

**Öffentliche Bekanntmachung
des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG) im Rahmen der Ressortforschung**

**„Forschung zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit
seltenen Erkrankungen“**

Veröffentlicht am 30.04.2013 auf www.bund.de

1. Ziel der Förderung

Etwa 7.000 bis 8.000 Erkrankungen der ca. 30.000 bekannten Krankheiten werden als selten eingestuft. In der Europäischen Union (EU) gilt eine Erkrankung als selten, wenn nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen in der EU von ihr betroffen sind. Schätzungen zufolge leiden etwa 4 Millionen Menschen in Deutschland an einer seltenen Erkrankung, in der gesamten Europäischen Union sind es ca. 30 Millionen. Die Seltenheit der einzelnen Erkrankungen erschwert aus medizinischen und ökonomischen Gründen häufig die Forschung und die medizinische Versorgung der betroffenen Patientinnen und Patienten. Diagnose und Therapie der Erkrankungen stellen alle Beteiligten (Betroffene, Angehörige, medizinisches, therapeutisches und pflegerisches Personal) vor besonderen Herausforderungen.

Das Bundesministerium für Gesundheit räumt den seltenen Erkrankungen einen hohen Stellenwert ein. Es hat daher 2010 gemeinsam mit dem Bundesministerium für Bildung und Forschung und der Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen (ACHSE e.V.), einem Dachverband von Selbsthilfeorganisationen aus dem Bereich seltene Erkrankungen, das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE) ins Leben gerufen (siehe auch <http://www.namse.de>). Das Aktionsbündnis soll Maßnahmen für die Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen koordinieren und Modellprojekte sowie weitere Aktionen im Bereich der seltenen Erkrankungen anstoßen. Im Rahmen des NAMSE-Prozesses haben Arbeitsgruppen in 4 Handlungsfeldern Maßnahmenvorschläge zum Informationsmanagement, zur Verkürzung der Diagnosewege, zur Versorgung in spezialisierten Zentren und zur Forschung und Entwicklung bei seltenen Erkrankungen erarbeitet.

Ziel der vorliegenden Fördermaßnahme „Forschung zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen“ des Bundesministeriums für Gesundheit ist es, durch die Förderung von Projekten neue Erkenntnisse zu gewinnen, die wesentlich zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit seltenen Erkrankungen beitragen.

2. Gegenstand der Förderung

Gegenstand dieser Bekanntmachung sind Vorhaben zu den nachfolgenden zwei Themenfeldern.

2.1. Themenfeld 1: Wissensvermittlung für Betroffene, Angehörige, medizinisches, therapeutisches und pflegerisches Personal in Form eines Informationsportals

Ein wichtiges Ziel des NAMSE-Prozesses ist es, die Aufmerksamkeit für seltene Erkrankungen in der Öffentlichkeit zu erhöhen und die Informationsmöglichkeiten für Betroffene, Angehörige, medizinisches, therapeutisches und pflegerisches Personal zu verbessern. Dies umfasst u. a. Informationen über die jeweiligen seltenen Erkrankungen, die diagnostischen und therapeutischen Möglichkeiten und damit in Zusammenhang stehende sozial- und leistungsrechtliche Fragen. Zwar gibt es im Internet bereits zahlreiche Informationsangebote; diese sind jedoch zum Teil schwer auffindbar und ihre Qualität ist nicht immer gesichert.

Im Rahmen der Bekanntmachung soll ein Konzept für ein zentrales Informationsportal für seltene Erkrankungen entwickelt werden, in dem existierende und zukünftige Informationsangebote zu seltenen Erkrankungen von einem Zugangspunkt aus erreichbar sind und von dem aus Anfragen zielgenau gesteuert werden können. Ziel ist die Bündelung aller qualitätsgesicherten Informationen zu seltenen Erkrankungen, Diagnostik, Therapie, Selbsthilfe, Versorgungseinrichtungen, Forschung, Registern etc. Dabei soll das Informationsportal keine Primärinformationen enthalten, sondern durch eine intelligente Benutzerführung auf die relevanten, qualitätsgesicherten Informationsquellen verweisen. Die Erarbeitung zielgruppenspezifischer Verweisroutinen ist integraler Bestandteil des Projekts.

Vorstellbar ist sowohl die Förderung von Verbünden aus mehreren Antragstellenden als auch von Einzelvorhaben, die alle erforderlichen Expertisen berücksichtigen und sich u. a. mit folgenden Fragestellungen befassen:

- Wie kann ein solches Informationsportal aufgebaut sein (Erarbeitung eines Konzepts)?
- Welche voraussichtlichen Kosten ergeben sich für den Aufbau und die Pflege eines solchen Portals?
- Wo kann das Informationsportal für seltene Erkrankungen langfristig angesiedelt werden?
- Welche Schritte sind notwendig, um alle relevanten Verweise (z.B. zu wissenschaftlichen Fachgesellschaften, Patientenorganisationen, Diagnostik- und Therapieeinrichtungen) zu realisieren?
- Besteht darüber hinaus Beratungsbedarf über ein zentrales Informationstelefon zusätzlich zu einem zentralen internetbasierten Informationsportal? Wenn ja, wie gestalten sich voraussichtlich die Kosten für ein solches Beratungsangebot?
- Welche Zielgruppe wird ein Informationstelefon voraussichtlich nutzen? Welche Art von Fragen werden voraussichtlich gestellt, wie gestalten sich die Antworten (Darstellung von Schnittstellen zum Informationsportal bei der Entwicklung von möglichen Verweisroutinen)?

Eine sinnvolle Fokussierung des Antrages auf die Bearbeitung einzelner zentraler Fragestellungen, z. B. zum Informationsportal oder zum Informationstelefon, ist grundsätzlich möglich. Die Bereitschaft zur Zusammenarbeit und Vernetzung aller geförderten Projekte in Themenfeld 1 wird vorausgesetzt.

Die Zusammenarbeit im Verbund ist durch Kooperationszusagen zu belegen. Die wichtigsten Akteure sind in das Projekt einzubinden. Mit dem Antrag ist ein Nachhaltigkeits- und Finanzierungskonzept für den Ausbau und die Pflege des Portals nach Ende der Bundesförderung vorzulegen.

2.2 Themenfeld 2: Innovative sektorübergreifende Netzworkebildung im Bereich seltener Erkrankungen

Menschen mit seltenen Erkrankungen und unklaren Diagnosen sind gleichermaßen auf eine spezialisierte und auf ihre Bedürfnisse zugeschnittene Patientenversorgung angewiesen. Obgleich in den krankheits- oder krankheitsgruppenspezifischen Fachzentren bereits vielfach die notwendige Expertise vorhanden ist, fehlt bisher ein bedarfsorientiertes Konzept für eine sektorübergreifende Vernetzung der Akteure.

In diesem Themenfeld werden daher Forschungsansätze gefördert, die die sektorübergreifende Vernetzung verbessern und dabei die intensive multiprofessionelle bzw. multidisziplinäre Betreuung der Patientinnen und Patienten in den Mittelpunkt stellen.

Im Rahmen von konkreten Forschungsprojekten sollen Erkenntnisse generiert werden, wie kooperative vernetzte Versorgungsstrukturen für Menschen mit seltenen Erkrankungen und unklaren Diagnosen unter Berücksichtigung der beteiligten Institutionen und Professionen gestaltet sein müssen, um eine effiziente und an den Bedürfnissen der Betroffenen orientierte Verbesserung der gesundheitlichen Situation zu realisieren.

Darunter fallen auch Forschungsansätze, die innovative Konzepte zu krankheits- und sektorübergreifenden Strukturen (z. B. Betreuung von Patienten mit unklarer Diagnose und ihren Angehörigen, die psychosoziale Betreuung von Menschen mit seltenen Erkrankungen, Lotsen) erarbeiten und modellhaft erproben.

Beispiele für mögliche Vorhaben im Themenfeld 2 sind:

- Erarbeitung und modellhafte Implementierung eines Konzepts zur verbesserten Unterstützung von Patientinnen und Patienten mit unklaren Diagnosen.
- Modellprojekte, die den Diagnoseweg vom Erstkontakt beim Primärversorger bis zum Fachzentrum und wieder zurück zum Primärversorger aufzeigen und hierbei Faktoren identifizieren, die die Diagnosefindung verzögern oder erleichtern.
- Modellprojekte, die die Zusammenarbeit von Fachzentren für seltene Erkrankungen mit niedergelassenen Hausärzten und Kinderärzten (Primärversorgern) fördern. Hierbei sollen auch die Bedarfe und Möglichkeiten der Zusammenarbeit untersucht werden.
- Konzeptentwicklung und modellhafte Erprobung zur Ausgestaltung einer Lotsenfunktion innerhalb der spezialisierten Zentren sowie mit weiteren relevanten Einrichtungen.
- Identifikation und Bewertung bestehender telemedizinischer Angebote im Bereich Seltener Erkrankungen in Deutschland.

Dabei können nur solche Projekte gefördert werden, die einen sektorübergreifenden Ansatz verfolgen und zudem die folgenden Kriterien erfüllen:

- Beteiligung der relevanten Akteure aus der ambulanten und stationären Patientenversorgung
- enge Zusammenarbeit mit Patienten- und Selbsthilfeorganisationen

- Schaffung von Kompetenz durch gezielte Information der betroffenen Patientinnen und Patienten sowie aktive Aufklärungsarbeit in der Öffentlichkeit
- Berücksichtigung der vom EU-Sachverständigenausschuss für seltene Erkrankungen (EUCERD) erarbeiteten Empfehlungen zu den Qualitätskriterien für Fachzentren und den Europäischen Referenznetzwerken im Bereich seltener Erkrankungen (http://www.eucerd.eu/?page_id=13).

Innerhalb der Kooperationsstrukturen müssen Verfahren, Verantwortlichkeiten und Kommunikationswege klar definiert sein. Mit dem Antrag ist eine Zusage der Kooperationspartner über die beabsichtigte Zusammenarbeit vorzulegen.

Der Aufbau neuer Zentren sowie der Betrieb bereits bestehender Strukturen kann hingegen nicht gefördert werden.

Projektübergreifende Zusammenarbeit

Die Bereitschaft zur Zusammenarbeit und Vernetzung mit weiteren Projekten, die im Rahmen des NAMSE-Prozesses gefördert werden, wird vorausgesetzt.

Projektbegleitende Evaluation

Alle eingereichten Projekte und Forschungsvorhaben müssen ein Evaluationskonzept beinhalten, mit dem insgesamt dargestellt werden kann, welchen Einfluss die Maßnahmen in dem jeweiligen Vorhaben auf patientenrelevante Endpunkte wie bspw. Zufriedenheit und Lebensqualität der Patientinnen und Patienten sowie zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Patienten mit seltenen Erkrankungen bzw. unklaren Diagnosen haben.

Es ist geplant, die Wirkung der Maßnahmen dieses Förderschwerpunkts auch im Rahmen des NAMSE-Prozesses übergreifend zu evaluieren. Eine Bereitschaft zur Zusammenarbeit mit diesem Evaluationsprojekt ist unabdingbar.

Von der Förderung im Rahmen dieser Ausschreibung ausgenommen sind

- Vorhaben, die sich nur auf ein Krankheitsbild beziehen und dabei kein Übertragbarkeitskonzept auf andere seltene Erkrankungen vorsehen.
- Projekte, die ausschließlich die Implementierung von bereits anderweitig erarbeiteten Projektergebnissen zum Inhalt haben.
- Projekte, an deren Ergebnissen z.B. Unternehmen der gewerblichen Wirtschaft ein unmittelbares wirtschaftliches Interesse haben.

- Klinische Studien zum Wirksamkeitsnachweis (efficacy) von Arzneimitteln, Behandlungen, operativen Verfahren, Medizinprodukten und neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden. Hierzu zählen auch Studien zum Vergleich der Wirksamkeit z. B. zweier Operationstechniken oder Therapien. Ebenfalls nicht gefördert werden können klinische Phase IV Studien zur Pharmakovigilanz.
- Studien zur ausschließlichen Prüfung der Sicherheit von Medizinprodukten und in-vitro Diagnostika sowie entsprechende Studien zur Nutzenbewertung.
- Studien zur Spezifität oder Sensitivität diagnostischer Test und Verfahren.
- Studien zur frühen Nutzenbewertung gemäß dem Gesetz zur Neuordnung des Arzneimittelmarktes (AMNOG).
- Health-Technology-Assessment- Berichte (HTA), Metaanalysen und systematische Reviews.
- Anlage neuer Register oder Aufbau neuer Langzeit-Kohorten sowie insgesamt die Förderung laufender Aktivitäten.
- Die Umsetzung baulicher Maßnahmen sowie die reine Anschaffung von Geräten und Ausstattung.
- Initiativen von Privatpersonen sowie individuelle Hilfen an Betroffene.

3. Zuwendungsempfänger

Antragsberechtigt sind Träger und Einrichtungen des Gesundheitswesens, gemeinnützige Körperschaften (z.B. eingetragene Vereine, Stiftungen und gemeinnützige GmbHS), Körperschaften des öffentlichen Rechts (z. B. staatliche und nichtstaatliche Hochschulen, außeruniversitäre Forschungseinrichtungen) sowie ausnahmsweise auch Forschungsinstitutionen, die den Status eines Unternehmens der gewerblichen Wirtschaft haben. Forschungseinrichtungen, die gemeinsam von Bund und Ländern grundfinanziert werden, kann nur unter bestimmten Voraussetzungen eine Projektförderung für ihren zusätzlichen Aufwand bewilligt werden.

4. Fördervoraussetzungen

Ein Eigeninteresse wird vorausgesetzt. Dieses ist durch die Einbringung einer Eigenleistung in Höhe von mindestens 10% der in Zusammenhang mit dem Projekt stehenden Ausgaben zu erbringen.

Die Auswahl erfolgt in einem offenen Wettbewerb unter Hinzuziehung von externen Expertinnen und Experten nach den im Folgenden genannten Förderkriterien. Die Kriterien werden für die einzelnen Themenfelder teilweise unter 2. spezifiziert.

Methodische Qualität und Machbarkeit

Der Antrag muss von hoher methodischer Qualität sein. Es ist zu belegen, dass die gewählten Endpunkte in den jeweiligen Vorhaben geeignet sind, um in der Gesamtförderdauer von zwei Jahren (siehe 5. Umfang der Förderung) belastbare Aussagen zu den gewählten Zielgrößen zu erreichen. Dementsprechend muss der Arbeits- und Zeitplan realistisch und in der Laufzeit des Vorhabens durchführbar sein.

Aussagekraft der geplanten Evaluation

Das innerhalb der Projekte vorgesehene Evaluationskonzept muss schlüssig und nachvollziehbar sein. Ggf. erforderliche Expertise ist in das Projekt einzubeziehen.

Relevanz und Nutzen für die Versorgung

Die in den Vorhaben zu untersuchenden Themen müssen wichtige Problembereiche in der Versorgung darstellen, deren Bearbeitung von hoher Dringlichkeit und Aktualität ist. Die Umsetzung der Ergebnisse in die Versorgung und ihre Verwertungsmöglichkeiten sind darzustellen.

Forschungsinfrastruktur

Um die angesprochenen Themenfelder zielführend zu bearbeiten, muss ggf. der Zugang zu entsprechenden Versorgungseinrichtungen bzw. der Zugriff und Nutzungsmöglichkeiten notwendiger Sekundärdaten geklärt sein. Es ist eine Zusage der Kooperationspartner über die beabsichtigte Zusammenarbeit vorzulegen.

Expertise und Vorerfahrungen

Die Antragsteller müssen durch einschlägige Erfahrungen und Vorarbeiten zur Thematik ausgewiesen sein.

Gender Mainstreaming

Aspekte des Gender Mainstreamings sind angemessen zu berücksichtigen. Alternativ ist zu begründen, wenn Gender Mainstreaming für die Bearbeitung des Auftrags keine Bedeutung hat.

Nachhaltigkeitskonzept

Der Antrag muss darstellen, wie die Nachhaltigkeit zur Fortführung und dauerhaften Verankerung der wirksamen Maßnahmen im Bereich der seltenen Erkrankungen nach Ablauf des Projektes gesichert ist.

5. Umfang der Förderung

Für die Förderung kann über einen Zeitraum von bis zu 24 Monaten eine nicht rückzahlbare Zuwendung im Wege der Projektförderung gewährt werden. Insgesamt stehen bis zu 2.200.000 Euro für zwei Jahre zur Verfügung. Spätester Projektbeginn ist der 1.12.2013. Zuwendungsfähig sind der vorhabenbedingte Mehraufwand wie Personal-, Sach- und Reisemittel sowie (ausnahmsweise) projektbezogene Investitionen, die nicht der Grundausstattung der Antragstellerin bzw. des Antragstellers zuzurechnen sind. Aufgabenpakete können auch per Auftrag an Dritte vergeben werden. Nicht zuwendungsfähig sind Ausgaben für grundfinanziertes Stammpersonal.

Die Vergabe von Fördermitteln erfolgt nach Maßgabe der Verwaltungsvorschriften zu §§ 23 und 44 der Bundeshaushaltsordnung (BHO). Bestandteile der Zuwendungsbescheide werden für Zuwendungen auf Ausgabenbasis die Allgemeinen Nebenbestimmungen für Zuwendungen zur Projektförderung (ANBest-P). Ein Anspruch des Antragstellers auf Gewährung einer Zuwendung besteht nicht. Vielmehr entscheidet das Bundesministerium für Gesundheit aufgrund seines pflichtgemäßen Ermessens im Rahmen der verfügbaren Haushaltsmittel.

6. Hinweis zu Nutzungsrechten

Es liegt im Interesse des Bundesministeriums für Gesundheit (BMG), Ergebnisse des Vorhabens für alle Interessenten im Gesundheitssystem nutzbar zu machen. Für die im Rahmen der Förderung erzielten Ergebnisse und Entwicklungen liegen die Urheber- und Nutzungsrechte zwar grundsätzlich beim Zuwendungsempfänger, in Ergänzung haben jedoch das BMG und seine nachgeordneten Behörden ein nicht ausschließliches, nicht übertragbares, unentgeltliches Nutzungsrecht auf alle Nutzungsarten an den Ergebnissen und Entwicklungen des Vorhabens. Das Nutzungsrecht ist räumlich, zeitlich und inhaltlich unbeschränkt. Diese Grundsätze gelten auch bei Verkauf des Nutzungsrechts an Dritte. In Verträge mit Kooperationspartnern bzw. entsprechenden Geschäftspartnern ist daher folgende Passage aufzunehmen: "Dem BMG und seinen nachgeordneten Behörden wird ein nicht ausschließliches, nicht übertragbares, unentgeltliches Nutzungsrecht an den Ergebnissen

und Entwicklungen des Vorhabens eingeräumt. Das Nutzungsrecht ist räumlich, zeitlich und inhaltlich unbeschränkt."

7. Verfahren

7.1. Zuständigkeit

Mit der Abwicklung der Fördermaßnahme hat das BMG den

Projektträger im DLR

- Gesundheitsforschung -

Heinrich-Konen-Straße 1

53227 Bonn

Tel: 0228-3821-1164

Fax: 0228-3821-1257

projekttraeger-bmg@dlr.de

beauftragt. Es wird empfohlen, bei Rückfragen zur Antragsberatung mit dem Projektträger Kontakt aufzunehmen.

7.2. Förderverfahren

Das Förderverfahren ist zweistufig angelegt, es findet aber nur ein fachlicher Begutachtungsschritt unter Beteiligung externer Expertinnen und Experten statt.

In der ersten Stufe sind beim Projektträger im DLR zunächst strukturierte Vorhabensbeschreibungen zusammen mit Vorhabensübersichten

bis spätestens zum 15.07.2013

in elektronischer und nachträglich innerhalb von sieben Tagen in schriftlicher Form auf dem Postweg einzureichen (Verfahren der elektronischen Antragstellung siehe unten). Die vorgelegten Anträge werden unter Hinzuziehung eines unabhängigen Gutachterkreises unter Berücksichtigung der unter 4. Fördervoraussetzungen genannten Kriterien bewertet. Auf der Grundlage der Bewertung werden dann die für eine Förderung geeigneten Vorhaben ausgewählt. Das Auswahlresultat wird den Interessentinnen und Interessenten schriftlich mitgeteilt. Die Antragstellenden haben keinen Rechtsanspruch auf Rückgabe einer eingereichten Vorhabensbeschreibung.

7.2.1. Vorlage förmlicher Förderanträge und Entscheidungsverfahren

In der zweiten Verfahrensstufe werden die Antragstellerinnen und Antragsteller bei positiv bewerteten Vorhabensbeschreibungen unter Angabe eines Termins aufgefordert, einen Formantrag auf Förderung durch das BMG vorzulegen, über den nach abschließender Prüfung entschieden wird.

7.2.2. Verfahren der elektronischen Antragstellung

Die Anforderungen an die Vorhabensbeschreibung sind in einem Leitfaden für Antragsteller niedergelegt, der im Internet unter <http://www.dlr.de/pt/desktopdefault.aspx/tabid-3213/> abrufbar ist. Vorhabensbeschreibungen, die den dort niedergelegten Vorgaben nicht entsprechen, können nicht berücksichtigt werden.

Die **Antragstellung** erfolgt **elektronisch** über das Internet-Portal **pt-outline** (<https://www.pt-it.de/ptoutline/se2013>). Im Portal ist die Vorhabensbeschreibung im PDF-Format hochzuladen. Darüber hinaus wird hier aus den Eingaben in ein Internetformular eine Vorhabensübersicht generiert. Damit die elektronische Version der Vorhabensübersicht und der Vorhabensbeschreibung Bestandskraft erlangen, müssen beide Dokumente nach erfolgter elektronischer Antragstellung in Papierform mit der Unterschrift des Projektleiters bzw. Koordinators oder der Projektleiterin bzw. der Koordinatorin beim Projektträger eingereicht werden. Aus der Vorlage eines Antrags kann kein Recht auf Förderung abgeleitet werden.

Diese Bekanntmachung tritt am Tag der Veröffentlichung unter www.bund.de in Kraft.

Bonn, den 23.04.2013

Bundesministerium für Gesundheit

Im Auftrag

Dr. Birgit Schnieders