

Jahresbericht 2023

Liebe Mitglieder von ProRaris, sehr geehrte Damen und Herren

Mein zweites Jahr bei ProRaris war von ganz vielen verschiedenen Inhalten und Tätigkeiten geprägt. Zwei Highlights des letzten Jahres möchte ich dabei besonders hervorheben: Einerseits die verschiedenen Gespräche mit Verantwortlichen führender Pharmafirmen und Krankenversicherern. Bei den Gesprächen mit CEOs haben wir die Möglichkeit einer gemeinsamen «Partnerschaft für Patientinnen und Patienten mit seltenen Krankheiten» (PPP-SK) diskutiert. Ein zweiter Höhepunkt war der «Moving Mountains»-Anlass («Berge versetzen») von Takeda am 28. Juni 2023. Als ProRaris-Präsidentin wurde mir die Ehre zuteil, das Eröffnungsreferat zu halten. Zudem konnte ich dort mein Netzwerk zu verschiedenen wichtigen Stakeholdern erweitern und stärken.

Auch 2023 durfte ich wieder mit einem grossartigen und motivierten Vorstand zusammenarbeiten und die Neuausrichtung der Geschäftsstelle in Angriff nehmen, die nach der Kündigung unserer langjährigen Geschäftsführerin nötig wurde. Beeindruckt bin ich vom Wissen in unserer Organisation. Es ist enorm. Und auch der Wille, dass wir uns weiterentwickeln wollen, ist ungebrochen. Mein erstes und wichtigstes Ziel besteht auch 2024 darin, die schwache finanzielle Basis von ProRaris zu stärken. Trotz der Unterstützung von zahlreichen Unternehmen, für die ich mich hier von Herzen bedanken möchte, reichte unser Budget 2023 nicht aus, um ProRaris in strategisch relevanten Positionen zu verstärken. Wollen wir so wahrgenommen werden, wie der Vorstand im Frühling 2023 definiert und wie das unsere Delegierten Anfang Juni 2023 bestätigt haben, müssen wir auch 2024 mehr investieren – in unser Fundraising und damit auch in unsere Kommunikation.

Gerne halte ich an der bisherigen Tradition fest und erinnere zu Beginn des Jahresberichts an die Mission von ProRaris:

- ProRaris engagiert sich für die Sicherstellung der Gesundheitsversorgung von Menschen mit seltenen Krankheiten in der Schweiz. ProRaris setzt sich dafür ein, dass die Massnahmen des Nationalen Konzeptes für seltene Krankheiten im Sinne und zum Wohl der Patientinnen und Patienten sowie deren Familien umgesetzt werden.
- ProRaris sensibilisiert die Öffentlichkeit, Politiker, Behörden und zuständigen Institutionen für die Problematik der seltenen Krankheiten.
- ProRaris arbeitet eng mit den Patientenorganisationen und mit Patient:innen ohne eigene Organisation zusammen. ProRaris engagiert sich mit ihnen gemeinsam und für sie alle.

2023 haben wir unsere Strategie und Positionierung justiert. Unser Ziel besteht darin, die Position unseres Verbandes im Schweizer Gesundheitswesen weiter zu stärken und auszubauen.



Meine Arbeit und die des Vorstandes wäre nicht möglich ohne den beherzten Einsatz unserer Geschäftsstelle im Hintergrund. Ein herzliches Dankeschön gilt unserer ehemaligen Geschäftsführerin Dr. Jacqueline de Sá, die uns Ende 2023 auf eigenen Wunsch verlassen hat, und unserer Mitarbeiterin Sarah Menzel für deren grossen Einsatz für unseren Verband. Herzlich begrüessen möchte ich an dieser Stelle aber auch unsere beiden neuen Mitarbeiterinnen, die Anfang 2024 zu uns gestossen sind: Monika Joss als neue Geschäftsführerin und Karin Marte als wissenschaftliche Mitarbeiterin. Wir freuen uns auf Sie und auf eine tolle Zusammenarbeit für unsere wichtige Sache!

Ich wünsche Ihnen eine interessante Lektüre und freue mich auf das weitere Engagement gemeinsam mit dem Vorstand und unseren Mitgliedern zu Gunsten aller Menschen mit seltenen Krankheiten!

Viele Informationen in diesem Bericht können durch die Lektüre der entsprechenden Texte auf unserer Website ergänzt werden. Auch die aktuelle Jahresrechnung und dieser Jahresbericht werden nach Genehmigung durch die Delegierten an der DV auf der Website aufgeschaltet werden.

Yvonne Feri, Präsidentin ProRaris

1. Formelles

Mitgliedschaften

Folgende Patientenorganisationen konnten wir 2023 als neue Mitglieder aufnehmen:

- Selbsthilfe Trachealstenose
- Save Sight Now Europe
- Hopos

Wir freuen uns sehr über diesen Zuwachs und bedanken uns herzlich bei diesen Organisationen.

2. Aktivitäten

Anlass zum Tag der Seltene Krankheiten

Am 4. März 2023 organisierte ProRaris bereits den [13. Anlass zum Tag der Seltene Krankheiten](#). Getreu dem diesjährigen Motto standen während der ganzen Veranstaltung die Herausforderungen und Chancen bei der Patientenbeteiligung im Zentrum, und zwar aus verschiedenen Blickwinkeln. Die Tagung wurde zum ersten Mal von Yvonne Feri, der neuen Präsidentin von ProRaris moderiert. In der Begrüssungsrede erinnerte Yvonne Feri daran, dass dank der Motion 22.3379 nun die rechtlichen Grundlagen geschaffen werden können, um die Patientenbeteiligung monetär abzugelten. Während des langen Gesetzgebungsprozesses blieben die finanziellen Herausforderungen für ProRaris jedoch sehr hoch. Das abwechslungsreiche Programm wurde mit Beiträgen von verschiedenen Expert:innen aus den Bereichen klinische Forschung, Swissmedic und SRSK, bereichert. Wichtig waren auch die Stimmen von verschiedenen Patient:innen mit langjähriger Erfahrung als «patient experts»; das widerspiegelte sich auch in der interdisziplinär zusammengesetzten Frage- und Antwortrunde. Zum Abschluss hielt Yvonne Feri fest, dass der Mehrwert des Patienteneinbezugs unbedingt bekannter gemacht werden müsse.

Politische Aktivitäten

Im Jahr 2022 waren fundamentale Grundlagen im Rahmen des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten für die Finanzierung eingeleitet worden, sodass 2023 der Fokus auf der Schliessung von gesetzlichen Lücken lag. ProRaris unterstützte als Träger der IG Seltene Krankheiten die Initiierung oder Durchsetzung wichtiger Vorstösse im nationalen Parlament. So wurde in der Frühjahrssession 2023 im Nationalrat die Motion «[Betreuungsentschädigung. Betreuung von schwer kranken Kindern im Spital gewährleisten und die Lücke im Vollzug schliessen](#)» vom Ständerat Damian Müller (FDP/LU) mit grosser Mehrheit angenommen. Der Vorstoss fordert eine Vereinfachung bei der Erwerbsersatzordnung (EOG). Ein mindestens viertägiger Spitalaufenthalt eines Kindes soll als Bestätigung für eine schwere gesundheitlichen Beeinträchtigung ausreichen. Die entsprechende Gesetzesänderung der EOG wurde Ende Dezember 2023 in die [Vernehmlassung](#) geschickt.

Für viel Aufruhr bei den Betroffenen und in den Medien sorgte das Bundesamt für Sozialversicherung (BSV) Anfang 2023 mit einer Verordnungsänderung. Sie hatte zur Folge, dass nur noch Behandlungsgeräte vergütet wurden, die auf der sogenannten Mittel- und Gegenständeliste (MiGeL) figurieren. Politisch wurde daraufhin Ständerat Matthias Michel (FDP/ZG) aktiv. Er stellt

zusammen mit ProRaris-Präsidentin Yvonne Feri das Co-Präsidium der IG Seltene Krankheiten und reichte am 16. März 2023 die Interpellation «[Wie kann eine Versorgungslücke bei Kindern mit Geburtsgebrechen verhindert werden?](#)» ein, die am 24. April 2023 vom Bundesrat beantwortet wurde. Noch vor deren Beantwortung, und zwar am 20. April 2023, reagierte das BSV mit einer Medienmitteilung und der Ankündigung, dass die IV bis auf weiteres Zusatzkosten vergütet ([Die IV sichert die Vergütung und Qualität der Versorgung von Kindern mit Geburtsgebrechen](#)). Das BSV startete im Juni 2023 einen Runden Tisch, der darin mündete, dass es keine Überarbeitung der MiGeL gibt, sondern eine Rückkehr zur pragmatischen Vergütungslösung, die bis anhin gültig war. Die erfolgreiche Intervention zeigt beispielhaft die wichtige politische Zusammenarbeit mehrerer Akteure.

Ebenfalls im Frühling wurde die Zustimmung zur Parlamentarischen Initiative von Benjamin Roudit (Mitte/VS) [Umsetzung des Berichtes zur Evaluation der medizinischen Begutachtung in der IV](#) in der ständerätlichen Gesundheitskommission erreicht. Sie soll die vollständige Umsetzung der Empfehlungen des Evaluationsberichts bei der Vergabe von monodisziplinären IV-Gutachten ermöglichen. Kernpunkt ist das Anstreben einer Einigung bei der Bezeichnung der sachverständigen Person, die das medizinische Gutachten erstellen soll. Die Argumente der Patientenorganisationen wurden gehört.

Anfang Dezember 2023 hat der Bundesrat dann die [Vernehmlassung für die Teilrevision des Heilmittelgesetzes](#) gestartet, die bis am 22. März 2024 dauerte. Das Ziel, die Medikationssicherheit durch einen verstärkten Einsatz digitaler Instrumente zu erhöhen sowie eine klarere Regelung neuartiger Therapien vorzunehmen, ist insbesondere für Betroffene von seltenen Krankheiten wichtig. ProRaris beteiligte sich sowohl selbst an der Vernehmlassung als auch als eine der Trägerinnen der IG Seltene Krankheiten. Wichtige Punkte sind eine elektronische Ausstellung von Rezepten für Heilmittel und Medikationsplan. Künftig sollen Patient:innen einen elektronischen Medikationsplan mit Informationen über die einzunehmenden Medikamente erhalten. Aber auch mehr Arzneimittelsicherheit in der Pädiatrie, wo elektronische Systeme verpflichtend werden sollen, um Berechnungsfehler zu minimieren und die Anwendungssicherheit bei der Dosierung von Arzneimitteln zu erhöhen. Ausserdem soll der Zugang zu neuartigen Therapien sogenannten «Advanced Therapy Medicinal Products» (ATMP) klarer geregelt werden. Dazu zählen beispielsweise Gen- und Zelltherapien. Die Schweiz will ihre Bestimmungen an das EU-Recht angleichen und ein vergleichbares Sicherheitsniveau schaffen.

Arbeiten im Rahmen der Nationalen Koordination Seltene Krankheiten kosek

Im Jahr 2023 sind die diversen Projekte der kosek weiter vorangetrieben worden. ProRaris ist als Gründungsmitglied in den diversen Gremien vertreten und hat auch in diesem Jahr zahlreiche Arbeitsstunden und viel Engagement in die Projekte gesteckt.

2023 wurde die zweite Bewerbungsrunde für Referenznetzwerke und Zentren für seltene Krankheitsgruppen geöffnet. Bis zum Stichtag Ende Januar bewarb sich eine zweitstellige Anzahl

Netzwerke mit über 40 Zentren um eine kosek-Anerkennung. Weitere Netzwerke sind in Vorbereitung und haben eine Bewerbung für 2024 oder später angekündigt.

Diese hohe Anzahl an Bewerbungen ist sehr erfreulich und bedeutet, dass das Modell der Referenznetzwerke und Referenzzentren in der Versorgungslandschaft positiv aufgenommen wird. Dies wird den Betroffenen in Form von schnellerer Diagnose und qualitativ hochwertiger Versorgung zugutekommen.

Die hohe Anzahl Bewerbungen stellt die kosek, deren Expertengruppe mit unseren Patientenvertretern, die die Dossiers beurteilen müssen, vor das riesige Problem eine vier- bis fünffache Menge an Dossiers bewerten zu müssen als vorgesehen. Ursprünglich war man von zwei Netzwerken mit seinen Referenzzentren pro Bewerbungsrunde ausgegangen.

Die Expertengruppe hat sich der Herausforderung gestellt und ist mit den Zentren im Kontakt, um die Dossiers zu bewerten. Ziel ist es, Ende des dritten Quartals 2024 für weitere Krankheitsgruppen Referenznetzwerke mit Referenzzentren zu anerkennen. Eine weitere Bewerbungsrunde startet im zweiten Quartal 2024.

Aktuelle Herausforderungen, die sich für ProRaris und die kosek stellen, sind folgende:

- Es gibt noch nicht genügend Patientenorganisationen, die sich in den Netzwerken auf Augenhöhe engagieren können. Um diese Situation zu verbessern, wurde eine Arbeitsgruppe gebildet, um Empfehlungen für den Einbezug von Patientenvertretungen in den Netzwerken zu erarbeiten. Gleichzeitig diskutiert ProRaris Massnahmen, um Patientenvertreter zu fördern und zu unterstützen.
- Es fehlt weiterhin eine gesetzliche Grundlage für die Finanzierung von ProRaris, der kosek, der Fachgruppen der kosek, für Orphanet und für das Register für seltene Krankheiten. Es wurden teilweise kurzfristige Übergangsförderungen mit BAG/GDK getroffen. Diese finanzieren aber nur Teile der benötigten Kosten. Zudem laufen alle Finanzierungen aus, bevor die gesetzliche Grundlage für die Finanzierung in Kraft treten wird. Die weitere Zwischenfinanzierung ist ungelöst.

Die zögerliche Finanzierung von Seiten der öffentlichen Hand, die viele Zeit, die verstrichen ist, bis die Schaffung einer gesetzlichen Grundlage in Angriff genommen wurde, lässt uns im Moment in der Schwebe, wie lange wir diese mit viel freiwilliger Arbeit bewältigte Erfolgsgeschichte weiterschreiben können. Aktuell ist dies nur dank dem Engagement aller Involvierten möglich. Wir sind den Fachpersonen für ihr Engagement sehr dankbar. Wir von ProRaris werden uns weiterhin mit all unserer Kraft dafür einsetzen, dass die kosek-Netzwerke die Versorgung von Menschen mit seltenen Krankheiten sicherstellen und dass die Patient:innen die Netzwerke auf Augenhöhe mit den Fachpersonen weiterentwickeln können.

3. Finanzierung und Fundraising-Aktivitäten

Das Thema Finanzen war auch 2023 – wie jedes Jahr – ein zentrales Thema und eine grössere Herausforderung. Wir weisen auch in der Jahresrechnung 2023 erneut einen Verlust aus und sind daher aktuell mit dringenden Spendenaufrufen bei diversen Organisationen vorstellig. Dass wir

unsere Tätigkeiten trotzdem fortsetzen konnten, verdanken wir dem ehrenamtlichen Engagement unserer kompetenten und engagierten Mitglieder des Vorstandes und dem effizienten Einsatz der knappen Ressourcen durch die Geschäftsstelle.

Von ganzem Herzen möchten wir allen Beteiligten, aber auch all unseren Spender:innen und Unterstützer:innen danken. Die Liste für das Jahr 2023 finden Sie auf [unserer Website](#).

Zwar erhielten wir viel Anerkennung für unsere Arbeit, jedoch widerspiegelt sich dies auf unserem Kontostand leider nicht. Die Mitgliederbeiträge schaffen nur eine sehr kleine Basis, da die meisten Mitgliederorganisationen selbst mit Finanzierungsschwierigkeiten kämpfen. Daher finanziert sich ProRaris zu einem grossen Teil durch Spenden oder Kooperationsverträge. Die Mittelsuche ist aufwendig und muss mit unserer Hauptmission und den knappen personellen Ressourcen unter einen Hut gebracht werden.

Damit wir uns 2024 weiterentwickeln können, benötigen wir mehr Mittel als die, die uns heute zur Verfügung stehen. Im Unterschied zur Industrie, auf deren Innovationen Patient:innen mit einer seltenen Krankheit angewiesen sind, fehlt es uns an finanzkräftigen Investor:innen. Und im Unterschied zu den Krankenversicherern, deren Tätigkeit von gemeinnützigen Träger:innen und staatlich festgelegten Prämien (obligatorische Abgaben) finanziert werden, können wir uns für unsere Arbeit «nur» auf (freiwillige) Mitgliederbeiträge und Spenden stützen – und teilweise auf die Entschädigung für Dienstleistungen, die auf unserer Expertise und Erfahrungen aufbauen. Im Augenblick reichen unsere Einnahmen bei weitem nicht aus, um jene professionellen Strukturen zu unterhalten, die erforderlich sind, damit wir unsere Ambition auch nur annähernd umsetzen können.

Mittelfristig sind wir aber hoffnungsvoll, denn wir haben Aussicht auf Mittel aus der Bundeskasse. Zwei entsprechende Motionen, welche in der Gesundheitskommission des Nationalrats lanciert wurden und an denen unsere Präsidentin Yvonne Feri massgeblich mitgearbeitet hat, wurden letztes Jahr mit grossen Mehrheiten an den Bundesrat überwiesen.

Diese sollten die Basis legen für die Bundesunterstützung, wobei die Höhe der Unterstützung noch absolut offen ist. Es handelt sich um die Motion 21.3978 «Für eine nachhaltige Finanzierung von Public-Health-Projekten des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten» und 22.3379 «Stärkung und Finanzierung der Patientenorganisationen im Bereich seltener Krankheiten». Bis die Vorstösse umgesetzt werden, dauert es erfahrungsgemässe eine Weile, denn staatliche Mühlen mahlen in der Regel langsam. Der Bundesrat hat zwei Jahre Zeit, um die Vorstösse umzusetzen.

Unser Ziel ist es, dass ProRaris in Zukunft eine aktivere Rolle wahrnehmen und seinen Beitrag zur Weiterentwicklung des Schweizer Gesundheitswesens verstärken kann. Für ein Gesundheitswesen, in dem nicht nur ÜBER Patient:innen mit einer seltenen Krankheit geredet (und dabei oft massgeblich über deren Schicksal entschieden wird), sondern dass MIT ihnen geredet wird und ihre Expertise und Erfahrungen angemessen in die Überlegungen einbezogen werden.

4. Kommunikation

Ausbau Kommunikationsaktivitäten

Wir haben unsere Kommunikationsaktivitäten im Jahr 2023 intensiviert, um mehr Menschen mit seltenen Krankheiten zu erreichen, über Angebote und Dienstleistungen zu informieren, Betroffene zu vernetzen und schlussendlich, um mehr Aufmerksamkeit für den Bereich Seltene Krankheiten zu schaffen. Dabei haben wir sowohl die Kommunikation mit den Mitgliedern gepflegt, aber auch mehr Informationen via Website und Social Media verbreiten können. Der Ausbau der Kommunikationsaktivitäten wurde durch Fördergelder von Stiftungen ermöglicht.

5. Forschung

Auch in der Förderung der Forschung im Bereich der Seltene Krankheiten engagieren wir uns. Beispielsweise informieren wir unsere Mitglieder über Forschungsprojekte, an denen sie teilnehmen können.

Wir beteiligen uns auch am Forschungsschwerpunkt für Seltene Krankheiten der Universität Zürich ITINERARE. Unser Vize-Präsident Dr. Alfred Wiesbauer bringt seine Expertise im Advisory Board von ITINERARE ein. Ein Anliegen ist uns seit unseren Anfängen die Beteiligung der Patient:innen an den Projekten des Gesundheitswesens.

Einsatz in Arbeitsgruppen und Gremien

ProRaris engagierte sich 2023 in folgenden Gremien und Organisationen:

- Im Vorstand:
 - Koordination Seltene Krankheiten (kosek)
 - Schweizer Register für Seltene Krankheiten (SRSK)
 - Rare Disease Action Forum (RDAF)

- Als Mitglied:
 - Interessengemeinschaft Seltene Krankheiten (IGSK)
 - Arbeitsgruppe Patienten- und Konsumentenorganisationen Swissmedic
 - Eidgenössische Arzneimittelkommission (EAK)
 - Allianz Gesunde Schweiz
 - Tag der Kranken
 - Swiss Personalized Health Network (SPHN) (stimmberechtigt)
 - EURORDIS

- Im Rahmen des Nationalen Konzepts Seltene Krankheiten:
 - BAG-Koordinationsgruppe

6. Herausforderungen

Herausforderungen von Patient:innen

Eine erste Herausforderung bezieht sich darauf, dass viel zu viel über als mit den Patient:innen von seltenen Krankheiten gesprochen wird: Allen Fortschritten zum Trotz wird die Expertise und Erfahrung von Menschen mit seltenen Krankheiten immer noch zu wenig eingebunden, geschweige denn überhaupt angefragt und/oder eingefordert. Das mag damit zusammenhängen, dass vielen nicht bewusst ist, dass Betroffene und ihre Angehörigen gerade im Bereich der seltenen Krankheiten in der Regel über ein enormes Wissen verfügen. Sie bauen das mangels adäquater Hilfe und Unterstützung von Gesundheitsexpert:innen auf eigene Faust auf und werden so zu Expert:innen aus eigener Erfahrung. Diese Expertise liegt in unserem Gesundheitswesen noch zu oft brach, weil der fachliche Einbezug von Patientinnen und Patienten in unserem System schlicht nicht vorgesehen ist. Zwar wurden Patientenorganisationen in den letzten Jahren vermehrt auf politischer Ebene einbezogen, aber zu wenig und nicht als Ressource.

Eine zweite Herausforderung ist die gesetzliche Lage: Gesetzgebungsprozesse dauern in der Regel Jahre und oft auch länger als vorgesehen, zumal die gesundheitspolitischen Zeichen im Bundeshaus auf Kosteneindämmung stehen. Für Patient:innen heisst das wenig Erfolgversprechendes. Dazu kommt, dass Gesetzgebungsprozesse unberechenbar sind, weil sich die Prioritäten verschieben können, wenn z.B. die Leitung des zuständigen Departementes in neue Hände kommt. In den Sternen steht schliesslich auch, was die künftige neue EDI-Leitung für die Arzneimittelvergütung bedeutet, die aktuell ebenfalls stark diskutiert wird und bei welcher die Mitbeteiligung von Patient:innen noch viele Wünsche übriglässt. Klar ist, dass wir uns im Interesse von Patient:innen mit einer seltenen Krankheit verstärkt für einen verbesserten und gleichberechtigten Zugang zu den in Frage kommenden Arzneimitteln engagieren wollen.

Eine dritte Herausforderung sind die fehlenden Therapien von seltenen Krankheiten: Nur für etwa 5 bis 10 Prozent der Menschen mit einer seltenen Krankheit gibt es spezifische Therapien. Für uns ist daher von zentraler Bedeutung, dass Forschung und Entwicklung innovativer Medikamente für die einheimische wie ausländische Industrie eine Priorität bleiben. Gleichzeitig haben wir ein Interesse daran, dass dies den Krankenversicherer ebenfalls wichtig ist und sie bereit sind, Innovationen angemessen zu vergüten. Unsere Mitglieder sowie unsere Patient:innen sind darauf angewiesen, dass diese beiden Akteure gut und konstruktiv zusammenarbeiten und dabei einvernehmliche Lösungen finden. Ist das nicht der Fall, leiden vor allem die, um die es bei der Lösungsfindung geht – die Betroffenen.