



MAGYARORSZÁGI EUROPLAN KONFERENCIA

A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS

SZEKCIÓÜLÉS 5.





A szekció tartalmi vázlatja:

1. Az Európai Tanács ajánlásainak bemutatása
2. EUROTERV ajánlások
3. EUROPLAN indikátorok
3. E-RARE2 EB projekt bemutatása
4. A diszkussziót elősegítő „nyitott kérdések”
5. A hallgatóság véleménye, ajánlásai





HÁTTÉR

1. a kutatás a legjobb mód a ritka betegségekkel kapcsolatos általános tudásunk bővítésére, olyan ismeretekkel is szolgálhat, ami a gyakori betegségek szempontjából is releváns.
2. a kutatás az alapja a döntéshozók hasznos információval való ellátásának a források és egyéb szociális és egészségügyi kérdéskörök tervezésekor
3. fontos meghatározni a RB etiológiájáról, mechanizmusairól, kezeléséről és megelőzéséről szóló kutatások prioritásait
4. a kutatások elősegítése a RB-ben szenvedők és családjaik által ítélt egyik legfontosabb feladat.
5. az egészségügyi és szociális kutatásoknak szorosan együtt kell működniük a jobb egészségügyi szolgáltatások érdekében.





HÁTTÉR

1. A RB kutatások ritkán és szétszórtnak vannak jelen az EU egész területén:
 1. RB-ek nagy száma és heterogenitása
 2. Megfelelő kísérleti modell hiánya
 3. Rosszul meghatározott végpontok
 4. Betegek kis száma
 5. Korlátozott források
2. A klinikai kutatások terén nagyon fontos az EU szintű együttműködés
3. RB-vel foglalkozó egészségügyi és társadalmi tanulmányok limitáltak





1. Alap kutatás: többnyire nincs megjelölve RB kutatásként, orvosi-élettani kutatások finanszírozási csatornáin keresztül támogatott
2. Alkalmazott és Klinikai kutatás:
 1. az új kezelések csak a klinikai kutatások alapján értékelhetők
 2. RB-ek kutatásának támogatása a fő kulcs a RB-el élők jobb diagnosztizálásához és kezeléséhez
3. **ECRIN: a klinikai kutatások infrastruktúrájának európai hálózata**
 1. FP7 keretprogrammal alapított infrastruktúra
 2. multinacionális klinikai tanulmányokhoz információ, konzultáció, támogatás
 3. klinikai kutatási központok nemzeti hálózatait koordinálja





AZ EURÓPAI TANÁCS AJÁNLÁSA A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS TERÜLETÉRE (2009/C 151/02)

LUXEMBOURG, 2009. JÚNIUS 9.



AZ EURÓPAI TANÁCS AJÁNLÁSA A TAGÁLLAMOKNAK

- **Azonosítsák** a nemzeti és közösségi keretekben a ritka betegségekkel kapcsolatos **folyamatban lévő kutatásokat** és **kutatási erőforrásokat** a kutatások jelenlegi állásának megállapítása és a kutatási szintér felmérése céljából
- **Javítsák** a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatásokra vonatkozó **közösségi, nemzeti és regionális programok koordinációját**

- ❑ **Azonosítsák** a ritka betegségek terén végzett alap-, klinikai, transzlációs és szociális kutatás **szükségleteit és prioritásait**, valamint **támogatásuk módját**
- ❑ **Ösztönözzék az interdiszciplináris** együttműködési megközelítést, melynek megvalósítása a nemzeti és közösségi programokon keresztül egymást kiegészítő módon történne.

- Támogassák **tagállami kutatók részvételét** a ritka betegségekkel kapcsolatos, minden megfelelő szinten- a közösségi szintet is beleértve- finanszírozott kutatási projekteken .
- Terveikbe, illetve stratégiákba illesszenek be a ritka betegségek területén folytatott **kutatás támogatását célzó rendelkezéseket.**
- Az Európai Bizottsággal együttesen segítsék elő a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatás terén **aktív harmadik országokkal való kutatási együttműködés kialakítását**, általában az információcsere és a szakértelem megosztása tekintetében.



**EUROTERV AJÁNLÁSOK A RITKA BETEGSÉGEKKEL
KAPCSOLATOS KUTATÁS TERÜLETÉRE A
NEMZETI TERV ELŐSEGÍTÉSÉRE**



EUROTERV AJÁNLÁSOK

- 3.1 Legyenek kialakítva **specifikus, ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti kutatási programok** (alap, transzlációs, klinikai, közegészségügyi és társadalmi kutatás), és ezeket az erre szánt alapokból **támogassák, lehetőleg hosszú időtávon át**. A ritka betegségekkel kapcsolatos **kutatási projekteket azonosíthatóvá és nyomon követhetővé kell tenni** a szélesebb nemzeti kutatási programokon belül.
- 3.2 A Nemzeti Terv vagy Stratégia tartalmazzon **fedezetet a Szakértői központok és/vagy más egészségügyi struktúrák**, valamint az **egészségügyi és kutatási hatóságok** megfelelő együttműködésének biztosítására, annak érdekében, hogy a ritka betegségek különböző aspektusaival kapcsolatos ismeretek bővíthessenek.

EUROTERV AJÁNLÁSOK

- 3.3 A **nemzeti hálózatokat ösztönözni** kell a ritka betegségekkel kapcsolatos **kutatások előmozdítására**. Különös figyelmet kíván a **klinikai és transzlációs kutatás**, hogy megkönnyítse az új ismeretek alkalmazását a ritka betegségek kezelésében. Ösztönözni kell a ritka betegségekkel kapcsolatos **kutatásokat végző csoportok regiszterének összeállítását és fejlesztését**, amennyiben megvalósítható.
- 3.4 Megfelelő kezdeményezéseket kell kialakítani a ritka betegségekkel kapcsolatos kooperatív **nemzetközi kutatási vállalkozásokban való részvétel elősegítésére**, beleértve az **EU keretprogramot és az E-RARE-t**. E kezdeményezések nemzeti támogatását következetesen fokozni kell.
- 3.5 Ki kell alakítani, és támogatni kell **specifikus, a ritka betegségek kutatásával foglalkozó technikai platformokat és infrastruktúrát**, beleértve a klinikai kutatásokat is. Meg kell vizsgálni az állami-magán együttműködések (PPP) kialakításának lehetőségét.

EUROTERV AJÁNLÁSOK

- 3.6 Támogatni kell a **több központú nemzeti, és nemzetközi kutatásokat**, hogy elérjük a klinikai tesztekhez szükséges **kritikus beteglétszámot**, és kihasználjuk a **nemzetközi szaktudást**.
- 3.7 Specifikus programokat kell kezdeményezni a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatásokban dolgozó **fiatal tudósok pénzügyi támogatására, illetve újak bevonására**.
- 3.8 Támogassák a már létező **gyógyszerek új kombinációinak és új célokra való felhasználásának felmérését**, mivel ez egy költséghatékony módja lehet a ritka betegséggel élők kezelési fejlesztésének.



**KIVONAT AZ EUROPLAN INDIKÁTOROK KÖZÜL
A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS
TERÜLETÉN ELÉRT EREDMÉNYEK ÉRTÉKELÉSÉHEZ**



TEVÉKENYSÉG	INDIKÁTOROK	TÍPUSA	VÁLASZ
RB Kutatási programok kiépítése	Létező nemzeti/regionális kutatási programok	Folyamat	<input type="checkbox"/> Speciális RB kutatási programok <input type="checkbox"/> RB kutatási programot prioritásként tartalmazó általános kutatási program <input type="checkbox"/> Nincs RB kutatási program
	RB kutatási program monitorozása	Folyamat	<input type="checkbox"/> Nem létező, nincs egyértelműen meghatározva <input type="checkbox"/> Létező, egyértelműen meghatározott, részben megvalósítva <input type="checkbox"/> Létező, egyértelműen meghatározva, nagymértékben megvalósítva
	Évente jóváhagyott RB kutatási projektek száma (ha lehetséges évente, a terv kezdete előtti évtől kezdve)	Eredmény	RB projektek százalékos aránya az összes jóváhagyott projektből

TEVÉKENYSÉG	INDIKÁTOROK	TÍPUS	VÁLASZ
RB kutatási programok kiépítése	Köztestületek által támogatott klinikai kísérletek	Eredmény	<input type="checkbox"/> Igen, tevékenység megvalósítva <input type="checkbox"/> Nincs megvalósított tevékenység <input type="checkbox"/> Tárgyalás alatt
	Csatlakozás az E-RARE programhoz	Folyamat	<input type="checkbox"/> Megvalósult, működésben <input type="checkbox"/> Folyamatban <input type="checkbox"/> nem gondolkoztak rajta
	Közegészségügyi és szociális kutatások bevonása a ritka betegségek területén	Folyamat	<input type="checkbox"/> Igen <input type="checkbox"/> Nem <input type="checkbox"/> Tárgyalás alatt
	Kutatási platformokat és egyéb infrastruktúrát is létrehoznak a kutatási programok	Folyamat	<input type="checkbox"/> Igen <input type="checkbox"/> Nem <input type="checkbox"/> Tárgyalás alatt

TEVÉKENYSÉG	INDIKÁTOROK	TÍPUS	VÁLASZ
Nemzeti politika létrehozása a fiatal tudósok toborzásának támogatására, különösen a ritka betegségek területén	Speciálisan a ritka betegségek területén való munkára toborzott fiatal tudósok száma évente	Folyamat	A toborzottak száma vagy nulla
Pénzügyi alapok biztosítása az RB kutatási programok számára	Vannak speciális RB kutatásokra elkülönített közpénz alapok	Folyamat	<input type="checkbox"/> Igen <input type="checkbox"/> Nem <input type="checkbox"/> Tárgyalás alatt
	A terv kezdete óta évente speciálisan RB kutatások/tevékenységek/projektek felé irányított pénzügyi alapok	Eredmény	<input type="checkbox"/> RB kutatási célokra beirányzott millió euro <input type="checkbox"/> Az összes projektre szánt pénzeken belül az RB kutatásokra szánt pénzek aránya százalékban

Partnerszervezetek



PÉCSI TUDOMÁNYEGYETEM
UNIVERSITY OF PÉCS



Direcção-Geral da Saúde
www.dgs.pt



Ministério da Saúde



Fundação para a Ciência e a Tecnologia
INSTITUTO DA EDUCAÇÃO, INOVAÇÃO E DO UNIVERSO EUROPEU



Fonds Wetenschappelijk Onderzoek
Research Foundation - Flanders



Projektträger im DLR



Bundesministerium
für Bildung
und Forschung



ZonMw



EURORDIS
Rare Diseases Europe



National Centre for Rare Diseases
CNMR



Instituts
thématiques
Inserm

Institut national
de la santé et de la recherche médicale



E-Rare-2

EURÓPAI PARTNERSÉG A RITKA BETEGSÉGEKEL KAPCSOLATOS KUTATÁSOKÉRT



- **E-Rare2**: 10 ország, 16 partnerének hálózata
- közintézmények, minisztériumok, kutatási menedzsment szervezetek, referencia központok
- EB a 7. ERA-Net Keretprogram keretében 4 évre támogatja

Céljai:

- előmozdítani a RB kutatásokat Európában
- folyamatos és hosszantartó együttműködés a tagországi partnerek között
- nemzeti kutatási programok koordinálása, a RB kutatások töredezettségének megszüntetése, interdiszciplináris megközelítés elősegítése
- közös kutatási politika kialakítása
- a Föld más régióiban folyó RB kutatásokhoz képest előnyös versenypozíció fenntartása
- www.e-rare.eu



E-Rare 2: 2. munkacsomag

A RB kutatás támogatásának a helyzete Európában: analízis és jövőre vonatkozó megállapítások

RB kutatás felmérése Európában
és kiválasztott Európán kívüli
államokban egy internetes kérdőív
segítségével

Leader:
ISS - Italy

**Co-leader: F.R.S.-
FNRS Belgium**

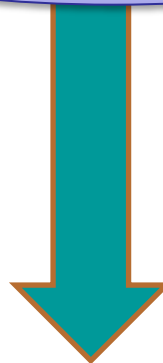
Beszámoló az EB felé: A RB
kutatás finanszírozásának jövőjéről
(M 5b)

Kvalitatív adatok

Kvantitatív adatok



új internetes kérdőív



Az összes EU tagállamban (különösképpen a Kelet-Európai államokban)
 Az egyéb európai államokban
 Az európai kutatási területen kívüli szelektált országokban

Összehasonlítható szocio-
 ökonomikus helyzetű
 országokkal (USA, Kanada,
 Ausztrália, Új-Zéland, Japán)

Fejlődő gazdaságú országokal:
 Kína, India, Brazília, Dél-Korea



IRÁNYELVEK, KÉRDÉSEK

A TOVÁBBI DISZKUSSZIÓ ELŐSEGÍTÉSÉRE



KUTATÁSI FORRÁSOK FELTÉRKÉPEZÉSE

- A RB-ek **kutatási forrásának és infrastruktúrájának értékelése** a különböző szakterületeken valamint a **támogatási források**, mind állami, mind magán **feltérképezése**. Annak meggondolása, hogy vajon megvalósítható-e az állami és privátszektor támogatásának a kombinálása.
- Létezik-e egy **specifikus nemzeti RB kutatási program** az erre a területre kiírt pályázatokkal? Van-e egy ilyen programnak célterülete?
- **Milyen területeket** érint a beteg irányította kutatás?
- További ötletek:



A RB-EK TERÜLETÉNEK KUTATÁSI SZÜKSÉGLETEI ÉS PRIORITÁSAI

- A klinikai és transzlációs **kutatás igényeinek és prioritásainak** a felmérése
- A **szociális kutatások** prioritásainak felmérése a ritka betegségek területén

A NEMZETI LABORATÓRIUMOK, KUTATÓK VALAMINT A BETEGEK ÉS BETEGSZERVEZETEK ÉRDEKLŐDÉSÉNEK FELKELTÉSE RB KUTATÁSI PROJEKTEK FELÉ

- Hogyan alakítható ki az alap- és a transzlációs kutatás, valamint a szakértői központok közötti **kapcsolat**?
- Hogyan segítsük elő a kutatás **interdiszciplináris** megközelítését?
- Hogyan erősítsük a **betegszervezetek közötti kommunikációt**?
- Speciális programok létrehozása a RB kutatásban résztvevő **fiatal kutatók támogatására és toborzására**

A RB KUTATÁS FENNTARTHATÓSÁGA

- Hogyan **biztosítsuk**, megfelelő pályázati mechanizmusokkal, a RB kutatási projektek és infrastruktúra strukturális és **hosszútávú fenntarthatóságát**? Főképpen a közegészségügy és szociális kutatások terén, valamint az RB infrastruktúrák terén?

EU EGYÜTTMŰKÖDÉS A RB-EK KUTATÁSÁBAN

- Hogyan támogassuk és gondozzuk a hazai kutatók és laboratóriumok, betegek és betegszervezetek **részvételét EU-s projektekben?**



5. SZEKCIÓ

A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS

ÖTLETEK, AJÁNLÁSOK A HALLGATÓSÁG RÉSZÉRŐL

