

Plenáris ülések és a párhuzamosan futó workshopok néhány megállapítása

Plenáris ülés

EU-s háttér és Alapfeladatok (Sándor János)

- **European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD) működése – EuroPlan (2008-2011) és Joint Action (2011-2013)**
- **Fókuszok:**
 - Ellátásminőség javítása – szakértői központok (nemzetközi bázist is adják egyben) és európai referenciahálózatok
 - Diagnosztikai laborközpontok (a beteg mintája „vándoroljon”, ne a beteg) 2845 betegség 2179 gén 1290 laboratórium – a hazai központok kapják meg az anyagi támogatást a nemzetközi minősítéshez
 - K+F
 - EU Joint Research Centre, Ispra (Olaszo.), 2013.06.17-től indul (témák között minőségi irányelv/direktívavidolgozás, medical device, stb.)
 - Problémák:
 - biobankok irányítása megoldatlan,
 - adatvédelem fejlesztése, az előregedett rendszer egyszerűsítése, a jelenlegi fejlesztési irány kevésbé támogatja a betegadatkutatáshoz, feldolgozáshoz (SJ: német-magyar genetikai adat kultúrát feldolgozása szinten lehetetlen lesz)
 - Vasfüggöny létezik (lengyelek kiléptek, M.o.)
 - EpiRare forgatókönyvek az európai regiszterekről (minden 10. betegségnek van valamilyen regisztere) – meg kell értetni a betegekkel a regiszterekbe kerülés előnyeit
 - Orphakódok: BNO11-el harmonizálás
 - Orphan drug
 - engedélyeztetés már nem akadály, de országonként eltérő az árszabályozás
 - Kb. 750 árvagyógyszer van engedélyezve, legtöbbje onkológiai területen (!)
 - EUCERD az információhiányt pótolhatja, pénzt sosem fog adni, az etikai kérdésekben ózdkodik állásfoglalni
 - Betegszervezetek – hazai RIROSZ szakértőként is jelen van, kormányzati támogatás nélkül működnek (a legtöbb európai szervezet gerillamód működik, mégis kapnak támogatást)
 - Orphanet – információs központok (magyar nyelvű oldal még mindig nincs!)
 - Nemzeti betegtájékoztató központok – 6ezer betegséggel kapcsolatos valid infot kéne adni, kevés van még az EUban (angol, spanyol minták, osztrák kezdeményezés)
 - Prioritások – jelenlegi Joint actions
 - E-Health
 - Nemzeti tervek és végrehajtás monitorozása
 - Standardizált nomenklatura
 - Szociális ellátórendszer és RB szakpolitikába integrálás
 - Ellátásminőségfejlesztés – szakértői csoportok, közös irányelvek kidolgozása, indikátorok kidolgozása
 - Hazai erőforrások
 - Újszülöttkori szűrés nálunk a gyakorlatban működik, Romániában jó a terv és sok pénzt rendeltek hozzá
 - Európai pénzeket ügyesebben kébe behozni (SJ mit akar ezzel mondani?)

hozzászólások

- **Pfliegler Gy. – vannak nemzetközi kutatási előnyeink, nem szabad kihagyni a prezentációkból**
- **Szőnyi – 1Mrd-ot kapunk, szomorú optimizmus**
- **Külföldi laboratóriumi vizsgálatok OEP támogatása kéne**

RB Nemzeti Terv
prof. Kosztolányi György

előzmények

- 2004 kapcsolódás a DG SANCO Public Health keretprogramhoz, ONet adatgyűjtés
- 2008 OSZMK RB Kp.
- 2011 RB Szakértői Bizottság, prof KGy államtitkári megbízott a RBNT koordinálásához (egyeztetések miniszterekkel, államtitk, OEP, stb. vezetőkkel csak a szakmai kollégium elnöke nem volt hajlandó az egyeztetésre, azóta sincs kapcsolat, menetközben változott az anyag jellege t.i.terv v.stratégia)
- 2013.09.13. miniszternek átadás, most fordítják (85 oldal)
- Keretet az EU ajánlások adják
- Népegészségügyi programként, problémaként kell kezelni a RB ügyét
 - hálózatszervezés kell/kéne (primadonnákat kéne közös előadásba hozni, aki nem szakértői kp.lesz az sértve érzi magát)
 - Ktsvetés 178 M
 - Szy Ildikó katalizáló szerepe
 - 2012-ben törés a finanszírozási problémák miatt (ekkor már elfogadott terven kellett volna lennie)
- **Fenntarthatóság feltételei**
 - Szilárd, szervezett keret és éves ktsvetés
 - Oktatás (a primadonnákat is), kutatás
 - Társadalmi / szakmai támogatottság (Aréna: orvos, népeü.szervezők, kutatók/oktatók, gyógyszerforg., betegszervezetek, eg.pol. Obs: szerintem a média, gyógyped, közokt.is szereplő)
- **Remények**
 - KGy kongenitálisan optimista, ezért bízik – biotechnológiai és informatikai forradalom hozta össze a RB-et, ezzel egy új problémakör született meg a XX.sz-ban
 - Ma 22 orphandrug van elfogadás alatt, 18 váraozik
 - Az ellátás empirikus megközelítés helyett egzakt adatokra épül
 - Diagnosztikai biomarkerek kuantási motivációja nő
 - Ellátásglobalizáció – eHealth, nemzetközi együttműk, távorvoslás
 - Célszemélyek aktív szerepe, beteg mint szakértő
 - Szakértői kp.
- **Új szemléletű eü.modell a XXI.sz-ban: Ellú tásholisztika-átláthatóság-határon átnyúlás-tudás alap-fenntarthatóság – ez az igazi kihívás**

hozzászólások

- **Szőnyi – a NT határtalan reményeket ad, kötelező lesz, végre kell hajtani**
- **Varga G. – hemofília helye a RB-ben? – KGy: a kezelés maradjon ott ahol eddig, feladat kerüljön allokálásra, szakértői kp-hoz**
- **Pogány G. – hemofília ellátása a 4.legjobb az EU-ban (p.ü-i finansz.nem)**
- **Karcagi Veronika (Közeü.Int.) – RB komprehenzív ell.gyermekkori neuromuszkuláris betegell.jó példa, nemzetközi regiszter pl. Duschen**
- **Brunner Kati (RIROSZ) – köszönet és mi kell a terv publikussá tételéhez?**
- **Széll Enikő (EMMI) – egy kormányrend.szabályozni fogja a hasonló szakmai anyagok sorsát, a NT kormányprogram lesz**

I. Workshop

NT módszertana, irányítása és ellenőrzése

Európai Tanács ajánlásai

- **Korlátozott számú lépések és konkrét célok legyenek**
- **EUCERD indikátorok – az egyes nemzeti tervek céljai az EU-ban hasonlóan valósuljanak meg**
 - Jogszabály a bevezetéshez, megvalósításhoz
 - Betegszervezet folyamatos jelenléte
 - Pénzügyi terv és éves ktsvetés legyen (Euróban kéne megadni /obs: hmm árfolyamkockázat?/) – megfelelő ellátáshoz és fenntarthatósághoz – válasz: HUF-ben van fixálva
- **Erőforrások feltérképezése - Szegedi Márta (orvos-közdzdzász, OEP Ártámogatási főoszt. RB szakreferens)**
 - CF, Myasténia grávis leltár, erőforrásterv, epidemiol.kut. már volt
 - Kielégítetlen szükségletek felmérésben is részt vett M.o. EurordisCare2.(2003-2006 diagnózishoz jutás), 3.(2006-2008 eü.+szoc.ell.jutás, orvosi vizithez és szoc.ell-hoz jutásba legrosszabb mutatók, viszont legtöbb időt nálunk tartózkodnak kórházban)
 - 2011/24/EU határokon átny.eü.ell.fgyeembe vétele
 - 530e Ft/beteg/év – 530M/beteg/év az éves OEP ártámogatás egyes RB készítménynél
 - Jelen konferencia már a megvalósítás diszkussziója
- **Világos teljesítés és mérhető eredmények (célok – indikátorok)**
 - Diagnosztika javítása
 - Szakértői kp.- 4 orvosi egyetemhez lesz rendelve a specifikus ell.egységek, OEFI nemzeti adminisztáriós koordinációs intézmény, obs: a szakértői kp-okat akkreditálni kell, ki lesz az akkreditáló szervezet
 - Betegregiszterek
 - Újszülöttkori szűrés fejlesztése
 - RB gyógyszerell.
 - RB kutatás

Pogány G.: BuQUL-RD kutatás (RB életminősége)

- **Corvinus (Gulácsi L., Péntek Márta), RIROSZ (Pogány, Lukács Andrea), M.Tud.Tanácsadó Test. (Boncz Imre)**
- **3236 kitöltött kérdőív, hazánk a legjobb válaszadó**
- **EQ-5D kérdőívvel mérve jelentős életminőség csökkenés mutatható ki (nyers adatok, értékelés folyamatban)**
- **Költségekkel összevető, nemzetközi összehasonlító értékelés nehéz, pl. SM betegség 3M HUF/beteg/év, CF számadat viszont kevésbé meghatározható**

NT végrehajtás

- **Irányító hatóság - EMMI Eg.pol.Főosztály**

- Brunner K: hogyan fog koordinálni más minisztériumokkal, ha a kidolgozaskor sem volt rá képes? Válaszok:
 - Széll E.: „nincs felhatalmazásom a válaszra”
 - Csányi Péter (szoc.tárca): köznevelés, szoc., EMMI minden szervezetére ki kell terjedjen
- BTJ: nemzetközi jó gyakorlat a nemzeti irányításban?
 - Domenika Taroscio (Olasz) gyakorlat
- Pogány G: GYEMSZI szerepe?
 - GYEMSZI Bodnár Ágnes (új ember, mint betegjogi, panaszügyi kivizsgáló)

- **OEFI + szakértői bizottság szerepe?**

- **Következtetések**

- Nincs elégséges javaslat az Irányító Bizottságra
- Nem volt elég nyilvánosság a tervezés során – társadalmi vitákra, figyelemfelkeltő intézkedésekre lenne még szüksége (OEFI „Népeü.komm.fejleszt” TÁMOP – ezen belül lehet)

- **NT monitorozása és értékelése**

- Értékelő szerv nincs nevesítve
- Érdekelt felek elégedettségmérése nincs kidolgozva
- Indikátorok vannak
- Vita az IB külső monitoring- megoldásokról, SVH szerint a francia példát kéne követni, DT az olasz gyakorlatot is javítaná
- OEFI VJ nem tudja, hogy a 2014-2020 strukturális alapokban van-e kiírás?
- BTJ: független, nemzetközi téren ismert, minőségtanúsítót kell megbízni, akitől elvárják a szakértelmet
- PG: a költségvetésbe be kell tervezni és javasolni
- Csányi P. folyamatban vannak a pályázati kiírások, a RB Kp.mondat szerepel, tehát szándék van, de összeg nincs (Országos rehabilitációs rehab.módszertani kp.létrehozása 100M van betervezve – Emberi erőforrás operatív program részeként, kérdés, h.szükség van-e a 4 nagy egyetem mellett egy ernyő-orvosszakmai kp-ra?)
- VJ: nyitott kérdés a szaki központok létrehozása

II. Workshop összefoglaló

- **5/10 ezer**
- **Specifikus kódolás jó lenne – főleg kutatóknak, a betegeknek az előzetes ellátási eseményeit elő lehet hívni**
- **Ez többszintű legyen**
- **ONet-et tanítják már a hallgatóknak is**
- **Garami Márta új ONet nemzeti koordinátor – nem kapott információkat Lengyel Zsuzsától, no de nem is kért Pogány G.:mindenki érezze kutyakötelességének az ONetnek történő adatszolg-t a betegszervezetek részéről**
- **Help Line bővítése szükséges, elszórtan néhány betegségnek van interaktív honlapja**
- **RB kártya a betegnek**
- **Szoc+eü összefogással kapcs.szkeptikus a szekció**

V. Workshop: Árvagyógyszerek

- Mo.közel 40 orph.drug van engedélyezve
- Kis-középvállalkozások nincsenek támogatva,
- GYEMSZI-OGYI Cavomp, Moca csatlakozása megoldott
- Betegbevonás fontos – szakmai klubok, betegszervezetek
- Off-label use – OGYI protokoll működik, ha nincs engedélyezett gyszer az adott betegségre, kedvezőtlen reakciók ellenőrzése (PV) – franciáknál nagyon jó a felügyelete ennek
- RIROSZból Health Technology Assessment (HTA) szakértői képzést kapott néhány ember, így részt vehetne ilyen projekteken (Barcelona fellegvára az ETE-nek)
- Szegedi M: irányelveket próbálnak kidolgozni, Ausztrál minta definitív adatokkal bíró finansz.protokollok mintájára pl. enzimpótló betegségek ármeghatározása kapcsán munkacsoport alakult

IV. Workshop, vezeti Prof. Molnár Mária Judit

- **Balogh István (DEOEC Lab.medicina, genetikai med.,citológiai laboratórium)**
- **Becskeházi-Tar Judit (DEOEC HMC) független minőségtanúsító vezető auditor**
 - A Tanácsi ajánlások hazánkban még elvégzendő feladatok,
 - Egyetemi centrumok lehetnének a magintézmények, ebben megegyezik mind a 4 egyetem véleménye
- **Négy alapvető mutató van az ajánlásban – ezek jövőbeni feladatok**
- **Lásd a kiadott segédletet**
 - Szakértői tudásszint mérhető legyen - MMJ: hogyan mérhető? – lásd ajánlás 20.pont, a Joint Action szakértője a képzettséget, lektorált publikációkat mondja
 - Multidiszciplináris megközelítésre van / volna szükség
 - Laboratóriumok finanszírozása nem megoldott
 - Genetikusok képzése megoldandó, utánpótlás limitált
 - Újszülöttkori szűrés legátfogóbb legyen elvárást is értelmezni kell (Szőnyi tanár Úr felmérése támaszkodjunk)
 - Határokon átnyúló ellátás, referenciahálózatok – jövőbeni
- **Központok fenntarthatósága - ??? (finanszírozás!)**
 - Professzionális menedzsment (?)
 - Irányelvek kidolgozása, díjazása (?)
- **Minőségbiztosítási kérdések – NT.6.2 fejezet**
- **Szakértők, RD experts**
- **Alapellátás (eü+szoc) – képzés – összefogás kellene a szoc.tervekkel (lásd Csányi Úr beszámolója)**
- **Munkamegosztást pontosan kell defdiniálni az egyes kp-k között (Pogány G.)**

NT 6.2 .Szakértői központok célja

- **A szakértői központok meghatározott ellátási körzetben élő, ritka betegségben szenvedő betegek kezelését és gondozását végzik. Olyan betegségekkel, állapotokkal foglalkoznak, melyek speciális ellátást igényelnek akár a diagnosztizálás, vagy a komplikációk megelőzésének, illetve magának a kezelésnek az egyedisége miatt.**
- **Az országon belüli szakértői központok hálózata együttesen lefedi a ritka betegségben szenvedő összes beteg szükségleteit, még ha az egyes ritka betegségek tekintetében nem is tud azonos szintű szakértelemmel teljes körű szolgáltatást nyújtani.**
- **A szakértői központok összegyűjtik vagy koordinálják a specializált egészségügyi ellátórendszeren belül elérhető multidiszciplináris képességeket és készségeket (beleértve az egészségügyi szakdolgozói készségeket és szociális szolgáltatásokat is), amelyek a ritka betegségben szenvedők speciális orvosi, rehabilitációs és palliatív szükségleteinek kielégítéséhez szükségesek.**

szakértői központok hatásköre

- **A szakértői központok közreműködnek a betegutak alapellátásból kiinduló kiépítésében. A tervszerű ellátás célja, hogy minden ritka betegségben szenvedő ember a lehető legrövidebb idő alatt kapjon diagnózist annak érdekében, hogy időben hozzáférhessen a szükséges ellátáshoz és támogatáshoz, javítva egészségügyi állapotát, életminőségét, ezzel csökkentve saját és családja megpróbáltatásait illetve a társadalom terheit.**
- **A szakértői központok kapcsolatban állnak szaklaboratóriumokkal és más speciális szolgáltatásokat nyújtó intézményekkel. Jegyzéket állítanak össze a hivatalosan kijelölt szakértői központokról és azt mindenki számára elérhetővé teszik az Orphanet portál útján is.**

hatáskör

- **A szakértői központok közreműködnek a ritka betegségek ellátásával kapcsolatos szakmai irányelvek kidolgozásában és terjesztésében.**
- **A szakértői központok elméleti és gyakorlati képzést szerveznek a ritka betegségekkel foglalkozó szakemberek részére.**
- **A szakértői központok a betegszervezetekkel és az Orphanet-tel együttműködve könnyen hozzáférhető információt biztosítanak a betegek és családjaik valamint az egészségügyi és szociális szakemberek speciális igényeinek megfelelően.**
- **A szakértői központok támogatják a betegségek jobb megértését, illetve a diagnózis, az ellátás és a kezelés optimalizálását szolgáló kutatást, ideértve az új kezelések hosszú távú hatásainak klinikai értékelését.**
- **A szakértői központok kapcsolatot tartanak más nemzeti és európai szintű szakértői központokkal.**
- **A szakértői központok együttműködnek a betegszervezetekkel és segélyvonalat működtetnek a ritka betegek jobb tájékoztatása érdekében.**

szakértői központ egyéb feladatai

- **Szervezze meg és koordinálja az életszakaszokon átívelő folyamatos betegellátást a gyermekkortól kezdődően egészen a felnőttkorig.**
- **Működtessen az európai ajánlásoknak megfelelően kialakított betegregisztert, ami alapján vegyen részt az országos betegregiszter fenntartásában.**
- **Működtessen minőségirányítási rendszert, amelybe mind a hazai mind a nemzetközi szabványkövetelmények kerüljenek beépítésre.**
- **A betegellátás minőségének mérésére alkalmas indikátorokat fejlesszen és a mért indikátorok alapján vegyen részt az országos felmérésekben rendszeres adatszolgáltatásaival.**
- **Rendelkezzen a klinikai vizsgálatokban való részvételhez szükséges személyi és tárgyi feltételekkel.**
- **Legyen alkalmas klinikai és népegészségügyi kutatások végzésére és a szükséges kapcsolódó adatgyűjtésre.**
- **Legyen kidolgozott tematikája a keretei között folyó távoktatási programokra, melyeket akkreditált képzési központon keresztül biztosítanak.**

EU-s követelményeknek való megfelelés biztosítása

- A kijelölése az European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD) „A ritka betegségekkel foglalkozó tagállami szakértői központok minőségi követelményeiről” c. ajánlás (www.eucerd.eu) alapján a szakminisztérium feladata.
- Megfelelő támogatásban (kapacitás, humán erőforrás) kell részesíteni, amely a folyamatos minőségi követelményeknek való megfelelést, valamint a magas színvonalú betegellátást biztosítja.
- Ki kell dolgozni az EU ajánlások alapján a hazai ellátórendszerhez adaptált akkreditációs kritériumok meghatározását. A ritka betegségek szakértői központtá nyilvánítás megfelelőségi kritériumainak összeállításának és tesztelésének célja: a hazánkban ritka betegeket ellátó szakértői központokkal szemben elvárt nemzetközi minőségi kritériumoknak való megfelelés biztosítása, és az értékelést végző szakemberek képzése.
- A kritériumoknak való folyamatos megfelelés ellenőrzése független auditok útján történik, melyet szervezett formában az arra felkészült és kijelölt szervezet végzi a speciálisan felkészített szakemberek (auditorok) részvételével.

Várható hatás

- **A Szakértői Központok megalakulásától a betegutak harmonizációja, a diagnózishoz jutás idejének redukciója, a RB – ek életminőségének javulása, a hazai RB-ek esélyeinek javulása, a hazai RB ellátó helyek ORPHANET-be való kanalizálása várható. A korábbi diagnózis felesleges vizsgálatok elvégzését előzi meg, az egyes tünetek korai kezelése sok esetben kivédheti a maradandó egészségkárosodást. A prenatális diagnosztika segítségével súlyos betegségek előzhetőek meg.**

Indikátorok (4 db)

indikátor	leírás	típus	?mérhetőség
Szakértői Központban megjelent ritka betegséggel élők aránya az összes regisztrált ritka beteghez viszonyítva	A nyomon követett betegek közül hányan jelennek meg Szakértői Központokban, az összes bejelentett beteghez képest.	kimenet	?