

Az EUROPLAN konferencia tartalmi vázlata

Címzett: EURORDIS Nemzeti Szövetségei, az Europlan nemzeti konferenciáinak szervezői, üléselnökei

Feladó: EURORDIS Tanácsadói Csoport

Dátum: 2009. november 27.

Tárgy: Tartalmi vázlat- az Europlan nemzeti konferenciáinak szekcióüléseivel szembeni minimális elvárások és javasolt tartalmi elemek összefoglalása

Ez a segédlet bemutatja azokat a témákat, melyekkel az Europlan projekt (8. munkacsomag) keretein belül megrendezésre kerülő ritka betegségek (továbbiakban RB) nemzeti konferenciáinak szekcióülésein foglalkozni kell.

A nemzeti konferenciákat plenáris, és szekcióülések (workshopok) szervezésével kell megrendezni. A szekcióüléseket az adott téma köré kell szervezni.

Feladatuk: a plenáris ülés számára előterjeszhető konkrét javaslatok kidolgozása.

A szekcióülések témái az „Az EU Tanács ajánlása a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről” c. dokumentum fejezeteinek megfelelően vannak meghatározva. Így a fejezeteknek megfelelő mennyiségű szekcióülés kerül majd megrendezésre, az alábbi összefoglaló szerint:

A SZEKCIÓÜLÉSEK TÉMÁI	
FŐTÉMÁK	SZINTÉN TARTALMAZZÁK: Ezek a kötelező altémák a főtémák valamely szekcióülésével összevonva vagy akár külön workshopokon is megtárgyalhatóak, mint ahogy mi szervezzük.
1. A RITKA BETEGSÉGEK TERÜLETÉRE VONATKOZÓ TERVEK ÉS STRATÉGIÁK (BEVEZETŐ TÉMA)	
2. A RITKA BETEGSÉGEK MEGFELELŐ MEGHATÁROZÁSA, KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE	3. INFORMÁCIÓ ÉS KÉPZÉS
4. LABORATÓRIUMI DIAGNOSZTIKA, SZŰRÉS, KORAI INTERVENCIÓ	(SAJÁT SZERVEZÉSŰ WORKSHOP)
5. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS	
6. A RITKA BETEGSÉGEKKEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK	7. AZ „ÁRVA” GYÓGYSZEREK ÉS KEZELÉSI ELJÁRÁSOK
8. A BETEGKÉPVISELETI SZERVEZETEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE	
ÁTFOGÓ (HORIZONTÁLIS) TÉMÁK	
A TANÁCSI AJÁNLÁS ALÁBBI KÉT TÉMÁJA ÁTFOGÓ TÉMAKÉNT KEZELENDŐ, MELYEKET AZ 1-8. SZEKCIÓÜLÉSEKEN BELÜL KELL MEGTÁRGYALNI. A 9-ES ÉS 10-ES TÉMÁNAK MEGFELELŐ CELLÁK SZÜRKÉVEL VANNAK JELÖLVE A TOVÁBBI TÁBLÁZATOKBAN.	
9. A FENNTARTHATÓSÁG	
10. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS SZAKÉRTELEM EURÓPAI SZINTEN TÖRTÉNŐ ÖSSZEGYŰJTÉSE	

Fontos megjegyezni, hogy **e témák és a következő táblázatban felsorolt altémák kötelezőek, mivel az Europlan projekt keretében szerveződő nemzeti konferencia szerkezeti vázát ezek az elvárások határozzák meg.** Mindamelllett a szerkezeten belül van némi rugalmasság is a workshopok megszervezésére vonatkozóan. Kezdve a minimum 5 workshoptól (4 fő téma + 1 bevezető téma), további workshopok is megrendezhetőek a horizontális témákhoz, vagy a két altémához kapcsolódóan („Árva” gyógyszerek és kezelési eljárások, Információ és képzés).

A következő táblázatok részleteiben ábrázolják az egyes workshopok tartalmát a következő struktúra alapján:

- **Altémák:** melyeket mindegyik szekcióülésen érinteni kell (kötelező)
- **Megválaszolandó kérdések.** Ezek nem kötelezőek, de erősen ajánlottak. Mindezek az „Europlan Ajánlások” c. dokumentumban részletesen is kifejtésre kerülnek. Ez a dokumentum gyakorlati útmutatást ad arra vonatkozóan, hogyan alakítsunk ki a ritka betegséggel élők ellátására vonatkozó Nemzeti Terveket és Stratégiákat. Segítségével a nemzeti szinten végzett erőfeszítések kapcsolódhatnak az EU általános stratégiájához, biztosítva, hogy a ritka betegségek területén történő fejlesztések globálisan összefüggőek és közös irányba mutatóak legyenek egész Európában. Az „Europlan Ajánlások” a ritka betegségekkel kapcsolatos EU Tanács Ajánlásán alapszik, és tartalmazza az EU-s dokumentumok kidolgozásához szükséges gyakorlati részleteket, valamint kitér olyan témákra is, melyeket a Tanácsi Ajánlások nem érintenek.

A konferenciára való felkészülést elősegítésére, minden táblázat végén összefoglaltuk a **Tanács Ajánlását** a témával kapcsolatban. További segítséget jelent majd az elkészült **„Europlan Ajánlás”** is.

Kérjük, vegyék figyelembe, hogy **a konferencia végső beszámolója e tartalmi struktúra szerint épül fel.** Minden konferenciaszervezőnek be kell majd számolnia arról, hogy az egyes témákkal, illetve altémákkal kapcsolatban milyen mértékben foglalkoztak a nemzeti konferencián, és hogy milyen megoldások, javaslatok merültek fel az adott területen.

Kérjük, **vegyék figyelembe a workshopok elnökeinek és moderátorainak készülő útmutatókat is.**

Végül ajánlom figyelmükbe, hogy a konferencia szervezői segédanyagként felhasználhatják az EURORDIS által kidolgozott úgynevezett ténylepokat is, melyek segítségével maguk az érintettek is jobban megismerkedhetnek a konferencia tartalmával.

Jelmagyarázat

RB= ritka betegség

NT= nemzeti terv vagy stratégia

SzB= szervező bizottság

SzK= Szakértői központ

ERH= Európai Referencia Hálózat

ÁGy= „árva” gyógyszer (ritka betegségek kezelésére kifejlesztett gyógyszer)

Az EUROPLAN projekt nemzeti konferenciáinak workshop témái

1. A RITKA BETEGSÉGEK TERÜLETÉRE VONATKOZÓ TERVEK ÉS STRATÉGIÁK

Altémák (kötelező)	Megválaszolendő kérdések
A feladat feltérképezése a NT kifejlesztése előtt	<ul style="list-style-type: none"> • A RB helyzete mennyire tudatos az Ön országában? (epidemiológiai becslések, a probléma mérete?) • Készül-e nyilvántartás vagy jelentés a RB-ekkel kapcsolatos erőforrásokról, cselekvési programokról és kutatásokról (vagy legalább melyekből a RB-k profitálhatnak) a nemzeti egészségügyi ellátásban vagy szociális rendszerben? • Vizsgálták már a RB-gel élők kielégítetlen szükségleteit?
A NT kifejlesztése és struktúrája	<ul style="list-style-type: none"> • Van az országodban a ritka betegséggel élők egészségügyi ellátásának és szociális szükségleteinek megoldását célzó törvényalkotói keretprogram, mely tartalmaz egy speciális cselekvési programot a nemzeti terv vagy stratégia kidolgozása érdekében? Milyen lépések történtek ennek érdekében? • A NT eléggé egységbe rendezett és átfogó, hogy a ritka betegséggel élők minden szükségletének megfeleljen? • A NT jól áttekinthetően strukturált írásos dokumentum formájában létezik? • Mik az általános és a specifikus céljai vagy prioritási területei ami az országodon belül meghatározásra került/fog kerülni? • Kilátásba vannak helyezve specifikus cselekvési programok a NT-ben, egyértelműen teljesíthető és mérhető elvárt eredményekkel társítva? • Van időterv a cselekvési programok elérni kívánt eredményeihez?
A NT irányítása	<ul style="list-style-type: none"> • Létezik Szervező Bizottság (SzB), kormányzati vagy koordinációs irányító testület a terv kivitelezésére? • Minden érdekelt részt vesz a NT bevezetésében?- egészségügyi hatóság, betegek, egészségügyi szakértők, kutatók, az ipar képviselői stb.? A bevont érdekeltnek valóban lefedik az NT-ben érintett területek mindegyikét, pl.: gyógyszerterület, kormányzat, klinikai, egészségügyi és szociális szolgáltatások, epidemiológia, közigazgatás stb. • A NT kidolgozásának és megvalósításának minden fázisába biztosított az érintett betegek bevonása, mellyel biztosítják, hogy a betegek részt vegyenek a rájuk vonatkozó egészségügyi intézkedések döntéshozatalában? • A SzB rendszeresen ülészik? • A SzB készít helyzetjelentést tevékenységeiről és tagjainak felelősségeiről? • A SzB készít rendszeres (éves) beszámolót a NT-be foglalt célkitűzéseinek megvalósulásáról és teljesítéséről? • A NT általános tartalma és speciális akcióprogramja a társadalom számára is hozzáférhető?
	<ul style="list-style-type: none"> • Van a NT ellenőrzésére kidolgozott rendszer?

<p>A Nemzeti Terv monitorozásának lehetősége</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Milyen indikátorokat használnak a teljesítés ellenőrzésére? Az Europlan indikátorok képezik az alapját a NT-ben foglaltak ellenőrzésére és értékelésére? • Biztosítja a NT értékelését egy, az SzB-től külön álló, külső ellenőrző testületet? • Az értékelés magába foglalja a betegek véleményének összefoglalóját és az elégedettségüket felmérő kutatását is?
<p>Az NT fenntarthatósága</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Van elkülönített, a NT-hez kötött költségvetési keret? Biztosítja a tevékenységek hosszú távú fenntarthatóságát? • Melyek az NT fő bevételi forrásai? • Rendelnek speciális költségvetési kereteket az egyes prioritást élvező területek cselekvési programjainak megvalósításához (pl. „árva” gyógyszerek, Szakértői központok, diagnózishoz jutás, kutatás, stb.)? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

I. A RITKA BETEGSÉGEK TERÜLETÉRE VONATKOZÓ TERVEK ÉS STRATÉGIÁK TERÉN

1. A tagállamok a megfelelő szinten hozzanak létre és valósítsanak meg a ritka betegségekre vonatkozó terveket vagy stratégiákat, illetve vizsgálják meg a ritka betegségekre vonatkozó megfelelő intézkedések más közegészségügyi stratégiákba való beillesztését abból a célból, hogy biztosítsák a ritka betegségekben szenvedők magas színvonalú ellátáshoz való hozzáférését, beleértve a diagnosztikát, a kezeléseket, a betegséggel élők rehabilitációját és – amennyiben lehetséges – a ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszereket, és különösen ajánlja az alábbiakat:

- a) olyan terv vagy stratégia mielőbbi kidolgozása és elfogadása, lehetőleg legkésőbb 2013 végéig, melynek célja, hogy egészségügyi és szociális rendszereik keretében a ritka betegségek területére vonatkozó intézkedések tekintetében iránymutatással szolgáljon és szerkezetileg összefogja azokat;
- b) intézkedések hozatala a helyi, regionális és nemzeti szintű jelenlegi és jövőbeli kezdeményezéseknek a tagállami tervekbe, illetve stratégiákba való integrálására átfogó megközelítés biztosítása érdekében;
- c) terveikben, illetve stratégiáikban kis számú kiemelt cselekvés célkitűzésekkel és nyomon követési mechanizmusokkal együtt történő meghatározása;
- d) a 2008–2011-es időszakban a közegészségügyre vonatkozó első közösségi cselekvési program általi támogatásra kiválasztott, a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek kifejlesztésének jelenleg folyamatban lévő európai projektje (EUROPLAN) keretében a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti fellépések meghatározását célzó iránymutatásoknak és ajánlásoknak az illetékes hatóságok által nemzeti szinten folytatott kidolgozásának figyelembe vétele.

2. A RITKA BETEGSÉGEK MEGFELELŐ MEGHATÁROZÁSA, KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE

Altémák (kötelező)	Megválaszolendő kérdések
A RB definíciója	<ul style="list-style-type: none"> Alkalmazzák az EU hivatalos meghatározást az Ön országában, miszerint ritka betegségnek az számít, ha 10 000 ember közül legfeljebb 5-nél megjelenik? Másik, vagy ennél pontosabb meghatározást alkalmaznak az előző helyett, vagy azt kiegészítve?
Az RB-ek osztályozása és nyomon követhetősége a nemzeti egészségügyi rendszerben	<ul style="list-style-type: none"> Milyen osztályozási rendszert alkalmaznak az Ön országában (BNO9, BNO10, SNOMED, OMIM, ORPHAN...) Milyen célra használják az osztályozási rendszereket (pl. nyilvántartás, normatív költségtérítés, szociális ellátásokhoz való hozzáférés stb.)? Felkészült az Ön országa hogy alkalmazza a 2014-re a WHO által elkészülő rendszert, a BNO11-et, melyet a Tanács Ajánlása a ritka betegségek területén javasol? Milyen szintű az egészségügyi szakértők tudatossága és ismerete a RB-ek osztályozásával és kódolásával kapcsolatban? Mit lehet tenni ezek fejlesztése érdekében?
Nyilvántartás, regiszterek és listák	<ul style="list-style-type: none"> Vannak hivatalos listák az RB-ekről az Ön országában? Létezik hivatalos kormányzati regiszter a RB-ekről? Vagy/és speciális RB adatbázisok, melyet például egy Szakértői központ vezet? Léteznek speciális RB-ket felügyelő projektek, programok (pl. jelzőrendszerek, felmérések)? Milyen kezdeményezéseket kellene bevezetni, illetve megerősíteni az Ön országában?
	<ul style="list-style-type: none"> Kapnak ezek a regiszterek és programok kormányzati támogatást? Hogyan lehet megfelelő módon biztosítani a regiszterek és adatbázisok hosszú távú fenntarthatóságának forrásszükségletét? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>
	<ul style="list-style-type: none"> Az Ön országa részt vesz a RB-ek EU-s nyilvántartásainak fejlesztésében a „Tanácsi ajánlás a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről” c. dokumentumban elvárt módon? 10. téma – EU szaktudás gyűjtése

3. INFORMÁCIÓ ÉS KÉPZÉS

Hogyan lehetne fejleszteni az információhoz jutást a RB-ek számára igénybe vehető ellátásokról a különböző területek érdeklődői számára?	<ul style="list-style-type: none"> Melyek a fennálló információforrások az Ön országában? Minőségük jónak tekinthető? <p>Figyelembe veszik a következőket:</p> <ul style="list-style-type: none"> van az RB-ről szóló hivatalos honlap az országban vannak segélyvonalak a betegek és egészségügyi szakértők részére is, melyek a nyilvánosság számára is ismertek vannak serkentő kezdeményezések, illetve programok a betegek, illetve speciális csoportok (tanár, szociális munkás, stb.) számára készülő információs és oktatási anyagok fejlesztése érdekében használják az európai szinten már létező információforrásokat (pl. ORPHANET, EURORDIS) a betegségek leírásával, a specializálódott központokkal és betegszervezetekkel, a folyamatban levő kutatási
--	---

	<p>projektekkel, és a klinikai próbákkal kapcsolatban</p> <ul style="list-style-type: none"> ○ vannak kezdeményezések az RB-kel kapcsolatos tudatosság növelésére, mint például az Ritka Betegségek Világnapja?
	<ul style="list-style-type: none"> • Ezek a kezdeményezések és cselekvési programok kapnak állami támogatást? Főként betegszervezetek által népszerűsítettek és finanszírozottak? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>
Hogyan lehetne az RB-ről szóló minőségi információkhoz való hozzáférést fejleszteni?	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan hozzák nyilvánosságra ezeket az információforrásokat és kezdeményezéseket? • Hogyan biztosítják, hogy az információ eljusson a célcsoporthoz, illetve a szélesebb társadalomhoz?
Hogyan biztosítsuk az egészségügyi szakemberek RB-ekkel kapcsolatos megfelelő képzését?	<ul style="list-style-type: none"> • Az egészségügyi szakembereknek tartott oktatásnak tartalmaz: <ul style="list-style-type: none"> ○ tájékoztatást az RB-ek létezéséről és az ellátásukhoz igénybe vehető erőforrásokról ○ orvosi tréninget a RB diagnosztizálásában szerepet játszó szakterületeken (genetika, onkológia, immunológia, neurológia, gyermekgyógyászat) ○ egészségügyi továbbképzést a RB-ek területén tevékenykedő fiatal orvosok és tudósok számára ○ a szaktudás cseréjét és megosztását az országban működő központok között • Hogyan biztosítják, hogy a nemzetközileg létező és elfogadott irányelveket nemzeti szinten is alkalmazzák, ezzel is elősegítve a RB diagnózisát és kezelését?
	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan támogatják az EU-szintű szakértelem megosztását és az adekvát tréningeket, hogy minden egészségügyi szakértőt elérjen? • Az Ön országa támogatja a nemzeti szakemberek részvételét a nemzetközi irányelvek fejlesztésében, melyek az RD diagnózisát és kezelését segítenék nemzeti szinten? <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p>

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

II. A RITKA BETEGSÉGEK MEGFELELŐ MEGHATÁROZÁSA, KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE TERÉN

2. A közösségi szintű szakpolitikai munka céljából alkalmazzák a ritka betegségek azon közös fogalom meghatározását, miszerint e betegségek tízezer személyből legfeljebb ötnél fordulnak elő.

3. Tűzzék ki célul a ritka betegségek megfelelő kódolásának és valamennyi egészségügyi információs rendszerben való nyomon követhetőségének a biztosítását, ösztönözve ezáltal a betegségek megfelelő elismerését a nemzeti egészségügyi ellátási és visszatérítési rendszerekben a BNO alapján, a nemzeti eljárások tiszteletben tartásával.

4. Aktívan járuljanak hozzá a ritka betegségek könnyen elérhető és dinamikus, az Orphanet hálózaton és más létező hálózatokon alapuló uniós nyilvántartásának a kifejlesztéséhez, a ritka betegségekről szóló bizottsági közleményben említettek szerint.

5. Mérlegeljék minden megfelelő szinten – a közösségi szintet is beleértve – egyrészt az egyes betegségekkel foglalkozó információs hálózatok, másrészt pedig – járványügyi célokból – nyilvántartások és adatbankok támogatását, a független irányítás elvét szem előtt tartva.

4. LABORATÓRIUMI DIAGNOSZTIKA, SZŰRÉS, KORAI INTERVENCIÓ

A hazai Szervező Bizottság által szervezett workshop.

5. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS

Altémák (kötelező)	Megválaszolandó kérdések
A RB-el foglalkozó kutatási források, létesítmények és programok feltérképezése	<ul style="list-style-type: none"> A RB kutatási forrásainak és a különböző határterületek létesítményeinek feltérképezése valamint az ezek fenntartásához szükséges magán, ill. állami finanszírozási lehetőségek értékelése. Figyelembe kell venni, hogy a magán és az állami támogatás kombinációja megvalósítható-e. Létezik speciális nemzeti RB kutatási program célzott elkülönített forrásból? Van lehetőség egy ilyen programra? Milyen lehetőségei vannak a betegek által kezdeményezett és/vagy befolyásolt kutatásoknak? <p>További ajánlás Speciális téma: Biobankok és adatbázisok</p>
Kutatási szükségletek és prioritások az RB-ek területein	<ul style="list-style-type: none"> Szükségletek és prioritások felmérése az alap, a klinikai, és a transzlációs kutatások esetén, csakúgy mint a szociális kutatások területén.
A nemzeti laboratóriumok, kutatók, valamint a betegek és betegszervezetek érdeklődésének felkeltése a RB kutatási programjaiban való részvétel érdekében	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan kapcsolják össze az alap és a transzlációs kutatásokat a Szakértői központokkal? Átfogó, interdiszciplináris személet elősegítése a kutatásban A betegszervezetek közötti együttműködés erősítése Speciális programok a RB területén kutató fiatal tudósok támogatására, toborzásra
A RB-ek kutatásainak fenntarthatósága	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet megfelelő finanszírozási feltételekkel biztosítani a RB-et kutató projektek és létesítmények szervezeti, valamint hosszú távú fenntarthatóságát, különös tekintettel a népegészségügyi és szociális kutatásokra, illetve az e területeket „átfedő” infrastruktúrákra. <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>
EU együttműködés a RB-ek kutatásában	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet elősegíteni és támogatni a nemzeti kutatók, laboratóriumok, betegek és betegszervezetek részvételét az EU-szintű projektekben? <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p>

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

III. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS TERÉN

6. Azonosítsák a nemzeti és közösségi keretekben a ritka betegségekkel kapcsolatban a folyamatban lévő kutatásokat és a kutatási erőforrásokat, a kutatások jelenlegi állásának megállapítása és a kutatási szintér felmérése céljából, valamint javítsák a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatásokra vonatkozó közösségi, nemzeti és regionális programok koordinációját.

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

8. Támogassák tagállami kutatók részvételét a ritka betegségekkel kapcsolatos, minden megfelelő szinten – a közösségi szintet is beleértve – finanszírozott kutatási projektekben.

9. Terveikbe, illetve stratégiáikba illesszenek be a ritka betegségek területén folytatott kutatás támogatását célzó rendelkezéseket.

10. 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.

6. A RITKA BETEGSÉGEKKEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK

Altémák (kötelező)	Megválaszolendő kérdések
Az országos vagy regionális SzK-ok azonosítása országos lefedettséggel 2013-ig	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet biztosítani, hogy minden ritka betegséggel élő személy eljuthasson az országban vagy külföldön működő Szakértői központokhoz, ill., támogatni azok kialakítását, ott ahol szükséges? Hogyan lehet az Ön országában a legjobban érvényesíteni az RDTF (RD Task Force= az EU Ritka Betegségek Szakértői Csoportja) által meghatározott kritériumokat, melyeket valószínűleg az Európai Bizottság a határon átvéelő egészségügyi ellátásról szóló rendeletének 15. cikkelyébe, a Szakértői központok rendeltetését tárgyaló részbe, is belefoglalnak. Különösen hogyan lehet biztosítani, hogy a lehetőségekhez mérten a tudásközpontok egyszerre legyenek valóban az adott ritka betegség szakértői mind klinikai, mind kutatási szempontból? Milyen szervezeti felépítés és egyéb megoldások tennék alkalmassá az országában működő tudásközpontokat feladatuk ellátására? Függnek ezek a szempontok az ellátott betegség, vagy betegség csoport jellegétől? Regionális vagy országos hatókörűek?
A SzK-ok fenntarthatósága	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet megfelelő finanszírozási mechanizmusokkal biztosítani az egészségügyi infrastruktúrák hosszú távú fenntarthatóságát különös tekintettel SzK-kra? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>

Részvétel az Európai Referencia Hálózatokban	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet elősegíteni a SzK-k részvételét az európai referencia hálózatokban? Hogyan lehet támogatni a betegek és szakértők országhatárokon átívelő mobilitását? <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p>
Hogyan rövidíthető le a diagnózishoz vezető út?	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan segíthető elő a szakértők és a szakértelem mobilizálhatósága (beleértve az információ áramlását is az információs technológia eszközei által), annak érdekében, hogy megkönnyítsék a betegek otthonukhoz közeli kezelését? Hogyan térképezhetőek fel, kapcsolhatók hálózatba és támogathatóak országos szinten a működő laboratóriumok? <p>További ajánlás:</p> <ul style="list-style-type: none"> Speciális téma: szűrés és genetikai vizsgálatok <ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet megszervezni a DNS és egyéb minták cseréjét és a költségtérítését európai és nemzetközi szinten? Hogyan lehet a diagnosztikai-, és a népesség egészségét érintő szűrővizsgálatokra vonatkozó európai útmutatók kidolgozását támogatni? Milyen mechanizmusokat kell fejleszteni annak érdekében, hogy az általános protokollok és ajánlások bevezetése támogatást nyerjen, az olyan témákban, mint pl. az referencia vélemények kérése európai szinten a diagnosztikus eszközökről, orvosi-, oktatási-, és szociális ellátásról? <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p>
Hogyan biztosítható a megfelelő ellátás és az adekvát betegutak ¹ kijelölése a RB páciensek részére?	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan lehet olyan, a RB klinikai kezelési protokolljához alkalmazkodó rendszert kialakítani, amely fedezi a multidiszciplináris konzultációk, a beteg és családtagjai utazásának költségeit? Hogyan juthat el a speciális központ orvosi szaktudása a helyi egészségügyi és szociális ellátó szférához? Hogyan lehet jó együttműködést kialakítani hazai, vagy külföldi szakértőkkel (ha szükséges az európai referencia hálózatokon keresztül) annak érdekében, hogy elfogadásra kerüljenek a bizonyítékokon alapuló leghatékonyabb közös egészségügyi protokollok?
Hogyan biztosítható a Szakértői központokban a multidiszciplináris megközelítés és az egészségügyi és szociális ellátás integrációja?	<p>További ajánlás:</p> <ul style="list-style-type: none"> Speciális téma: szociális tanácsadás
Hogyan értékelhetők a SzK-ok?	<ul style="list-style-type: none"> Hogyan képzelhető el egy, a tudásközpontok értékelésére alkalmas rendszer? Klinikai eredményeken vagy a beteg elégedettségén, esetleg mindkettőn alapulna?

1 Az egészségügyi kliensutak strukturált, multidiszciplináris ellátási tervek, amik az orvosi útmutatók és protokollok végrehajtását segítik elő.

7. Az „ÁRVA” GYÓGYSZEREK ÉS KEZELÉSI ELJÁRÁSOK

Az „árva” gyógyszerek jövője	<ul style="list-style-type: none"> • A piacon beszerezhető „árva” gyógyszerek és az ezekkel kezelt betegek száma • Az EU törvényileg szabályozott időkeretén belül (180 nap) akadályozott a „árva” gyógyszerekhez való hozzáférés?
A betegek hozzáférése az „árva” gyógyszerekhez. Árszabás és térítés	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan lehet fejleszteni és felgyorsítani az „árva” gyógyszerek árszabását és a térítés mértékét meghatározó nemzeti szintű eljárásokat? • Milyen mechanizmusokat kellene bevezetni, annak érdekében, hogy minimalizálni lehessen a gyógyszerekhez való hozzájutás várakozási idejét az EU-s szinten (EMA-European Medicine Agency, Európai Gyógyszerészeti Hatóság) kidolgozott, az „árva” gyógyszerek klinikai többletértékéről¹ szóló jelentés értelmében, mely megalapozza a nemzeti szintű döntéseket az árszabályozás és térítés kérdéseiben. • Hogyan lehetne az EU Gyógyszerészeti Ajánlásába foglalt „árva” gyógyszerekhez való hozzáférés elősegítésének elvét elősegíteni a méltányossági alapú árszabást és térítést érintő nemzeti politikában? • Az „árva” gyógyszerekhez való hozzáférés a Szakértői központokon keresztül. <div style="background-color: #cccccc; padding: 5px;"> <ul style="list-style-type: none"> • Részvétel az „árva” gyógyszerek klinikai többletértéke felmérésének EU-s szintű együttműködésében, az EMA (European Medicine Agency, Európai Gyógyszerészeti Hatóság) keretein belül. <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p> </div>
Az „árva” gyógyszerek ideiglenes engedélyezése és méltányossági alkalmazása. Indikáción kívüli (off label) alkalmazás.	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan lehet az „árva” gyógyszerekhez való hozzáférést elősegíteni méltányossági alapon²? • Lehetséges az indikáción kívüli gyógyszer felírás, és kedvezményes térítésük, ha azok bizonyítottan használnak a betegeknek? • Milyen gyógyászati termékeken kívüli lépéseket lehet tanulmányozni és alkalmazni, ha azok bizonyítottan javítanak a beteg állapotán?

¹ Az „árva” gyógyszerek klinikai többletértéke” olyan gyógyászati és tudományos adatok összegzése, melyek az „árva” gyógyszereknek a RB-ek terápiás stratégiája megfelelő helyén történő alkalmazásakor gyűjthetők.

² Ez a kezelési lehetőség olyan európai betegeknél alkalmazandó, akik olyan betegségtől szenvednek, melyre nincsen, engedélyezett megfelelő alternatív eljárás és/vagy nem tudnak részt venni egy klinikai próbán. Az ő esetükben alkalmazhatóak az engedély nélküli orvosi termékek egy méltányossági program keretein belül.

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

IV. A RITKA BETEGSÉGEKKEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK TERÉN

11. Országuk területén 2013 végére azonosítsák a megfelelő szakértői központokat és mérlegeljék létrehozásuk támogatását.

12. Támogassák a szakértői központok részvételét az európai referenciahálózatokban, az engedélyezésükre, illetve az elismerésükre vonatkozó nemzeti hatáskörök és szabályok tiszteletben tartásával.
13. Biztosítsanak különböző egészségügyi ellátási módokat a ritka betegségekben szenvedők számára a megfelelő nemzeti, szükség esetén pedig külföldi szakértők közötti együttműködés és szakemberek csereútjainak szervezésével, valamint az ismeretek megosztásával.
14. Támogassák az információs és kommunikációs technológiák alkalmazását, például a távgyógyászatot a szükséges esetekben, a konkrét esetben szükséges egészségügyi ellátáshoz való távoli hozzáférés biztosítása érdekében.
15. Terveikbe vagy stratégiáikba foglalják bele a szakértelem és tudás terjesztésére és a szakértők mobilitására vonatkozó szükséges feltételeket annak megkönnyítése érdekében, hogy a betegek lakóhelyük közelében részesülhessenek ellátásban.
16. A ritka betegségek tekintetében ösztönözzék, hogy a szakértői központok munkája az ellátásra vonatkozó multidiszciplináris megközelítésen alapuljon.

8. A BETEGKÉPVISELETI SZERVEZETEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE

Altémák (kötelező)	Megválaszolandó kérdések
A betegek és képviselőik bevonása a RB-ek területére vonatkozó döntéshozatali folyamatba	<p>Hogyan lehetne jobban bevonni a betegeket és megerősíteni szerepüket az alábbi területeken:</p> <ul style="list-style-type: none"> • a nemzeti tervek kidolgozása, • az információszolgáltatás • a Szakértői központok és európai referenciahálózatok létrehozása és irányítása • a ritka betegségek kutatása irányelveinek meghatározása • és egyéb területeken pl. a regiszterek létrehozása és menedzsmentje, klinikai próbák, a gyógyszerek klinikai hozzáadott értékeinek értékelése, terápiás nevelési-oktatási programok, orvosi, egyéb egészségügyi és szociális képzések
	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan lehet megfelelő forrásmechanizmusok biztosításával elősegíteni a betegek részvételét a RB-hez kapcsolódó döntési folyamatokban? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>
A betegszervezetek tevékenységeinek támogatása	<ul style="list-style-type: none"> • Hogyan lehet a betegszervezetek olyan programjait támogatni, amik a betegségekkel kapcsolatos tudatosság növelését, a kapacitásfejlesztését, a képzést, a legjobb tapasztalatok és tudás megosztását, a kapcsolatépítést, illetve az elszigeteltségben élő betegek elérését célozzák?
	<ul style="list-style-type: none"> • Milyen támogatási mechanizmusokat lehet bevezetni a betegek és képviselőik EU-s szintű érdekérvényesítő aktivitásának növelése érdekében? <p style="text-align: right;">10. téma – EU szaktudás gyűjtése</p>
	<ul style="list-style-type: none"> • Milyen programok léteznek az Ön országában, melyek támogatják a ritka betegséggel vagy fogyatékkal élő betegeket és családjaikat?

<p>Speciális szociális szolgáltatások: átmeneti gondozás¹, terápiás rekreációs programok², a betegek mindennapokba történő integrálását segítő programok</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Milyen tervek vagy programok léteznek a ritka betegséggel élők átmeneti gondozáshoz, terápiás rekreációs programokhoz és a mindennapi élethelyzetekben az integrációt segítő szolgáltatásokhoz való hozzáférésének elősegítésére? • Mit lehetne tenni annak érdekében, hogy a betegek számára ezek a szolgáltatások hozzáférhetőbbek és elérhetőbbek legyenek, az állami támogatásokat is beleértve? • Hogyan oldják meg a speciális szociális szolgáltatások finanszírozását? Állami intézmények a költségvetésből fenntartva vagy magáncégek és a betegszervezetek látják el ezeket a feladatokat? <p style="text-align: right;">9. téma – Fenntarthatóság</p>
<p>Segélyvonalak</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Milyen segélyvonalak (az összes betegségre vonatkozóan) léteznek az Ön országában a ritka betegséggel élők és az egészségügyi szakértők segítésére? • Hogyan lehet kialakítani vagy megerősíteni betegek által működtetett, a ritka betegséggel élőket segítő segélyvonalakat? • Hogyan lehet fejleszteni ezt a szolgáltatást? Hogyan lehet a láthatóságát növelni, főképp a betegek számára? • Nemzeti szinten szükséges lépések a 116-os európai szám³ kialakításához. • Hogyan oldható meg a segélyvonalak finanszírozása? Magáncégek és betegszervezetek által vagy létezik rá állami költségvetésből forrás? • Hogyan lehet ezek hosszú távú fenntarthatóságát biztosítani? <p style="text-align: right;">9. téma - Fenntarthatóság</p>

¹ Az átmeneti gondozás: rövidtávon nyújt segítséget a fogyatékkal élő embereknek, akik általában otthon élnek. Időt és ideiglenes megnyugvást ad a családtagoknak és gondozóiknak, megelőzve „kiégésüket”. További információkért keresse fel a www.rapsodyonline.eu címet!

² A terápiás rekreációs program: segít a gyerekeknek, hogy egy időre ne a betegségükre és kezelésükre figyeljenek, hanem a szórakozásra és kikapcsolódásra, ezzel segítve a személyiség fejlődését. További információért keresse fel a www.rapsodyonline.eu címet!

³ Az Európai Bizottság olyan szociális értékű szolgáltatásokat keres Európában, melyek 116-al kezdődő, ingyenes telefonvonalakat hasznosítani tudnák. Amint a Bizottság jóváhagyja a 116-os számot, nemzeti intézkedésekre lesz szükség, hogy minden EU-s országban működhessen ez az ingyenes szám. A RB-hez kapcsolódó 116-os számra pályázatot fognak kiírni.

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

VI. A BETEGKÉPVISELETI SZERVEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE TERÉN

18. Folytassanak konzultációt a betegekkel és a betegek képviselőivel a ritka betegségek területét érintő szakpolitikákról, és könnyítsék meg a betegek hozzáférését a ritka betegségekkel kapcsolatos, naprakész információkhoz.

19. Támogassák a betegképviselői szervek olyan tevékenységeit, mint a tájékoztatás a kapacitásépítés és a képzés, az információcsere és a legjobb gyakorlatok megosztása, a hálózatépítés és a nagyon elszigetelt helyzetben lévő betegek támogatása.

ÁTFOGÓ (HORIZONTÁLIS) TÉMÁK

Mint már a fentiekben említettük, a Tanács Ajánlásából két témát átfogó (horizontális) témaként határoztunk meg, melyeket minden szekcióülésen (1-5.) érinteni kell. Természetesen különálló workshopok szervezése is lehetséges a 6-7. témában. Ebben az esetben a táblázat 6. és 7. témájával kapcsolatos, szürke részeit kiemelve kell alkalmazni. Ezért ide csak a Tanácsi Ajánlás ide vonatkozó részeit foglaljuk össze:

9. A FENNTARTHATÓSÁG

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

VII. A FENNTARTHATÓSÁG TERÉN

20. A Bizottsággal együttesen tűzzék ki célul a ritka betegségekkel kapcsolatos tájékoztatás, kutatás és egészségügyi ellátás terén kifejlesztett infrastruktúrák hosszú távú fenntarthatóságának – megfelelő finanszírozási és együttműködési mechanizmusokon keresztül – biztosítását.

10. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS SZAKÉRTELEM EURÓPAI SZINTŰ ÖSSZEGYŰJTÉSE

Idézet A TANÁCS AJÁNLÁSA a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről (2009/C 151/02) (2009. június 8.)

V. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS SZAKÉRTELEM EURÓPAI SZINTEN TÖRTÉNŐ ÖSSZEGYŰJTÉSE TERÉN

17. Gyűjtsék össze a ritka betegségekkel kapcsolatos, nemzeti szinten meglévő szakértelmet és támogassák annak az európai partnerekkel való megosztását az alábbiak támogatása érdekében:

- a) a ritka betegségek terén a diagnosztikai eszközökre és orvosi ellátásra, valamint az oktatásra és a szociális ellátásra vonatkozó legjobb gyakorlatok megosztása;
- b) megfelelő oktatás és képzés biztosítása valamennyi egészségügyi szakember számára annak érdekében, hogy felhívják a figyelmüket e betegségek és az azokkal kapcsolatos ellátás céljából rendelkezésre álló eszközök létezésére;
- c) egészségügyi képzés kidolgozása a ritka betegségek diagnosztikájához és kezeléséhez kapcsolódó területeken, mint például a genetika, immunológia, neurológia, onkológia és a pediátria);
- d) a diagnosztikai vizsgálatokra vagy a népesség szűrésére vonatkozó európai iránymutatások kidolgozása a nemzeti döntések és hatáskörök tiszteletben tartásával;
- e) a ritka betegségek gyógyszereinek terápiás, illetve klinikai többletértékére vonatkozó tagállami értékelő jelentések közösségi szintű megosztása, amennyiben a vonatkozó ismereteket és szakértelmet összegyűjtötték, annak érdekében, hogy a betegek minimális időn belül tudjanak hozzájutni a ritka betegségek gyógyszereihez.