



Generalversammlung

Politische Kommunikation

1. April 2023

Politische Interessenvertretung

Situation

Die Niemann Pick-Krankheit ist zum heutigen Zeitpunkt nicht heilbar. Mit den bestehenden Therapie-Möglichkeiten können nur die Symptome ein Stück weit bekämpft und das Fortschreiten der Krankheit etwas verlangsamt werden. Für den Typ C gibt es verschiedene Forschungsprojekte, von denen die meisten aber noch in der Anfangsphase stecken. Die vielversprechendste Lösung für NPC, wie auch für viele andere sehr seltene Krankheiten, wäre eine kausale Gentherapie. Es ist jedoch sehr ungewiss, wann und ob eine solche Gentherapie für NPC entwickelt wird. Die Hürden bei der Entwicklung von Therapien zur Behandlung von seltenen Krankheiten (und erst recht von extrem seltenen Krankheiten) sind äusserst hoch. So ist etwa die Durchführung einer ordnungsgemässen klinischen Studie aufgrund der geringen Patientenzahl bei NP-C nahezu unmöglich. Deshalb muss die Besonderheit bei der Zulassung von Therapien zur Behandlung von ultra-seltenen genetischen Erkrankungen berücksichtigt werden. Ebenso zentral ist ein gesicherter und rascher Zugang zu neuen Therapien, wenn diese die Marktreife erlangt haben. Die aktuell laufende Diskussion um innovative Zulassungs- und Vergütungsmodelle spielt eine wichtige Rolle.

Ziel

Langfristig gesicherter Zugang zu künftigen NP-Therapien im Rahmen einer baldigen umfassenden Lösung für einen raschen Zugang zu innovativen Therapien im Bereich Seltene Krankheiten

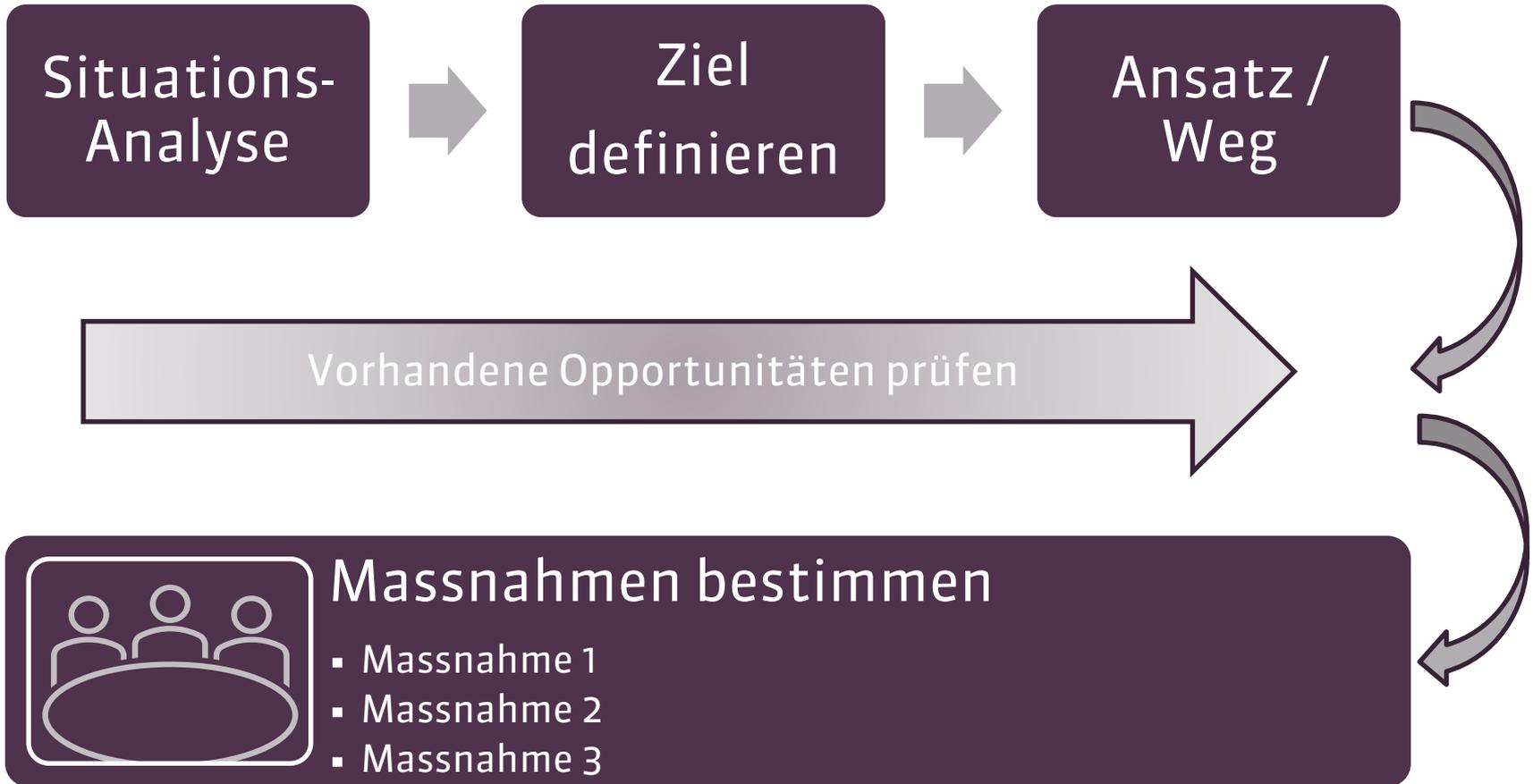
Ansatz

- Bekanntmachung der Problematik
- Förderung innovativer Vergütungsmodelle anhand von best practice-Beispielen im Austausch mit politischen Stakeholdern
- Bündelung der Kräfte der verschiedenen Stakeholder im Bereich Seltene Krankheiten. Priorisierung innerhalb der Stakeholder wie Patientenorganisationen, Leistungserbringer und Pharmaverbänden. Angesichts der laufenden Entwicklung zahlreicher neuartiger Therapien besteht grosses Interesse an der Durchsetzung neuer Vergütungsmodelle für Innovationen.
- Aktives Einbringen im Gesetzgebungs- und Umsetzungsprozess wie z.B. IV-Revision, KVV Artikel 71a - 71d

Opportunitäten

- Gute Basis aufgrund der bisherigen erfolgreichen Medienarbeit
- Dank IG Seltene Krankheiten (IGSK) nah am Puls der Entwicklungen im Bereich Seltene Krankheiten
- Vernetzung mit relevanten Stakeholdern innerhalb der IGSK
- Kontakte zu Parlamentariern innerhalb der SGK-N / SGK-S

Arbeitsweise



Vision «Sicherer Zugang zu Therapien»

Ziele

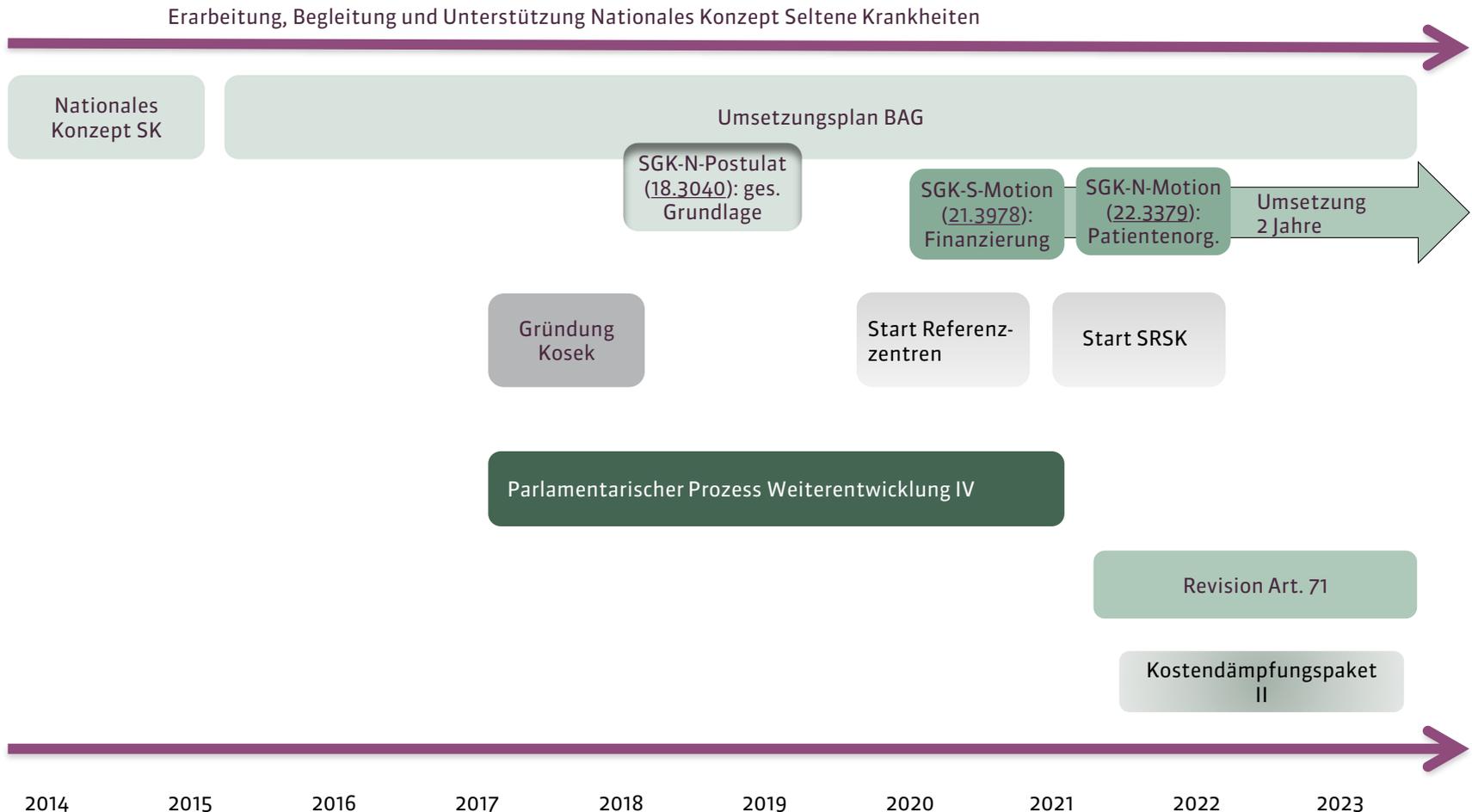
- Schnelle, unkomplizierte und sichere Erstattung von Therapien für Patienten mit seltenen Krankheiten.
- Prozesse so gestalten, dass Patienten die ihnen zur Verfügung stehenden Behandlungsmöglichkeiten rechtzeitig, d.h. ohne Verzögerung, erhalten. Verzögerung bedeutet Schaden.
- Lösungen müssen den Patienten dienen; denn diese brauchen einen schnellen und verfahrenstechnisch einfachen Zugang.
- Die Schweiz als Vorreiterin für internationale Lösungen.

Vision «Sicherer Zugang zu Therapien»

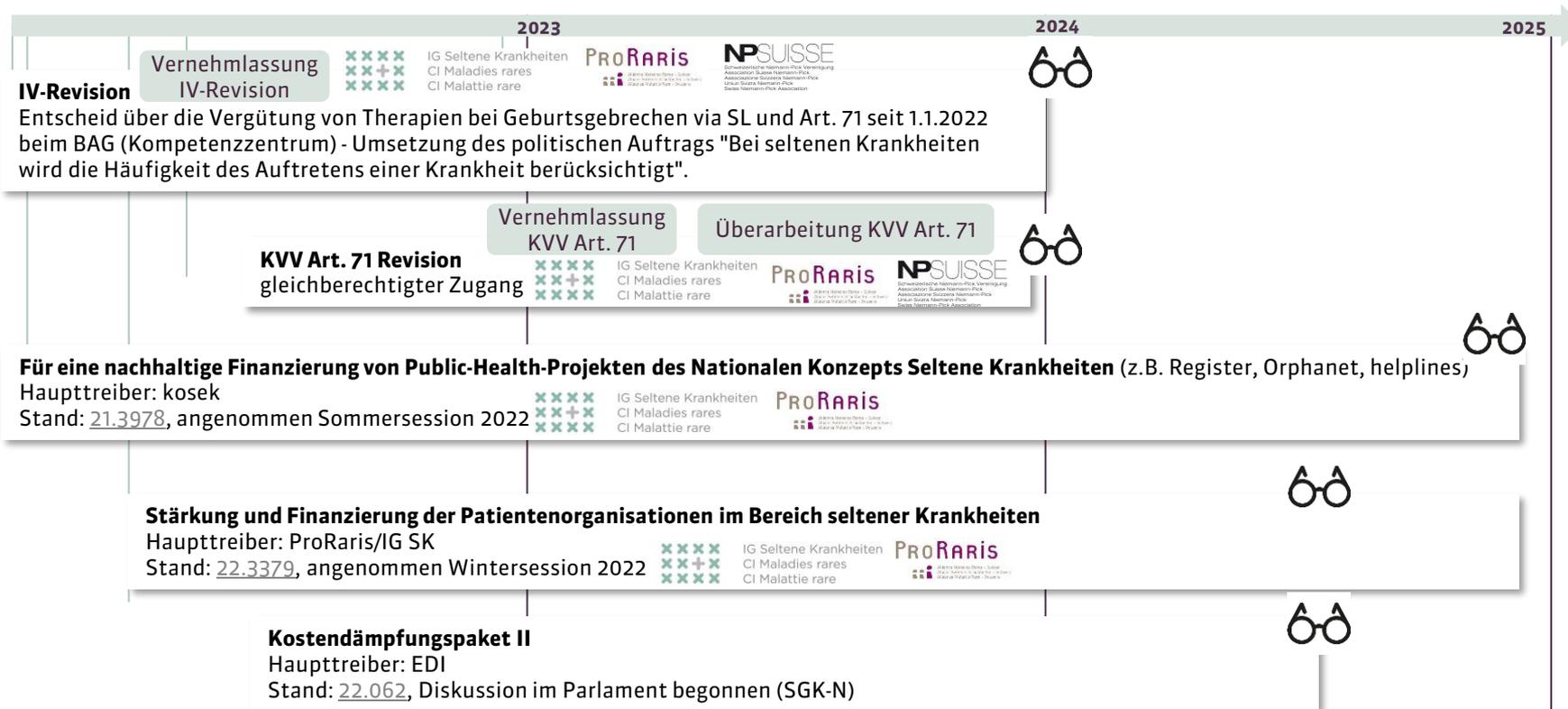
Ergebnisse

- Verbesserung des Zugangs zu Therapien und der Qualität der Versorgung.
- Schlanke und definierte Prozesse.
- Kostenübernahme und Überblick über alle Erbkrankheiten (Kinder und Erwachsene) im ganzen Land.
- Überblick über die Anzahl und Art der Fälle, damit Lehren gezogen werden können.
- Erkenntnisse wie die Entkoppelung von Preisverhandlungen vom Therapiezugang den Patientinnen und Patienten und dem Gesundheitssystem dienen kann.

Gesamtüberblick Entwicklung im Bereich Seltene Krankheiten



Politische Meilensteine Seltene Krankheiten – Stand: 1. April 2023



Seltene Krankheiten: Positionierung Organisationen

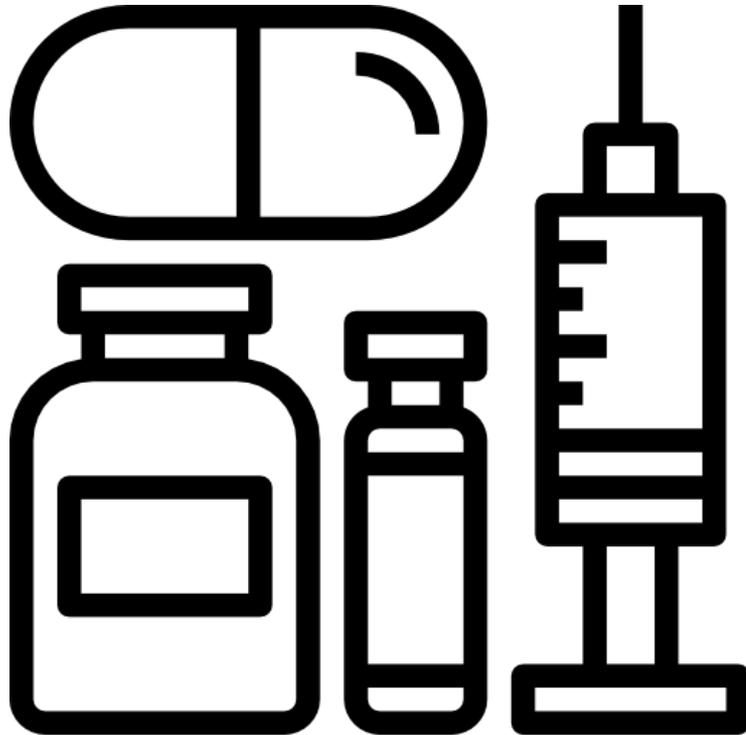


Gemeinsame Position zur Revision der Vergütung im Einzelfall (KVV Art. 71a-d)

- IG Seltene Krankheiten (IGSK): Trägerschaft der relevanten Stakeholder Seltene Krankheiten und politischer Auftrag
- ProRaris: Dachverband Patientenorganisationen und Träger IGSK
- KMSK: Förderverein und Patientenorganisation sowie Träger IGSK
- RDAF: Plattform für Patientenorganisationen und Pharmaindustrie zur Sensibilisierung und Verbesserung der Rahmenbedingungen sowie Zugang zu Therapien

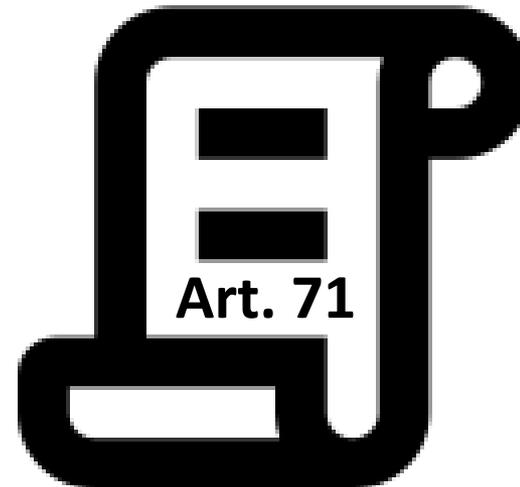
Schwerpunkte politische Arbeit 2023

- Zugang zu Therapien über KVV Art. 71
- Prüfung Integration INPD und SRDR
- Möglichkeiten Neugeborenen-Screening
- Etablierung regelmässiger Austausch mit behandelnden Ärzt:innen



**OFF-LABEL ACCESS VIA
ART. 71 FOR NP-C
PATIENTS IN CASE OF
PROMISING THERAPIES**

(likely Miglustate
replacement, Efavirenz,
Fingolimod, Tanganil)





srsk

schweizer register
für seltene krankheiten

**INTEGRATION OF
INPD REGISTER
WITH SWISS RARE
DISEASE REGISTRY**



inpdr

New Born Screening



Regular Exchange of Swiss physicians treating NP-C patients at the same time

