

EUROPLAN

European Project for Rare Diseases National Plans Development
Coordinated by the Italian National Centre for Rare Diseases
Italian National Institute of Health

2012-2015



EUROTERV Nemzeti Konferencia

1. Workshop Összefoglaló

A NEMZETI TERV MÓDSZERTANA, IRÁNYÍTÁSA
ÉS ELLENŐRZÉSE



Ritka betegségek (RB) feltérképezése

RB a **köztudatban** – évente megrendezésre kerülő
Ritka Betegségek Világnapja

RB-vel élők **állapotának felmérése**

Eurordis Care2: a helyes diagnózishoz vezető út az európai országokban.

Mo.-on 5 indikátor betegség (fibrosis cystica, sclerosis tuberosa, Williams szindróma, retinitis pigmentosa, Duchenne muscularis dystrophia), 252 beteg , 47,7%-os válaszadás.

Eurordis Care 3: európai betegek véleményének felmérése .

Mo.-on 408 beteg (cisztás fibrózis, epidermolysis bullosa, myasthenia gravis, Prader-Willi-szindróma, sclerosis tuberosa, Williams-szindróma).



BURQOL-RD **projekt** – a RB-vel élők és családtagjaik társadalmi, gazdasági helyzetének és életminőségének felmérése.

Cél: az adatok felhasználásával az érintettek helyzetének javítása



Cystas fibrosis, Prader-Willi Syndrome

Haemophilia, Fragilis X

Duchenne-féle izomdisztrófia (DMD)

Epidermolysis Bullosa, Scleroderma

Mucopolysaccharidosis, Histiocytosis

Juvenilis idiopathas arthritis (16 évesnél fiatalabbak)

RB ismertsége az
orvosi szakmában

VRONY

Ritka betegség	Becsült hazai esetszámok
Down szindróma	5000
Scleroderma	4200
Primer congenitalis hypothyreoidismus	3750
Retinitis pigmentosa	3020
Amyloidosis	3000
Fragilis X szindróma	2800
Myelodysplasias szindróma	2280
Marfan szindróma	2000
Myasthenia gravis	2000
Williams szindróma	1330
Fibrosis cystica	1260
Tuberous sclerosis	880
Huntington kór	700
Galactosemia	660
Amyotrophic lateral sclerosis	520
Dystrophias epidermolysis bullosa	500
Rett szindróma	415
Smith-Lemli-Opitz szindróma	330
Von Hippel-Lindau kór	190
Fabry kór	175
Cystinosis	50
Scheie szindróma	20
Alpers szindróma	2,5
Progeria	0,5

Nemzetközi vonatkozások és EU-s kötelezettségek

A **TANÁCS AJÁNLÁSA** (2009. június 8.) a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről

EURÓPAI PARLAMENT ÉS A TANÁCS
2011/24/EU **irányelve** (2011.márc.9.) a határon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről

A Magyar Nemzeti Terv elkészült

Főbb vonásai: szerkezete világos
meghatározott célkitűzések
a feladatok végrehajtóit megnevezték
feladatok ütemezése megtörtént
a feladatokhoz pénzforrást rendeltek
a végrehajtás követéséhez indikátorok

A Nemzeti Terv elsődleges célkitűzései

- azonos bánásmód és szolidaritás elve az RB területén
- a RB multidiszciplináris megközelítésű diagnosztikájának és kezelésének fejlesztése
- racionalizált beteg utak kialakításával az RB magas színvonalú ellátáshoz, terápiás lehetőségekhez való hozzáférés javítása
- RB oktatás és kutatás támogatása
- európai együttműködés a RB területén

A Nemzeti Terv készítése során használt indikátorok

Nemzeti Terv létesítését és fejlesztését támogató jogszabályok

Ritka Betegség Tanácsadó Bizottság

Állandó és hivatalos betegképviselet a Nemzeti Terv
fejlesztésében, monitorozásában és értékelésében

Az Európai Unió Ritka Betegség definíció adaptálása

Alapvető EUCERD Indikátorok 2013

N°1. RB-re vonatkozó terv létrehozásához és kidolgozásához szükséges törvények, vagy nemzeti határozatok

Törvényhozási, parlamenti eljárásra elkészült RB Terv

N°2. RB tanácsadói testület

Több-érdekképviselőtű testület felügyeli és követi a Terv kidolgozását

N°3. Állandó és hivatalos **betegképviselő**

Betegképviselő részvétele a terv kidolgozásának és irányításának, ellenőrzésének és értékelésének során

Alapvető EUCERD Indikátorok 2013

N°18. Az RB terv/stratégia hosszú távú fenntarthatóságát biztosító politika/döntés

Az RB gondozás és kezelés **pénzügyi kötelezettsége** világosan meghatározott a Terv költségvetésében

N°19. Az RB tervhez/stratégiához rendelt **állami pénzforrás összege**

A Tervhez rendelt **teljes éves költségvetés (Euroban)**. RB működését biztosítja beleértve a megfelelő ellátást és az időbeni fenntarthatóságot is.

A Nemzeti Tervben vázolt beavatkozások:

1. A RB **diagnosztikájának** javítása
2. A **Szakértői Központok** rendszerének kialakítása
3. RB-re specializált **beteg regiszterek** fejlesztése
4. A RB-vel kapcsolatos **graduális és posztgraduális képzés**
5. **Újszülöttkori szűrés** fejlesztése
6. A RB **gyógyszerellátásának** javítása
7. A RB-vel kapcsolatos **kutatás**
8. A RB-ben szenvedők **szociális ellátásához** való hozzáféréseinek javítása
9. **Együttműködés** civil szervezetekkel, betegképviseléssel, laikus képzés

A NT végrehajtásának irányítása

- A NT megvalósításának irányítását az EMMI Egészségpolitikai Főosztály végzi
- Az NT-hez kapcsolódó szakterületeket a Ritka Betegség Szakértői Bizottság képviseli
- A NT-ben nem eléggé meghatározottak azok az eljárások, amelyek biztosíthatják a betegek részvételét a végrehajtás minden szakaszában azért, hogy dönthessenek az őket érintő intézkedésekről

A NT terjesztése és kommunikációja

- A NT elkészítése és megvalósítása a betegszervezetek számára nyilvánosan történt/történik
- A NT valamennyi része nyilvános, beleértve valamennyi tevékenységet, a határidőket, az értékelés elérhető eredményeit a betegszervezetek számára hozzáférhető, de a lakosság egyelőre nem ismeri.
- A NT tervezett beavatkozásai elősegítik, hogy figyelem irányuljon a ritka betegek problémáira

A NT monitorozása és értékelése

- A NT megvalósításának nyomon követéséhez megfelelő indikátorokat választottak
- A megvalósítás értékelésére nincs kijelölve független, külső szervezet
- Az értékelések során szükség lenne felmérni a betegek és az egészségügyi szakemberek véleményét és elégedettségét is

A Nemzeti Terv fenntarthatósága

- Az egyes beavatkozásokhoz meghatározták a szükséges költségeket.
- A forrásigényt 2014-2020 időszakra határozták
- Összesen több mint 900 mFt; azaz évente 130 mFt

Az I. Workshop javaslatai

- Az IB-ban valamennyi érintett (eü., szoc., okt. tárca) vegyen részt, az IB összeállításához, működéséhez vegyenek figyelembe nemzetközi példákat
- A NT térjen ki a végrehajtásban részvevők tevékenységének koordinálására
- A NT végrehajtásának értékelését bízzák független, megfelelő szakmai tapasztalatokkal és referenciákkal rendelkező nemzetközi szervezetre
- Az érintettek tájékozódjanak az EMMI 2014-20 időszakra vonatkozó fejlesztési terveiről az NFÜ honlapján