



EUROTERV PROJEKT

A RITKA BETEGSÉGEK II. NEMZETI KONFERENCIÁJA
2011. NOVEMBER 16.-17.

ORSZÁGJELENTÉS A 2010. ÉVI I. NEMZETI EUROTERV KONFERENCIÁRÓL

Süliné Vargha Helga
MTA doktora

www.eurordis.org

www.rirosz.hu

EURÓPAI TANÁCS AJÁNLÁSAI

A TAGÁLLAMOKNAK AJÁNLIJUK

Nemzeti Terv létrehozását **azzal a céllal**, hogy biztosítva legyen a ritka betegségben szenvedők minőségi ellátása, beleértve a diagnosztikákat, a kezeléseket, rehabilitációkat és - ha lehetséges - **hatékony árva gyógyszereket**, és különösen azt, hogy:

(a) legkésőbb 2013 végéig kerüljön kidolgozásra és elfogadásra

(b) átfogó megközelítés legyen a helyi, a regionális és a nemzeti szintű döntéshozók bevonásával

(c) korlátozott számú elsőbbségi lépések konkrét célkitűzésekkel és nyomon követési mechanizmussal;

(d) vegyék figyelembe a nemzeti szinten mérvadó hatóságok útmutatásait és ajánlásait.

A 2010. évi I. Nemzeti Euroterv Konferencia (2010.10.15.-16.)

1. Szekcióülés A ritka betegségek területére vonatkozó tervek és stratégiák
 2. Szekcióülés A ritka betegségek kódolása és jegyzékbe vétele
 3. Szekcióülés Információ és képzés Magyarországon
 4. Szekcióülés Laboratóriumi diagnosztika, szűrés, korai intervenció
 5. Szekcióülés A ritka betegségekkel kapcsolatos kutatás
 6. Szekcióülés A RB-vel foglalkozó szakértői központok és európai referenciahálózatok
 7. Szekcióülés Az "árva" gyógyszerek és kezelési eljárások
 8. Szekcióülés A betegképviselői szervezetek szerepének növelése
- Záró plenáris ülés Összegzés, a szekcióülések eredményei, a végső Uniós beszámoló megvitatása

POLKA vitafórumok

1. A RB-RE VONATKOZÓ NEMZETI TERV KIDOLGOZÁSA ÉS IRÁNYÍTÁSA

Tevékenységek	Indikátorok	Indikátor típusa	Válasz - 2010	
Rendelet/ törvény	1.1	Rendeletek/törvények, a RB Tervének létrehozására	Folyamat	Nincs
	1.2	Nemzeti/regionális	Folyamat	Nem releváns
Koordinációs mechanizmusok	1.3	Koordinációs mechanizmus	Folyamat	Nincs
	1.4	Szakértői tanácsadó testület	Folyamat	Létező, részben működő
Külső felügyelő szerv	1.5	Külső felügyeleti, végrehajtási testület	Folyamat	Nincs
A széleskörűség fokozása	1.6	A Tervben előforduló prioritási területek száma	Folyamat	Nem releváns
Költségvetési alap	1.7	A Terv költségvetése	Folyamat	Nincs

JAVASLATOK - A RB-RE VONATKOZÓ NEMZETI TERV KIDOLGOZÁSA - 2010

1.1. RB-re vonatkozó rendeletek, törvények –

- **RB** egészségügyi és szociális ellátására **jogszabályi keret létrehozása**

1.2. Nemzeti/regionális szabályozás –

1.3. Koordinációs mechanizmus –

- A Minisztérium jelölje ki a Tervért felelős **szervező bizottságot (SzB)**

SzB – rendszeres üléselés

évenként nyilvános jelentés

- **Döntési jogkörrel rendelkező, felelős koordinátor** kijelölése

1.4. Létezik szakértői testület, de csak részben működő

1.5. Külső felügyelet –

- **SzB-től független külső ellenőrző testület** kijelölése

1.6. Prioritások – meghatározása

1.7. Költségvetés – hozzárendelése

2. A RB MEGFELELŐ MEGHATÁROZÁSA, KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típusa	Válasz - 2010
Hivatalosan elfogadtatni az EB RB meghatározását: < 5 /10000 lakos	2.1	Az Európai Bizottság RB definíciója elfogadott	Folyamat	Igen
A népegészségügyi ellátásba kerüljön beépítésre az elérhető legjobb RB osztályozási módszer	2.2.	Az egészségügyi rendszerben használt osztályozás típusa	Folyamat	BNO-10
	2.3.	Szakpolitikák kidolgozása: az ellátás információs rendszerei felismerjék a RB-et	Folyamat	Nincs , ill. nem igazán rendezett
A betegségek jegyzékén alapuló felügyeleti rendszer felállítása	2.4.	Jegyzékbevételi tevékenység	Folyamat	Különböző nem standardizált RB jegyzékek
	2.5.	A bevont betegségek száma	Eredmény	26

JAVASLATOK - A RB KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE - 2010

2.1. RB meghatározás EU szerint –

- A hivatalos EU RB definíció ($\leq 5/10000$) **kötelező** használata

2.2. BNO 10 –

- Részvétel a BNO10 felülvizsgálatában **BNO11** azonnali alkalmazásához

2.3. Szakpolitikák kidolgozása hogy az ellátás információs rendszerei felismerjék a RB-et –

- **RB** helyzetének **tudatosságát** növelni a nemzeti **egészségügyi ellátásban**
- Megfelelően felkészített **szakemberek** a RB felismerésére és kódolására
- **RB finanszírozásának átalakítása** a megfelelő kódoláshoz
- **Adatgyűjtés, adatmegosztás** ösztönzése

2.4. 2.5. Jegyzékbevételi tevékenység –

- **RB nemzeti regiszter** létrehozása,
- a magyar adatbázis – **VRONY** - **kiegészítése, Orphanet adatbázisba integrálása**
- a teljes **Orphanet adatbázis magyar nyelven** való elérhetőségének biztosítása.
- a különböző osztályozó rendszerek közötti **kereszt-hivatkozás biztosítása** európai kezdeményezésekkel való összehangoláshoz (pl. az Orpha-kód)
- **A bevont betegségek száma: 26**

3. INFORMÁCIÓ ÉS KÉPZÉS MAGYARORSZÁGON

Tevékenységek		Indikátorok	Indikátor típusa	Válasz - 2010
Szakemberek és betegek számára biztosított információs helyek létrehozása	10.1.	A kormány által kidolgozott nemzeti/regionális RB-vel kapcsolatos információs rendszer	Folyamat	Igen, kezdeti stádiumban
	10.2	Segélyvonalak/ szakemberek	Folyamat	Nincs
	10.3	Segélyvonalak/betegek	Folyamat	Nincs
	10.4	Klinikai útmutatók	Eredmény	17
Továbbképzés, oktatási kampány a szakemberek és betegek körében	10.5	A Terv által biztosított ilyen tevékenységek száma	Eredmény	Nem releváns

JAVASLATOK - INFORMÁCIÓ ÉS KÉPZÉS MAGYARORSZÁGON - 2010

10.1. Információs rendszer

➤ *(OSZMK ritka betegségek honlapjának korszerűsítése)*

Orphanet struktúrájával, céljaival harmonizáló információs regiszter - magyarul lehetőleg az eredeti Orphanet honlapon.

10.2. – 10.3. Segélyvonalak

➤ **információs és segélyvonal** kezelőszerv létrehozása

➤ információ minőségbiztosítása

➤ csatlakozás az **európai ingyenes hívószámhoz** (116)

10.4. – Klinikai útmutatók

➤ **betegutak** pontos kijelölése

10.5. – Továbbképzés, oktatás

➤ **RB tájékoztató kiadványai** szerkesztésének és terjesztésének **támogatása**

➤ középiskolákban, egyetemeken figyelemfelhívó előadások

➤ **betegszervezetek** számára megjelenési lehetőség a kötelező orvosi szakmai

továbbképzéseken, releváns konferenciákon. (pl. poszter, előadás, szóróanyag)

4. LABORATÓRIUMI DIAGNOSZTIKA, SZŰRÉS, KORAI INTERVENCIÓ

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típus	Válasz - 2010
Szűrési eljárás mód kialakítása	8.1	Az újszülöttek szűrő programjában szereplő betegségek száma	Eredmény	26
	8.2	Az olyan betegségek száma, melyek megfelelően kiértékelt újszülött kori szűrő programban szerepelnek	Eredmény	26
A RB diagnosztikai laboratóriumok minőségbiztosítása	8.3	Nyilvános jegyzék(ek) a RB genetikai tesztheiről	Folyamat	Tárgyalás
	8.4	Azon laboratóriumok aránya, amelyekben legalább egy, külső minőségbiztosító által minősített diagnosztikai tesztet végeznek	Eredmény	20 %

JAVASLATOK - LABORATÓRIUMI DIAGNOSZTIKA, SZŰRÉS, KORAI INTERVENCIÓ

2010

8.1.-8.2. Szűrési eljárás mód –

- **Orphanet regisztráció** és ezt megelőző **magyar harmonizáció**
- Diagnosztikai protokollok átvétele
- Genetikai vizsgálatok jobb elérése
- Határokon átívelő egészségügyi ellátás mechanizmusának egyszerűsítése

8.3.-8.4. A RB diagnosztikai laboratóriumok minőségbiztosítása

- Hazai genetikai **regiszter**
- Laboratóriumok és tanácsadók **akkreditációja nemzetközi szabvány szerint**
- Laboratóriumokat **ellenőrző szakfelügyeleti rendszer**

5. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típusa	Válasz - 2010
RB kutatási programok kiépítése	3.1	Létező nemzeti/ regionális kutatási programok	Folyamat	Általános kutatási pályázatokban
	3.2	RB kutatási program monitorozása	Folyamat	Részben megvalósítva
	3.3	Évente jóváhagyott RB kutatási projektek száma (évente, a terv kezdete előtti évtől kezdve)	Eredmény	Nincs elkülönített nyilvántartás
	3.4	Közfinanszírozással támogatott klinikai kísérletek	Eredmény	Nincs
	3.5	Csatlakozás az E-RARE programhoz	Folyamat	Folyamatban
	3.6	Közegészségügyi és szociális kutatások bevonása a RB területén	Folyamat	Részben
	3.7	Kutatási platformokat létrehoznak a kutatási programok	Folyamat	Igen

Nemzeti politika fiatal tudósok támogatására RB területén	3.8	Speciálisan ritka betegségek területén való munkára toborzott fiatal tudósok száma évente	Folyamat	Nincs nyilvántartva
Pénzügyi alapok RB kutatási programokra	3.9	Vannak speciális RB kutatásokra elkülönített közpénz alapok	Folyamat	Nincs
	3.10	A terv kezdete óta évente speciálisan RB kutatások/ tevékenységek/ projektekre irányított pénzügyi alapok	Eredmény	Nem releváns

JAVASLATOK – A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS - 2010

3.1-3.7. RB kutatási programok kiépítése –

- RB-kel kapcsolatos **nemzeti kutatási programok**
- Kutatási prioritások** meghatározása
- RB kutatására technikai platformok és infrastruktúra kialakítása, klinikai kutatások, szociális kutatások, stb.
- Több központú nemzeti, és nemzetközi kutatások
- Betegszervezetek számára** folyamatos szakmai **tájékoztatás**

3.8. Nemzeti politika fiatal tudósok támogatására RB területén

- RB-kel foglalkozó **ösztöndíjpályázat** – állami vagy magánszféra

3.9. 3.10. Pénzügyi alapok RB kutatási programokra –

- Szakértői központok finanszírozása** pályázati úton
- Betegszervezetek** részéről is legyenek meghirdetett **RB kutatási pályázatok**
- **betegszervezetek támogatási forrásának** megteremtése
- E-RARE** nemzeti támogatása

6. A RB-KEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típusa	Válasz - 2010
<p>Az egészségügyi ellátás javítása:</p> <p>RB és a betegutak terén tapasztalattal rendelkező központok kijelölése:</p> <p>→ korai diagnózis</p> <p>→ jobb kezelés</p>	4.1	Szakértői központok alapítására irányuló politika nemzeti/regionális szinten	Folyamat	Nincs
	4.2	Az ország politikájában meghatározott tudásközpontok száma	Eredmény	hivatalosan 0 informálisan kb. 8
	4.3	Szakértői központokban nyomon követett ritka betegséggel élők csoportjai	Eredmény	A legtöbb ritka betegséget lefedi
	4.4	A Tanács ajánlásai bevezetésének d) paragrafusában meghatározott standardokat betartó szakértői központok	Eredmény	0 %
	4.5	A nemzeti/regionális tudásközpontok részvétele az Európai Referenciahálózatokban	Eredmény	kb. 10 %

JAVASLATOK – A RB-KEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK - 2010

4.1.- 4.4. Szakértői és gondozó központok, genetikai tanácsadók és laboratóriumok kijelölése -

- hivatalos **akkreditációs eljárás kidolgozása (pályázat útján)**
- **nyilvánosságra hozatala (OSzMK honlap)**
- elkülönült **finanszírozása**
- **minőségbiztosítása** külső felügyeleti szerv által
- **civil** szervezetek bevonása
- **RB** Országos, Habilitációs, Fejlesztő és Szolgáltató **Centrum** létrehozása
RIROSZ bevonásával (Középeurópai Centrum?)

4.5. A nemzeti/regionális tudásközpontok részvétele az Európai Referenciahálózatokban –

- EU-s programokhoz való csatlakozás
- határokon átívelő egészségügyi ellátás

7. „ÁRVA” (ORPHAN) GYÓGYSZEREK (ÁGY-K) ÉS KEZELÉSI ELJÁRÁSOK

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típus	Válasz - 2010
Azon mechanizmus biztosítása, amely az EMA forgalomba hozatali engedélyét követően megkönnyíti az ÁGy-hez való hozzájutást, és a betegek részéről felmerült költségek megtérítését	7.1	Az EMA ÁGy forgalomba hozatali engedélyek, és a behozott termékek száma	Eredmény	70 %
	7.2	EMA által kiadott engedély és a hazai forgalomba hozatal közti idő	Eredmény	0-10 nap
	7.3	Forgalomba hozatal és az állami forrásokból történő támogatásra vonatkozó döntés meghozatala közti idő	Eredmény	= 90 nap > 90 nap
	7.4	A 100 %-ban támogatott ÁGy száma	Eredmény	33
Az ÁGy-hez való hozzájutást gyorsító mechanizmusok	7.5	Kormányzati program a RB engedélyezés előtti kezeléséhez	Eredmény	Nincs

JAVASLATOK –„ÁRVA” GYÓGYSZEREK ÉS KEZELÉSI ELJÁRÁSOK -2010

7.1-7.4. Az ÁGy-hez való hozzájutás, és a betegek részéről felmerült költségek

- Az ÁGy-hez való hozzáférés elősegítése a méltányossági eljárás egyszerűsítésével és gyorsításával
- ÁGy centrumok kialakítása

7.5. Kormányzati program a RB engedélyezés előtti kezeléséhez

- Az indikáción kívüli gyógyszerekhez való hozzáférés elősegítése az eljárás egyszerűsítésével és gyorsításával

8. A BETEGKÉPVISELETI SZERVEZETEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE

Tevékenységek	Indikátorok		Indikátor típusa	Válasz - 2010
RB egyesületeket képviselő betegszervezet	5.1.	RB-t átfogó szervezetek száma	Folyamat	1
	5.2	RB szervezetek nyilvántartása	Folyamat	Igen
	5.3	Betegszervezetek száma	Eredmény	35
	5.4	Betegszervezettel lefedett betegségek száma	Eredmény	kb. 100
Az RB-ket érintő döntésekbe bevont betegszervezetek	5.5	Betegképviselők a tervezésben, ellenőrzésben és értékelésben	Folyamat	Tervbe véve
	5.6	Betegszervezetek részvétele az RB kutatási stratégiákban	Folyamat	Esetleges
	5.7	A betegszervezetek részvétele az RB szakértői központok kijelölésében és értékelésében	Folyamat	Igen
A résztvevő betegszervezetek tevékenységének támogatása	5.8	A betegszervezetek támogatására szánt források	Eredmény	nincs
	5.9	Fenntartó tevékenységek támogatása	Eredmény	nincs
Segélyvonal kiépítése	5.10	Segélyvonal RB-nek	Folyamat	Nincs

JAVASLATOK – A BETEGSZERVEZETEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE -2010

5.1-5.7. A betegek bevonása és szerepük megerősítése az alábbi területeken:

- Nemzeti Terv kidolgozása
- Információ szolgáltatás
- Szakértői Központok
- Kutatás
- RB Regiszterek létrehozása

5.8.-5.9. A résztvevő betegszervezetek tevékenységének támogatása

- Állami normatív támogatás
- Cégadományok - adókedvezmény
- RB családnak – adókedvezmény
- Társadalmi szolidaritási program
- Speciális szociális szolgáltatások finanszírozása

5.10. Segélyvonal a RB-nek

- A nemzetközi 116-os számhoz hazai kezelőszerv kijelölése, képzése, finanszírozása