



INDIKÁTOROK

AZ EUCERD AJÁNLÁSA AZ EURÓPAI BIZOTTSÁG ÉS A TAGÁLLAMOK RÉSZÉRE, VALAMINT AZ EUROTERV PROJEKT INDIKÁTORAI

MISSZIÓ, VÍZIÓ ÉS HATÁSKÖR

1. Az Kulcsindikátorok általános célja a ritka betegségek terveivel és stratégiával kapcsolatban, hogy releváns adatok és információk legyenek összegyűjthetőek a tervezési folyamat, a megvalósítás és a monitorozás segítése érdekében. A Kulcsindikátorok ezért a döntéshozatali folyamat eszközeinek tekinthetők az elfogadás, felmérés és a ritka betegségeket érintő további fejlesztések esetében.
2. Az EU tagállamainak a Kulcsindikátorok alapján éves rendszerességgel adatgyűjtést kell végezni.
3. A begyűjtött adatok felhasználhatóak:
 - a. A tagállamokat segítő eszközként, amivel a politikai kezdeményezések Nemzeti tervekbe és stratégiákba történő integrálása nyomon követhető a 2009. június 8-án elfogadott Tanácsi Ajánlás alapján.
 - b. A tagállamok éves jelentési kötelezettségének teljesítéséhez, mely az EUCERD minden évben kiadott „EUCERD jelentés a ritka betegségekkel kapcsolatos tevékenységekről Európában” c. kiadványában jelenik meg. Az EUCERD a jelentéseket ezek alapján a kulcsindikátorok alapján értékeli és dolgoz ki útmutatókat a tagállamok számára.

Továbbá az adatgyűjtés további információt szolgáltat az Európai Bizottság 2013. év végéig elkészülő teljesítési jelentéséhez, ahogy azt a már az előzőekben említett Tanácsi Ajánlás határozza meg.

4. Ezen ajánlások elfogadását követően az EUCERD felülvizsgálhatja a Kulcsindikátorok és célok listáját, és ahol szükséges javasolhat módosítást. Az értékelés a tagállamok RB nemzeti terveinek és stratégiájának elfogadásáról és megvalósításáról szóló tapasztalatai alapján történik majd, a Tanácsi Ajánlás követelményei szerint.

EUCERD KULCSINDIKÁTOROK LISTÁJA

Az alábbi kulcsindikátor listát minden EU tagállamnak ajánlják a RB nemzeti tervek, stratégiák monitorozásához.

HÁTTÉR INDIKÁTOROK (A terv/stratégia előkészítéséhez)

1. Törvények/rendeletek megléte vagy ezzel egyenértékű nemzeti szintű hivatalos döntések, amik támogatják a RB nemzeti tervének létrehozását és fejlesztését
2. RB tanácsadó testület megléte

3. Állandó és hivatalos betegképviselő a terv kidolgozásában, monitorozásában és értékelésében.
4. Az EU RB definíciója elfogadott

TARTAMI INDIKÁTOROK

Szakértői központok

5. Létezik nemzeti szabályozás a RB Tudásközpontjainak létrehozására
6. A nemzeti szabályozásnak megfelelő a Szakértői központok száma
7. A nemzeti vagy regionális Tudásközpontok részvétele az Európai Referencia Hálózatokban

Információ

8. NT/NS segíti a nemzeti és/vagy regionális RB információs rendszerek kidolgozását és a folyamatban való részvételt
9. RB segélyvonalak megléte

Tudás, kódolás, regiszterek és kutatás

10. Létezik nemzeti szabályozás a RB klinikai gyakorlatára vonatkozó irányelvek kidolgozására és alkalmazására
11. Az egészségügyben alkalmazott kódolási rendszer típusa
12. Létezik nemzeti szabályozás az RB regiszterekre és adataik védelmére vonatkozóan
13. Léteznek RB kutatási programok és/vagy projektek az országban
14. Részvétel nemzetközi kutatási kezdeményezésekben

Terápiák

15. Az EU piaci engedéllyel rendelkező és az országban elérhetővé tett Árva gyógyászati termékek száma (beleértve a megvehető, a térített vagy a közvetlenül hozzáférhető termékeket a nemzeti egészségügyi rendszerben).
16. Létezik kormányzati szintű rendszer a gyógyászati termékek méltányossági alapú használatára

Szociális szolgáltatások

17. Léteznek programok RB integrációjának elősegítésére mindennapi életük könnyítése érdekében

ANYAGI TÁMOGATÁST MÉRŐ INDIKÁTOROK

18. Léteznek szabályozások/határozatok a RB nemzeti tervek/stratégiák hosszú távú fenntarthatóságáért
19. RB nemzeti tervre/stratégiára elkülönített költségvetési támogatás mennyisége
20. Speciális állami támogatások a RB kutatásokra
21. Az RB kutatási tevékenységeire/projektjeire évente elkülönített Állami támogatások mennyisége, a nemzeti terv életbe lépésétől kezdve

EUCERD KULCSINDIKÁTOROK – DEFINÍCIÓ ÉS TÁRSULÓ VÁLASZOK

| INDIKÁTOR | TANÁCSI AJÁNLÁS HIV. | INDIKÁTOR LEÍRÁSA | INDIKÁTOR TÍPUSA | RÖVID VÁLASZ | RÉSZLETES VÁLASZ (TÖBB VÁLASZ IS LEHETSÉGES) |
|--|----------------------|---|------------------|--------------|--|
| HÁTTÉR INDIKÁTOROK (A terv/stratégia előkészítéséhez) | | | | | |
| 1.Törvények/rendeletek, vagy ezzel egyenértékű nemzeti szintű hivatalos döntések megléte, amik támogatják a RB nemzeti tervének létrehozását és fejlesztését | 1 | Ez az indikátor arra tényre vonatkozik, hogy a RB nemzeti tervet/stratégiáját nemzeti szinten kell szabályozni, összhangban a Tanácsi Ajánlással, az EUCERD releváns ajánlásaival (pl. a Szakértői Központokra és az Európai Referencia Hálózatokra vonatkozókkal) csakúgy mint egyéb releváns rendeletekkel (pl. EC 141/2000 az árva gyógyászati termékekről, EU/2011/24 Határon Átívelő Ellátás Direktívája, stb.). A nemzeti tervet/stratégiát törvény által szabályozott formában kell létrehozni, bár annak pontos formája és szintje változatos lehet (törvény, rendelet, vagy egyéb határozati forma). Mindezek megfelelő kormányzati szinten kell megvalósítani (pl. szövetségi, szemben a szövetségi állammal) az ország államformájától és kormányzati felépítésétől függően. Ezért törvényes és operatív keretbe kell foglalni. | folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, létezik, teljes mértékben beágyazott a szabályozásba/törvénybe / nemzeti határozatba igen létezik, részben beágyazott |
| | | | | folyamatban | |
| | | | | nem | |
| 2.RB tanácsadó testület megléte | 1 | A tanácsadó testület feladata a | folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, létezik, rendszeresen |

| | | | | | |
|--|---|---|----------|------|--|
| | | NT/NS kidolgozásának és elfogadtatásának koordinálása. Ez a testület minden releváns érdekcsoportból érkező küldöttekből áll pl. betegképviselő, nemzeti kormány, ipar, kezelőorvosok, akadémikusok, finanszírozók stb. | | | <ul style="list-style-type: none"> ülésezik, és minden érdekcsoport képviselteti magát igen, létezik, de csak részben funkcionál, és minden érdekcsoport képviselteti magát Igen, létezik, rendszeresen ülésezik, de nincs minden érdekcsoport képviselve benne Igen, létezik, de csak részben funkcionál, és nincs minden érdekcsoport képviselve benne |
| | | | | nem | |
| 3.Állandó és hivatalos betegképviselő a terv kidolgozásában, monitorozásában és értékelésében. | 6 | A betegek állandó és hivatalos képviselőt gyakorolnak a terv alkotásának, irányításának, monitorozásának és értékelésének minden szintjén. | folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, minden szinten igen, de csak megfigyelőként igen, de csak a végső dokumentum benyújtása előtt konzultálhatnak |
| | | | | nem | |
| 4.Az EU RB definíciója elfogadott | 2 | Az EU definíciója szerint RB-nek számít az, akinek az előfordulási gyakorisága kisebb, mint 5/10000. Ez a definíció az árva gyógyászati termékekre vonatkozó EC 141/2000 rendelet és a határon átívelő ellátásról szóló 2011/24/EU direktíván és a ritka betegekkel kapcsolatos fellépésről szóló 2009.06.08. Tanácsi Ajánlásán alapul. | folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, a NT/NS az EU definíciót alkalmazza az intézkedéseknél igen, de a NT/NS más definíciót alkalmaz az intézkedéseknél |
| | | | | nem | Részletezze, milyen definíciót alkalmaz az NT/NS |
| TARTALMI INDIKÁTOROK | | | | | |

| Szakértői központok | | | | | |
|--|---|---|----------|----------------------------------|---|
| 5.Létezik nemzeti szabályozás a RB Tudásközpontjainak létrehozására | 4 | Ez az eljárás mód meghatároz egy olyan stratégiát, amivel azonosításra és megtervezésre kerülnek tudásközpontok. A TK kijelölésének célja az egészségügyi ellátás minőségének fejlesztése az RB területén tapasztalatokkal rendelkező központok meghatározásával, a betegutak szervezésével a diagnosztikus késedelem csökkentése, és az RB gondozásának és kezelésének segítése. | folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, létezik, teljesen megvalósított igen, létezik, részben megvalósított |
| | | | | folyamatban | |
| | | | | nem | |
| 6.A nemzeti szabályozásnak megfelelő a Tudásközpontok száma | 4 | A tagállamok azonosítják, és kijelölik az ország területén található TK-okat és döntenek létrehozásuk támogatásáról. A TK-nak a nemzeti szabályozásnak kell megfelelniük. Az EUCERD elfogadta az „EUCERD Ajánlását a Szakértői központok minőségi kritériumaira vonatkozóan” annak érdekében, hogy segítse a tagállamokat a NT/Nra vonatkozó a feltételek és szabályozás kidolgozásában. Az NT/NS része a betegutak nemzeti és európai szintű szervezése. Ez az indikátor ezért az EUCERD ajánlásainak megfelelő TK számát is kéri bemutatni. | Eredmény | szám | Tudásközpontok száma a nemzeti szabályozással összhangban |
| | | | | | Tudásközpontok száma/millió lakos |
| | | | | | Az EUCERD kritériumoknak megfelelő Szakértői Központok száma |
| 7.A nemzeti vagy regionális Tudásközpontok részvétele az Európai Referencia Hálózatokban | 4 | A nemzeti TK-oknak az Európai Referencia Hálózatokba történő integrálására vonatkozó | Eredmény | Azon TK-k száma, amik az ERH-nak | |

| | | | | | |
|---|------|---|----------|--|--|
| | | <p>információ alapvető fontosságú a RB ellátásról európai szintű képalkotásához és alkalmas a szaktudás terjedésének mérésére, tekintet nélkül az ország méretére és a lakosság számára.</p> <p>Az „EUCERD Ajánlása a Tudásközpontok minőségi kritériumaira vonatkozóan” többféle kapcsolatot engedélyez az ERH-kal (tag, együttműködő). Ezért az indikátor célja differenciálni a teljes jogú és a pártoló tagság között. Habár számításba kell venni, hogy hosszabb időbe telik egy ERH kialakítása, ezért előfordulhat, hogy ez az indikátor csak évek múlva, az ajánlások adaptációja után szolgáltat majd értelmezhető adatokat.</p> | | <p>teljes jogú tagjai</p> <p>Azon TK-k száma, amik az ERH-nak pártoló tagjai</p> | |
| Információ | | | | | |
| 8.NT/NS segíti a nemzeti és/vagy regionális RB információs rendszerek kidolgozását és a folyamatban való részvételt | 2 | Az indikátor az orphanet-hoz hasonló, hazai szinten működő és létező RB specifikus információkat összefogó rendszerre kérdez rá. Az indikátor magába foglalja az Orphanet Cselekvési programjában való részvételt és a rendszeres időszakonként anyanyelven feltöltött információs anyagok elkészítését. | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, nemzeti igen, regionális |
| | | | | nem | |
| | | | | Részvétel az Orphanet Cselekvési programjában | <ul style="list-style-type: none"> igen, részt vesz a programban és szolgáltat információt anyanyelven igen, részt vesz a programban, de nem szolgáltat információt anyanyelven nem |
| 9.RB segélyvonalak megléte | 2, 6 | A segélyvonalak megléte alapvető fontosságú az információ és szaktudás | Folyamat | igen, állami támogatásból | <ul style="list-style-type: none"> igen, de csak szakembereknek igen, de csak betegeknek |

| | | | | | |
|--|---|---|----------|--|--|
| | | terjesztéséhez a RB esetében. Fontos szerepet töltenek be a betegek irányításában, az adott helyzetükre illő megoldások keresésében, ami közvetlenül vagy közvetve hatással van az életükre. Ez az egyetlen olyan szolgáltatás, ami pszichés, szociális és információs segítséget nyújt a szükségleteknek megfelelően. A szakemberek (a sürgősségen dolgozók is) informálódhatnak a diagnosztikus betegutakról, erőforrásokról, a RB-ek menedzsmentjéről. Az indikátor célja, hogy beszámoljanak a nemzeti RB segélyvonalakról, mind a betegek, mind pedig a szakemberek számára (esetleg mindkettő részére), beleértve a nem állami finanszírozással működőket is. | | | <ul style="list-style-type: none"> igen, szakembereknek és betegeknek is |
| | | | | igen, magántámogatók segítségével | <ul style="list-style-type: none"> igen, de csak szakembereknek igen, de csak betegeknek igen, szakembereknek és betegeknek is |
| | | | | igen, állami és magántámogatások kombinációjával | <ul style="list-style-type: none"> igen, de csak szakembereknek igen, de csak betegeknek igen, szakembereknek és betegeknek is |
| | | | | nem | |
| Tudás, kódolás, regiszterek és kutatás | | | | | |
| 10. Létezik nemzeti szabályozás a RB klinikai gyakorlatára vonatkozó irányelvek kidolgozására és alkalmazására | 2 | Az indikátor ellenőrzi a betegségekre / betegségcsoportokra vonatkozó klinikai jó gyakorlatok irányelveinek kidolgozását, adaptációját és végrehajtását szabályozó feltételek meglétét. (A befogadás arra vonatkozik, hogy a nemzetek feletti szintű irányelvek hogyan kerülnek át a helyi szintű gyakorlatba). A protokollok és klinikai irányelvek összegyűjtése jó eszköz lehet a | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, létezik szabályozás az irányelvek kidolgozására igen, létezik szabályozás az irányelvek adaptálására igen, létezik szabályozás az irányelvek megvalósítására |
| | | | | nem | |

| | | | | | |
|--|------|--|----------|--|--|
| | | RB egyenlő esélyű hozzáféréseinek biztosítására az ellátás és gondozás terén az EU-n belül. | | | |
| 11. Az egészségügyben alkalmazott kódolási rendszer típusa | 2 | Nemzetközi szinten elismert, átfogó egészségügyi kódolási rendszer befogadása és napi szintű alkalmazása fontos az RB menedzsment szervezéséhez és a betegségek nevezéktanának világméretű harmonizációjának szempontjából. Ennek segítségével biztosabb alapon születhetnek a menedzsmentet és költségvetést is érintő döntések. Releváns eszköznek bizonyult emellett az Egészség Technológiai Elemzéshez. | Folyamat | kódolási rendszer típusa | <ul style="list-style-type: none"> • BNO-9 • BNO-10 • OMIM • SNOMED • MESH • BNO-0 • Egyéb |
| | | | | Orpha kódokat a nemzeti kódolási rendszer alkalmazza-e | <ul style="list-style-type: none"> • igen • nem |
| 12. Létezik nemzeti szabályozás az RB regiszterekre és adataik védelmére vonatkozóan | 2, 3 | Az indikátor információt gyűjt a minden szükséges szinten elérhető tagállami támogatásokról, melynek célja a RB regiszterek és adatbázisok kialakítása/fenntartása epidemiológiai, népegészségügyi, kutatási célokból. Emellett biztosítani szeretné az állami szervek adatgyűjtési koordinációját és fenntartását. | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> • igen, nemzeti/központi regiszterek és adatgyűjtés • igen, regionális regiszterek és adatgyűjtés • |
| | | | | nem | |
| 13. Léteznek RB kutatási programok és/vagy projektek az országban | 3 | Az indikátor célja a RB kutatás tagállami állapotainak leírása, különös tekintettel arra, hogy léteznek-e külön programok, vagy az RB kutatások csak egyéni projektek keretében fedezhetők fel az általános kutatási programokon belül. | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> • igen, speciális kutatási program • igen, speciális kutatási projektek az általános kutatási programok részeként |
| | | | | nem | |

| | | | | | |
|--|---|--|----------|-------------|---|
| 14. Részt vétel nemzetközi kutatási kezdeményezésekben | 3 | Nemzeti kutatási hivatalok részvétele nemzetközi kutatási kezdeményezésekben (pl E-rare, IRDIRC) fontos annak érdekében, hogy a RB kutatás világszinten erősödjön az erőforrások egyesítésének és a nemzeti kutatási programok koordinációjának köszönhetően. Így ugyanis megszüntethető a RB kutatásokra jellemző töredezettség. | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> • igen, E-RARE • igen, IRDIRC • Igen, egyéb (részletezve) |
| | | | | nem | |
| Terápiák | | | | | |
| 15. Az EU-ban és az országban forgalomba hozott és elérhetővé tett Árva gyógyászati termékek száma (beleértve a megvásárolható, a térített vagy közvetlenül hozzáférhető termékeket a nemzeti egészségügyi rendszerben). | 5 | Az árva gyógyászati termékek (ÁGYT) elérhetősége a nemzeti piacon alapvetően illusztrálja a betegek kezelésekre való hozzáférést az adott országban. Továbbá a betegek különböző hozzáférése egyes ÁGYT-hez különböző lehet a tagállamokban, így a határon átvélt ellátás sikerességét is alapvetően befolyásolja az ellátáshoz és kezelésekre való hozzáférés harmonizációja. Ezért fontos az elérhető ÁGYT mennyiségének meghatározása országonként, mind az ambuláns, mind pedig a kórházi ellátás esetében. Az egyes tagállamok közötti eltérések áthidalása szintén fontos. | Eredmény | szám | |
| 16. Létezik kormányzati szintű rendszer a gyógyászati termékek méltányossági alapú használatára | 5 | Az indikátor célja, hogy felmérje, létezik-e olyan rendszer, ami lehetővé teszi a RB új készítményei esetében a | Folyamat | igen | |
| | | | | folyamatban | |
| | | | | nem | |

| | | | | | |
|--|---|---|----------|-------------|---|
| | | jóváhagyás előtti alkalmazást (méltányossági eljárás). Az ilyen programok megléte a teljes RB ellátás felméréséhez ad információt. | | | |
| Szociális szolgáltatások | | | | | |
| 17. Léteznek programok RB integrációjának elősegítésére mindennapi életük könnyítése érdekében | 6 | <p>Ritka betegségek gyakran vezetnek fogyatékosághoz vagy folyamatos gondozási szükséglethez. A speciális szociális szolgáltatások alapvetően hozzájárulnak a teljes, kielégítő élethez. A szolgáltatások meglétéből és számukból a tagállam ügy iránti elkötelezettsége mutatható ki. Példák olyan szociális szolgáltatásokra, amelyeket a betegek mindennapjaiba integrálva pszichés és oktatási fejlődésüket támogatjuk:</p> <ol style="list-style-type: none"> oktatási lehetőség a betegeknek, rokonaiknak és gondozóiknak egyéni támogatás az iskolában mind a RB tanulók, mind a tanárok számára, beleértve a betegség specifikus jó gyakorlatokat. olyan tevékenységek, amelyek a RB betegek minél magasabb színvonalú oktatását teszik lehetővé támogató mechanizmusok a | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, a RB-k hozzáférnek minden általános fogyatékosági programhoz (részletezve) igen, de vannak külön programok, amik lehetővé teszik az RB-k hozzájutását az általános fogyatékosági és szociális programokhoz (pl. képzés, útmutatók szociális munkásoknak) (részletezve) igen, léteznek speciális programok az RB-nek (részletezve) |
| | | | | folyamatban | (részletezve) |
| | | | | nem | |

| | | fogyatékkal élők munkavállalása terén | | | |
|---|---|---|----------|-------------|--|
| ANYAGI TÁMOGATÁST MÉRŐ INDIKÁTOROK (A terv/stratégia életbe léptetése) | | | | | |
| 18. Léteznek szabályozások/határozatok a RB nemzeti tervek/stratégiák hosszú távú fenntarthatóságáért | 7 | Az indikátor ellenőrzi, hogy a RB gondozására és kezelésére fordítandó összeg jól meghatározott-e a NT/NS végrehajtására és tevékenységeire elkülönített költségvetésben. | Folyamat | igen | <ul style="list-style-type: none"> igen, van határozat/szabályozás a hosszú távú fenntarthatóság biztosítására igen, van a tervhez költségvetés rendelve |
| | | | | folyamatban | |
| | | | | nem | |
| 19. RB nemzeti tervre/stratégiára elkülönített költségvetési alap | 7 | Az indikátor a NT/NS-re fordított éves költségvetést vizsgálja a teljes költségvetés arányában (Euróban) (kivéve az általános ellátás és a gondozás visszatérítés költségeit, valamint az árva gyógyszereket). Az előző indikátorral összhangban az indikátor célja a NT/NS hosszú távú fenntarthatóságának biztosítása. A tevékenységek eredményessége és hatékonysága a RB esetében függ a nemzeti és európai szintű kevés és szórványos források integrálásától. | Eredmény | szám | <ul style="list-style-type: none"> érték érték/millió lakos az érték csak részben elérhető: csak a kizárólag NT-hez kapcsolt pályázatok (az általános költségvetés részeként van meghatározva az összeg) Az általános költségvetésen belül nem elkülöníthető |
| 20. Speciális állami támogatások a RB kutatásokra | 3 | Az indikátor célja az olyan állami döntések feltérképezése, amik a nemzeti kutatási alapból elkülönítetten RB kutatásokra fordít forrásokat. | Folyamat | igen | |
| | | | | folyamatban | |
| | | | | nem | |
| 21. Állami támogatások elkülönítésre kerülnek a nemzeti | 3 | Az indikátor meghatározza a RB kutatási projektekre és | Eredmény | szám | <ul style="list-style-type: none"> érték az érték csak részben |

| | | | | | |
|--|--|--|--|--|---|
| terv életbe lépésétől kezdve minden évben a RB kutatási tevékenységeire/projektjeire | | programokra elkülönített állami támogatásokat (Euróban). | | | <p>elérhető: csak a kizárólag NT-hez kapcsolt pályázatok (az általános költségvetés részeként van meghatározva az összeg)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Az általános költségvetésen belül nem elkülöníthető |
|--|--|--|--|--|---|

EUROPLAN PROJEKT INDIKÁTORAI

Nemzeti Tervek módszertana és szervezése

| Feltárandó terület | Célok | Akciók | Indikátorok | | Indikátor típusa | Válaszok |
|-------------------------|---|--|-------------|--|------------------|--|
| RB tervek és stratégiák | A RB-re vonatkozó nemzeti / regionális tervek, stratégiák készítése | Rendeletek/törvények készítése | 1.1. | A létező rendeletek/törvények, amelyek támogatják a RB tervének létrehozását | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Nem létező, nem került pontos meghatározásra ▪ Létező, világosan meghatározva, részben megvalósítva és támogatva ▪ Létező, világosan meghatározva, többségében megvalósítva és támogatva |
| | | | 1.2. | Nemzeti/regionális (régiók százalékos megosztása) | Folyamat | Index: a tervvel lefedett régiók száma osztva az összes régiók számával A Nemzeti Terv megfelel ennek az indexnek a 100 %-kal |
| | | Koordinációs mechanizmusok létrehozása | 1.3. | A koordinációs mechanizmusok megléte | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Nem létező, nem került pontos meghatározásra ▪ Létező, világosan meghatározva, részben megvalósítva és támogatva ▪ Létező, világosan meghatározva, többségében megvalósítva és támogatva |
| | | | 1.4. | Szakértői tanácsadó testület megléte | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Létező és rendszeresen összeül |

| | | | | | | |
|--|--|---|------|--|----------|--|
| | | | | | | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Létező, de csak részben működő ▪ Nem létező |
| | | A Terv/Stratégia eljárások külső felügyelő szervének létrehozása | 1.5. | Külső felügyeleti, végrehajtási testület megléte | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Az ülések évenkénti száma |
| | | A széleskörűség fokozása | 1.6. | A tervben előforduló prioritási területek száma | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Szám 1-től 10-ig |
| | | Külön költségvetési alap létrehozása a terv/stratégia kidolgozására | 1.7. | A terv/ stratégia költségvetése | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> ▪ Teljes rendelkezésre álló költség |

Meghatározás és nyilvántartás (Információ és tréning)

| Feltárandó terület | Célok | Akciók | Indikátorok | | Indikátor típusa | Válaszok |
|---|--|--|-------------|---|------------------|--|
| A ritka betegségek megfelelő meghatározása, kódolása és jegyzékbe vétele | Egységes meghatározások használata | Hivatalosan elfogadtatni az Európai Bizottság RB meghatározását (nem több, mint 5 eset/10000 születés) | 2.1 | Az Európai Bizottság RB definíciója elfogadott | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • igen • nem • Az EU meghatározást egy másik definícióra cserélve |
| | Biztosítani, hogy a RB megfelelően kódoltak és kezelhetőek legyenek az egészségügyi rendszer számára | A népegészségügyi ellátásba kerüljön beépítésre az elérhető legjobb RB osztályozási módszer | 2.2. | Az egészségügyi rendszerben használt osztályozás típusa | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • BNO-9 • BNO-10 • OMIM • SNOMED • ORPHAN • MESH • Egyéb |
| | | | 2.3. | Az ellátási tájékoztató szolgálat RB felismerési eljárás módjának fejlesztése | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Nincs, ill. nem igazán rendezett • Van, egyértelműen rendezett és támogatott • Van, egyértelműen rendezett, rendszeresen fejlesztett és támogatott |
| | A pontosabb előfordulási statisztikai adatok megismerése érdekében a jegyzékek | A betegségek jegyzékén alapuló felügyeleti rendszer felállítása | 2.4. | Jegyzékbevételei tevékenység | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Központosított RB jegyzék • Különböző RB jegyzékek, de jól koordinált és standardizált |

| | | | | | | |
|---|--|--|---|---|--|---|
| | támogatása | | | | | <ul style="list-style-type: none"> • Különböző nem standardizált RB jegyzékek • Nincs jegyzék egyáltalán |
| | | | 2.5. | A bevont betegségek száma | Eredmény | 1-20-ig terjedő skálán való értékelés |
| Vizsgált terület | Célok | Tevékenységek | | Indikátorok | Indikátor típusa | Válasz |
| A RB-kel kapcsolatos szaktudás és szakértelem Európa szinten történő összegyűjtése | Oktatás és továbbképzés fejlesztése | A terv/stratégia által szakemberek és betegek számára biztosított információs oldalak létrehozása | 5.1. | A kormány által támogatott, világosan kidolgozott nemzeti/regionális ritka betegségekkal kapcsolatos információs rendszer megléte | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • igen, a legtöbb ritka betegséget lefed • igen, de csak néhány ritka betegséget fed le • még nem tettek hivatalos lépést |
| | | | 5.2 | Segélyvonalak szakemberek számára | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • igen, a legtöbb ritka betegséget lefed • igen, de csak néhány ritka betegséget fed le • még nem tettek hivatalos lépést |
| | | | 5.3 | Segélyvonalak betegek számára | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • igen • nem • alakulóban |
| | | | 5.4 | Klinikai útmutatók | Eredmény | Szám 0-30 között |
| | | | Továbbképzés, figyelemfelhívó oktatási kampány elősegítése a szakemberek és betegek körében | 5.5 | A terv/stratégia által biztosított tevékenységek száma | Eredmény |
| Betegek megerősítése | Olyan mehanizmusok megléte, amely biztosítja a betegek számára, hogy közvetlenül együttműködhessenek az őket érintő egészségügyi szabályozások kialakításában. | Építeni, támogatni a NT/NS-ben is megjelenő, komplex problémákat kezelő segélyvonalak és információs honlapok létezését a betegek számára. | 6.10 | Elérhető segélyvonalak a RB számára | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • saját segélyvonal • csatolt segélyvonal (általánosabb) • nincs hivatalos döntés |

Ritka betegségek kutatása

| | Célok | Tevékenységek | Indikátorok | | Indikátor típusa | Válasz |
|---------------------------|---|--|-------------|---|------------------|---|
| Ritka betegségek kutatása | RB kutatási programok támogatása | RB kutatási programok kiépítése | 3.1 | Létező nemzeti/ regionális kutatási programok | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Speciális RB kutatási programok • RB kutatási programot prioritásként tartalmazó általános kutatási program • Nem RB kutatási program |
| | | | 3.2 | RB kutatási program monitorozása | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Nem létező, nincs egyértelműen meghatározva • Létező, egyértelműen meghatározva, részben megvalósítva • Létező, egyértelműen meghatározva, nagymértékben megvalósítva |
| | | | 3.3 | Évente jóváhagyott RB kutatási projektek száma (ha lehetséges, évente, a terv kezdete előtt kezdődő évre) | Eredmény | • RB projektek százalékos aránya az összes jóváhagyott projektből |
| | | | 3.4 | Köztestületek által támogatott klinikai kísérletek | Eredmény | <ul style="list-style-type: none"> • Igen, tevékenység megvalósítva • Nincs megvalósított tevékenység • Tárgyalás alatt |
| | | | 3.5 | Csatlakozás a ritka betegségekkel kapcsolatos internetes adatbázisokhoz | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Működésben • Folyamatban • nem gondolkoztak rajta |
| | | | 3.6 | Közegészségügyi és szociális kutatások bevonása a ritka betegségek területén | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Igen • Nem • Tárgyalás alatt |
| | | | 3.7 | Kutatási platformokat és egyéb infrastruktúrát is alapít a kutatási programokhoz | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Igen • Nem • Tárgyalás alatt |
| | Fiatal tudósok toborzása | Nemzeti politika létrehozása a fiatal tudósok toborzásának támogatására, különösen a ritka betegségek területére | 3.8 | Speciálisan ritka betegségek területén való munkára toborzott fiatal tudósok száma évente | Folyamat | |
| | Pénzügyi alapok biztosítása a kutatási programhoz | Pénzügyi alapok irányítása az RB kutatási programok felé | 3.9 | Vannak speciális RB kutatásokra elkülönített közpénz alapok | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> • Igen • Nem • Tárgyalás alatt |
| | | | 3.10 | A terv kezdete óta évente speciálisan RB kutatások/ tevékenységek/ projektek felé | Eredmény | <ul style="list-style-type: none"> • RB kutatási célokra beirányzott millió euró • Az összes projektre szánt pénzeken belül az |

| | | | | | | |
|--|--|--|--|----------------------------|--|---|
| | | | | irányított pénzügyi alapok | | RB kutatásokra szánt pénzek aránya százalékban |
|--|--|--|--|----------------------------|--|---|

Tudásközpontok és Európai Referencia Hálózatok

| Vizsgált terület | Célok | Tevékenységek | Indikátorok | | Indikátor típusa | Válasz |
|--|--|--|-------------|--|------------------|---|
| Tudásközpontok és Európai Referencia Hálózatok | Nemzeti és regionális tudásközpontok azonosítása illetve megalapítása, központok európai referenciahálózatának kialakítása | Az egészségügyi ellátás minőségének javítása a megfelelő, az RB és a betegutak* terén is tapasztalattal rendelkező központok meghatározásával, ami csökkenti a diagnózis késedelmét és előmozdítja a betegek számára a legjobb ellátást, illetve kezelést. | 4.1. | Tudásközpontok alapítására irányuló politika nemzeti/regionális szinten | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Nem létező, nincs egyértelműen meghatározva Létező, egyértelműen meghatározva, részben megvalósítva Létező, egyértelműen meghatározva, nagymértékben megvalósítva |
| | | | 4.2. | Az ország politikájában meghatározott tudásközpontok száma | Eredmény | <ul style="list-style-type: none"> Referencia-központok száma |
| | | | 4.3. | Tudásközpontokban nyomon követett ritka betegséggel élők csoportjai | Eredmény | <p>A számítások az egész országra kell vonatkoznuk,</p> <ul style="list-style-type: none"> Az összes vagy legtöbb ritka betegséget is lefedi Csak néhány ritka betegséget fed le |
| | | | 4.4. | A Tanács ajánlásainak bevezetése d) paragrafusában meghatározott standardokat betartó tudásközpontok | Eredmény | Standardokat betartó tudásközpontok százaléka az összes tervezett tudásközpontokhoz képest |
| | | | 4.5. | A nemzeti vagy regionális tudásközpontok részvétele | Eredmény | Az index az Európai Referenciahálózatokkal együttműködő tudásközpontok számán |

az Európai
Referenciahálózatokban

alapul az összes tervezett tudásközpont
hoz viszonyítva

Árva Gyógyszerek

| Vizsgált terület | Célok | Tevékenységek | Indikátorok | | Indikátor típus | Válasz |
|---|--|--|--|---|-----------------|---|
| Az „árva” minősítésre jelölt (ODD) gyógyszerekhez való hozzájárulás | Az „árva” minősítésre jelölt gyógyszerekhez (ODD) való hozzájárulás biztosítása és felgyorsítása | Azon mechanizmus biztosítása, amely az EMEA forgalomba hozatali engedélyét követően megkönnyíti az ODD-khez való hozzájárulást, és a betegek részéről felmerült költségek megtérítését | 5.9 | Az EMEA által kiadott ODD forgalomba hozatali engedélyek, és azokból az adott országban piacra dobott termékek száma | Eredmény | A mutató a forgalomba hozott ODD-k száma / az EMEA által engedélyezett ODD-k összes száma |
| | | | 5.10 | Azon idő, amely az ODD EMEA általi forgalomba hozatali engedélyének kiadásától az adott ország piacán való megjelenéséig eltelik | Eredmény | Azon napok átlagos száma, amelyek az EMEA forgalomba hozatali engedélyének kiadásától az adott ország piacán való hivatalos megjelenéséig eltelnének |
| | | | 5.11 | Azon idő, amely az adott országban történő forgalomba hozataltól az állami forrásokból történő támogatásra vonatkozó pozitív döntés meghozataláig eltelik | Eredmény | Azon napok átlagos száma, amelyek az adott országban történő forgalomba hozataltól az állami forrásokból történő támogatásra vonatkozó pozitív döntés megszületéséig eltelnének |
| | | | 5.12 | A 100 %-ban támogatott ODD-ok száma | Eredmény | 0-tól 1.000-ig terjedő szám |
| | | 5.13 | Az ODD-khez való hozzájárulást felgyorsító mechanizmusok kifejlesztése | Egy kormányzati program megléte a ritka betegségek speciális kezeléséhez | Eredmény | <ul style="list-style-type: none"> • Nem • Igen • Folyamatban |

Ritka betegek szociális szolgáltatásai

| Vizsgált terület | Célok | Tevékenységek | Indikátorok | | Indikátor típusa | Válasz |
|--|---|--|-------------|--|------------------|---|
| Különleges szociális szolgáltatások | A betegek életminőségét javítani a ritka betegséggel élőket célzó fogyatékosági programok és szociális szervezetek támogatásával. | Ritka betegség okozta fogyatékoság kompenzálása | 6.11 | Hivatalos programok megléte, melyek támogatják a fogyatékkal élőket s családjaikat | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Nem létező, nem világosan megfogalmazott Létező, világosan megfogalmazott, részben megvalósított és érvényre juttatott |
| | | | 6.12 | A fogyatékkal élők számára szociális juttatásokat biztosító hivatalos igazgatóság megléte | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Igen Nem Épp alakulóban |
| | | Olyan szociális szolgáltatások támogatása, melyek a fogyatékkal élőket s családjaikat célozzák meg | 6.13 | Olyan nemzetközi szabvány megléte, mely biztosítja a fogyatékkal élők és családjaik hozzáférését az ideiglenes gondozáshoz | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Igen Igen és pénzügyi támogatást is tartalmaz a betegnek/ családjának Nem Épp alakulóban |
| | | | 6.14 | Olyan nyilvános szabvány megléte, mely támogatja a terápiás rekreációs programokat | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Igen Igen és pénzügyi támogatást is tartalmaz a betegnek/ családjának Nem Épp alakulóban |
| | | | 6.15 | Olyan programok megléte, melyek támogatják a ritka betegséggel élők integrációját a mindennapi életbe | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Igen Igen és pénzügyi támogatást is tartalmaz a betegnek/ családjának Nem Épp alakulóban |
| | | Rehabilitációs programok támogatása | 6.16 | Rehabilitációs programok támogatása | Folyamat | <ul style="list-style-type: none"> Igen Igen és pénzügyi támogatást is tartalmaz a betegnek/ családjának Nem Épp alakulóban |