslinien zur Unterstützung von NAP. Erstens sollte EUROPLAN Leitlinien dazu liefern, wie die Mitgliedstaaten nationale Prioritäten in der SE-Versorgung und den damit verbundenen Aktionen einordnen können. Zweitens entwickelte das Projekt Indikatoren für die Umsetzung der NAP und deren Bewertung. Schließlich sollten relevante Stakeholder identifiziert werden, um eine breite Beteiligung und Abdeckung verschiedener Perspektiven bei der Entwicklung der Pläne sicherzustellen. Das EUROPLAN-Projekt erarbeitete auch ein Handbuch und es wurden vier Berichte verfasst.⁵ Die Art und Weise, wie Belgien, die Niederlande und Deutschland die Empfehlung in ihre nationalen Pläne für seltene Erkrankungen umgesetzt haben, wird in Abschnitt 1.2.1 unten detailliert beschrieben und verglichen.

¹ Moliner & Waligóra, 2013.

² Verordnung (EG) Nr. 141/2000 vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden

³ Empfehlung des Rates vom 8. Juni 2009 zu einer Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten (2009/ / C 151/02)

⁴ Rodwell & Aymé, 2015

⁵ Taruscio et al., 2013

1.1.2 FINANZIERUNG DES SE-PROJEKTS

Neben der Erleichterung der Entwicklung der SE-Konzepten auf Ebene der Mitgliedstaaten hat die EU-SE-Politik zunehmend an Bedeutung gewonnen.⁶ Das Gesundheitsprogramm der Europäischen Kommission, GD SANTE, hat mehrere Maßnahmen im Bereich seltener Erkrankungen finanziert, darunter Netzwerkaktivitäten und Unterstützung für SE-Interessengruppen.

1.1.3 EU-FACHAUSSCHÜSSE

Diese und die in diesem Kapitel beschriebenen Entwicklungen wurden durch die Aktivitäten eines Beratungsausschusses für seltene Erkrankungen bei der Europäischen Kommission begleitet und unterstützt. Seit 2004 gibt es einen ständigen Ausschuss, der die Europäische Kommission in Bezug auf ihre Politik für seltene Erkrankungen berät. Ursprünglich bestand die Taskforce für seltene Erkrankungen (2004-2009) aus Projektleitern auf dem Gebiet der SE, d. h. Experten, die von nationalen Regierungen und Vertretern anderer Organisationen (GD Forschung, GD Unternehmen, Eurostat, EMA, WHO, OECD) eingesetzt wurden. Die Taskforce ebnete damit den Weg für die Aufnahme wichtiger Themen in Bezug auf SE. Die Taskforce unterstützte nachdrücklich die Ausarbeitung der Mitteilung „Seltene Krankheiten: eine Herausforderung für Europa“ (zusammen mit der Europäischen Kommission) im Jahr 2007, die letztendlich zur Annahme der Empfehlung des Europäischen Rates zu einer „Aktion im Bereich seltener Krankheiten“ im Juni 2009 führte.⁷

Im Jahr 2010 wurde die Taskforce durch den Sachverständigenausschuss der Europäischen Union für seltene Krankheiten (EUCERD) ersetzt, der beauftragt wurde,

„...die Kommission bei der Ausarbeitung und Durchführung der Maßnahmen der Gemeinschaft im Bereich der seltenen Erkrankungen zu unterstützen und den Austausch von einschlägigen Erfahrungen, politischen Strategien und Verfahren zwischen den Mitgliedstaaten und zwischen den verschiedenen beteiligten Akteuren zu fördern. (Artikel 2)⁸“.

Der Ausschuss bestand aus 51 Mitgliedern (Artikel 3) mit Vertretern aller Mitgliedstaaten und einschlägigen Interessengruppen. Zu den genauen Anforderungen für die Zusammensetzung s. Artikel 3. Die Ergebnisse von EUCERD mündeten in Empfehlungen zu:

- Fachzentren
- Europäischen Referenznetzen
- dem klinischen Mehrwert von Orphan Drugs
- Informationsfluss, Register & Datenerfassung
- Indikatoren für nationale Pläne und
- einer Stellungnahme zur EU-Zusammenarbeit im Bereich des Neugeborenen-Screenings

⁶Oben n 4, Rodwell & Aymé, 2015

⁷ <http://www.eucerd.eu/>

⁸BESCHLUSS DER KOMMISSION vom 30. November 2009 zur Einsetzung eines Sachverständigenausschusses der Europäischen Union für seltene Krankheiten (2009/872/EG)

Die Arbeit von EUCERD hat in den letzten Jahren die SE-Agenda vorangetrieben und die Grundlagen für zukünftige Entwicklungen auf diesem Gebiet gelegt. 2014 wurde die Arbeit von EUCERD von der Expertengruppe der Europäischen Kommission für seltene Erkrankungen (2014-2018) übernommen, der auch Mitglieder mit unterschiedlichem Hintergrund angehörten. Im Jahr 2018 endete das Mandat der Expertengruppe für seltene Erkrankungen und die Gruppe wurde unter der neuen Lenkungsgruppe für Gesundheitsförderung, Prävention von Krankheiten und Management nicht übertragbarer Krankheiten neu gegründet.

1.1.4 EUROPÄISCHEN REFERENZNETZE (ERN)

Im März 2017 wurden von der Europäischen Kommission 24 Europäische Referenznetze (ERN) eingerichtet, um Netzwerke von medizinischen Experten für bestimmte seltene Erkrankungen (Cluster) einzurichten. Die ERN sind Netzwerke für den Austausch von Wissen, Informationen und Fachwissen zwischen MS, um den Herausforderungen von SE in Bezug auf Diagnose, Behandlung und Pflege besser zu begegnen und letztendlich die Situation von SE-Patienten in der EU zu verbessern.⁹ Eine Übersicht über die medizinischen Fachgebiete und seltenen Erkrankungen, die von den 24 ERN abgedeckt werden, ist in Tabelle 1 zu sehen.

Rechtsgrundlage für die Einrichtung der ERN ist Artikel 12 der Richtlinie 2011/24/EU (s. unten). Die Kriterien für die Benennung und Bewertung von ERN wurden in zwei Durchführungsrechtsakten festgelegt. Die Kommissionen delegierten und setzten die im Mai 2014 in Kraft getretenen Entscheidungen um und legten den aktuellen Rechtsrahmen für die ERN und Fachzentren (CoE) fest. Die Bedingungen für Gesundheitsdienstleister und Netzwerke sind im delegierten Beschluss festgelegt, wobei die Durchführungsentscheidung die Bedingungen für die Einrichtung, Bewertung und Evaluation von Netzwerken und den Informationsaustausch zwischen Gesundheitsdienstleistern enthält¹⁰.

Alle 24 ERN decken derzeit rund 900 Gesundheitseinheiten in 313 Krankenhäusern in 26 Ländern ab. Bis Ende November 2018 wurden in diesen Netzwerken mehr als 250 Patientenfälle besprochen und Ratschläge ausgetauscht. Innerhalb der ERN wird der grenzüberschreitende Austausch von Patientenakten und -informationen gegenüber der Reise der Patienten selbst bevorzugt. Zu diesem Zweck verwenden die ERN eine IT-Plattform und telemedizinische Anwendungen für virtuelle Konsultationen¹¹.

Es wurden jedoch mehrere Herausforderungen und Prioritäten für die nahe Zukunft festgelegt, um die Arbeit der ERN weiter zu verbessern:

⁹ Taruscio et al., 2014.

¹⁰2014/287// EU: Durchführungsbeschluss der Kommission vom 10. März 2014 zur Festlegung von Kriterien für die Einrichtung und Bewertung europäischer Referenznetzwerke und ihrer Mitglieder sowie für die Erleichterung des Informations- und Fachaustauschs über die Einrichtung und Bewertung solcher Netze ABl. L 147, vom 17.5.2014, S. 79–87; 2014/286// EU: Delegierter Beschluss der Kommission vom 10. März 2014, in dem Kriterien und Bedingungen festgelegt sind, die europäische Referenznetze und Gesundheitsdienstleister, die einem europäischen Referenznetz beitreten möchten, erfüllen müssen, ABl. L 147, vom 17.5.2014, S. 71–78

¹¹ Konferenzbericht 4. Konferenz über europäische Referenznetzwerke - Brüssel, 21. und 22. November 2018 https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20181121_frep_en.pdf

- Die Integration der ERN in die nationalen Gesundheitssysteme
- eine verbesserte geografische Abdeckung für in den aktuellen ERN weniger vertretene Länder
- die Entwicklung klinischer Leitlinien und Patientenregister für seltene Erkrankungen unter der Schirmherrschaft der ERN
- die Finanzierung von ERN einschließlich der Finanzierung der Arbeit von Experten für ERN-Aktivitäten
- Bewusstseinsbildung bei Patienten und Angehörigen der Gesundheitsberufe und
- Unterstützung durch Krankenhausmanager¹²

Tabelle 1: 24 ERN und ihr medizinischer Schwerpunkt oder die von ihnen abgedeckten SE¹³

ERN BOND	Europäisches Referenznetz für Knochenerkrankungen
ERN CRANIO des Hals-, Nasen- und Ohrenbereichs (HNO)	Europäisches Referenznetz zu kraniofazialen Anomalien und Erkrankungen
Endo-ERN	Europäisches Referenznetz für endokrine Erkrankungen
ERN EpiCARE	Europäisches Referenznetz für Epilepsie
ERKNet	Europäisches Referenznetz für Nierenerkrankungen
ERN-RND	Europäisches Referenznetz für neurologische Erkrankungen
ERNICA	Europäisches Referenznetz für vererbte und angeborene Anomalien
ERN LUNG	Europäisches Referenznetz für Atemwegserkrankungen
ERN Skin	Europäisches Referenznetz für Hauterkrankungen
ERN EURACAN Tumoren)	Europäisches Referenznetz für Krebserkrankungen bei Erwachsenen (solide Tumoren)
ERN EuroBloodNet	Europäisches Referenznetz für hämatologische Erkrankungen
ERN eUROGEN	Europäisches Referenznetz für urogenitale Erkrankungen
ERN EURO-NMD	Europäisches Referenznetz für neuromuskuläre Erkrankungen
ERN EYE	Europäisches Referenznetz für Augenkrankheiten
ERN GENTURIS	Europäisches Referenznetz für genetische Tumorrisikosyndrome
ERN GUARD-HEART	Europäisches Referenznetz für Herzerkrankungen
ERN ITHACA	Europäisches Referenznetz für angeborene Missbildungen und seltene geistige Behinderungen
MetabERN	Europäisches Referenznetz für erbliche Stoffwechselstörungen
ERN PaedCan	Europäisches Referenznetz für Kinderkrebs (Hämato-Onkologie)
ERN RARE-LIVER	Europäisches Referenznetz für hepatologische Erkrankungen

¹² Ibid

¹³ https://ec.europa.eu/health/ern/networks_en

ERN ReCONNET	Europäisches Referenznetz für Bindegewebs- und Muskel-Skelett-Erkrankungen
ERN RITA	Europäisches Referenznetz für Immunschwäche, autoinflammatorische und Autoimmunerkrankungen
ERN TRANSPLANT-CHILD	Europäisches Referenznetz zur Transplantation bei Kindern
VASCERN	Europäisches Referenznetz für seltene multisystemische Gefäßerkrankungen <i>Quelle: Website der europäischen Kommission</i>

Die Vertretung in den ERN in Belgien, den Niederlanden und Deutschland ist sehr gut, wobei zehn belgische medizinische Zentren an verschiedenen ERN, 13 niederländische Kliniken und 42 deutsche Kliniken an verschiedenen ERN teilnehmen. Die medizinischen Universitätskliniken in der EMR sind Partner in den folgenden ERN, wobei an einem alle drei beteiligt sind¹⁴:

CHU Lüttich (n = 6):	Endo-ERN, ERN EURACAN, ERN EuroBloodNet, ERN eUROGEN, ERN GENTURIS & MetabERN
MUMC+ (n=6):	Endo-ERN, ERN EURACAN, ERN Euro-NMD, ERN ITHACA, MetabERN & ERN SKIN
UKA (n=2):	Endo-ERN, ERN RARE-LIVER

1.1.5 VERORDNUNG ÜBER ARZNEIMITTEL FÜR SELTEN LEIDEN (ORPHAN DRUGS)

Im Jahr 2000 wurde die Verordnung (EG) Nr. 141/2000 über Arzneimittel für seltene Leiden vereinbart, die als erste EU-weite Verordnung über Orphan Drugs gilt.¹⁵ Die Orphan Drug Verordnung bietet Anreize in den Bereichen Forschung, Entwicklung und Vermarktung von Orphan Medicinal Products (OMP). Diese beinhalten speziell:

- eine 10-jährige Markt Exklusivität
- ermäßigte Gebühren und kostenlose Protokoll-Unterstützung durch die europäische Arzneimittelagentur (EMA)
- eine einheitliche Zulassung für Orphan Medical Products (OMP) in der gesamten EU

Damit gewährt die EU vorteilhafte geistige Eigentumsrechte und Zulassungsverfahren für Orphan Drugs.¹⁶ Laut Aymé und Schmidtke¹⁷ haben OMP-Verordnungen sich als attraktiv für die Pharmaindustrie erwiesen, vor allem für kleine Biotech-Unternehmen, die im Bereich seltener

¹⁴ Ibid

¹⁵ Aymé & Schmidtke, 2007

¹⁶ Greer et al., 2014

¹⁷ Oben n 14, Aymé & Schmidtke, 2007

Erkrankungen eine Nische finden können. Die EU hat es jedoch bislang nicht geschafft, die nationalen Preiskontrollen für Arzneimittel zu beeinflussen.¹⁸ Obwohl die Richtlinie 89/105/EWG über Transparenz Fristen für nationale Entscheidungen über Preisgestaltung und Erstattung festlegt, sind Orphan Drugs mit Marktzulassung in mehreren Mitgliedstaaten häufig nicht über die festgelegten Fristen hinaus erhältlich¹⁹. Ein Vorschlag zur Überarbeitung der Richtlinie 89/105/EWG wurde 2015 endgültig zurückgezogen. Dennoch evaluiert die Europäische Kommission derzeit (2018/19) die Orphan Drugs Verordnung. Darüber hinaus wurden Diskussionen aufgenommen, insbesondere über Ideen für ein Erstattungssystem auf EU-Ebene²⁰.

Daher hat die Europäische Union Aktivitäten im Bereich seltener Erkrankungen eingeleitet, wobei der Schwerpunkt auf OMP liegt und die Grundlagen durch Projektfinanzierung für den Netzwerkaufbau und medizinische Grundlagenforschung zum Verständnis bestimmter SE unterstützt werden. Gerade in jüngster Vergangenheit hat die EU eine entscheidende Rolle gespielt, um die Aufmerksamkeit für SE durch die nationalen Aktionspläne auf nationale Foren auszudehnen und durch die Einrichtung von ERN eine Art Leuchtturmbeispiel für den europäischen Mehrwert für die Bürger zu schaffen. Sowohl für die NAP als auch für die ERN sind die praktischen Vorteile in größerem Umfang in den kommenden Jahren noch abzuwarten, da derzeit die NAP erst implementiert werden und der Umfang der ERN ausgedehnt werden muss, um die Aktivitäten auszuweiten.

¹⁸Oben n 15, Greer et al., 2014

¹⁹Oben n 14, Aymé & Schmidtke, 2007

²⁰ 3rd EURORDIS Multi-Stakeholder Symposium on Improving Patients' Access to Rare Disease Therapies in February 2019

1.2 NATIONALE POLITISCHE MAßNAHMEN

EU-Maßnahmen im Bereich seltener Erkrankungen und insbesondere die Empfehlung von 2009 zu Maßnahmen im Bereich seltener Erkrankungen haben die Entwicklung von Plänen für seltene Erkrankungen in den EU-Mitgliedstaaten erforderlich gemacht. Die EU unterstützte die Entwicklung von SE-Plänen durch technische Hilfe. Die nationalen Pläne für seltene Erkrankungen sind umfassende Aktionspläne, in denen sich die nationalen Regierungen und manchmal auch relevante Stakeholder dazu verpflichten, ein breites Spektrum von Aktivitäten zu behandeln, die SE-Patienten zugute kommen. Belgien, die Niederlande und Deutschland haben ihre nationalen Pläne für seltene Erkrankungen in der zweiten Jahreshälfte 2013 verabschiedet. Die SE-Pläne in Belgien, den Niederlanden und Deutschland werden im Folgenden hinsichtlich ihrer Prioritäten und Aktionspunkte beschrieben und der Umsetzungsstatus wird überprüft.

1.2.1 NATIONALE PLÄNE FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN

Die nationalen Pläne für seltene Erkrankungen in Belgien, den Niederlanden und Deutschland wurden Ende 2013 veröffentlicht. Im Folgenden werden zunächst einige Hintergrund- und allgemeine Informationen gegeben und signifikante inhaltliche Überschneidungen (aufgrund der Prioritätspunkte der EU-Empfehlung) gezeigt, es können jedoch auch einige Unterschiede festgestellt werden. In einer Tabelle wird ein Überblick über diese Daten gegeben.

1.2.1.1 DEUTSCHLAND

Der deutsche Aktionsplan für Menschen mit seltenen Erkrankungen wurde vom Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Krankheiten ausgearbeitet, das vom Bundesministerium für Gesundheit, dem Bundesministerium für Bildung und Forschung und der Allianz chronischer Seltener Erkrankungen gegründet wurde. Der Plan hat folgende Struktur:

- Einführung in den Plan und die Bedeutung der Integration von Patientenorganisationen
- Beschreibung der Aktionsbereiche, Empfehlungen und vorgeschlagenen Aktionen
- Sieben Handlungsfelder: Pflege/medizinische Versorgung, Zentren, Netzwerke, Forschung, Diagnostik, Register, Informationsmanagement, Patientenorientierung und Umsetzung sowie zukünftige Entwicklungen

Nach jedem Handlungsfeld wird eine bestimmte Aufgabe für die Aktion einer Institution zugewiesen, gefolgt von der Zeitspanne, in der die Aktion durchgeführt werden soll.

1.2.1.2 BELGIEN

Der belgische Plan für seltene Erkrankungen wurde von den Fonds für seltene Erkrankungen und Orphan Drugs, dem Ministerium für soziale Angelegenheiten und öffentliche Gesundheit, dem Nationalen Institut für Kranken- und Invaliditätsversicherung und Sciensano (früher „Wissenschaftliches Institut für öffentliche Gesundheit“ genannt) erarbeitet. In diesem Plan gibt es vier Hauptbereiche, in denen 20 Handlungsfelder zu finden sind.

Die vier Hauptbereiche umfassen

- Diagnose und Information für die Patienten
- Optimierung der Gesundheitsversorgung
- Wissens-Management und
- Governance und Nachhaltigkeit

Nach jeder Aktion zeigt das Dokument an, wem die Aktion zugewiesen ist, auf welcher Rechtsgrundlage sie beruht, das Budget für die Durchführung der Aufgaben und zu welchem Zeitpunkt die Aktion beginnen soll.

1.2.1.3 NIEDERLANDE

Der niederländische nationale Plan für seltene Erkrankungen wurde von der niederländischen Organisation für Gesundheitsforschung und Innovation verfasst. Nach einer allgemeinen Einführung in die nationalen und europäischen Entwicklungen ist der Plan in sechs Kategorien unterteilt:

- Die Unbekanntheit seltener Erkrankungen
- Bereitstellung von Informationen und Kommunikation
- Die Verfügbarkeit von Behandlungen
- Forschung
- Stärkung der Patienten, indem ihnen eine Stimme geben wird und
- Richtung und Kontinuität

In jedem Abschnitt wird diskutiert, was bereits vorhanden ist und was in dem Feld noch fehlt. Anschließend wird eine Übersicht mit bestimmten Handlungsfeldern angezeigt, denen die Aktion zugeordnet ist. Abschließend werden Schlussfolgerungen und Prioritäten in Bezug auf den Zeitplan vorgestellt, in dem die Aktionen umgesetzt werden sollten.

1.2.1.4 PRIORITÄTS- UND AKTIONSPUNKTE

Die nationalen SE-Pläne weisen erhebliche inhaltliche Überschneidungen auf, da die Prioritätspunkte für die Erstellung der Pläne in der Empfehlung des EU-Rates festgelegt wurden²¹. Trotzdem sind auch einige Unterschiede zu beobachten. Zu Beginn der Tabelle sind die Überschriften aufgeführt, die von den Autoren verwendet wurden, um die vorgeschlagenen Aktivitäten zu gruppieren. Danach werden die Aktivitäten gemäß den sechs in der Empfehlung des Rates genannten Schwerpunktbereichen neu gruppiert, einschließlich

- i) Definition, Kodierung und Bestandsaufnahme seltener Erkrankungen
- ii) Forschung
- iii) Europäische Referenznetze
- iv) Sammeln von Fachwissen auf EU-Ebene
- v) Empowerment von Patientenorganisationen und
- vi) Nachhaltigkeit

²¹Oben n 3, Empfehlung des Rates 2009/C 151/02

Einrichtung, die mit staatlichen Interessengruppen den Plan begründet hat	ACHSE (Deutschland)	NIHDI + FZZV (Belgien)	ZonMw (Niederlande)
Struktur der Themen	(1) Pflege/Versorgung, Zentren, Netzwerke (1-7) (2) Forschung (8-16) (3) Diagnose (17-26) (4) Register (27-32) (5) Informationsmanagement (33-47) (6) Patientenorientierung (48-51) (7) Implementierung und zukünftige Entwicklungen (52)	(1) Diagnose und Patienteninformation (2) Optimierung der Gesundheitsversorgung (3) Informationsmanagement (4) Governance und Nachhaltigkeit	und (1) (Un)Bekanntheit seltener Erkrankungen der (2) Bereitstellung von Informationen und Kommunikation (3) Verfügbarkeit der Behandlung (4) Forschung (5) Stärkung der Patienten, indem ihnen eine Stimme gegeben wird (6) Richtung und Kontinuität
Nr. der Aktionen	52	20	48

	Deutschland	Belgien	Niederlande
Aktionen innerhalb des Bereichs:	(19) Einheitliches Kodierungsschema für alle Patienten mit SE, unter Anwendung der Orpha-Kennnummer in Verbindung mit ICD-10 GM und im Hinblick auf ICD-11.	(16) Aufbau eines nationalen Zentralregisters für SE (19) Verbesserung der Kodierung und Terminologie	4.3.2.9 Entwicklung eines SE-Codes oder Verwendung der Orpha-Kennnummer 4.3.2.10 Einrichten eines SE-Registers
Angemessene Definition, Kodierung und Bestandsaufnahme seltener Erkrankungen	(27) Einrichtung eines Webportals mit Registern für SE		5.3.10 Entwicklung und Finanzierung einer Follow-up-Datenbank für Neugeborenen-Tests (NEORAH) für die Langzeitforschung
Kodierung	(28) Einrichtung eines Lenkungsausschusses für die „Register seltener Erkrankungen“		5.3.11 Register und Biobanken zu einem integralen Bestandteil des niederländischen CoE machen
Register	(29) Entwicklung eines prototypischen Registers für „krankheitsspezifische Register seltener Erkrankungen“		
Datenbanken	(30, 31) Ein Register für Patienten mit unklarer Diagnose		

Rare diseases do not stop at borders

Aktionen innerhalb des Bereichs:
Forschung zu seltenen Erkrankungen

(32) Einrichtung eines Projekts „Nicht krankheitsspezifisches Register“			
(5) Beschreibung der Versorgung von Patienten mit seltenen Erkrankungen mit Orphan Drugs und deren Finanzierung	(15) Identifizierung nicht abgedeckter medizinischer Bedürfnisse	4.3.3.2 Forschung zur Effizienz der Nutzung von Orphan Drugs	4.3.3.3 Forschung und Datenerfassung in Bezug auf die Off-Label-Verwendung
(6) fachliche Beurteilung zur Verwendung routinemäßig erhobener Daten zu SE		5.3.1 Verbesserung der Tools zur Erkennung von SE durch Allgemeinmediziner, Kliniken und pädiatrische Einrichtungen	
(7) Eine Studie zur Off-Label-Verwendung		5.3.2 Seltene Erkrankungen bekannter und leichter in der Literatur auffindbar machen, indem der Begriff seltene Erkrankung oder Orphan Disease als Suchbegriff in den Text des wissenschaftlichen Artikels aufgenommen wird	
(8) Einrichten und Erweitern von Sequenzierungszentren für SE		5.3.3 Verschiedene Aspekte, auf die sich die Forschung zu SE konzentrieren sollte	
(9) Verwendung von Tier- oder Zellmodellen zur Aufklärung der Pathophysiologie von SE		5.3.4 Förderung der Forschung zur Behandlung mit vorhandenen	
(10) Entwicklung von Diagnoseverfahren für SE			

Rare diseases do not stop at borders

(11) Spezialisierung der klinischen Forschungseinheiten, die SE erforschen

(12) Forschung im Gesundheitswesen, um Lücken (und mögliche Lösungen) in der Forschung zur Pflege und medizinischen Versorgung von SE-Patienten zu identifizieren

(13) Fortsetzung des Finanzierungsprogramms für ethische, rechtliche und soziale Aspekte

(14) Eine kooperative Plattform zur Vermittlung zwischen Wissenschaft und Industrie

(15) Fortsetzung der strategischen Entwicklung von Forschungsfinanzierung in der internationalen Zusammenarbeit zu SE

(16) Ermöglichung der Zusammenarbeit zwischen Grundlagenforschung und klinischer Forschung in den Typ A Zentren (Referenzzentren).

Arzneimitteln, die (noch) nicht für die betreffende Krankheit registriert sind (Off-Label-Verwendung)

5.3.5 Weitere Forschung zur Verbesserung von Gentests

5.3.6 Unterstützung der nationalen und internationalen multidisziplinären Forschung

5.3.7 Einbeziehung der Patienten bei der Festlegung von Prioritäten für neue Forschungsprogramme

5.3.8 Internationale Forschung zu neuen HTA-Methoden für Orphan Drugs

5.3.9 Unterstützung öffentlich-privater Partnerschaften für die Therapientwicklung

5.3.12 Konzentrierte Forschung zu bestimmten SE an den jeweiligen CoE

5.3.13 Beseitigung von Hindernissen für die Entwicklung neuer Hilfsmittel und Therapien

Rare diseases do not stop at borders

<p>Aktionen innerhalb des Bereichs:</p> <p>Fachzentren (CoE) und ERN für seltene Erkrankungen</p> <p>Pfade</p> <p>Koordination von Versorgungsleistungen</p> <p>Telemedizin</p> <p>Veröffentlichung & Mobilität von Fachwissen</p>	<p>(48) Einbeziehung von Patientenerfahrungen in patientenorientierte Forschungs- und Gesundheitsprojekte</p> <p>(1) Implementierung des dreistufigen Modells der „Zentren für seltene Erkrankungen (A, B, C)“</p> <p>(2) Festlegung von Standards und Compliance-Prüfung für Zentren</p> <p>(4) Bestimmung des Bedarfs bezüglich der Beschaffung von Arzneimitteln für Personen mit SE</p> <p>(17) Analyse, was zur Gewährleistung der Zusammenarbeit zwischen den Zentren und den Primärversorgern erforderlich ist</p> <p>(18) Dokumentation des Wegs zur Diagnosestellung vom ersten Kontakt mit dem Primärversorger bis zum jeweiligen Zentrum</p> <p>(20, 21) (webbasierte) Diagnosewerkzeuge, die in der</p>	<p>(1) Verbesserung der Finanzierung für diagnostische Tests und Patientennachsorge</p> <p>(2) Einrichtung und Verbesserung des Qualitätsmanagements in den CoE</p> <p>(3) Ausweitung der genetischen Beratung in und über bestehende CoE hinaus</p> <p>(4) Einrichtung multidisziplinärer Beratungen</p> <p>(5) Patientenorientierte Kommunikation</p> <p>(7) Konzentration von Fachwissen und Bereitstellung in CoE inkl. Koordinator für Versorgungsdienste</p>	<p>3.3.1 Verbesserung der Differentialdiagnostik von SE mithilfe von ICT</p> <p>3.3.2 Das Wissen über Symptome von SE und diagnostische Tests sollten verbessert werden</p> <p>3.3.4 Verbesserung der allgemeinen Zugänglichkeit von Informationen in einer verständlichen Sprache</p> <p>4.3.1.2 Regelmäßige Überprüfung, ob die im Neugeborenen-Screening enthaltenen Krankheiten erweitert werden müssen</p> <p>4.3.1.3 Verbesserung der Diagnosewerkzeuge für erbliche SE</p> <p>4.3.1.4 Bewusstseinsbildung und Information über genetische Aspekte von SE</p>
---	---	--	---

Rare diseases do not stop at borders

Primärversorgung zur (Differenzial-) Diagnose von SE (zusätzlich zu häufigeren Krankheiten) eingesetzt werden	(8) Einrichtung eines CoE für Hämophilie	4.3.2.1 CoE müssen unter „Wet op Bijzondere Medische Verrichtingen“ (WBMV) arbeiten
(22) Überprüfung, ob die Versorgung von Personen, bei denen der Verdacht auf eine SE besteht, jedoch keine bestätigte Diagnose vorliegt, in der deutschen Gebührenordnung ausreichend berücksichtigt wird	(9) SE-Funktionsbereich einschließlich Koordination	4.3.2.2 Transparente und kriterienbasierte Designation der CoE
(23) Start von Beratungen zur Einführung von NGS-Technologien in der einheitlichen Gebührenskaala	(10) Verbesserung der Vernetzung zwischen den CoE, mit den ERN und mit verwandten Einrichtungen	4.3.2.3 Die Manager sind für das Funktionieren der CoE verantwortlich
(47) Identifizierung und Bewertung von Telemedizinangeboten für seltene Erkrankungen	(11) Einrichtung neuer Fachzentren	4.3.2.4 Die CoE bieten eine multidisziplinäre Betreuung und haben einen Koordinator, der an der Übergabe an den Schnittstellen beteiligt ist
	(12) Verbesserung des Zugangs zu und der Finanzierung von medizinischer Ernährung	4.3.2.5 Die CoE unterstützen die Entwicklung von Pflegerichtlinien
	(13) Verbesserung der Kommunikation mithilfe von EPD	4.3.2.6 Bewusstseinsbildung in Bezug auf präkonzeptionelle Standardversorgung
	(14) Nicht gedeckter medizinischer Bedarf: Verbesserung des Zugangs zu und der Finanzierung von medizinischen Leistungen	4.3.2.7 Bewusstseinsbildung in Bezug auf präkonzeptionelle Beratung und Beratung zu Erbkrankheiten
		4.3.2.8 Die Versorgung muss vor Ort gewährleistet sein und die Zusammenarbeit mit den CoE muss besser koordiniert werden

Rare diseases do not stop at borders

Aktionen innerhalb des Bereichs:

Sammeln von Fachwissen zu SE (auf europäischer Ebene)

(24,25,26) Entwicklung von Leitlinien für SE

(33-35) Checkliste „Kriterien für eine gute Patienteninformation über seltene Erkrankungen“

(40, 41, 42) Kompetenzbasierter Katalog von Lernzielen für Medizinstudenten inkl. Prüfungsfragen

(43) Die Leitlinien für die Fort- und Weiterbildung von Ärzten enthalten Informationen zu SE

(44, 45) Weiterbildungskurse für SE

(18) Ausbildung von Gesundheitsdienstleistern

4.3.2.11 Notwendigkeit einer besseren Koordination der SE-Versorgung

4.3.3.6 Implementation von Behandlungspfaden für SE

2.3.1 Verbesserung des Wissens von Primärversorgern, Versicherungen und Entscheidungsträgern

2.3.2 Gesteigerte Aufmerksamkeit und Wissen bezüglich SE durch (zusätzliche) Ausbildung für Medizinstudenten und praktizierende Ärzte

4.3.1.1 Gesteigerte Aufmerksamkeit für SE

Rare diseases do not stop at borders

Aktion innerhalb des Bereichs: Stärkung der Patientenorganisationen

Bewusstseinsbildung

Kapazitätsaufbau

Training

Informationsaustausch

(36) Ein Konzept für gemeinsame Kommunikation und Verfahren für die Öffentlichkeitsarbeit im Bereich seltener Erkrankungen

(37, 38, 39) Ein zentrales Informationsportal für seltene Erkrankungen

(46) Ein Konzept für NAMSE-PR-Aktivitäten

(49) Der Medical Advisory Service (MDS) kann als Kontaktstelle für Patientenorganisationen dienen

(50) Unterstützung und Qualifikation der Aktivitäten der Patientenorganisationen

(51) Unterstützung bei der Integration nationaler Patientenorganisationen in die europaweite Zusammenarbeit für seltene Erkrankungen

(6) Europlan: Nationale Konferenz 2014 zusammen mit RadiOrg

(17) Unterstützung von Orphanet Belgien

3.3.3 Patientenportal oder Call Center für SE

3.3.5 Call Center für Personen mit Problemen beim Erhalt ihrer medizinischen Versorgung oder der Rückerstattung

3.3.6 Verzeichnis aller Patienten- und Dachorganisationen in Bezug auf SE in NL

3.3.7 Patientenorganisationen, wissenschaftliche Vereinigungen, etc. sollten häufiger Symposien organisieren, um das Bewusstsein zu schärfen

6.3.1 Verbesserung und Erweiterung der Zusammenarbeit von Patientenorganisationen in Bezug auf allgemeine Aspekte von SE

6.3.2

6.3.3 Förderung einer engeren Zusammenarbeit zwischen Patientenorganisationen und Krankenversicherern

Aktionen innerhalb des Bereichs:

Nachhaltigkeit

(3) Bewertung des Ausweisungsverfahrens und der Finanzierungselemente für Fachzentren

(20) Bewertung und Monitoring des Plans

4.3.3.1 Konzepte für die Kostenerstattung von Orphan Drugs sollten bestimmte SE-Merkmale berücksichtigen

Finanzierung

Kooperation

(52) Bewertung und Weiterverfolgung der Umsetzung des Aktionsplans zu gegebener Zeit

4.3.3.4 Der Kauf von Pflegeleistungen sollte im Einklang mit der Benennung der CoE erfolgen

4.3.3.5 Umsetzung der grenzüberschreitenden Gesundheitsgesetzgebung in NL

7.3.1 Ernennung eines Koordinators für die Umsetzung des Plans

7.3.2 Einrichten eines Beratungsgremiums

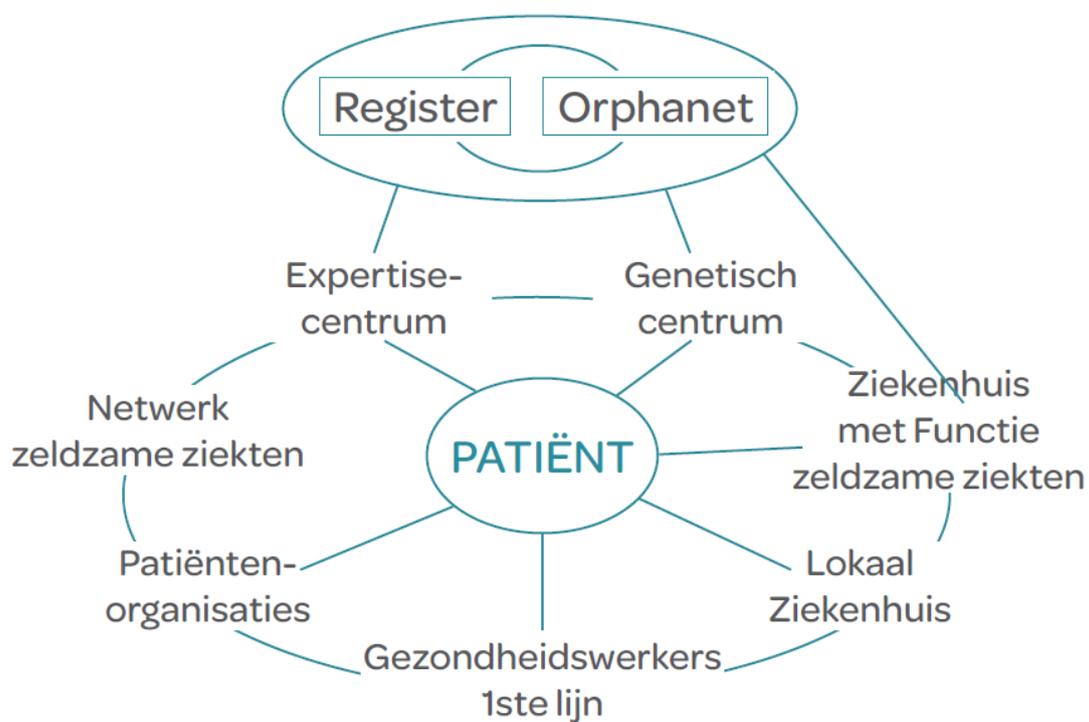
Rare diseases do not stop at borders

1.2.1.4.1 UMSETZUNGSSTRATEGIEN FÜR DIE NATIONALEN PLÄNE FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN

1.2.1.4.2 BELGIEN

Der nationale Plan wird von staatlichen Institutionen umgesetzt. Es wurde eine Lenkungsgruppe für SE eingerichtet. Die Gruppe besteht aus Mitgliedern verschiedener staatlicher Akteure des Gesundheitsministeriums, des NIHDI und des Sciensano. Die Lenkungsgruppe überwacht die Aktivitäten, passt gegebenenfalls die Umsetzung an und legt die allgemeinen Leitlinien fest²².

Abbildung 1: Schematische Darstellung der an der Umsetzung beteiligten Stakeholder



Autor: König Baudouin Stiftung

Für die Umsetzung wurde ein Budget von 15 Mio € bereitgestellt, das auf die verschiedenen geplanten Aktivitäten aufgeteilt wird. Darüber hinaus wurde ein eigenes Implementierungsteam gebildet. Die Idee für ein Implementierungsteam wurde aus Frankreich übernommen, wo das Fehlen eines einzigen

²² FOD Volksgezondheid, 2013

koordinierenden Verwaltungsorgans eine Schwäche im ersten französischen Plan darstellte. Neben der Umsetzung ist das Team für das Monitoring und die Evaluierung verantwortlich²³.

1.2.1.4.3 NIEDERLANDE

In den Niederlanden wurden bereits Aktionen zur Verbesserung der Situation von SE-Patienten gesetzt. Die im Plan beschriebenen aktuellen Aktivitäten werden teilweise fortgesetzt und teilweise geändert²⁴. Die Umsetzung des neuesten nationalen Plans wird von verschiedenen Interessengruppen wie Universitätskliniken, Patientenorganisationen, Kommunalverwaltungen und Gesundheitsdienstleistern geplant. ZonMw hat ein Sekretariat eingerichtet, dem verschiedene Interessengruppen angehören, darunter Patienten, Versicherungs- und Pharmaunternehmen, Gesundheitsdienstleister, Forscher und unabhängige Behörden. Das Sekretariat wird den Umsetzungsprozess erleichtern²⁵.

Für die Umsetzung wurde kein eigenes Budget zugewiesen. Dies wurde jedoch als Einschränkung hervorgehoben. Die Niederlande sind sich daher dessen bewusst, dass im Zuge der Umsetzung zusätzliche Kosten entstehen können. Einige Empfehlungen hingegen erfordern eher eine Umstrukturierung oder Neuorganisation und nicht so sehr zusätzliche finanzielle Ressourcen²⁶.

Für die anschließende Umsetzung des nationalen Plans werden einige Empfehlungen als dringlicher angesehen als andere. Dringendere Empfehlungen konzentrieren sich auf die direkte Verbesserung der Gesundheitsversorgung für SE-Patienten. Ein Beispiel ist die Verbesserung des Wissens rund um SE und die rechtzeitige Diagnose. Zu den langfristigen Empfehlungen gehört unter anderem die Einrichtung von Forschungsprogrammen zu SE²⁷.

1.2.1.4.4 DEUTSCHLAND

Der deutsche nationale Plan für seltene Erkrankungen wurde von einer Koalition von 28 Verbänden vereinbart, die alle relevanten Interessengruppen (NAMSE) vertreten. Um die Umsetzung der 52 Aktionspunkte zu steuern, wurden ein Sekretariat, ein Lenkungsausschuss aller Mitglieder und thematische Arbeitsgruppen eingerichtet. NAMSE wird vom Bundesgesundheitsministerium finanziell unterstützt.

Das Sekretariat koordiniert die Arbeit des NAMSE, fungiert als Kommunikationszentrum, bereitet Modellprojekte für die Umsetzung vor und unterstützt die Sitzungen des Ausschusses und der Arbeitsgruppen. Der NAMSE-Lenkungsausschuss entscheidet über die Ziele und die Arbeitsweise von NAMSE und legt die thematischen Prioritäten für die Arbeitsgruppen fest. Das Sekretariat holt regelmäßig Informationen von allen NAMSE-Partnern zum Umsetzungsstatus der 52 Aktionspunkte ein. Alle zwei Jahre berichtet das Sekretariat dem Lenkungsausschuss über die allgemeinen

²³ Ibid

²⁴ VWS, 2013

²⁵ Ibid

²⁶ ZonMw, 2013

²⁷ Ibid

Fortschritte. 2017 wurde der erste Monitoringbericht veröffentlicht, gefolgt von einem Statusbericht 2019²⁸.

1.2.2 NATIONALE INFORMATIONSPOLITIK FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN

Patienten mit seltenen Erkrankungen sind im Vergleich zu jenen mit häufigen Krankheiten mit dem Problem eines riesigen Informationsdefizits konfrontiert. Medizinisches Wissen ist möglicherweise nicht vorhanden oder kann nicht in eigens dafür eingerichteten Fachzentren konzentriert werden. Darüber hinaus kommt es vor, dass andere hilfreiche Informationen auf Patientenverbände und andere Kreise beschränkt sind. In diesem Abschnitt werden Informationspolitiken und -quellen in Belgien, den Niederlanden und Deutschland untersucht. Im nächsten Abschnitt werden bestehende Richtlinien für seltene Erkrankungen angeführt.

1.2.2.1 BELGIEN

„Seltene Erkrankungen Belgien“ (RaDiOrg) ist der nationale Dachverband der SE-Patienten und betreibt eine Website mit Informationen zu seltenen Erkrankungen und SE-Patientengruppen in Belgien. Darüber hinaus stellen mehrere Interessengruppen auf ihren Websites Links zur niederländischen und französischen Version von Orphanet bereit, die als weitere Informationsquelle in Belgien angesehen werden kann.

RaDiOrg bietet über das Kontaktformular seiner Website in Abstimmung mit Orphanet Belgien eine nationale Hotline an, um SE-Patienten zu unterstützen. Zu den Aufgaben der belgischen Fachzentren gehört es unter anderem, SE-Patienten und ihren Familienmitgliedern krankheitsspezifische Informationen zur Verfügung zu stellen.

Basierend auf dem nationalen Plan für SE gibt es auch regionale Entwicklungen, die in unterschiedlichem Tempo voranschreiten. In Flandern wurde Ende 2017 das flämische Netzwerk für seltene Erkrankungen ins Leben gerufen. Das Flämische Netzwerk für seltene Erkrankungen ist *de facto* eine Vereinigung der flämischen Universitätskliniken (alle als „Funktionsbereich für seltene Erkrankungen“ anerkannt), der Allgemeinkrankenhäuser (Zorgnet ICURO) und des Kreises der Allgemeinmediziner (Domus Medica). Die Flämische Patientenplattform und RaDiOrg sind beratende Mitglieder des Netzwerks.

In Wallonien und Brüssel wurden Vorbereitungsarbeiten für ein ähnliches Netzwerk durchgeführt, aber bis Ende 2019 war das Netzwerk noch nicht startklar. Eine weitere Initiative für französischsprachige Patienten ist die „Rare Disease Line“ von Rare Disorders Belgium (secretariat@rd-b.be) > 0800 9 2802 (kostenlos).

Relevante belgische Websites zu SE:

www.radiorg.be

<http://vlaamspatientenplatform.be/themas/zeldzame-ziekten>

²⁸ www.namse.de

1.2.2.2 NIEDERLANDE

Informationen zu mehr als 500 seltenen Erkrankungen für Patienten und Fachkräfte sind auf der Website www.erfelijkheid.nl abrufbar, die vom Erfocentrum bereitgestellt wird. Die Website bietet öffentlich zugängliche Informationen – manchmal in Form von Videos – zu genetischen, biomedizinischen und schwangerschaftsbedingten Problemen. Aber auch einige andere Organisationen informieren über (spezifische Aspekte) seltener Erkrankungen.

Erfocentrum betreibt auch eine Hotline für seltene Erkrankungen. Die Hotline informiert und beantwortet Fragen zu genetischen und seltenen Erkrankungen sowie zur Schwangerschaft. Die Hotline kann per Telefon und E-Mail kontaktiert werden. Das Erfocentrum wird vom niederländischen Gesundheitsministerium finanziert und wurde ursprünglich von VSOP entwickelt. Im Jahr 2000 wurde es als unabhängige Informationsorganisation für seltene Erkrankungen abgespalten.

Relevante niederländische Websites zu SE:

<http://www.vsop.nl/>

<https://www.trfportal.nl/>

<https://www.kiesbeter.nl/artikelen/zorgthemas/topreferente-zorg/index>

www.erfocentrum.nl

www.zichtopzeldzaam.nl

www.zeldzameaandoening.nl

1.2.2.3 DEUTSCHLAND

Das zentrale Informationsportal über seltene Erkrankungen in Deutschland ist ZIPSE <https://www.portal-se.de/>.

ZIPSE ist ein Portal, das auf Informationen verweist, die bereits auf anderen Websites vorhanden sind. ZIPSE wird von der Universität Hannover, dem Universitätsklinikum Frankfurt und ACHSE betrieben. Das Portal wird vom Bundesgesundheitsministerium finanziert und ist Teil der Umsetzungsagenda des nationalen Plans für seltene Erkrankungen (NAMSE).

Innerhalb von ZIPSE werden keine neuen Informationen generiert, aber Links zu Websites werden auf ihre Qualität überprüft und die enthaltenen Informationen sind nach Themen und verschiedenen Benutzergruppen strukturiert. ZIPSE richtet sich an Patienten, Angehörige und Fachkräfte. Neben ZIPSE wird häufig das deutsche Orphanet-Portal konsultiert. Dieses Portal ist eine wichtige Informationsquelle für seltene Erkrankungen in Deutschland.

Derzeit gibt es in Deutschland keine offizielle Hotline für seltene Erkrankungen. ZIPSE verweist jedoch auf eine Reihe von Hotlines für bestimmte seltene Erkrankungen und allgemeinere Patienteninformationszentren. Eine der genannten Hotlines wird von ACHSE betrieben. Es handelt sich um eine privat finanzierte Hotline für Menschen mit seltenen Erkrankungen.

Relevante deutsche Websites zu SE:

www.achse-online.de

www.namse.de

<https://www.se-atlas.de/>

<https://www.portal-se.de/>

1.2.3 RICHTLINIENENTWICKLUNG

1.2.3.1 BELGIEN

Belgien hat auf nationaler Ebene (Stand November 2016²⁹) keine Leitlinien für die klinische Praxis (CPG) zu seltenen Erkrankungen umgesetzt. Die Vorschläge für den nationalen Plan für SE hätten die Entwicklung von Leitlinien für die klinische Praxis vorgesehen.

1.2.3.2 NIEDERLANDE

Die vom VSOP betriebene Website „Zorgstandaarden Zeldzame Aandoeningen“ bietet CPG für seltene Erkrankungen in den Niederlanden. Im November 2018 wurden insgesamt 13 krankheitsspezifische CPG veröffentlicht, zwei weitere sind in Vorbereitung. Richtlinien zu allgemeinen Themen (n=9) wie Kommunikation, präkonzeptionelle Beratung und Schwangerschaftsvorsorge, Selbstmanagement und andere Dokumente zur Qualität sind ebenfalls verfügbar³⁰.

Derzeit ist ein Übergang von CPG zu Qualitätsstandards für SE in Arbeit. Hintergrunddokumente und Richtlinien zum Prozess und zu den Kriterien für die Festlegung von Qualitätsrichtlinien für SE werden veröffentlicht³¹.

Die ZIN-Nederland-Datenbank bietet eine allgemeine Sammlung von Richtlinien, die in den Niederlanden verfügbar sind, und befasst sich mit häufigen Krankheiten und Phänomenen in der Primärversorgung³².

1.2.3.3 DEUTSCHLAND

Die AWMF-Datenbank (*Arbeitsgemeinschaft Wissenschaftlicher Medizinischer Fachgesellschaften*) enthält eine Reihe von CPG für seltene Erkrankungen. Dazu gehören beispielsweise Ataxie, Mukoviszidose, angeborene Nebennierenhyperplasie, Myopathien, Dystrophie, Morbus Huntington und Myasthenia gravis, um nur einige zu nennen³³.

1.2.3.4 VERGLEICH

Insgesamt scheint die Richtlinienentwicklung für SE in den Niederlanden am weitesten fortgeschritten zu sein, wobei VSOP auch tatsächlich in die Entwicklung von Qualitätsprodukten investiert. Andere CPG-Entwicklungen gehen eher von der Allgemeinmedizin und der Primärversorgung aus. In Deutschland hingegen beruht die Richtlinienentwicklung eher auf den Bestrebungen der Fachärzte

²⁹Quelle SE Aktion

³⁰<http://www.zorgstandaarden.net/nl/home>

³¹<https://kwaliteitvoorzeldzaam.nl/>

³²<https://www.zorginzicht.nl/bibliotheek/Paginas/Overzicht.aspx?type=Kwaliteitsstandaarden>

³³<https://www.awmf.org/leitlinien/aktuelle-leitlinien.html>

und ihrer Verbände. Belgien hat die Entwicklung von Leitlinien für die klinische Praxis in seinem nationalen Plan für SE vorgesehen.

1.2.4 BENELUXA: EINE INITIATIVE MEHRERER LÄNDER ZUR GEMEINSAMEN ARBEIT AN ORPHAN DRUGS

Als multilaterale Initiative für gemeinsame Arbeit und Aktivitäten mit Bezug zu SE wird die BeNeLuxA-Initiative an dieser Stelle zusammenfassend vorgestellt. An BeNeLuxA sind die Länder Belgien und Niederlande beteiligt, nicht jedoch Deutschland. Die Ländergruppe umfasst Belgien, die Niederlande, Luxemburg und Österreich (daher BeNeLuxA, später kam Irland dazu) und sieht eine freiwillige intensive Zusammenarbeit in Bezug auf folgende Punkte vor:

- Gesundheitstechnologiefolgenabschätzung (Health Technology Assessment/HTA)
- Horizon Scanning (Früherkennung)
- Informationen zu Pharmamärkten, einschließlich Preisen
- Bestimmte krankheitsspezifische Register
- Preisgestaltung und Erstattung, einschließlich gemeinsamer Verhandlungen

Die allgemeinen Ziele des Gesundheitssystems, die unterstützt werden sollen, sind der Zugang zu innovativen Medikamenten – beginnend mit Orphan Drugs zu erschwinglichen Preisen in den jeweiligen Ländern. Der Hebel zur Erreichung dieses Ziels ist der größere Patientenpool, der vermutlich zu einer höheren Kaufkraft führt. Darüber hinaus sollen durch gemeinsame Arbeiten in Bezug auf HTA und Horizon Scanning Doppelgleisigkeiten in jedem Land vermieden werden. Die Arbeiten zu Preisen und Kostenerstattungen, einschließlich Verhandlungen, haben gerade mit einigen Grundsätzen und Leitfäden begonnen, die entwickelt wurden. Die tatsächliche Beschaffung von Arzneimitteln wurde jedoch noch nicht durchgeführt (Stand Juni 2019).³⁴³⁵

1.2.5 ABSCHLUSS

Zusammenfassend lässt sich sagen, dass ein Großteil der nationalen Maßnahmen in Bezug auf SE derzeit in den nationalen Pläne für SE in Belgien, den Niederlanden und Deutschland konzentriert und zusammengeführt wird. Inhaltlich unterscheiden sich die Pläne nicht wesentlich, es gibt nur geringe Abweichungen in Bezug auf ihre Aktivitäten. Es gibt jedoch Unterschiede in der Art und Weise, wie die Länder ihre Strategien umsetzen. Dies zeigt sich umso deutlicher in den anderen bereits bestehenden Richtlinien (Informationspolitik, Richtlinienentwicklung, usw.), die in diesem Abschnitt untersucht wurden, wobei sich der Umfang und die Schwerpunkte unterscheiden.

³⁴Für weitere Informationen zu gemeinsamen Beschaffungsmassnahmen im Allgemeinen siehe: Espin et al, 2016 1

³⁵<http://beneluxa.org/>

2 BESTIMMUNGEN FÜR DEN ZUGANG ZU GRENZÜBERSCHREITENDER GESUNDHEITSVERSORGUNG

Um die Möglichkeiten und Auswirkungen der grenzüberschreitenden Mobilität von Patienten und des Fachwissens von Experten für SE-Patienten herauszuarbeiten, wird in diesem Abschnitt zunächst die EU-Gesetzgebung beleuchtet. Anschließend wird das IZOM-Abkommen als trilaterales Abkommen zwischen den belgischen, niederländischen und deutschen Mitgliedstaaten untersucht und schließlich wird die Ostbelgien-Regelung – eine belgische Bestimmung – besprochen.

2.1 EU-GESETZGEBUNG

In diesem Abschnitt werden die einschlägigen Bestimmungen der Richtlinie 2011/24/EU sowie der Verordnung 883/2004 und der Verordnung 987/2009 über die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung untersucht.

2.1.1 VERORDNUNGEN 883/2004 UND 987/2009

Der Schwerpunkt der Analyse liegt auf der geplanten Versorgung im Ausland, da die Verordnung speziell ein Erstattungssystem für die Notfallversorgung (ungeplante Versorgung) während des Aufenthalts im Ausland vorsieht.

Die Verordnung (EG) 883/2004 (Grundverordnung) und die Verordnung (EG) 987/2009 (Durchführungsverordnung) über die Koordinierung der Systeme der sozialen Sicherheit bieten Mechanismen für die Koordinierung der Systeme der sozialen Sicherheit für verschiedene Aspekte, einschließlich Renten und Arbeitslosigkeit, Kranken- und Mutterschaftsgeld, Langzeitpflege, usw.

In Bezug auf Krankengeld umfasst die Koordinierung den Zugang zur Notfallversorgung (ungeplante Versorgung) unter Verwendung der Europäischen Krankenversicherungskarte, wenn man sich in einem anderen Mitgliedstaat als dem zuständigen Mitgliedstaat aufhält. Darüber hinaus werden Situationen abgedeckt, bei denen der Zweck der Reise darin besteht, eine medizinische Versorgung zu erhalten (geplante Versorgung). In diesen Fällen sieht die Verordnung 883/2004 vor, dass vor Inanspruchnahme der Behandlung eine Genehmigung erteilt werden muss.

Artikel 20

Reisen mit dem Ziel, Sachleistungen zu erhalten – Genehmigung zur angemessenen Behandlung außerhalb des Wohnsitzmitgliedstaats

1. Sofern in dieser Verordnung nichts anderes bestimmt, muss ein Versicherter, der sich zur Inanspruchnahme von Sachleistungen in einen anderen Mitgliedstaat begibt, die Genehmigung der zuständigen Einrichtung einholen.

2. Eine versicherte Person, die von der zuständigen Einrichtung ermächtigt wurde, in einen anderen Mitgliedstaat zu reisen, um die ihrem Zustand entsprechende Behandlung zu erhalten, erhält die Sachleistungen, die die Einrichtung des Aufenthaltsortes im Namen der zuständigen Einrichtung erbringt in Übereinstimmung mit den Bestimmungen der

Gesetzgebung; damit ist dies, als ob die Person nach der genannten Gesetzgebung versichert wäre. Die Genehmigung wird erteilt, wenn die betreffende Behandlung zu den Leistungen gehört, die in den Rechtsvorschriften des Mitgliedstaats vorgesehen sind, in dem sich die betreffende Person aufhält, und wenn sie unter Berücksichtigung des aktuellen Gesundheitszustands und des voraussichtlichen Krankheitsverlaufs nicht innerhalb einer medizinisch vertretbaren Frist behandelt werden kann.

Daher stellt die vorherige Genehmigungspflicht (S2-Dokument) eine große Hürde für SE-Patienten dar, die im Ausland medizinische Versorgung suchen. Wenn jedoch eine Genehmigung erteilt wird, bietet die Verordnung dem Patienten Zugang zu der Behandlung ohne Vorauszahlung, ganz zu schweigen von der Sicherheit, als nationale, sozial versicherte Person des MS, in dem die Behandlung erbracht wird, behandelt zu werden. Dies bietet in der Regel umfassendere Leistungen als die Richtlinie 2001/24/EU.

2.1.2 RICHTLINIE 2011/24/EU

In diesem Abschnitt werden zunächst die Bestimmungen zum Zugang und zur Erstattung grenzüberschreitender Gesundheitsversorgung dargelegt. Zweitens werden die Bestimmungen des Kapitels IV vorgestellt, die „flankierende Maßnahmen“ für die grenzüberschreitende Zusammenarbeit im Gesundheitswesen vorsehen, die teilweise direkt, teilweise indirekt die grenzüberschreitende Versorgung von SE-Patienten erleichtern.

2.1.2.1 GELTUNGSBEREICH DER RICHTLINIE

Artikel 1 Gegenstand und Anwendungsbereich

3. Diese Richtlinie findet keine Anwendung auf:

a) Dienstleistungen im Bereich der Langzeitpflege, deren Zweck darin besteht, Menschen zu unterstützen, die Hilfe bei der Durchführung alltäglicher Routineaufgaben benötigen;

[...]

4. Diese Richtlinie berührt nicht die Gesetze und Vorschriften in den Mitgliedstaaten in Bezug auf die Organisation und Finanzierung der Gesundheitsversorgung in Situationen, die nicht mit der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung zusammenhängen. Insbesondere verpflichtet nichts in dieser Richtlinie einen Mitgliedstaat, die Kosten für die erbrachte Gesundheitsversorgung zu erstatten, wenn die Gesundheitsdienstleister in seinem eigenen Staatsgebiet ansässig sind, aber diese Anbieter nicht Teil des Sozialversicherungssystems oder des öffentlichen Gesundheitssystems dieses Mitgliedstaats sind.

Bei Anwendung dieser Bestimmungen auf SE wird deutlich, dass für SE-Patienten mit vielfältigen und komplexen Einschränkungen und Behinderungen in Bezug auf ihre körperlichen und geistigen Verhältnisse über die grenzüberschreitende Richtlinie kein Zugang zu spezialisierter Langzeitpflegeunterstützung besteht.

Da ein bestimmter Teil der SE-Behandlung innovativ ist oder durch spezielle Systeme finanziert wird, kann der Zugang zur grenzüberschreitenden Versorgung in vielen Fällen durch die Bestimmungen in Artikel 1 (4) gesperrt werden, so dass die Erstattung der grenzüberschreitenden Versorgung von der Bedingung abhängig gemacht wird, dass diese Art der Versorgung in der Regel im Rahmen des Sozialversicherungssystems dieses Landes finanziert wird.

2.1.2.2 BEDINGUNGEN FÜR EINE VORHERIGE GENEHMIGUNG

Nicht nur der Geltungsbereich der Richtlinie beschränkt die Inanspruchnahme der grenzüberschreitenden Versorgung durch SE-Patienten, sondern auch die Bedingungen für eine vorherige Genehmigung sehen praktische Einschränkungen vor. Die entsprechenden Bestimmungen lauten wie folgt:

Artikel 8 Gesundheitsversorgung, für die möglicherweise eine vorherige Genehmigung erforderlich ist

2. Die Gesundheitsversorgung, für die möglicherweise eine vorherige Genehmigung erforderlich ist, ist auf die Gesundheitsversorgung beschränkt, die:

(a) Planungsanforderungen in Bezug auf das Ziel unterliegt, einen ausreichenden und dauerhaften Zugang zu einem ausgewogenen Spektrum hochwertiger Behandlungen in dem betreffenden Mitgliedstaat zu gewährleisten, oder dem Wunsch, die Kosten zu kontrollieren und Vergeudung von finanziellen, technischen und personellen Ressourcen so weit als möglich zu vermeiden:

(i) dies beinhaltet einen Krankenhausaufenthalt des betreffenden Patienten für mindestens eine Nacht; oder

(ii) die Verwendung hochspezialisierter und kostenintensiver medizinischer Infrastrukturen oder medizinischer Geräte;

[...]

4. Wenn ein Patient, der von einer seltenen Erkrankung betroffen ist oder bei dem der Verdacht auf eine solche besteht, eine vorherige Genehmigung beantragt, kann eine klinische Bewertung durch Experten auf diesem Gebiet durchgeführt werden. Wenn im Versicherungsmitgliedstaat keine Sachverständigen gefunden werden können oder wenn die Meinung des Sachverständigen nicht schlüssig ist, kann der Versicherungsmitgliedstaat wissenschaftlichen Rat anfordern.

In Bezug auf seltene Erkrankungen muss festgehalten werden, dass der überwiegende Teil der Diagnose und Behandlung von SE im Krankenhaus erfolgt, was Übernachtungen oder die Nutzung hochspezialisierter Infrastruktur beinhaltet. In diesen Fällen können die Mitgliedstaaten daher vor der Erstattung eine vorherige Genehmigung beantragen, die anschließend erteilt wird. Dies bietet daher für viele SE-Patienten keinen Mehrwert im Vergleich zu den nach den Verordnungen gewährten Rechten (s. Abschnitt oben). Laut dem Evaluierungsbericht 2018 der Europäischen Kommission gehören die Niederlande zu den sechs Ländern, die keine vorherige Genehmigung gemäß der Richtlinie fordern, aber den zu erstattenden Betrag deckeln.

2.1.2.3 ERSTATTUNG

Nach den Ausführungen zu den Rechten auf Zugang und Betreuung im Ausland werden in diesem Abschnitt die Bedingungen für die Erstattung behandelt.

Artikel 7 Allgemeine Grundsätze für die Erstattung von Kosten

4. Die Kosten für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung werden vom Versicherungsmitgliedstaat bis zu der Höhe der Kosten erstattet oder direkt bezahlt, die der Versicherungsmitgliedstaat übernommen hätte, wenn diese Gesundheitsversorgung in seinem Staatsgebiet erbracht worden wäre, ohne dabei die tatsächlichen Kosten der erbrachten Gesundheitsversorgung zu überschreiten.

Dies scheint ein besonderes Problem für SE-Patienten in Niedrigpreisländern zu sein, die in Hochpreisländern behandelt werden möchten, und weniger ein Problem zwischen Belgien, Deutschland und den Niederlanden, wo das Preisniveau ziemlich ähnlich ist. In der Praxis können jedoch die Unterschiede in Bezug auf die Art der Behandlung, die unter einem bestimmten Diagnoseetikett oder in einer bestimmten Behandlungsepisode enthalten ist und erstattet wird, von Land zu Land unterschiedlich sein und wurden zuvor speziell für die belgisch-niederländische Situation hervorgehoben. Dies kann dazu führen, dass Patienten im Einzelfall aufgrund dieser Unterschiede einen erheblichen Anteil an den Vorkosten haben. In diesem Zusammenhang führte die Europäische Kommission 2015 eine Rechnungsprüfung zwischen den Mitgliedstaaten durch, um zu überprüfen, welche Informationen auf nationalen Rechnungen zu vier gemeinsamen Verfahren (zwei ambulante, zwei krankenhausbefugte) enthalten sind. Die EG kam zu dem Schluss, dass angesichts der vielfältigen Angaben auf den Rechnungen kein gemeinsamer Ansatz möglich war.³⁶

2.1.2.4 RECHTSGRUNDLAGE FÜR FREIWILLIGE KOOPERATIONSSTRUKTUREN

In Kapitel IV sieht die Richtlinie flankierende Maßnahmen zur grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung durch freiwillige Kooperationsstrukturen vor. Dies umfasst in Artikel 10 und in Verbindung mit Artikel 6 die Einrichtung nationaler Kontaktstellen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung sowie in Artikel 12 und 13 die Unterstützung und Erleichterung des Aufbaus europäischer Referenznetze.

Artikel 10 Gegenseitige Unterstützung und Zusammenarbeit

1. Die Mitgliedstaaten leisten die für die Umsetzung dieser Richtlinie erforderliche gegenseitige Unterstützung, einschließlich der Zusammenarbeit bei Normen und Leitlinien für Qualität und Sicherheit sowie beim Informationsaustausch, insbesondere zwischen ihren nationalen

³⁶Expertengruppe für grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung, Brüssel, 11. März 2016, Meeting-Unterlagen unter https://ec.europa.eu/health/cross-border-healthcare-expert-group/20160311_en

Kontaktstellen **gemäß Artikel 6 [Hervorhebung hinzugefügt]**, einschließlich zu Bestimmungen über Kontrolle und gegenseitige Unterstützung zur Klärung des Rechnungsinhalts.

Artikel 6 Nationale Kontaktstellen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung

1. *Jeder Mitgliedstaat bezeichnet eine oder mehrere nationale Kontaktstellen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung und teilt der Kommission Namen und Adressen dieser Kontaktstellen mit. Die Kommission und die Mitgliedstaaten machen diese Informationen öffentlich zugänglich. Die Mitgliedstaaten stellen sicher, dass die nationalen Kontaktstellen sich mit Patientenorganisationen, Gesundheitsdienstleistern und Krankenversicherungen beraten.*

Dies hat zur Einrichtung nationaler Kontaktstellen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung in jedem Mitgliedstaat geführt. NKS sollen das Informationsportal für ihre eigenen Bürger sowie Patienten aus anderen Mitgliedstaaten sein, die in diesem Mitgliedstaat eine Behandlung erhalten möchten. NKS sollen den Patienten zugute kommen, indem sie Informationen über die Rechte der Patienten auf grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung bündeln und auf verständliche Weise präsentieren. Obwohl NKS als zusätzliches Informationszentrum und Kontaktstelle für Patienten im Allgemeinen zu begrüßen sind, sind die Informationen derzeit noch zu verstreut und werden meist nicht patientenfreundlich dargestellt. Dies trifft umso mehr auf Informationen zu seltenen Erkrankungen zu, zu denen Informationen weitgehend fehlen. Neben der Aufgabe der Informationsbereitstellung und Patientenberatung werden NKS eingesetzt, um Maßnahmen auf EU-Ebene zu praktischen Aspekten der grenzüberschreitenden Versorgung zu koordinieren, wovon möglicherweise auch SE-Patienten profitieren können.

Artikel 12 Europäische Referenznetze

- (1) *Die Kommission unterstützt die Mitgliedstaaten beim Aufbau europäischer Referenznetze zwischen Gesundheitsdienstleistern und Fachzentren in den Mitgliedstaaten, insbesondere im Bereich seltener Erkrankungen.*
- (2) [...]
- (3) *Die Mitgliedstaaten sind aufgefordert, die Entwicklung der europäischen Referenznetze zu unterstützen:*
 - a) *durch Verknüpfung geeigneter Gesundheitsdienstleister und Fachzentren in ihrem gesamten Staatsgebiet und Gewährleistung der Verbreitung von Informationen an geeignete Gesundheitsdienstleister und Fachzentren in ihrem gesamten Staatsgebiet*
 - b) *durch Förderung der Beteiligung von Gesundheitsdienstleistern und Fachzentren an den europäischen Referenznetzen*

Darüber hinaus unterstützt Artikel 13 die Zusammenarbeit im Bereich der seltenen Erkrankungen, insbesondere:

Artikel 13 Seltene Erkrankungen

Die Kommission unterstützt die Mitgliedstaaten bei der Zusammenarbeit zur Entwicklung von Diagnose- und Behandlungskapazitäten, insbesondere mit folgenden Zielen:

- a) die Angehörigen der Gesundheitsberufe auf die Instrumente aufmerksam machen, die ihnen auf Unionsebene zur Verfügung stehen, um sie bei der korrekten Diagnose seltener Erkrankungen zu unterstützen. Das betrifft insbesondere die Orphanet-Datenbank und die europäischen Referenznetze
- b) Patienten, Angehörige der Gesundheitsberufe und die für die Finanzierung des Gesundheitswesens zuständigen Stellen auf die Möglichkeiten aufmerksam machen, die die Verordnung (EG) Nr. 883/2004 für die Überweisung von Patienten mit seltenen Erkrankungen an andere Mitgliedstaaten bietet, auch für Diagnosen und Behandlungen, die im Versicherungsmitgliedstaat nicht verfügbar sind.

Dies hat letztendlich zur Einrichtung von 24 europäischen Referenznetzen für seltene Erkrankungen im März 2017 geführt, die in Abschnitt 1.1.4 ausführlich erörtert werden.

2.1.3 VERGLEICH DER RECHTE AUS DER RICHTLINIE MIT DEN RECHTEN AUS DER VERORDNUNG

Zusammenfassend lassen sich die Unterschiede beim Zugang zur medizinischen Versorgung im Ausland gemäß der Richtlinie 2011/24/EU und den Verordnungen 884/2004 und 987/2009 wie folgt darstellen:

Rechte laut den Verordnungen:

- Wenn eine vorherige Genehmigung erteilt wurde, erfolgt eine Erstattung gemäß den Tarifen des Behandlungsmitgliedstaats
- Die Erstattung wird zwischen den betroffenen Einrichtungen (Anbieter, Versicherung) koordiniert
- Der Patient wird nach den Regeln der Behandlungsstaaten behandelt
- Möglichkeit des Zugangs zu privaten Gesundheitsdienstleistern / Dies findet nur Anwendung bei Gesundheitsdienstleistern, die im öffentlichen (gesetzlichen) Gesundheitssystem arbeiten

Alternative Rechte der Richtlinie:

- Patienten haben die Wahl, Zugang zur Gesundheitsversorgung im Ausland zu erhalten (zumindest für ambulante Behandlungen)
- Keine zusätzlichen Formalitäten vor Erhalt der medizinischen Versorgung
- Dies gilt für Gesundheitsdienstleister aus dem öffentlichen (gesetzlichen) und privaten Gesundheitswesen
- ABER: Patienten müssen immer im Voraus für die gemäß der Richtlinie erhaltene medizinische Versorgung bezahlen
- ABER: Die Erstattung erfolgt nur bis zu dem Betrag, auf den sie in ihrem Heimatland aufgrund der öffentlichen (gesetzlichen) Versicherung Anspruch hätten

Zusammenfassend lässt sich sagen, dass die Richtlinie 2011/24/EU für SE-Patienten kein geeigneter Weg zu sein scheint, da erstens die Krankenhausversorgung einer vorherigen Genehmigung unterliegen kann. Zweitens, weil ein Teil der Versorgung von SE-Patienten (noch) nicht im

Rare diseases do not stop at borders

Leistungspaket enthalten ist oder (noch) nicht in Standard-Erstattungssystemen enthalten ist, und drittens, weil die zu zahlenden Vorauszahlungen recht hoch sein können. Die EU-Verordnung 883/2004 kann hingegen ein geeigneter Weg für SE-Patienten mit weniger Administrationsaufwand und weniger Unsicherheit sein, ist jedoch mit dem Hindernis der vorherigen Genehmigungspflicht verbunden.

Trotz eines etablierten Rechtsrahmens für die grenzüberschreitende medizinische Versorgung in Europa treten praktische und administrative Probleme hinsichtlich des Umgangs mit bestimmten Verfahren und der Auslegung von Bestimmungen auf. Der folgende Abschnitt bietet dafür ein Beispiel.

2.1.4 GRENZÜBERSCHREITENDE ENGPÄSSE IM GESUNDHEITSWESEN: DAS BEISPIEL DER WACHSTUMSHORMONTHERAPIE FÜR KABUKI-KINDER IN DER EMR

Das Kabuki-Fachzentrum im MUMC +, Maastricht, Niederlande, begann, Kabuki-Kinder (und deren Eltern), die eine Wachstumsverzögerung aufweisen, zu beraten, um eine Wachstumshormontherapie einzuleiten. Eine prospektive Studie, in der 19 Kabuki-Kinder³⁷ mit Wachstumshormonen behandelt wurden, hatte positive Auswirkungen auf das Aufholen des Wachstums³⁸, wobei der Energieverbrauch stieg³⁹ und die Hypermobilität der Gelenke⁴⁰ verringert wurde.

Die positiven Wirkungen der Wachstumshormontherapie, die durch klinische Forschungsmethoden nachgewiesen wurden, veranlassten den niederländischen Gesetzgeber, die Wachstumshormontherapie in das niederländische Grundpaket der medizinischen Leistungen aufzunehmen. Das bedeutet, dass die Behandlung von niederländischen Krankenkassen erstattet wird.

Angesichts des guten Rufs des Maastricht Kabuki-Zentrums, der geografischen Nähe und der gleichen Sprache suchen auch flämisch-belgische Familien/Patienten, das Zentrum auf. Bisher haben die belgischen Gesundheitsbehörden jedoch die Erstattung der Behandlung abgelehnt, da das Kabuki-Syndrom in Belgien keine anerkannte Indikation für eine Wachstumshormontherapie ist.

Eine Möglichkeit für belgische Patienten, Zugang zur Versorgung in Maastricht zu erhalten, besteht darin, die Verweigerung der Zulassung durch ihre Krankenversicherung vor belgischen Gerichten und anschließend vor dem Europäischen Gerichtshof anzufechten. In Anbetracht der bestehenden Rechtsprechung, insbesondere der Rechtssache C-157/99 Geraets-Smits und Peerbooms und der Rechtssache C-173/09 Elchinov, müsste geprüft werden, ob eine Ausnahme von der Vorabgenehmigungsregel für das Fallbeispiel relevant sein könnte, da es zwei Bedingungen bietet, unter denen eine vorherige Genehmigung **nicht** verweigert werden kann:

- 1) Wenn die betreffende Behandlung zu den Leistungen gehört, die in den Rechtsvorschriften des Mitgliedstaats vorgesehen sind, in dem die betreffende Person wohnt

³⁷ Schott *et al*, 2017

³⁸ *Ibid*

³⁹ Straetemans, Schott *et al*, 2019

⁴⁰ Schott, *et al*, 2019.

- 2) und wenn er/sie nicht innerhalb einer Frist behandelt werden kann, die unter Berücksichtigung seines/ihrer aktuellen Gesundheitszustands und des wahrscheinlichen Verlaufs seiner/ihrer Krankheit medizinisch vertretbar ist. (Verordnung 883/2004, Artikel 20 (2))

In beiden Fällen reisten Patienten ins Ausland, um sich behandeln zu lassen, und beantragten anschließend eine Erstattung, da sie der Ansicht waren, dass in ihren Heimatländern keine angemessene Behandlung verfügbar war. Dies bezog sich auf eine experimentelle Behandlung, eine multidisziplinäre Behandlung für die Parkinson-Krankheit, die Neurostimulation bei Komapatienten in Fall C-157/99 Geraets-Smits und Peerbooms sowie die hochspezialisierte Augenchirurgie in Fall C-173/09 Elchinov.

Es sei darauf hingewiesen, dass die oben genannte Rechtsprechung Fälle betrifft, in denen die Behandlung nicht erstattet wurde *UND* in ihren Mitgliedstaaten nicht verfügbar ist. Das vorliegende Beispiel einer Wachstumshormontherapie für das Kabuki-Syndrom betrifft die Behandlung von belgischen Patienten, die nicht erstattet wird, da die Indikation für die Behandlung (und die anschließende Erstattung) noch nicht eingerichtet wurde. Die Behandlung als solche in Bezug auf die Verfügbarkeit des Arzneimittels und das Fachwissen der Ärzte, um es zu verabreichen, ist in Belgien jedoch vermutlich vorhanden.

Angesichts der Ungewissheiten in Bezug auf die Entscheidung zum vorliegenden Fall und der Jahre, die normalerweise erforderlich sind, bevor der Europäische Gerichtshof eine Vorabentscheidung trifft (von der ersten Prüfung am nationalen Gericht über höhere nationale Gerichte bis hin zum EuGH), bietet dieser Weg keinen Zugang zu einer Behandlung für belgische Patienten in angemessener Zeit. Daher hat die belgische Patientenorganisation zusammen mit dem Kabuki-Zentrum in Maastricht Beratungen mit belgischen Behörden aufgenommen, um zu prüfen, ob die Behandlung in Belgien in das Basispaket für medizinische Leistungen aufgenommen werden kann (weitere Einzelheiten siehe AP4-Bericht).

2.2 MULTILATERALE ABKOMMEN FÜR DIE GRENZÜBERSCHREITENDE GESUNDHEITSVERSORGUNG

Neben den EU-Vorschriften kann die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung durch die einzelnen betroffenen Länder durch bi- oder multilaterale Abkommen erleichtert werden, um grenzüberschreitende Reisen praktisch zu organisieren und die Situation und Bedürfnisse des/der Einzelnen zu berücksichtigen. Solche Abkommen haben auch in der EMR eine lange Tradition. Dieser Bericht befasst sich mit IZOM (Integratie Zorg op Maat) und der Ostbelgien-Regelung und ihrer Verwendung für SE-Patienten; andere bestehende Vereinbarungen mit begrenztem Umfang in der EMR (z. B. die PIS-Vereinbarung über die Notfallversorgung von Kindern und Neugeborenen zwischen der AZ Vesalius in Tongeren/BE und dem MUMC+ in Maastricht/NL) werden nicht behandelt.

2.2.1 IZOM

Ende der neunziger Jahre begannen die Krankenkassen in der EMR zu prüfen, ob eine Initiative zur Erleichterung der grenzüberschreitenden Patientenmobilität etabliert werden könnte. Im Jahr 2000 startete IZOM und wurde von den teilnehmenden Krankenkassen in der EMR (initiiert von AOK, CZ und MC, dann auch von anderen Krankenkassen) unterzeichnet. Bis Juni 2017 ermöglichte IZOM den Bürgern der EMR einen leichteren Zugang zu ambulanter Versorgung, Gesundheitsspezialisten und damit verbundenen Krankenhausversorgungen, Medikamenten und medizinischen Geräten über die Grenzen hinweg. So erhielten etwa Bewohner in der belgischen Provinz Limburg Zugang zu Krankenhäusern in der niederländischen Provinz Limburg. Darüber hinaus erhielten die Bürger der deutschsprachigen Gemeinschaft Belgiens Zugang zu spezialisierter Versorgung in der Universitätsklinik Aachen, sodass sie in ihrer Muttersprache kommunizieren konnten. Niederländischen Patienten auf einer Warteliste half IZOM, für bestimmte Verfahren früher eine Behandlung in einem belgischen (oder deutschen) Krankenhaus zu bekommen.

Patienten mussten das Verwaltungsformular E112+ (heute S2+) von ihren Krankenkassen bekommen, um grenzüberschreitenden Zugang zur Versorgung zu erhalten. Die bereitgestellten Formulare waren manchmal auf einen bestimmten medizinischen Teilbereich beschränkt. Darüber hinaus wurden bestimmte Gesundheitsdienstleister (Allgemeinmediziner, Zahnärzte) nicht vom IZOM-Programm erfasst. Im Rahmen des IZOM-Programms wurden Patienten wie Patienten der Mitgliedstaaten, wo die medizinische Versorgung erfolgte, behandelt (vergleichbar mit der Verordnung 883/2004). Die Wahl der Patienten und persönliche Gründe für den Wunsch nach grenzüberschreitender Versorgung waren zu diesem Zeitpunkt gültige Argumente für die Erteilung eines Verwaltungsformulars E112+.

Positiv zu vermerken ist, dass IZOM zu einer Erleichterung der grenzüberschreitenden Versorgung in der EMR geführt hat, vor allem für belgische Patienten. Dies geht aus der Anzahl der von Krankenkassen gewährten E112+/S2-Formulare hervor, die in Belgien zehnmal höher war (2014: 15807) als in den anderen teilnehmenden Ländern (NL: 1281 im Jahr 2014). Insgesamt schien das Projekt den Bedürfnissen der Patienten in der EMR zu entsprechen, um im Ausland versorgt zu werden, doch IZOM war für belgische Patienten relevanter.

Nachdem zwei deutsche Versicherungen erklärt hatten, aus dem IZOM-Vertrag auszutreten, und das Landesinstitut für Kranken- und Invalidenversicherung das Programm evaluierte, stellte IZOM am

Rare diseases do not stop at borders

30.06.2017 seine Aktivität ein. Für Juli bis Dezember 2017 wurde eine Übergangsfrist vereinbart. Seit dem 1. Januar 2018 greift die Patientenmobilität in der Euregio Maas-Rhein in der Regel auf die unterschiedlichen Bestimmungen für die grenzüberschreitende Versorgung zurück, die in der Verordnung 883/2014 und der Richtlinie 2011/24/EU vorgesehen sind. Ein bilaterales Abkommen zwischen der AOK (Deutschland) und der CZ (Niederlande) zur Erleichterung der grenzüberschreitenden Versorgung an der niederländisch-deutschen Grenze bleibt in Kraft.

Für die Patienten der deutschsprachigen Gemeinschaft Belgiens wurde die Ostbelgien-Regelung umgesetzt, die im nächsten Abschnitt besprochen wird.

2.2.2 DIE OSTBELGIEN-REGELUNG

Die neue Ostbelgien-Regelung ist kein bilaterales Abkommen, sondern eine einfache belgische Rechtsvorschrift, die einen vereinfachten Zugang zu grenzüberschreitender Versorgung in Deutschland für eine geografisch umschriebene Bevölkerung in Belgien regelt und auf bestimmte deutsche Gesundheitsdienstleister in Grenzregionen beschränkt ist. Die Ostbelgien-Regelung greift teilweise die Bestimmungen der EU-Gesetzgebung zur Regulierung der grenzüberschreitenden Versorgung auf. Die Regelung läuft bis Ende 2020.

Bürger aus folgenden belgischen Gemeinden können auf die neuen Bestimmungen zurückgreifen:

Eupen, Kelmis, Lontzen, Raeren, Amel, Büllingen, Burg-Reuland, Bütgenbach, Sankt Vith, Malmedy, Weismes sowie Baelen, Plombières und Welkenraedt.

Und sie haben Zugang zu Gesundheitsdiensten in angrenzenden deutschen Städten und Gemeinden in:

Stadt Aachen, Wegberg, Wassenberg, Waldfeucht, Heinsberg, Hückelhoven, Erkelenz, Selfkant, Gangelt, Geilenkirchen, Übach-Palenberg, Jülich, Niederzier, Inden, Langerwehe, Düren, Merzenich, Nörvenich, Hürtgenwald, Kreuzau, Vettweiss, Nideggen, Heimbach, Baesweiler, Herzogenrath, Alsdorf, Würselen, Eschweiler, Stolberg, Roetgen, Simmerath, Monschau, Zülpich, Weilerswist, Mechernich, Euskirchen, Schleiden, Kall, Nettersheim, Bad Münstereifel, Hellenthal, Dahlem, Blankenheim, Bitburg, Daun.

Die Ostbelgien-Regelung deckt die Leistungen von Fachärzten, Krankenhäusern und Tageskliniken ab.

Die Erstattung erfolgt:

- **Für medizinische Fachleistungen** in Deutschland:
 1. Ohne Überweisung eines belgischen Facharztes muss der Patient zuerst die Kosten bezahlen und diese dann bei der belgischen Krankenkasse einreichen. Die Erstattung ist vorgesehen für
 - a. Bis zu 200 €: 75% der Kosten für medizinische Fachleistungen; andere Leistungen auf Grundlage der belgischen Tarife
 - b. Über 200 €: basierend auf den belgischen Tarifen für diese Behandlung
 2. Mit Überweisung und dem S2-Formular (vorherige Genehmigung) ist keine Vorauszahlung erforderlich, sondern es erfolgt eine Erstattung gemäß den deutschen Tarifen bei:

- a. Überweisung eines belgischen Facharztes an einen deutschen Facharzt in den oben genannten Grenzregionen
 - b. Überweisung eines Kinderarztes aus den inkludierten belgischen Gemeinden an einen deutschen Kinderarzt in den oben genannten Grenzregionen
 - c. medizinischer Leistung eines deutschen Kinder(Neuro-)psychiaters
- **Für Krankenhausleistungen und Tageskliniken in Deutschland:**
 - 1. Keine Vorauszahlung erforderlich, Erstattung nach deutschen Tarifen bei:
 - a. Überweisung eines belgischen Facharztes an ein Krankenhaus/eine Tagesklinik in den oben genannten Grenzregionen
 - b. Für die Fortsetzung einer Behandlung in einer Facharztpraxis in den oben genannten Grenzregionen in Deutschland, für die zuvor ein S2-Formular genehmigt wurde
 - c. Für die Fortsetzung einer Behandlung in einer Facharztpraxis in den oben genannten Grenzregionen in Deutschland, für die der Patient zuvor eine Erstattung von 75% der Kosten erhalten hat

Folgende Leistungen **fallen nicht** unter die Ostbelgien-Regelung (nicht erschöpfende Liste):

- Leistungen deutscher Gesundheitsdienstleister außerhalb der genannten deutschen Gebiete
- Arzneimittel, die nicht unter das belgische Versicherungssystem fallen
- Nicht-medizinische Leistungen
- Dienstleistungen, die bisher nicht unter das belgische Versicherungssystem fallen
- Ästhetische Chirurgie
- Notfallversorgung (von der EKVK abgedeckt)

Für Ostbelgien SE-Patienten mit Bedarf einer spezialisierten medizinischen oder anderen Leistung gewährt die Ostbelgien-Regelung:

- Zugang zu medizinischen Fachleistungen an der Universitätsklinik Aachen sowie in anderen Kliniken und Facharztpraxen in den genannten deutschen Grenzgebieten.
- Zugang zur Sekundär- und Tertiärversorgung in deutscher Muttersprache, falls diese in der deutschen Grenzregion Belgiens nicht verfügbar ist.
- Zugang zu medizinischen Fachleistungen in Krankenhäusern als Fortsetzung einer in Ostbelgien begonnenen Behandlung oder durch einen deutschen Facharzt, sofern das S2-Formular zuvor genehmigt wurde.

In Anbetracht der Situation der SE-Patienten in der gesamten EMR ist die Ostbelgien-Regelung jedoch nicht ausreichend:

- Denn sie sichert nicht die Versorgung von SE-Patienten in der gesamten EMR, da der Geltungsbereich nur für Ostbelgien gilt. Belgier anderer Regionen, deutsche und niederländische SE-Patienten können sich also nicht auf diese Bestimmungen berufen, sondern müssen auf die EU-Bestimmungen zurückgreifen.

- Gewährung des Zugangs zur Sekundär- und Tertiärversorgung in den Universitätskliniken in den Niederlanden und anderen Teilen Deutschlands. Das Universitätsklinikum Aachen verfügt trotz seines breiten Aufgabenbereichs nicht über das entsprechende Fachwissen für alle SE-Bereiche.
- Bereitstellung anderer Leistungen als rein medizinischer Spezialbehandlungen. Für bestimmte SE sind spezielle Hilfsbehandlungen (wie spezielle Ernährungsberatung, Physiotherapie, usw.) für eine symptomatische Behandlung unerlässlich.

3 SONSTIGE BESTIMMUNGEN UND REGELUNGEN, DIE SICH AUF DIE LAGE, MEDIZINISCHE VERSORGUNG UND FINANZIELLE SITUATION VON PATIENTEN MIT SELTENEN ERKRANKUNGEN AUSWIRKEN

Um einen besseren Einblick in die Lage, die Pflege und die finanzielle Situation von SE-Patienten zu geben, werden in diesem Kapitel die nationalen Bestimmungen für den Zugang zu Arzneimitteln für seltene Leiden, den Zugang zu Sozialleistungen, Bestimmungen für die Gewährung eines Behindertenstatus sowie der derzeitige Umfang von Telemedizin-Leistungen und deren Erstattung behandelt, außerdem erfolgt eine kurze rechtliche Analyse zu telemedizinischen Leistungen.

3.1 KURZE EINFÜHRUNG IN DIE GESUNDHEITSSYSTEME

Zunächst liefert eine kurze Zusammenfassung der Grundzüge der Gesundheitssysteme in Belgien, den Niederlanden und Deutschland den Kontext für die nachfolgenden Analysen in diesem Kapitel.

3.1.1 BELGIEN

Das belgische Gesundheitssystem kann als ein Sozialversicherungssystem charakterisiert werden, das durch überwiegend proportionale Sozialversicherungsbeiträge finanziert wird. Die Belgier müssen eine Versicherung bei einer der Krankenkassen abschließen, die die Pflichtversicherung und eine Zusatzversicherung anbieten (oder bei der Hilfskasse für Kranken- und Invalidenversicherung (CAAMI), die nur die Pflichtversicherung anbietet). Das Krankenversicherungssystem wird vom Landesinstitut für Kranken- und Invalidenversicherung (NIHDI-RIZIV-INAMI) verwaltet. Die Leitung des Systems läuft über Korporatismus, wobei Verhandlungen zwischen mehreren Interessengruppen wie Gesundheitsdienstleistern und Versicherungen stattfinden. Die Politikgestaltung wird zwischen den Bundesbehörden und den föderalen Gebietskörperschaften (Regionen und Gemeinden) geteilt. Der Hauptzahlungsmechanismus ist die Einzelleistungsvergütung, wobei die Belgier durch Zuzahlungen und verschiedene Ergänzungen zur Finanzierung beitragen⁴¹.

Weitere Informationen s.: Gerkens S., Merkur S. Belgium: Health system review. Health Systems in Transition, 2010, 12(5):1–266.

3.1.2 NIEDERLANDE

Das niederländische Gesundheitssystem ist ebenfalls ein Sozialversicherungssystem mit erheblichen Ressourcen (13%) aus dem allgemeinen Steueraufkommen. Niederländische Staatsbürger zahlen eine Versicherungsprämie (385 €) zuzüglich einer einkommensabhängigen Prämie bei ihrer Versicherung ein. Krankenversicherer und Leistungserbringer verhandeln im Auftrag der Dienstleister über Preis und Qualität der Versorgung. Seit 2006 hat sich die niederländische Regierung etwas von der direkten Kontrolle des Marktes zurückgezogen, obwohl staatliche Interventionen immer noch häufig sind. Die Verwaltungsstrukturen sind recht zentral organisiert, obwohl in letzter Zeit eine gewisse Dezentralisierung in Bezug auf die Langzeitpflege stattgefunden hat. Niederländische Gesundheitsdienstleister sind unabhängige Einrichtungen ohne Erwerbszweck. Krankenhäuser

⁴¹ Gerkens S & Merkur S., 2010.

werden über ein angepasstes DRG-System (Diagnoseabhängige Fallgruppen) bezahlt, das als DBC (Diagnose Behandel Combinaties) bezeichnet wird. Die Vergütung für die AM ist eine Mischung aus Einzelleistungsvergütung, Pro-Kopf-Pauschale, gebündelten Zahlungen für integrierte Versorgung und leistungsbezogene Entlohnung.⁴²

Weitere Informationen s.: Kroneman M., Boerma W., van den Berg M., Groenewegen P., de Jong J., van Ginneken E. (2016). The Netherlands: health system review. Health Systems in Transition, 2016; 18(2):1–239.

3.1.3 DEUTSCHLAND

Auch das deutsche Gesundheitssystem kann als Sozialversicherungssystem bezeichnet werden. Das System ist zweistufig, wobei gesetzliche und private Krankenversicherungssysteme parallel arbeiten. 85% der Bevölkerung sind in einer von 114 gesetzlichen Krankenkassen krankenversichert. 11% sind durch eine private substitutive Krankenversicherung versichert. Die Verwaltungsstrukturen sind durch Korporatismus gekennzeichnet, an dem Selbstverwaltungsorgane beteiligt sind. Die Entscheidungsbefugnisse werden traditionell zwischen der Bundesebene in Berlin und der Länderebene (Länder) geteilt. Zu den Systemfunktionen gehören die freie Wahl der Anbieter und der Zugang zu allen Versorgungsebenen für die Bürger. Krankenhäuser sind entweder öffentlich, privat ohne Erwerbscharakter oder privat mit Gewinnoorientierung. Ihre Finanzierung basiert auf einem DRG-System für die erbrachten Leistungen, während die Investitionskosten von den Bundesländern getragen werden (Dualismus). Die Bezahlung von Ärzten innerhalb der gesetzlichen Krankenversicherung basiert auf einer morbiditätsadjustierten Kopfpauschale, die von der Anzahl der erbrachten Leistungen abhängt.⁴³

Weitere Informationen s.: Busse R., Blümel M. Germany: health system review. Health Systems in Transition, 2014, 16(2):1–296.

⁴² Kroneman M, Boerma W, van den Berg M, Groenewegen P, de Jong J, van Ginneken E., 2016

⁴³ Busse R. & Blümel M., 2014

3.2 ARZNEIMITTEL FÜR SELTENE LEIDEN (ORPHAN DRUGS)

In diesem Abschnitt werden spezifische Bestimmungen für den Zugang von Patienten mit seltenen Erkrankungen zu medizinischen Produkten besprochen, einschließlich Programme für die Compassionate-Verwendung und Bestimmungen für die Off-Label-Verwendung von Medikamenten.

3.2.1 BELGIEN

Die allgemeine Entscheidung über die Erstattung eines Arzneimittels trifft der Sozialminister auf Empfehlung der belgischen Kommission für die Erstattung von Arzneimitteln (im Folgenden: DRC/Drug Reimbursement Committee) sowie des Finanzministers und mit der Zustimmung des Haushaltsministers. Orphan Drugs folgen dem gleichen Verfahren wie Arzneimittel der Klasse I, d. h. Arzneimittel, für die das Unternehmen einen therapeutischen Mehrwert geltend macht. Im Gegensatz zu Arzneimitteln der Klasse I muss jedoch keine pharmakoökonomische Bewertung für Arzneimittel für seltene Leiden eingereicht werden. Eine Entscheidung über die Erstattung wird innerhalb von 180 Tagen nach Einreichung des Erstattungsantrags getroffen.⁴⁴

Im Februar 2018 waren von den 149 von der EMA zugelassenen Orphan Drugs in Belgien etwa 2/3 für die Erstattung zulässig. Orphan Drugs werden meistens vollständig erstattet. Bei einigen Medikamenten hängt die Erstattung von der Verschreibung durch Fachärzte ab, die mit einem Referenzzentrum verbunden sind, das die Behandlung anbietet.

Für Einzelfallentscheidungen muss der verschreibende Facharzt die Genehmigung eines medizinischen Beraters der Krankenkasse des Patienten einholen, um das Arzneimittel zu verschreiben. Der medizinische Berater kann, muss aber nicht, den Rat eines „College of Medical Doctors for Orphan Drugs“ (CMDOD) innerhalb des NIHDI einholen. In der Praxis haben alle Krankenkassen vereinbart, alle Anträge an das CMDOD weiterzuleiten. Es gibt jeweils eigene Kollegien für bestimmte Arzneimittel und das DRC entscheidet, ob ein Kollegium eingerichtet wird. Diese Kollegien bewerten auch die bestehenden Erstattungsbedingungen für diese Arzneimittel. Ende 2018 gab es 13 Kollegien für ungefähr 40 Arzneimittel für seltene Leiden.

Der Anteil von Orphan Drugs am gesamten NIHDI-Budget für Arzneimittel stieg von 4% im Jahr 2009 auf über 8% im Jahr 2016.

Wenn nach dem allgemeinen NIHDI-Verfahren keine reguläre Erstattung möglich ist, gibt es drei Systeme, die einen zusätzlichen Zugang zu Orphan Drugs ermöglichen:

- Compassionate-Use-Programme für Arzneimittel ohne Marktzulassung in Belgien
- Notfallprogramme (Medical-Need) für Arzneimittel, die zwar eine Marktzulassung in Belgien haben, jedoch für eine andere Indikation, und
- Intervention des speziellen Solidaritätsfonds (SSF) wie auf der NIHDI-Website beschrieben⁴⁵

⁴⁴Königliche Verordnung vom 8. Juli 2004 über die Erstattung von Orphan Drugs, Moniteur, Belgien, 20. Juli 2004

⁴⁵Auf Französisch: <https://www.riziv.fgov.be/fr/themes/cout-remboursement/par-mutualite/fonds-solidarite/Pages/default.aspx> und auf Niederländisch: <https://www.riziv.fgov.be/nl/themas/kost-terugbetaling/door-ziekenfonds/bijzonder-solidariteitsfonds/Paginas/default.aspx>

Im Jahr 2007 entfielen etwa 35% des Gesamtbudgets des SSF auf Orphan Drugs.

3.2.2 NIEDERLANDE

Für die Erstattung von Orphan Drugs muss der Pharmahersteller bei ZIN Nederland, dem Beratungsgremium für die Erstattung, ein Erstattungsdossier einreichen. Anschließend entscheidet die Regierung, ob sie erstattet oder nicht. Wenn es kein registriertes Medikament für eine seltene Erkrankung gibt, kann die Behandlung bezahlt werden, wenn die Krankheit sehr selten ist (< 1/150.000 Einwohner), wenn es keine andere Alternative gibt und wenn es einige wissenschaftliche Beweise für die Verwendung des Medikaments für die spezifische Krankheit gibt. Die Kosten werden von der Krankenkasse übernommen, die sich am ZIN wissenschaftlich über die vorhandenen Nachweise beraten lässt.

SE-Patienten können von der Verschreibung eines nicht zugelassenen Arzneimittels (nicht zugelassene Medikamente, Off-Label-Verwendung) profitieren. Dazu müssen die verschreibenden Ärzte die Genehmigung des Gesundheitsinspektorats einholen. Das verordnete Medikament wird jedoch nicht erstattet, es sei denn, die Krankenkasse entscheidet sich dafür.

Die Genehmigung zur Lieferung eines Arzneimittels ohne Marktzulassung muss vom Medicines Evaluation Board (MEB, College ter beoordeling van Geneesmiddelen) gemäß Artikel 3:17, Arzneimittelgesetzverordnung) erhalten werden.

In diesem Antrag muss angegeben werden, wie die Kohorte der Patienten definiert wird und welche Patienten unter diese Definition fallen.

Der Antrag auf Compassionate-Verwendung muss die zu berücksichtigenden Patienten definieren und Folgendes beinhalten:

- Ein klarer Aspekt für „Compassion“ (Mitgefühl) für den Fall, dass es keine registrierte alternative Medizin gibt.
- Bestätigung, dass die Kriterien nach Artikel 83 (2) der Verordnung (EG) 726/2004, in denen die Gemeinschaftsverfahren für die Zulassung und Überwachung von Human- und Tierarzneimitteln und die Einrichtung einer Europäischen Arzneimittel-Agentur festgelegt sind, erfüllt sind und daher ein Programm für Compassionate-Verwendung eingeleitet werden muss.
- Eine Übersicht über die verfügbaren (vor-)klinischen Daten und ggf. Qualitätsdaten.
- Ein Überblick über noch laufende Studien und wie das Unternehmen garantiert, dass das Compassionate-Use-Programm diese nicht beeinträchtigt.
- Informationen darüber, in welcher Phase sich der mögliche Genehmigungsprozess für das Zulassungsverfahren befindet (es sollte in naher Zukunft eine erfolgreiche Registrierung geben).
- Ob in anderen EU-Ländern ein Compassionate-Use-Programm eingeleitet wurde.

- Ob dem Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) ein Zulassungsdossier vorgelegt wurde oder ob der CHMP eine Stellungnahme zu einem Programm zu einem Compassionate-Use-Programm abgegeben hat.⁴⁶

3.2.3 DEUTSCHLAND

Unabhängig von der Prävalenz der Krankheit wird die Off-Label-Verwendung von Arzneimitteln von der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) unter folgenden Bedingungen erstattet:

- das Medikament wird zur Behandlung einer lebensbedrohlichen oder tödlichen Krankheit verwendet
- es fehlt eine pharmazeutische Therapie mit einer Genehmigung für die Marktzulassung in Deutschland und
- es gibt wissenschaftliche Beweise für positive therapeutische Wirkungen

In Deutschland, wie in vielen anderen europäischen Ländern, war es grundsätzlich möglich, vielversprechende Arzneimittel für schwerkranke Patienten vor der Zulassung zu verabreichen, wenn es keine Alternativen gibt. Im Jahr 2005 hat die deutsche Regierung auf der Grundlage von Artikel 83 der Verordnung (EG) Nr. 726/2004 allgemeine Vorschriften zur Bereitstellung solcher Arzneimittel in Form von Compassionate-Use-Programmen erlassen⁴⁷. Im Jahr 2009 wurde hinzugefügt, dass die Bereitstellung eines Arzneimittels in solchen Fällen kostenlos sein muss. Eine Verordnung, die 2010 in Kraft getreten ist, enthält spezielle Vorschriften für das ordnungsgemäße Verfahren von Compassionate-Use-Programmen. Nach der Zulassung werden alle Arzneimittel für seltene Leiden vollständig von der gesetzlichen Krankenversicherung erstattet.

⁴⁶ Hoorneman, W., de Vrey, R., Essink, B. & A Chistyakova, 2015

⁴⁷ Abschnitt 21.2.6 des deutschen Arzneimittelgesetzes

3.3 SOZIALLEISTUNGEN

An dieser Stelle werden der Zugang zu und der Umfang von Langzeitpflegediensten in Belgien, den Niederlanden und Deutschland beschrieben, um ein Bild von den Leistungen zu erhalten, auf die SE-Patienten mit Behinderung oder Pflegebedarf zurückgreifen können.

3.3.1 BELGIEN

Die Langzeitpflegedienste (LZP) in Belgien sind auf die Bedürfnisse pflegebedürftiger Bürger wie ältere Menschen und Menschen mit Behinderungen oder chronischen Krankheiten ausgerichtet. Die Sozialdienstleistungen umfassen sowohl Geld- als auch Sachleistungen sowie einige Möglichkeiten für Pflegegeld. Das System ist jedoch vielschichtig, teilweise mit der Krankenversicherung verbunden und durch diese finanziert. Häusliche Pflege und Physiotherapie werden auf nationaler/föderaler Ebene geregelt, während andere soziale Dienste seit 2019 unter regionale/kommunale Zuständigkeiten fallen, wie z. B. Pflege in Heimen und Pflegegelder.

In Flandern ist das Regionalbüro für Menschen mit Behinderung (VAPH) für die Finanzierung der Pflegedienste der betroffenen Personen zuständig. In Wallonien und Brüssel sind die zuständigen Institutionen AVIQ und PHARE. In der deutschsprachigen Gemeinschaft (auch wenn diese zu Wallonien gehört) ist es die DSL (Dienststelle für Selbstbestimmtes Leben).

Die Einkommensersatzleistung für Menschen mit Behinderung und die Integrationszulage für Menschen mit Behinderung (allocation d'intégration/integratietegemoetkoming) wird jedoch auf Bundesebene von NIHDI/RIZIV/INAMI verwaltet.

In Belgien werden die wichtigsten LZP-Dienstleistungen auf Bundesebene verwaltet. Sach- und Geldleistungen werden an die Regionen/Gemeinden übergeben. Neben der Pflege in Heimen wird die kommunale Pflege, welche häusliche Hilfe und häusliche Pflege umfasst, von den Regionen/Gemeinden und über Nutzungsentgelte (15 bis 20%) kofinanziert. Es gibt auch ein Dienstleistungsgutscheinsystem für Hausarbeit in der Haushaltshilfe, das von den Regionen/Gemeinden organisiert wird.

Soziale Dienste mit Anstalts- oder Heimpflege/Hilfe sind in Belgien sowohl in Umfang als auch in der Reichweite hoch entwickelt. Aufgrund der zunehmenden Privatisierung von Dienstleistungen nehmen jedoch Bedenken hinsichtlich der finanziellen Erschwinglichkeit für die Bezieher dieser Leistungen zu⁴⁸.

Belgien verfügt über ein gut entwickeltes System des Pflegeurlaubs, das erweitert wurde, um Familienangehörigen/informellen Betreuern im erwerbsfähigen Alter besser zu helfen⁴⁹. Entlastungspflege und andere therapeutische Freizeitprogramme existieren zwar, sind jedoch nicht speziell auf seltene Erkrankungen ausgerichtet. In das Programm für chronische Krankheiten ist jedoch ein Finanzierungsposten für die Finanzierung von Entlastungsstrukturen zur Pflege von Kindern mit

⁴⁸ Pacolet J & Frederic De Wispelaere, F, 2018

⁴⁹ *Ibid*

chronischen Krankheiten, einschließlich Kinder mit einer seltenen Erkrankung, integriert. Das NIHDI erstattet die Transportkosten für Kinder, die in einem Fachzentrum behandelt werden.⁵⁰

Ein nicht erschöpfender Überblick über Geldleistungen und Sachleistungen für Langzeitpflege und Pflegeurlaub in Belgien		
Sachleistungen	Geldleistungen	Pflegeurlaub
Häusliche Pflege und Haushaltshilfe	Kindergeld: Zusatzbeihilfe für Kinder mit Behinderung unter 21 Jahren	Zeitguthaben-Freistellung mit einer bestimmten Begründung
Medizinische häusliche Pflege	Pflegegeld für ältere Menschen	Thematische Pause: Karrierepause im Rahmen des Pflege- und Hilfsurlaubs oder für Palliativpflege
Zentren für Tagesbetreuung und Kurzzeitbetreuung	Eingliederungsbeihilfe für Menschen mit Behinderung	Palliativpflege für Selbstständige
Wohnungen mit Betreuung	Flämische Pflegeversicherung	
Alters-/Pflegeheime		
Dienstleistungsgutschein-Schema		

Aus: Jozef Pacolet & Frederic De Wispelaere (2018), ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Belgium 2018, Brussels: European Commission

3.3.2 NIEDERLANDE

Der rechtliche Rahmen für die Langzeitpflege in den Niederlanden umfasst das Gesetz über gesellschaftliche Unterstützungsmaßnahmen (*Wet Maatschappelijke Ondersteuning, Wmo*) und das Gesetz zur Langzeitpflege (*Wet Langdurige Zorg, Wlz*). Das Gesetz über gesellschaftliche Unterstützungsmaßnahmen wird von den Kommunen verwaltet. Das Gesetz über gesellschaftliche Unterstützungsmaßnahmen umfasst:

- allgemeine Dienstleistungen, zum Beispiel die Bereitstellung von Verpflegungsdiensten zu Hause oder tagsüber in einem Nachbarschaftszentrum, und
- Dienstleistungen, die auf die Bedürfnisse bestimmter Klienten in Bezug auf ihre Fähigkeit zugeschnitten sind, verschiedene Aufgaben zu bewältigen, z. B. Kurzzeitpflege, Hilfsmittel, Wohnungsanpassungen, Haushaltshilfe und Unterstützung für die Teilnahme am gesellschaftlichen Leben, wie Tagesaktivitäten, Transport, usw.

Das Langzeitpflegegesetz wird von regionalen Pflegediensten durchgeführt, die die Pflege in Heimen und auch einige Arten der häuslichen Pflege umfassen. Dienstleistungen im Rahmen beider Systeme werden in der Regel als Sachleistungen erbracht. Die Bürger können sich jedoch auch dafür entscheiden, Geldleistungen (*persoonsgebonden budget, pgb*) zu erhalten, um die Pflege selbst zu

⁵⁰ Rodwell C. & Aymé S., eds., 2014

beauftragen. Die Gemeinden unterstützen informelle Betreuer durch Information, Beratung, Nachsorge und Anerkennung.

Von Bedeutung für SE-Patienten ist, dass Wmo-Berater (*Wmo-consulenten*) und/oder Social-Neighborhood-Teams (SNT) den Bedarf an maßgeschneiderten Diensten im Rahmen der Wmo ermitteln. Es gibt jedoch keine objektiven Standards, sondern ein Urteil wird von Fall zu Fall in Bezug auf die Art der Betreuung und Unterstützung sowie die eigenen (verbleibenden) Verantwortlichkeiten getroffen.

Das Langzeitpflegegesetz wird von 32 regionalen Pflegestellen (*zorgkantoren*) verwaltet, die private Anbieterorganisationen beauftragen und kontrollieren. Die finanzielle Unterstützung nach dem Langzeitpflegegesetz richtet sich nach Pflegeprofilen, die die Art der Pflege präzisieren, die jeder Patient benötigt. Die Pflege umfasst nicht nur die Pflege in Heimen, Rehabilitationszentren und Wohnheimen für behinderte Menschen, sondern auch einige Teile der häuslichen Pflege.

Das Care Needs Assessment Center (*Centrum Indicatiestelling Zorg, CIZ*) bewertet die Förderfähigkeit gemäß

- dem Bedarf an Langzeitpflege, wenn diese fast 24 Stunden am Tag benötigt wird
- der Notwendigkeit einer Langzeitpflege, die einer ständigen Überwachung bedarf

Mit einem persönlichen Budget können Menschen ihre eigenen Betreuer einstellen und bezahlen, einschließlich Familienmitglieder oder Freunde. Es muss ein Vertrag abgeschlossen werden, in dem die Art der geleisteten Pflege dargelegt wird. Die Sozialversicherungsanstalt (SVB) verwaltet die persönlichen Budgets. Der Pflegeempfänger ist verpflichtet, der Pflegeperson mindestens 25 € pro Stunde zu zahlen, und die Pflegeperson ist für die Versteuerung des Betrags verantwortlich. Auch im Rahmen des Gesetzes über gesellschaftliche Unterstützungsmaßnahmen gibt es Geldleistungen in Form eines persönlichen Budgets; diese Geldleistungen werden jedoch von den Gemeinden verwaltet. Die Gemeinde entscheidet über die Förderfähigkeit und bezieht die persönlichen Budgets aus dem Budget des Gesetzes über gesellschaftliche Unterstützungsmaßnahmen. Wenn jemand eine intensivere Langzeitpflege benötigt, ist eine Überweisung vom CIZ erforderlich, bevor die betreffende Person ein persönliches Budget beantragen kann⁵¹.

3.3.3 DEUTSCHLAND

In Deutschland ist die Langzeitpflege (LZP) über eine Pflegeversicherung (PV) institutionalisiert. Das PV-System deckt aber nur einen Teil der Kosten für die Langzeitpflege ab. Die restlichen Kosten müssen von den pflegebedürftigen Personen, ihren Kindern oder, falls dies nicht möglich ist, durch kommunale Sozialhilfeförderungen übernommen werden. Alle pflegebedürftigen Personen (Kinder mit Behinderung, Erwachsene und alte Menschen) haben unabhängig vom Alter Anspruch auf das PV-Pflegesystem.

⁵¹ Kelders, Y & de Vaan, K., 2018

Leistungen bei Langzeitpflege werden auf der Grundlage des festgestellten Pflegebedarfs und der gewählten Pflegemaßnahmen gewährt. Leistungen aus der PV sind in allen Regionen gleich und nicht zeitlich begrenzt. Die verschiedenen Pflegevereinbarungen umfassen:

- Pflegegeld (Geldleistungen): In der Regel mit informeller Pflege durch Familie oder Freunde. Die Person erhält ein Budget, das sie für die Pflege verwenden kann
- Häusliche Pflege (Sachleistungen): Ein von der PV beauftragter professioneller Pflegedienstleister besucht den Empfänger regelmäßig zu Hause und wird direkt von der PV bezahlt
- Pflege im Heim: Die PV deckt die Kosten für die Grundversorgung, die soziale Unterstützung für informelle Pflege, Hilfsmittel und die medizinisch verordnete Pflege. Die in einem Heim lebende Person ist für die Kosten für Unterkunft und Verpflegung verantwortlich.

Zusätzliche Leistungen im Rahmen der PV:

- Entlastungspflege für maximal sechs Wochen pro Jahr
- Institutionelle Teilzeitbetreuung wie Tag- oder Nachtbetreuung
- Kurzzeitpflege zur Bewältigung von Pflegekrisen zu Hause oder nach einem Krankenhausaufenthalt
- Pflegehilfen (z. B. ein spezielles Bett) und Zulagen zur Deckung der Kosten für die Anpassung des Wohnraums.

Seit 2017 umfasst das Leistungssystem fünf Pflegestufen. Die Stufen basieren auf körperlichen, geistigen und psychischen Behinderungen. Die Pflegestufe wird im weiteren vom Medizinischen Dienst der Krankenversicherung (MDK) bewertet⁵².

3.4 BEHINDERTENSTATUS

In diesem Abschnitt sollen die allgemeinen Verfahrensschritte und -bedingungen für die Gewährung eines Behindertenstatus für jedes der drei betroffenen Länder überprüft werden. Im zweiten Teil werden die Bedingungen, Schritte und Fakten in Bezug auf einen Behindertenstatus im Zusammenhang mit einer Erkrankung/einem schlechten Gesundheitszustand ausführlicher hervorgehoben.

3.4.1 BELGIEN

In Belgien hat das LIKIV – das Landesinstitut für Kranken- und Invalidenversicherung – die Aufgabe, eine Bewertung der Funktionsfähigkeit durchzuführen, um die Berechtigung für ein Ersatzinkommen oder eine Invalidenrente zu bestimmen. Das RIZIV/INAMI (NIHDI) ist eine Bundesinstitution, die als unabhängiges Beratungsgremium fungiert, das zwischen Krankenversicherungen, einzelnen Gesundheitsdienstleistern, Gesundheitseinrichtungen und Vertretern von Gewerkschaften und Arbeitgebern vermittelt.

⁵² Gerlinger, T., 2018

Belgische Staatsbürger beantragen bei Vorliegen einer Behinderung über ihre Krankenversicherung und die Sozialdienste die entsprechenden Leistungen. Der AM des Patienten liefert Belege für den Antrag. Der AM informiert gemäß ICD-10 oder ICPC-2 über Symptome, Diagnose oder Funktionsstörungen des Patienten⁵³.

3.4.1.1 ALLGEMEINE ANERKENNUNG VON BEHINDERUNG

Das belgische System zur Gewährung eines Behindertenstatus kann charakterisiert werden durch:

- **Bewertungsziel:** Bewertung für mehrere Zwecke (Zugang zu verschiedenen Leistungen bei Behinderung)
- **Art der Bewertung:** Basierend auf Aktivitätsbewertungen, hauptsächlich funktional, einige der Aktivitätsbewertungen sind mit der Umgebung verbunden
- **Kombination von dokumentarischen Nachweisen** (Selbsteinschätzung [simulatietool zelfredzaamheid], medizinischer Befund oder Brief eines Arztes/AM, der den Antragsteller behandelt, und persönliche Interaktion, wie z. B. ein Hausbesuch eines Arztes)
- **Qualifikationskriterien:** „Selbstbeherrschung“/„Selbstverwaltung“ mit sechs Bereichen: Mobilität, Ernährung, Selbstversorgung, Haushalt, Interpretation von Gefahren und soziale Interaktionen. Jeder Bereich kann bewertet werden (0 bis 3). Es werden keine Informationen zu den „Kriterien“ oder „Grenzwerten“ angegeben.
- **Der bewertende Arzt entscheidet über die „Punktzahl“ und entscheidet somit, ob der Antragsteller Anspruch auf soziale Unterstützung oder Ersatzeinkommen hat.**

Die allgemeine Registrierung für Menschen mit Behinderungen ist mit 5 Hauptleistungen/Unterstützungssystemen verknüpft, die vom NIHDI bereitgestellt werden. Die fünf wichtigsten Leistungen sind:

- 1 Integrationszulage (21-65 Jahre) = für Personen, die Schwierigkeiten bei alltägliche Tätigkeiten haben
- 2 Einkommensersatzgeld (21-65 Jahre) = für Personen mit Schwierigkeiten auf dem Arbeitsmarkt
- 3 Beihilfe für Senioren (+65 Jahre)
- 4 Andere, z. B. Erhalt einer Parkkarte oder Ermäßigung für öffentliche Verkehrsmittel, und
- 5 erhöhtes Kindergeld (> 21 Jahre) (s. Beispiel 2 in Teil 1 oben)

Ein Einkommensersatzgeld kann einer Person mit Behinderung gewährt werden, wenn die Behinderung dieser Person ihre Arbeitsfähigkeit und damit ihre Fähigkeit, durch Arbeit ein Einkommen zu erzielen, einschränkt. Diese Unterstützung ist jedoch an eine Reihe von Bedingungen gebunden, wie z. B. Staatsangehörigkeit, Alter, Wohnort oder Einkommen (der Person mit Behinderung sowie einer anderen Person mit Behinderung, mit der diese Person einen Haushalt bildet).⁵⁴

⁵³ Waddington, L., 2018

⁵⁴ De Bruycker, S., 2018

3.3.1.2 ERKLÄRUNG UND ANERKENNUNG DER ARBEITSUNFÄHIGKEIT AUS GESUNDHEITLICHEN GRÜNDEN.

Das NIHDI stellt fest, ob eine Person aus gesundheitlichen Gründen arbeitsunfähig ist, und unterscheidet zwischen folgenden Personen:

- ‘Arbeitsunfähigkeit’ für weniger als 1 Jahr –
Diese Personen erhalten für die erforderliche Zeit ein „Ersatzeinkommen“.
- ‘Arbeitsunfähigkeit’ für einen Zeitraum über 1 Jahr –
Diese Personen erhalten eine „Invalidenrente“.

Was das Verfahren betrifft, so müssen belgische Staatsbürger zunächst zu ihrer Krankenversicherung gehen, um den Antrag einzureichen. Dann muss ein Arzt (der AM der betreffenden Person) das Antragsformular ausfüllen; der Konsiliararzt der Krankenversicherung muss dann die Person als „arbeitsunfähig“ anerkennen. Der Konsiliararzt besucht den Antragsteller zu Hause. Auf dieser Grundlage erfolgt die Beurteilung⁵⁵.

Nach einem Zeitraum von sechs Monaten wird die Person zu einer verpflichtenden medizinischen Kontrolluntersuchung eingeladen. Bei der Untersuchung soll entschieden werden, ob die Person noch als arbeitsunfähig „eingestuft“ werden kann.⁵⁶

Das belgische System ist im europäischen Kontext in Bezug auf die Leitlinien-Dokumente, die es den Ärzten zur Beurteilung bereitstellt, herausragend, um eine fundierte Entscheidung über den Behindertenstatus zu ermöglichen.⁵⁷

Dennoch empfahl der UN-Ausschuss für die Rechte von Menschen mit Behinderungen Belgien, Organisationen für Menschen mit Behinderung zu konsultieren, um sicherzustellen, dass die Zulassungskriterien und Bewertungen für bestimmte genannte Leistungen klarer mit den bestehenden Definitionen für Behinderungen verknüpft sind⁵⁸.

3.4.2 NIEDERLANDE

In den Niederlanden reicht der Arzt einen Antrag auf Invalidenrente direkt bei der Arbeitnehmersicherungsagentur (UWV, Uitvoeringsinstituut Werknemersverzekeringen) ein. Der Patient wird anschließend von einem UWV-Versicherungsarzt und Arbeitsexperten beurteilt. Der Versicherungsarzt beurteilt zunächst die funktionellen Einschränkungen des Antragstellers anhand eines Patientengesprächs, einer ärztlichen Untersuchung und der medizinischer Unterlagen von anderen behandelnden Ärzten. Der Arbeitsexperte bewertet den Geldbetrag, den er theoretisch mit geeigneter Arbeit verdienen kann.

⁵⁵S. oben 51

⁵⁶S. oben 52

⁵⁷S. oben 51

⁵⁸ Ausschuss für die Rechte von Menschen mit Behinderungen (2014), Schlussbemerkungen zum ersten Bericht Belgiens vom 28. Oktober 2014, CRPD/C/BEL/CO/1

3.4.2.1 BEURTEILUNG ZUR FESTSTELLUNG DER ARBEITSUNFÄHIGKEIT

Das niederländische System zur Gewährung eines Behindertenstatus kann charakterisiert werden durch:

- Bewertungsziel: Anerkennung des offiziellen Behindertenstatus (z. B. ein allgemeines Register)
- Damit verbundene Leistungen (im Fall eines zuerkannten Status): begünstigende Behandlung (z. B. Berechtigung zur Bewerbung um Quotenjobs)
- Art der Beurteilung: Beurteilung der funktionellen Einschränkungen und des wirtschaftlichen Verlusts (z. B. Einkommensverlust aufgrund einer Behinderung)
- Qualifizierende Kriterien: Diese Bewertung ist eine Bewertung des Einkommensverlusts oder des Verdienstaufschlags
- Methode: Dokumente plus Interview
- Gutachter: Beamte/Staatsbedienstete, einschließlich eines Versicherungsarztes und eines Arbeitsexperten
- Entscheidungsträger: die autonome Verwaltungsbehörde der UWV.⁵⁹

Relevante Einschränkungen können physischer und psychischer Natur sein. Die Arbeitsbeschränkungen werden speziell in einer standardisierten Liste, der Funktionsfähigkeitsliste (Functional Ability List/FAL), registriert.

Kritiken des niederländischen Systems beziehen sich darauf, dass Interviews zu oberflächlich durchgeführt werden und nicht ausreichend detaillierte Aktivitätsbeschränkungen erfordern⁶⁰ und dass die Bewertung der Empfängerzahlen zu einer Erhöhung der Zulassungsschwellen geführt hat⁶¹. Darüber hinaus wurden Bedenken zur Gültigkeit von Expertenbewertungen hinsichtlich der Anforderungen am Arbeitsplatz und der Kriterien für deren Bewertung geäußert⁶².

3.4.2.2 BEURTEILUNG FÜR DIE LANGZEITPFLEGE/PFLEGE IM HEIM

Die Beurteilung für die Langzeitpflege/Pflege im Heim erfolgt in zwei Schritten:

- Die Art der Erkrankung oder Beeinträchtigung wird bewertet (basierend auf medizinischen Unterlagen).
 - Bei Kindern muss eine geistige Behinderung nachgewiesen werden (IQ-Test).
 - Bei Erwachsenen muss eine somatische Krankheit, eine psychogeriatrische Krankheit oder eine geistige, körperliche oder sensorische Behinderung vorliegen und
- es muss ein Bedarf an „ständiger Überwachung, um eine Eskalation oder einen schwerwiegenden Schaden für den Antragsteller zu verhindern ODER
- ein Bedarf einer 24-Stunden-Betreuung in unmittelbarer Nähe, da die betroffene Person nicht selbst Hilfe holen kann ODER

⁵⁹ Smits, J., 2018

⁶⁰ Spanjer, J., Brouwer, S., and Groothoff, J., 2010

⁶¹ S. oben 51

⁶² Geiger, B., Garthwaite, K., Warren, J., and Bamba, C., 2017

- körperliche Probleme, welche die Person ernsthaft schädigen würden, wenn keine permanente Hilfe und Pflege gewährleistet wäre ODER
- der ständige Bedarf eines Assistenten, der die Selbstversorgung sowie Aufgaben und eine generelle Führungsrolle im Leben übernimmt,“ nachgewiesen werden.⁶³

Die Beurteilung, ob die Antragsteller diese Bedingungen erfüllen, liegt bei der Verwaltungsbehörde CIZ.⁶⁴

3.4.3 DEUTSCHLAND

In Deutschland sind verschiedene Landesbehörden (Länder) für die Beurteilung des Behindertenstatus zuständig.

Das deutsche System zur Gewährung eines Behindertenstatus kann charakterisiert werden durch:

- Bewertungsziel: mehrere Zwecke, einschließlich Zugang zu Leistungen bei Behinderung und Anspruch auf den Behindertenausweis; Art und Grad der Behinderung sind für mehrere Teilnahmeleistungen relevant.
- Damit verbundene Leistungen (im Fall eines gewährten Status): Geldleistungen (z. B. Rente); Sachleistungen (z. B. Dienstleistungen); begünstigende Behandlung (z. B. Berechtigung zur Beantragung von Quotenjobs); Ermäßigungen oder Vergünstigungen (z. B. Steuerfreibeträge).
- Art der Beurteilung: Beurteilung von Beeinträchtigungen einschließlich Art und spezifischem Grad der Beeinträchtigung anhand eines Antragsformulars, in dem die Behinderungen detailliert beschrieben werden; in der Regel muss ein zusätzliches Dokument eines Arztes beigelegt werden.
- Methode: dokumentarische Nachweise.
- Gutachter: Beamter und medizinischer Experte für die Beurteilung.
- Entscheidungsträger: Beamter auf Grundlage der Beurteilung des medizinischen Sachverständigen.

Weitere Einzelheiten zur Beurteilung: Der Grad der Behinderung wird vom medizinischen Experten festgelegt, der die Folgen der Behinderung oder Behinderungen in allen Lebensbereichen (privat und beruflich) zusammenfasst.

Eine Behinderung liegt vor, wenn der Grad der Einschränkung mit mindestens 20% bewertet wird. Eine schwere Behinderung liegt vor, wenn die Beschränkung 50% oder mehr beträgt. Der Grad der Behinderung (kategorisiert als Prozentsatz der Behinderung auf die nächsten 10%) wird auf der Grundlage einer ärztlichen Untersuchung beurteilt. Bei mehrfachen Beeinträchtigungen wird der Grad im Hinblick auf die Gesamtfolgen beurteilt. Die Wechselwirkung zwischen den Beeinträchtigungen der Person und den Einschränkungen, denen sie im täglichen Leben ausgesetzt ist, wird berücksichtigt. Eine Beurteilung der Behinderung ist nicht erforderlich, wenn bereits eine Beurteilung für die Zwecke eines Rentenbescheids oder eines Bescheids einer anderen zuständigen Behörde vorgenommen wurde.

⁶³ Centrum Indicatiestelling Zorg (CIZ), 2018

⁶⁴S. oben 58, Smits, J., 2018

Wenn eine Person Anspruch auf eine Invalidenrente hat, hängt dies immer von ihrer Leistungsfähigkeit in Bezug auf alle Aktivitäten auf dem allgemeinen Arbeitsmarkt ab. Der Sozialversicherungsdienst der Rentenversicherungsanstalt bestimmt die Leistungsfähigkeit für jeden Betroffenen, gemessen an der Anzahl der täglichen Arbeitsstunden, die eine versicherte Person auf dem allgemeinen Arbeitsmarkt leisten kann. Daher gibt es neben der vollen Invalidenrente auch Teilrenten. Je nach Quelle kann die Teilrente als ein Drittel, eine Hälfte oder zwei Drittel der Vollrente bezogen werden, da davon ausgegangen werden kann, dass noch ein Teileinkommen verdient werden kann.⁶⁵

Der UN-Ausschuss für die Rechte von Menschen mit Behinderungen hat Deutschland geraten, die gesetzliche Definition von Behinderung in allen Gesetzen und Vorschriften anzuwenden.⁶⁶

⁶⁵ Schröttle, M., Anders, P., Sarkissian, H., C Pierl, C., 2018

⁶⁶ Ausschuss für die Rechte von Menschen mit Behinderungen (2015), Schlussbemerkungen zum ersten Bericht Deutschlands vom 13. Mai 2015, CRPD / C / DEU / CO / 1

3.5 TELEMEDIZIN

Die multidisziplinäre Zusammenarbeit und der Austausch von medizinischen Experten und Experten verwandter Bereiche sind für die Versorgung von SE-Patienten von zentraler Bedeutung. Die Zusammenarbeit und der Austausch wurden durch die Benennung nationaler Kompetenzzentren und europäischer Referenznetze (ERN) erleichtert und strukturell unterstützt. Für die ERN stellte die Europäische Kommission eine webbasierte Plattform zur Verfügung – das Clinical Patient Management System (CPMS) –, um elektronische Konsultationen und den Datenaustausch für Fälle seltener Erkrankungen durchzuführen. ERN-Experten sollen sich innerhalb des CPMS treffen, um komplexe Fälle zu diskutieren und Zweitmeinungen einzuholen. Das CPMS ist derzeit jedoch nicht voll funktionsfähig⁶⁷.

Die Tatsache, dass das SE-Fachwissen in verschiedenen Ländern und in Europa insgesamt verstreut ist, ist ein starkes Argument dafür, dass die Telemedizin in der SE-Versorgung für diagnostische Verfahren, Arzt-zu-Arzt-Konsultationen, Patientenberatungen und Datenaustausch eingesetzt werden kann und sollte. Dieser Abschnitt enthält daher eine Übersicht darüber, welche Art von eHealth- und Telemedizin-Diensten derzeit in Belgien, den Niederlanden und Deutschland erstattet werden, um den nationalen Kontext zu ermitteln, in dem (grenzüberschreitende) Telemedizin-Dienste derzeit Resonanz finden würden.

Zur Einschätzung der Situation, wurden drei mögliche Umsetzungen für die telemedizinische Anwendung definiert und zum Erhalt von Antworten innerhalb des Konsortiums verteilt:

- E-Mail-/Skype-Gespräch mit einem Patienten
- Spezielle Diagnostik oder Monitoring mit telemedizinischen Anwendungen (z. B. über Videos oder Fotos, Datenübertragung)
- Therapeutische Behandlung mit Telemedizin
- Andere

Darüber hinaus haben wir bewertet, (1) welche Art von Leistungen und Behandlungen vorhanden sind, (2) unter welchen Bedingungen und (3) wie sie erstattet werden.

3.5.1 BELGIEN

Aktuell (Stand Oktober 2019) sind Telemedizin-Dienste aufgrund der im belgischen Recht verankerten starken Verpflichtung zur physischen Präsenz nicht in erstattungsfähige Standarddienste integriert. Die neueste Gesundheitsministerin Maggie de Block hat jedoch die Digitalisierung des Gesundheitswesens mit mehreren Pilotprojekten und Initiativen wie dem Einsatz von Gesundheits-Apps auf ihre Ministeragenda gesetzt.

⁶⁷ <http://www.ern-rnd.eu/cpms/>

Telemedizin-Anwendungen – Belgien				
Umsetzung	Tele-Behandlung oder Leistung	Bedingungen	Erstattung	
E-Mail-/Skype-Gespräch mit einem Patienten	derzeit vorhanden	nicht	<i>Kriterium der physischen Präsenz laut Gesetz</i>	Nicht zutreffend
Spezielle Diagnostik oder Monitoring mit telemedizinischen Anwendungen (z. B. über Videos, Fotos oder Datenübertragung)	derzeit vorhanden	nicht	<i>Kriterium der physischen Präsenz laut Gesetz</i>	Nicht zutreffend
Therapeutische Behandlung mit Telemedizin	derzeit vorhanden	nicht	<i>Kriterium der physischen Präsenz laut Gesetz</i>	Nicht zutreffend
Andere				

3.5.2 NIEDERLANDE

Die Telemedizin wurde bereits weitgehend in die niederländische medizinische Versorgung integriert und eine weitere Expansion und Flexibilisierung für das Jahr 2020 wurde bereits angekündigt⁶⁸. Die Umsetzungen konzentrieren sich auf Anwendungen des Typs Arzt-zu-Patient und Arzt-zu-Arzt. Es ist bemerkenswert, dass Patiententermine beim AM nicht mehr nach ihrem Modus, sondern nur nach ihrer Länge und unabhängig davon, ob sie persönlich, per Telefon, Skype oder E-Mail erfolgen, erstattet werden.

⁶⁸ <https://magazines.nza.nl/standvandezorg/2019/07/flexibiliteit-in-de-regels-voor-de-zorg-in-2020>

Telemedizin-Anwendungen – Niederlande			
Umsetzung	Tele-Behandlung oder Leistung	Bedingungen	Erstattung
E-Mail-/Skype-Gespräch mit einem Patienten	<p>AM: Patientengespräche per Telefon, Skype oder Mail</p> <p>Krankenhaus Fernkonsultation für die Nachversorgung entweder: Bildschirm zu Bildschirm (190161), per Telefon (190162) oder in schriftlicher Form (190163) Erst-Fernberatung, Bildschirm-zu-Bildschirm-Beratung</p>	<p>Erstkontakt persönlich</p> <p>Wenn Inhalt und Zeit wie ein Arztbesuch sind</p> <p>Erstkontakt persönlich</p> <p>Identischer Zeitaufwand</p> <p>Gleiche Leistung im Vergleich zum physischen Besuch möglich</p>	<p>Niederländische Gesundheitsbehörde (NZA), Richtlinien zur Erstattung von eHealth</p> <p>Service kurze Beratung, normale Beratung oder lange Beratung</p> <p>Face-to-Face, per Telefon, E-Mail oder in einer anderen Umgebung</p>
Spezielle Diagnostik oder Monitoring mit telemedizinischen Anwendungen (z. B. über Videos, Fotos oder Datenübertragung)	<p>Telemonitoring für Pflegeaktivitäten (03133)</p> <p>Erwähnte Beispiele: CED-Coach oder COPD-Supervision</p>	<p>Erstkontakt persönlich</p>	<p>S. oben NZA</p>

Rare diseases do not stop at borders

Telemedizin-Anwendungen in den Niederlanden – Fortsetzung

Umsetzung	Tele-Behandlung oder Leistung	Bedingungen	Erstattung
Therapeutische Behandlung mit Telemedizin	<p>Der AM kann Bilder mit dem Dermatologen teilen</p> <p>Telekonsultation/Beurteilung der Diagnostik durch einen vom AM angeforderten Facharzt (39757, 39929)</p> <p>Beispiele: EKG, Holter, Lungenfunktion usw.</p>	<p>Erstkontakt persönlich</p> <p>Erstkontakt persönlich</p>	<p>S. oben NZA</p> <p>Service Teledermatologie</p>
Andere	<p>Beratung durch einen AM oder Facharzt im Rahmen eines Patientenbesuchs</p> <p>Der AM kann das Fachwissen eines anderen Facharztes oder Experten hinzuziehen, um den Behandlungsverlauf zu bestimmen</p>	Erstkontakt persönlich	<p>S. oben NZA</p> <p>Service gemeinsame Beratung (meekijk consult)</p>

3.5.3 DEUTSCHLAND

In Deutschland sind Anzahl und Umfang der erstattungsfähigen Telemedizinleistungen geringer und konzentrieren sich auf wenige Anwendungen. Wie in Belgien erleben Telemedizin und elektronische Gesundheitsdienste aktuell jedoch einen starken Aufwärtstrend, einschließlich eines regional begrenzten Projekts zur Aufhebung des Fernbehandlungsverbots. Darüber hinaus umfassen die jüngsten Regierungsvorschläge vom Herbst 2019 die Verwendung von verschreibungspflichtigen Gesundheits-Apps, Erstattungskürzungen für Ärzte, die sich im Laufe des Jahres 2020 noch nicht der Telematikinfrastruktur angeschlossen haben, und die Verwendung aller Patientendaten für die Gesundheitsforschung.

Telemedizin-Anwendungen – Deutschland			
Umsetzung	Tele-Behandlung oder Leistung	Bedingungen	Erstattung
E-Mail-/Skype-Gespräch mit einem Patienten	Video-Konsultation zur Nachsorge, z. B. Beurteilung einer chronischen Wunde	Sichere E-Mail und Skype for Business Einverständnis des Patienten Einmal pro Quartal berechenbar, wenn der Patient den Arzt in den vorangegangenen Quartalen persönlich kontaktiert hat	Standardversorgung. Wird von der gesetzlichen Krankenversicherung gedeckt. Erstattungsfähig über eine Gebührenbestellposition im Standardverzeichnis (EBM), in der vertragliche medizinische Leistungen aufgeführt sind.
Spezielle Diagnostik oder Monitoring mit telemedizinischen Anwendungen (z. B. über Videos, Fotos oder Datenübertragung)	Telemedizinische Funktionsanalyse eines implantierten Kardioverters/Defibrillators.	Möglich mit Erlaubnis des Patienten	Standardversorgung. Wird von der gesetzlichen Krankenversicherung gedeckt. Erstattungsfähig über eine Gebührenbestellposition im Standardverzeichnis (EBM), in der vertragliche medizinische Leistungen aufgeführt sind.

Therapeutische Behandlung mit Telemedizin	Teletherapie, z. B. bei psychischen Erkrankungen.	Möglich mit Erlaubnis des Patienten	Privat zu bezahlen. Einige Krankenversicherungen bieten ihren Versicherten diesen Service an (<i>selektiver Vertrag</i>).
Andere			

3.5.4 RECHTLICHE UND REGULATORISCHE EBENE: EU-GESETZGEBUNG FÜR TELEMEDIZIN

Dieses Kapitel geht über die nationalen Grenzen der Telemedizin hinaus und enthält eine Analyse der geltenden Gesetze und Maßnahmen auf EU-Ebene, um die Umsetzung der Telemedizin in den EU-Mitgliedstaaten zu erleichtern, wobei ein besonderer Schwerpunkt auf der Ermöglichung grenzüberschreitender Interoperabilität und Telemedizin-Dienstleistungen liegt.

In Bezug auf die rechtliche und regulatorische Ebene der Telemedizin oder allgemein von eHealth werden Bestimmungen im Rahmen der Gesundheitsversorgung als Dienstleistung im Sinne der Artikel 56 und 57 AEUV angesehen und unterliegen daher den Rechten der Freizügigkeit. Darüber hinaus gelten für die Telemedizin eine Reihe von Vorschriften aus sekundären EU-Rechtsvorschriften in Bezug auf Sicherheit, Datenschutz, Einverständniserklärung und Vertraulichkeit, darunter:

- Die Datenschutzgrundverordnung (DSGVO)⁶⁹
- Die Datenschutzrichtlinie für elektronische Kommunikation⁷⁰
- Die Verordnung über die *elektronische Identifizierung* (eIDAS)⁷¹
- Die E-Commerce-Richtlinie⁷²
- Die Richtlinie zur Cybersicherheit (NIS)⁷³
- Medizinprodukte⁷⁴

⁶⁹ Verordnung (EU) 2016/679 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 27. April 2016 über den Schutz natürlicher Personen bei der Verarbeitung personenbezogener Daten und über den freien Verkehr dieser Daten sowie die Aufhebung der Richtlinie 95/46/EG, ABl L 119/1.

⁷⁰ Richtlinie 2002/58/EG vom 12. Juli 2002 über die Verarbeitung personenbezogener Daten und den Schutz der Privatsphäre im Bereich der elektronischen Kommunikation [2002] ABl. L 201/37

⁷¹ Verordnung 910/2014 über elektronische Identifikations- und Vertrauensdienste für elektronische Transaktionen

⁷² Richtlinie 2000/31/EG vom 8. Juni 2000 über bestimmte rechtliche Aspekte der Dienste der Informationsgesellschaft, insbesondere des elektronischen Handels, im Binnenmarkt [2000] ABl. L 178/1

⁷³ Richtlinie (EU) 2016/1148 vom 6. Juli 2016 über Maßnahmen für ein hohes gemeinsames Sicherheitsniveau von Netz- und Informationssystemen in der gesamten Union [2016] ABl. L 194/1

⁷⁴ Verordnung (EU) 2017/745 vom 5. April 2017 über Medizinprodukte [2017] ABl. L 117/1; Verordnung (EU) 2017/746 vom 5. April 2017 über In-vitro-Diagnostika [2017] ABl. L 117/176

- Die Richtlinie zu den Patientenrechten⁷⁵

Der zwischen der EU und den Mitgliedstaaten geteilte rechtliche und regulatorische Rahmen wurde in der wissenschaftlichen Literatur mit unterschiedlichem Schwerpunkt auf EU- und nationaler⁷⁶⁷⁷ Ebene sowie auf verschiedenen telemedizinischen Instrumenten wie der elektronischen Gesundheitsakte, der Telemedizin oder eHealth-Anwendungen untersucht⁷⁸⁷⁹. Der Rechtsrahmen wurde als derzeit unvollkommen⁸⁰ und in den einzelnen EU-Mitgliedstaaten unterschiedlich bewertet⁸¹. Haftungsfragen grenzüberschreitender Telemedizinien sind eine (von mehreren) bedeutenden rechtlichen Lücken in den EU-Rechtsvorschriften⁸². Angesichts der bereits bestehenden Anzahl von Rechtsanalysen und des Hauptfokus auf Aktivitäten zur Standardsetzung beschäftigt sich die vorliegende Arbeit ausschließlich mit den Patientenrechtsrichtlinien, da diese direkte Auswirkungen auf die Telemedizinaktivitäten **quer durch alle** EU-Mitgliedstaaten hat.

3.5.4.1 FLANKIERENDE MAßNAHMEN FÜR DIE TELEMEDIZIN IN DER PATIENTENRECHTSRICHTLINIE

Neben der oben beschriebenen Kodifizierung der Rechte für die grenzüberschreitende Mobilität enthält die Richtlinie über Patientenrechte „flankierende Maßnahmen“⁸³ für die grenzüberschreitende Versorgung durch Telemedizin, *unter anderem*:

- Gegenseitige Unterstützung und Zusammenarbeit im Allgemeinen in Artikel 10, einschließlich der Zusammenarbeit über ICT (Artikel 10.2)
- Anerkennung von Verschreibungen, die in einem anderen Mitgliedstaat ausgestellt werden, laut Artikel 11, insbesondere die Annahme von Leitlinien für die Entwicklung der Interoperabilität von eVerschreibungen (Artikel 11(2)(b))
- eHealth (Artikel 14) mit
 - dem Aufbau eines freiwilligen Netzwerks nationaler eHealth-Behörden (Artikel 14(1) & (3)), und
 - dem Ziel, Richtlinien zu erstellen
 - eine nicht erschöpfende Liste der Daten für Patienten-Kurzakten (Artikel 14 (2)(b)(i))
 - wirksame Methoden, um die Verwendung medizinischer Informationen für die öffentliche Gesundheit und Forschung zu ermöglichen (Artikel 14 (2)(b)(ii))

⁷⁵ Richtlinie 2011/24/ EU vom 9. März 2011 zur Anwendung der Patientenrechte in der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung [2011] ABl. L88/45 / 45

⁷⁶ Raposo, 2016; Kautsch et al., 2017; Stroetmann et al, 2012

⁷⁷ Callens, 2010

⁷⁸ Den Exter, 2017

⁷⁹ Crico et al, 2018

⁸⁰ S. oben n 75, Stroetmann et al., 2012

⁸¹ S. oben n 75, Kautsch et al., 2017

⁸² S. oben n 77, den Exter, 2017

⁸³ Sauter, 2011

- Unterstützung der Mitgliedstaaten bei der Entwicklung gemeinsamer Identifizierungs- und Authentifizierungsmaßnahmen zur Erleichterung der Übertragbarkeit von Daten für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung (Artikel 14 (2)(c))

Dieses Mandat war der Ausgangspunkt für die Arbeitsagenda des eHealth-Netzwerks zur Entwicklung von Leitlinien, wie im nächsten Abschnitt beschrieben.

3.5.4.2 DIE ARBEIT DES EHEALTH-NETZWERKS GEMÄß ARTIKEL 1

Auf der Grundlage von Artikel 14 (3) der Patientenrechtsrichtlinie hat die Kommission mit der Durchführungsentscheidung 2011/890/EU das Netzwerk der nationalen zuständigen Behörden für eHealth bzw. elektronische Gesundheitsdienste (im Folgenden: eHealth-Netzwerk) eingerichtet⁸⁴. Das eHealth-Netzwerk setzt sich aus Vertretern nationaler Behörden aus allen 28 Mitgliedstaaten und Norwegen zusammen. Das Netzwerk tritt zweimal im Jahr zusammen. Die Teilnahme am eHealth-Netzwerk ist freiwillig. Wichtige Ergebnisse des eHealth-Netzwerks sind die Richtlinien zur Mindest-/nicht erschöpfenden Kurzakte mit dem Patientendatensatz für den elektronischen Austausch gemäß der 2013⁸⁵ veröffentlichten grenzüberschreitenden Richtlinie 2011/24/EU und die Richtlinien zum ePrescriptions-Datensatz für den elektronischen Austausch im Rahmen der grenzüberschreitende Richtlinie 2011/24/EU aus dem Jahr 2014⁸⁶. Beide wurden 2016 überarbeitet und durch eine allgemeine Richtlinie zum elektronischen Austausch von Gesundheitsdaten gemäß der grenzüberschreitenden Richtlinie 2011/24/EU ergänzt⁸⁷. Es ist zu beachten, dass diese Leitlinien freiwillig/unverbindlich sind und als Empfehlung für die Mitgliedstaaten angesehen werden.

Die Richtlinien zum Datensatz für elektronische Verschreibungen stützen sich im Wesentlichen auf die Datenelemente, die in der Durchführungsrichtlinie 2012/52/EU für die Anerkennung medizinischer Verschreibungen in anderen Mitgliedstaaten⁸⁸ und in der internationalen Norm DIS 17523 zu den Anforderungen für elektronische Verschreibungen verankert sind.

Der Geltungsbereich der Leitlinien zu der Patienten-Kurzakte für die außerplanmäßige Versorgung wird zunächst für die grenzüberschreitende Versorgung bei Notfall- und ungeplanten Versorgungsereignissen beschrieben, während Artikel 3 (2) die Möglichkeit vorsieht, die Patienten-Kurzakten für andere Situationen zu verwenden – wobei Artikel 3 auf die Verwendung für Patienten mit seltenen Erkrankungen Bezug nimmt. Die für die Patienten-Kurzakte verwendeten Datenelemente

⁸⁴ Durchführungsbeschluss 2011/890/ / EU der Kommission vom 22. Dezember 2011 zur Festlegung der Regeln für die Einrichtung, Verwaltung und Funktionsweise des Netzes der zuständigen nationalen Behörden für elektronische Gesundheitsdienste [2011] ABl. L 344/48

⁸⁵ Europäische Kommission, eHealth-Netzwerk, Leitlinien zum minimalen / nicht erschöpfenden zusammenfassenden Datensatz für Patienten für den elektronischen Austausch (2013)

⁸⁶ Europäische Kommission, eHealth-Netzwerk, Richtlinien zum Datensatz ePrescriptions für den elektronischen Austausch gemäß der grenzüberschreitenden Richtlinie 2011/24/ / EU (2014)

⁸⁷ Europäische Kommission, eHealth-Netzwerk, Allgemeine Richtlinie zum elektronischen Austausch von Gesundheitsdaten gemäß der grenzüberschreitenden Richtlinie 2011/24/ / EU (2016)

⁸⁸ Durchführungsrichtlinie 2012/52/ / EU vom 20. Dezember 2012 zur Festlegung von Maßnahmen zur Erleichterung der Anerkennung medizinischer Verschreibungen in einem anderen Mitgliedstaat [2012] ABl. L 356/88

basieren auf den epSOS- und EXPAND-Projekten sowie einigen anderen EU-finanzierten Projekten. In beiden Richtlinien wird eine detaillierte Beschreibung des empfohlenen Datensatzes gegeben, einschließlich variabler Kapitel, einzelner Datenelemente und entsprechender Beschreibungen und Definitionen.

Die Vorbereitungsarbeiten für die Richtlinien für eine Patienten-Kurzakte im epSOS-Projekt und die Annahme derselben Richtlinien durch das eHealth-Netzwerk wurden gekoppelt und durch die Annahme des Entwurfs der Europäischen Norm 17269 „Die Patienten-Kurzakte für ungeplante grenzüberschreitende Versorgung“ von CEN, dem Europäischen Komitee für Normung, unterstützt.

Zukünftige Schritte in diesem Arbeitsbereich umfassen eine geplante Empfehlung der Kommission zur Festlegung eines Formats für einen Austausch europäischer elektronischer Patientenakten (EPA). Darüber hinaus sieht das CEN die baldige Standardkoordination durch CEN/TC 251 für elektronische Verschreibungen sowie Patienten- und Gesundheitsberufsregister vor⁸⁹. Letzteres wird bereits vom eHealth-Netzwerk diskutiert.

Schließlich legte die Europäische Kommission in der Mitteilung von 2018 über die Ermöglichung der digitalen Transformation von Gesundheit und Pflege im digitalen Binnenmarkt⁹⁰ einen Plan zur Unterstützung der Ziele der Schlussfolgerungen des Rates 2017 zur Gesundheit in der digitalen Gesellschaft vor⁹¹. Als Ergebnis einer Konsultation der Interessengruppen, bei der (i) Datenqualitätsstandards, Zuverlässigkeit und Sicherheit, (ii) elektronische Patientenakte und (iii) Interoperabilität durch offene Austauschformate vorrangig behandelt wurden, wurde ein bemerkenswerter Schwerpunkt auf Standardisierung erreicht⁹².

Zusammenfassend kann gesagt werden, dass ein besonderer Fokus in der eHealth-Agenda der EU auf der Interoperabilität zwischen den Mitgliedstaaten und den Möglichkeiten für den Austausch zwischen verschiedenen Rechtssystemen mithilfe von Telemedizin-Diensten liegt. Dies erscheint aus EU-Sicht sinnvoll, sofern das Mandat der Patientenrechtsrichtlinie die Erleichterung der grenzüberschreitenden Versorgung, den Schwerpunkt auf umfassendere Freizügigkeitsrechte im Binnenmarkt und das Subsidiaritätsprinzip betrifft. Derzeit haben die Mitgliedstaaten und Gesundheitsdienstleister jedoch immer noch Schwierigkeiten, telemedizinische Rahmenbedingungen und Interoperabilität innerhalb ihrer eigenen Gesundheitssysteme und innerhalb der organisatorischen Grenzen selbst zu errichten. In diesem Zusammenhang muss die Arbeit der EU möglicherweise diese innerstaatlichen Fragen für den breiteren nationalen Einsatz von Telemedizin stärker berücksichtigen.

Eine formelle Standardisierung von eHealth/Telemedizin und Interoperabilität wurde in der EU trotz des schnellen Tempos digitaler Innovationen und der massiven Unterstützung der EU auf allen Ebenen in den letzten zwei Jahrzehnten nicht erreicht. Das begrenzte Vertragsmandat für Normung, der Widerstand verschiedener Stakeholder und der uneinheitliche Rechtsrahmen in Bezug auf eHealth

⁸⁹ CEN, CEN / TC251, Geschäftsplan 2015-2018 - Zusammenfassung

⁹⁰ Mitteilung der Kommission zur Ermöglichung der digitalen Transformation von Gesundheit und Pflege im digitalen Binnenmarkt: Stärkung der Bürger und Aufbau einer gesünderen Gesellschaft; COM (2018) 233final

⁹¹ Schlussfolgerungen des Rates 2017/ / C 440/05 zur Gesundheit in der digitalen Gesellschaft - Fortschritte bei datengetriebenen Innovationen im Gesundheitsbereich, ABl. C 440

⁹² S. oben n 89, COM (2018) 233final

scheinen erhebliche Hindernisse für den groß angelegten Einsatz interoperabler telemedizinischer Lösungen darzustellen. Abgesehen von Gesetzgebung und Normung, bleiben Fragen

- nach der Finanzierung der telemedizinischen Infrastruktur,
- wie Telemedizinleistungen nicht nur auf nationaler Ebene, sondern insbesondere für die grenzüberschreitende Versorgung erstattet werden, und
- wie sie in die Praxis der hochspezialisierten Versorgung seltener Erkrankungen zwischen SE-Experten und Patienten abgestimmt oder integriert werden,

auch bis heute weitgehend unbeantwortet. Die Infrastruktur des Europäischen Referenznetzes hat bisher nur begonnen, einen Teil dieser Probleme anzugehen. Diese Fragen sind jedoch für Patienten mit seltenen Erkrankungen von entscheidender Bedeutung, um in der gesamten EU und unabhängig von den Grenzen leichter und umfassender Zugang zu Spezialbehandlungen zu erhalten.

4 SCHLUSSFOLGERUNGEN

Viele politische Maßnahmen und Vorarbeiten auf EU- und nationaler Ebene haben in den letzten 20 Jahren den Weg geebnet, seltene Erkrankungen auf die Tagesordnung zu setzen und die Aufmerksamkeit der Entscheidungsträger, Mediziner und der Öffentlichkeit zu erhalten. Es wurden viele wichtige Meilensteine erreicht, um die medizinische Versorgung und Situation von Menschen mit SE zu verbessern, beispielsweise die Einrichtung von Strukturen wie den nationalen Fachzentren und den europäischen Referenznetzen oder die Umsetzung nationaler SE-Aktionspläne. Es ist jedoch noch viel mehr notwendig, z. B. das Erstellen von SE-Registern oder die Bereitstellung von SE-Codierungen in größerem Maßstab, um nur einige Maßnahmen zu nennen. Darüber hinaus muss vieles, was in den letzten Jahren begonnen wurde, sich noch in der Praxis bewähren, da die Umsetzung noch nicht abgeschlossen ist.

In Bezug auf die Möglichkeiten des grenzüberschreitenden Zugangs zur medizinischen Versorgung ist der rechtliche Rahmen für die grenzüberschreitende Gesundheitsversorgung vorhanden und für die breite Öffentlichkeit oder häufige Krankheiten und Verfahren ist dieser Rahmen möglicherweise durchaus ausreichend. Für die SE-Versorgung gibt es jedoch deutliche und dokumentierte praktische und administrative Probleme, da das Wissen und die Erfahrung mit solchen Krankheiten fehlen oder sehr begrenzt sind. Um von dem vorhandenen Fachwissen zu SE in den Universitätskliniken von Aachen, Maastricht und Lüttich in der EMR zu profitieren, ist eine Vereinbarung/ein System erforderlich, das die beschriebenen Hindernisse für eine begrenzte Region, die EMR, und eine begrenzte Bevölkerung, die SE-Patienten, abbaut. Dies würde den finanziellen und administrativen Umfang entsprechend eingrenzen, aber auch dazu beitragen, die Situation von SE-Patienten zu verbessern. Zu den Verbesserungen gehören ein geografisch naher Zugang zu Leistungen, die Interaktion mit Fachleuten in der Muttersprache und die Beseitigung bestehender Ungleichheiten im Vergleich zu häufigen Krankheiten. Wenn im Heimatland kein Fachwissen verfügbar ist, sind die Krankenkassen aufgefordert, alle möglichen Wege innerhalb des bestehenden Rechtsrahmens zu suchen, um sicherzustellen, dass Patienten Zugang zu grenzüberschreitendem medizinischem Fachwissen haben.

Telemedizin-Dienste werden derzeit nur in den Niederlanden breit eingesetzt. In Deutschland wurde die Telemedizin erst kürzlich in die Standardversorgung aufgenommen, wobei nur eine begrenzte Anzahl von Telemedizinleistungen erstattet wird. In Belgien steht die Telemedizin derzeit ganz oben auf der politischen Agenda. Konkretere Anwendungen und Leistungen müssen aber noch entwickelt werden. Grenzüberschreitende Telemedizinleistungen, nicht nur über die ERN-Strukturen, wären gerade für SE-Patienten relevant, da sie europaweit Zugang zu bestem Fachwissen und modernster Behandlung und Diagnosemethoden bieten könnten. Grenzüberschreitende Telemedizinleistungen stecken jedoch noch in den Kinderschuhen. Es gibt einige Pilotprojekte, aber viele rechtliche, finanzielle und praktische Fragen für einen breiteren Einsatz, die noch ungelöst sind.

5 LISTE DER ABKÜRZUNGEN UND AKRONYME

(in alphabetischer Reihenfolge)

ACHSE	Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (Deutschland)
AWMF	Arbeitsgemeinschaft der Wissenschaftlichen Medizinischen Fachgesellschaften (Deutschland)
BMBF	Deutsches Bundesministerium für Bildung und Forschung
BMG	Deutsches Bundesministerium für Gesundheit
BZZ	Belgischer Plan für seltene Erkrankungen
CEN	Europäisches Komitee für Normung
CMDOD	Ärztokollegium für Orphan Drugs/College of Medical Doctors for Orphan Drugs (Belgien)
CoE	Fachzentren
CPG	Behandlungsleitlinien
CVZ	College voor Zorgverzekeringen
DBC's	Diagnose Behandel Combinaties (Niederlande)
GD	Generaldirektion, Europäische Kommission
GD SANTE	Generaldirektion Gesundheit und Lebensmittelsicherheit, Europäische Kommission
DRG	Diagnoseabhängige Fallgruppen, Diagnosis Related Groups
EK	Europäische Kommission
EMA	Europäische Arzneimittelagentur
EMR	Euregio Maas-Rhein
EPD	Elektronisches Patientendossier
ERN	Europäische Referenznetze
EU	Europäische Union
EUCERD	Sachverständigenausschuss der Europäischen Union für seltene Krankheiten
EUROPLAN	Europäisches Projekt zur Entwicklung nationaler Pläne für seltene Krankheiten
Eurostat	Statistisches Amt der Europäischen Union
FÖD	Föderaler Öffentlicher Dienst (Belgien)
FZZW	Fonds für seltene Krankheiten und Orphan Drugs (Belgien)
AM	Allgemeinmediziner
HTA	Gesundheitstechnologiefolgenabschätzung (Health Technology Assessment)
ICD	Internationale Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme
ICT	Informations- & Kommunikationstechnologie
IZOM	Integratie Zorg op Maat
LZP	Langzeitpflege
PV	Pflegeversicherung (Deutschland)
MS	EU Mitgliedstaat
NAMSE	Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Krankheiten (Deutschland)
NAP	Nationale Aktionspläne
NKS	Nationale Kontaktstelle
NGS	Sequenziermethoden der nächsten Generation (Next Generation Sequencing)
NIHDI, auch RIZIV/INAMI/LIKIV	Landesinstitut für Kranken- und Invalidenversicherung (Belgien)

Rare diseases do not stop at borders

NL	Niederlande
NPZZ	Nationaler Plan für seltene Erkrankungen (Niederlande)
OECD	Organisation für wirtschaftliche Zusammenarbeit und Entwicklung
OMP	Arzneimittel für seltene Leiden (Orphan Drugs)
Orphanet	Netzwerk von 37 Ländern mit Informationen zu SE und Arzneimittel für seltene Erkrankungen
PIS	Pädiatrische Intensivstation
RadiOrg	Seltene Erkrankungen Belgien
SE	Seltene Erkrankungen
Sciensano (ehemals WIV/ISP)	Wissenschaftliches Institut für öffentliche Gesundheit (Belgien)
SSF	Spezieller Solidaritätsfonds
TFEU	Vertrag über die Arbeitsweise der Europäischen Union
UN	Vereinte Nationen
VSOP	Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (Niederlande)
WHO	Weltgesundheitsorganisation
ZIN	Zorginstituut Nederland
ZIPSE	Zentrales Informationsportal über seltene Erkrankungen (Deutschland)
ZonMw	Niederländische Organisation für Gesundheitsforschung und Innovation

6 LITERATURVERZEICHNIS

Aymé, S. & Schmidtke, J. (2007). Networking for rare diseases: a necessity for Europe. *Bundesgesundheitsbl.* 50, 1477–1483.

Geiger, B., Garthwaite, K., Warren, J., and Bambra, C. (2017). Assessing work disability for social security benefits: international models for the direct assessment of work capacity, *Disability and Rehabilitation*;40(24):2962-2970.

Busse R. & Blümel M. (2014) Germany: health system review. *Health Systems in Transition*, 2014, 16(2):1–296. Copenhagen: World Health Organization 2014 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Callens, S. (2010). The EU legal framework on e-health in Mossialos, E., Permanand, G., Baeten, R., & Hervey, T. K. (Eds.). (2010). *Health Systems Governance in Europe - The Role of European Union Law and Policy*. Cambridge: Cambridge University Press, pp.561-588.

Centrum Indicatiestelling Zorg (CIZ). (2018) Beleidsregels indicatiestelling Wet langdurige zorg (Wlz) 2018 (Policy rules assessment Long Term Care Act 2018). Entnommen von https://www.ciz.nl/images/pdf/beleidsregels/Beleidsregels_indicatiestelling_Wlz_2018.pdf.

Crico et al. (2018). mHealth and telemedicine apps: in search of a common regulation. *ecancer*, 12:853.

De Bruycker, S. ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Belgium.

Den Exter, A. (2017). eHealth challenges under EU law in A. den Exter (ed.), *EU Law and Patient Mobility* (2017), Rotterdam: Erasmus University Press.

Espin et al. (2016). How can voluntary cross-border collaboration in public procurement improve access to health technologies in Europe? Policy Brief 21. Copenhagen: World Health Organization 2016 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

FOD Volksgezondheid (2013). Belgisch plan voor Zeldzame Ziektes. Brussel: FOD Volksgezondheid

Gerkens S. & Merkur S. (2010) Belgium: Health system review. *Health Systems in Transition*, 12(5):1–266. Copenhagen: World Health Organization 2010 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies)

Gerlinger, T. (2018), ESPN Thematic Report on Challenges in Long-Term Care Germany. Brussels: European Commission

Greer et al. (2014). Everything you always wanted to know about European Union health policies but were afraid to ask. Copenhagen: World Health Organization 2014 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Hoorneman, W., de Vrey, R., Essink, B. & A Chistyakova, 2015 Distribution and marketing of drugs in The Netherlands: overview. *Thomson Reuters Practical Law*. Entnommen von [https://uk.practicallaw.thomsonreuters.com/5-618-5575?transitionType=Default&contextData=\(sc.Default\)&firstPage=true&bhcp=1](https://uk.practicallaw.thomsonreuters.com/5-618-5575?transitionType=Default&contextData=(sc.Default)&firstPage=true&bhcp=1)

Kautsch et al. (2017). Setting the scene for the future: implications of key legal regulations for the development of e-health interoperability. *Int J Health Plann Mgmt*; 32:637-652,

Kelders Y & de Vaan, K (2018) ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Netherlands, Brussels: European Commission

Kroneman M, Boerma W, van den Berg M, Groenewegen P, de Jong J, van Ginneken E., 2016 The Netherlands: health system review. *Health Systems in Transition*, 2016; 18(2):1–239. Copenhagen: World Health Organization 2016 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Moliner, A. M., & Waligóra, J. (2013). The European union policy in the field of rare diseases. *Public Health Genomics*, 16(6), 268-277.

Pacolet J & De Wispelaere, F (2018). ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Belgium 2018, Brussels: European Commission.

Raposo, V. (2016). Telemedicine: the legal framework (or lack of it) in Europe. *GMS Health Techn Assess*; 12:Doc03.

Rodwell C. & Aymé S. (eds) (2014) 2014 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe, July 2014, part V. Entnommen von <http://www.eucerd.eu/upload/file/Reports/2014ReportStateofArtRDActivitiesV.pdf>

Rodwell C., & Aymé S. (2015). Rare disease policies to improve care for patients in Europe. *Biochimica et Biophysica Acta (BBA)-Molecular Basis of Disease*, 1852(10), 2329-2335.

Sauter, W. (2011) Harmonisation in healthcare: the EU patients' rights Directive. TILEC Discussion Paper No 2011-030.

Schott D, A, Gerver W, J, M, Stumpel C, T, R, M. (2017). Growth Hormone Therapy in Children with Kabuki Syndrome: 1-year Treatment Results. *Horm Res Paediatr*; 88:258-264.

Schott D.A. Stumpel, C, T, R, M. & Klaassens, M (2019) Hypermobility in individuals with Kabuki syndrome: The effect of growth hormone treatment. *Am J Med Genet.*2019;179A:219–223.

Schröttle, M., Anders, P., Sarkissian, H., C Pierl, C. (2018). ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Germany.

Smits, J. (2018). ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Netherlands.

Spanjer, J., Brouwer, S., and Groothoff, J. (2010). Instruments used to assess functional limitations in workers' compensation claimants: a systematic review, in Spanjer, J. (2010), The disability assessment structured interview: its reliability and validity in work disability assessment, University Medical Centre Groningen, University of Groningen

Straetemans, S., Schott, D. A., Plasqui, G., Dotremont, H., Gerver-Jansen, A. J. G. M., Verrijken, A., Westerterp, K., Zimmermann, L. J. I., & Gerver, W-J. M. (2019). Effect of growth hormone treatment on energy expenditure and its relation to first-year growth response in children. *European Journal of Applied Physiology*, 119(2), 409-418.

Stroetmann et al. (2012). Legal challenges on the road towards interoperable eHealth Solutions in Europe. *EJBI*, 8(2):3-10, p.5

Taruscio, D., Gentile, A. E., De Santis, M., Ferrelli, R. M., De La Paz, M. P., Hens, M. & Weinman, A. (2013). EUROPLAN: Ein Projekt zur Unterstützung der Entwicklung nationaler Pläne für seltene Erkrankungen in Europa. *Public Health Genomics*, 16 (6), 278-287.

Taruscio, D., Gentile, A. E., Evangelista, T., Frazzica, R. G., Bushby, K., & Montserrat, A. M. (2014). Centres of Expertise and European Reference Networks: key issues in the field of rare diseases. The EUCERD Recommendations. *Blood Transfusion*, 12(Suppl 3), s621.

VWS. (2013). Strategy of the Netherlands in the field of rare diseases. The Hague: Ministry of Health, Welfare and Sport. Entnommen am 16. Juni 2018 von

<https://www.government.nl/documents/reports/2013/01/24/strategy-of-the-netherlands-in-the-field-of-rare-diseases>

Waddington, L. (2018) Disability Assessment in European States ANED Synthesis Report. European Commission. Entnommen von

https://sid.usal.es/idocs/F8/FDO27447/ANED_2017_18_Disability_assessment_synthesis_report.pdf

ZonMw (2013). Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. Entnommen am 8. Mai 2018 von <http://www.nfu.nl/img/pdf/nationaal-plan-zeldzame-ziekten.pdf>