



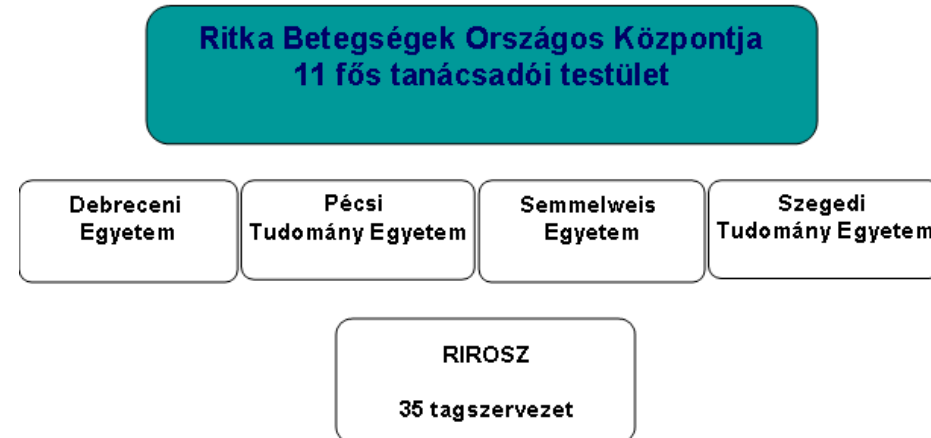
A magyar ritka betegség Szakértői Központok jelene és jövője

Dr. Molnár Mária Judit
Semmelweis Egyetem

Status presens – Magyarország - 2012

- Referencia Központok még nem alakultak meg hivatalosan
- Szűrés: minden újszülöttet 26 anyagcsere betegségre szűrünk
- Határon átnyúló diagnosztika: jól működik az OEP Nemzetközi Főosztályának segítségével
- Beteg képviselet: RIROSZ
- Finanszírozás: megoldatlan, az *RB* és népbetegségek ellátásának finanszírozása nem különbözik, bár költségigényük eltérő

OEFI



Status presens - 2012 II

- Gyógyszeres th.:
 - az off label th. GYEMSZI engedélyhez kötött - az orvost sok adminisztratív munkára kötelezi (jelentések, sürgősségi kérelem esetén, ha a betegséget nem ITO-n látják el, a területileg illetékes ITO vezetőjének jóváhagyása stb.)
 - az egyedi méltányossági alapon finanszírozott gyógyszer biztosítását krónikus betegségekben is 6 havonta kell az orvosnak kérelmeznie az OEP-től
- A kb. 6000 RB közül csak 250-nek van kódja az érvényben levő BNO-10-ben
- Oktatás:
 - Önálló curriculum a Debreceni Egyetemen: *Ritka betegségek ellátása*
 - Postgraduális képzés: csak néhány szakma integrálta tematikájába
 - Laikus oktatás: kezdeti próbálkozások
pl. Molekuláris Medicina Mindenkinek

Mire van szükség?



Intézkedési javaslat



- **2012–ben pályázat kiírása a „Szakértői Központ Jelölt” cím elnyerésére.**
- **A jelölt Szakértői Központokat megfelelő támogatása (kapacitás, human erőforrás)**
- **Az európai ajánlások alapján a hazai ellátórendszerhez adaptált akkreditációs kritériumok megfogalmazása**
- **Az akkreditációs program célcsoportja: Ritka betegeket ellátó intézmények és szakemberek.**
- **A program tesztelése után, a magyar szolgáltatók auditálása. Az auditálási folyamathoz szükséges szakemberek (auditorok) képzéséhez tematika kidolgozása és a képzés megszervezése is szükség van.**
- **A projekt várható haszna a hazai referencia központok bekapcsolódása az európai ellátó rendszerbe, valamint a képzett auditorok nemzetközi hálózatba történő integrálódása.**

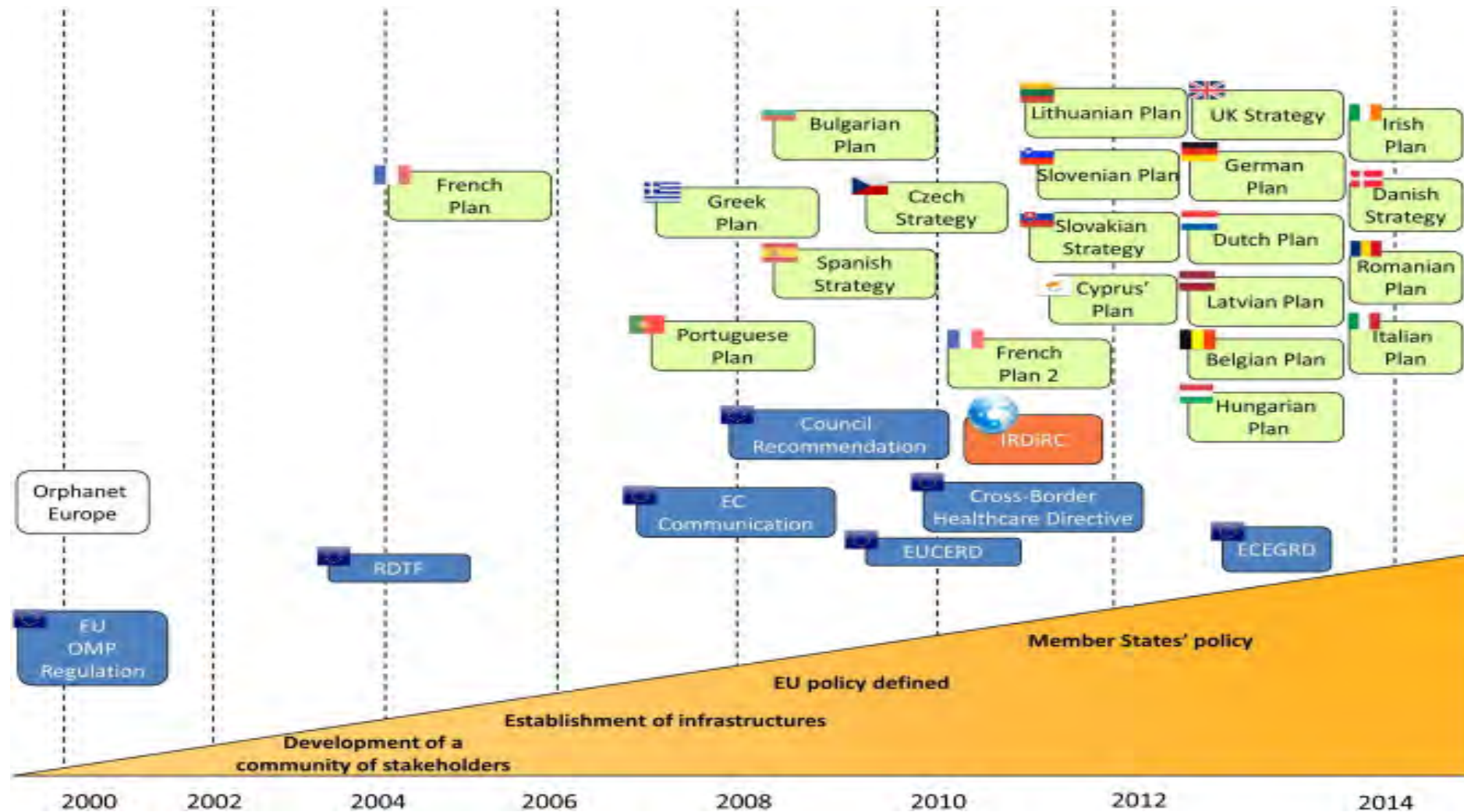
A végrehajtás ütemezése



- **2012. A jelölt Szakértői Központok számára pályázat kiírása és a pályázat eredményhirdetése**
- **2013 A jelölt Szakértői Központok járó és fekvőbeteg kapacitásainak, humán erőforrásainak oly módon való bővítése, hogy a leendő Szakértői Központok az EUs akkreditációs kritériumoknak is feleljenek meg**
- **2013 első félév: A jelölt Szakértői Központok és hálózataik stratégiai tervének és diagnosztikai portfóliójának egyeztetése**
- **2013 második félév: A Szakértői Központok pályáztatása a fenti kritériumrendszernek megfelelően. A címet egy szakértői központ határozott időre kaphatja meg (4 év)**
- **2014: A Szakértői Központok tevékenységének monitorozása**



EU-s kezdeményezésre a tagállamokban RB Nemzeti Tervek készültek 2004- 2014 között





EU-s Ritka betegség Platformok 2017-ben





A hazai ritka betegség menedzsment swot elemzése - I

Erősségek

- Az EMMI 2015-ben kinevezte a Szakértői Központokat
- A Szakértői Központok több évtizedes múltra és nemzetközi elismertségre tekintenek vissza.
- Több egyetemen megalakultak a saját RB hálózatok
- Kis költséggel jelentős szervezetfejlesztés hajtható végre, mely jelentős hatékonyság javulást hozhat.
- Az országban vannak RB biobankok.
- A kutatást támogató jogszabályok megléte.
- Az Egyetemek nyitottak a RB ellátással kapcsolatos ismereteket curriculumaikba integrálni.
- A RB-nek van betegszervezete (RIROSZ).
- Több ERN tagjai a magyar RB Szakértői Központok (12)

Gyengeségek

- Túl sok a RB, a kapacitások szűkösek.
- Az új technológiák bevezetése, finanszírozása nehézkes.
- Nem minden diagnosztikai laboratórium minőségbiztosított, nemzetközi körkontrollós vizsgálatok hiánya sok esetben.
- Nincsenek országos RB regiszterek.
- Az interszektorális együttműködések gyengék.
- Szűkös K+F források.
- Egyenlőtlenül képzett és motivált egészségügyi szakemberek.
- A laikusok egészségügyi és digitális ismeretei nagyon hiányosak.
- Nem elég szoros a betegszervezetek és a RB Szakértői Központok együttműködése



A hazai ritka betegség menedzsment swot elemzése - II

Lehetőségek

- ERN-en belül egységes irányelvek, protokollok
- A határon átívelő betegellátás EU szinten optimalizálható.
- A RB ellátás-kutatás partnerek képviselői nyitottak az együttműködések erősítésére.
- A finanszírozási rendszer módosításával (külföldi profit-orientált laborok helyett a hazai laborokban végzett genetikai diagnosztika preferenciája) az ellátás költséghatékonysága növelhető.
- Az EJP Cofound Action a kutatás-fejlesztési támogatások új lehetőségét nyitja meg.

Fenyegetettségek

- Hiányzó országos RB szakmapolitikai stratégia.
- A stake-holderek érdekei nincsenek összhangban.
- A finanszírozási rendszer rugalmatlansága miatt nem optimális a hazai genetikai diagnosztika.
- Túl sok külföldi szolgáltatás vásárlása esetén technológiai és tudásbéli lemaradás a Nyugat – Európai infrastruktúráktól kiszolgáltatottságot eredményez.
- Az orvosok/betegek optimálistól elmaradó képzettsége (jó szakember hiány, kevés új fiatal orvos a területen).
- A ritka betegek társadalmi támogatottsága elégtelen.
- A szociális ellátások elégtelensége.



Az optimális ritka beteg ellátáshoz vezető cselekvési tervek

- A szakértői központok működtetése, a hazai RB diagnosztika javítása
- A ritka betegek számára a terápiás lehetőségek elérhetősége
- A ritka betegségek kutatásának támogatása
- A ritka betegségekkel kapcsolatos oktatás



A magyar Szakértői Központok





Az ERN Szakértői Központok általános adatszolgáltatási kötelezettsége

- Önértékelés: önpontozási rendszerrel értékelve, hogy a pályázó mennyiben tesz eleget az elvárásoknak (28 oldal)
- Szervezeti organogram
- Küldetés
- Házirend
- Betegjogi képviselő elérhetősége
- Betegtájékoztatók
- Betegelégedettségi kérdőív
- Beteg-beleegyező nyilatkozatok
- Zárójelentés minta
- **Eredményindikátorok**
- Betegbiztonsági program/terv
- **Szakmai irányelvek**
- Nyilatkozat képzési terv és a szükséges erőforrások rendelkezésre állásáról
- Nyilatkozat adatvédelmi előírások betartásáról
- Átláthatósági nyilatkozat
- Térítési díj szabályzat
- Informatikai biztonsági szabályzat
- Informatikai és üzemeltetési szabályzat
- Minőség- és környezetirányítási eljárás
- Klinikai vizsgálatok szabályzata
- Szellemitulajdon-kezelési szabályzat
- Regionális, Intézményi Tudományos és Kutatásetikai Bizottságának ügyrendje
- ÁNTSZ működési engedély
- ISO Tanúsítvány
- MEES Tanúsítvány
- Üzleti terv
- **Elmúlt 5 év nyertes pályázatait és kutatási projektjeit**
- **Innovációs tevékenységekről szóló beszámoló**

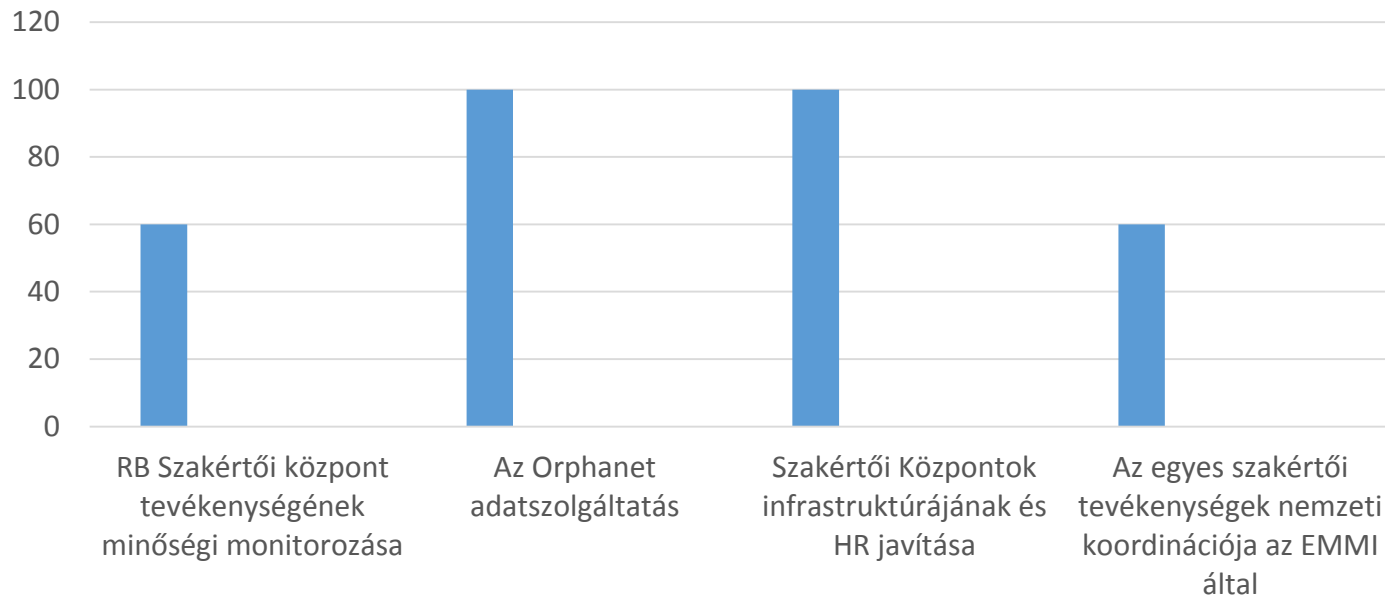


Az ERN Szakértői Központok betegség specifikus adatszolgáltatási kötelezettsége

- Bemutatkozás: milyen betegségekkel, kezelésekkel, beavatkozásokkal foglalkozik és hogyan tud hozzájárulni ezzel az ERN hálózat számára
- Betegek, esetek száma betegségcsoportonként, éves bontásban, három évet vizsgálva
- Ellátásban résztvevő szakemberek adatai (évenkénti betegszám/esetszám)
- Diagnosztikát és kezelést szolgáló műszerpark, információs technológia, infrastruktúra részletes bemutatása
- Betegcentrikus stratégia bemutatása
- Elmúlt öt év kiemelkedő publikációi, klinikai vizsgálatai, elnyert pályázatai
- Ellátást támogató eHealth és információs rendszerek bemutatása
- Eredmények bemutatása konkrét számadatokban:
 - hány beteg számára sikerült diagnózist felállítani betegségenként, évenkénti bontásban, három évet vizsgálva
 - hány beteg részesült sikeres kezelésben betegségenként, évenkénti bontásban, három évet vizsgálva
 - diagnózis felállításának időtartama betegségenként, három évet vizsgálva



A szakértői központok működtetése (prioritási mátrix összpontszámai)



Indikátor	Az indikátor leírása	Az indikátor típusa
Az ország egész területét lefedő, szükségletekhez igazodóan működő akkreditált Szakértői Központok száma	Az ország területéhez igazodóan, a Szakértői Központok minőségi kritériumait leíró EUCERD ajánlás figyelembevételével kijelölt akkreditált központok felállítása.	kimenet
Az ERN-ben résztvevő hazai Szakértői Központok száma	Nemzetközi színvonalú betegellátás biztosítása az ERN platformok igénybevételével	kimenet
Szakértői Központban megjelent ritka betegséggel élők aránya az adott diagnózissal feltételezhetően az országban élők számához viszonyítva	A feltételezett betegek közül hányan jelennek meg Szakértői Központokban Egy-egy adott RB-ben	kimenet



Várható hatások

A diagnózishoz jutás idejét redukálja, felesleges vizsgálatok elvégzését és az orvostól-orvoshoz vándorlást megakadályozza

A diagnosztikák transzparenciája javul, ami az ellátórendszerben költséghatékonyságot eredményez.

A korábbi diagnózis felesleges vizsgálatok elvégzését előzi meg, az egyes tünetek korai kezelése sok esetben kivédheti a maradandó egészségkárosodást, a RB életminősége javul.



A jövő K+F és ellátás stratégiája – European Joint Program (EJP) Cofound

- **1. Pillér:** A ritka betegségek kutatás fejlesztési stratégiájának megalkotása és annak implementációja
- **2. Pillér:** Az adat-és az információ megosztás stratégiájának megalkotása és implementációja (koordinált adatmegosztás, hozzáférés, repozitóriumok, diagnosztikai és terápiás fejlesztések)
- **3. Pillér:** a kutatások optimalizálásának támogatására a kapacitás bővítés, oktatás, technológia-transzfer stratégiájának kidolgozása és implementációja



Optimális ritka betegség menedzsment

- A betegségek nagy száma és ritkasága miatt csak nemzetközi összefogással lehet optimális menedzsmentet kialakítani.
- A RB menedzsment egyik alapvető fontossága a centralizáció, azaz a tudás és infrastruktúra szakértői központokba szervezése, a szakértői központok nemzetközi hálózatokba szervezése,
- A Szakértői Központokon belül kívánatos a standardizált nemzeti ritka betegség regiszterek működtetése, az adatbázisok megosztása.
- A Szakértői Központ regiszterei legyenek a szaktárca számára is láthatóak.
- A ritka betegségek ellátása igen intenzíven kapcsolódik a kutatás-fejlesztéssel, így a translációs kutatásoknak a terület ideális, így a RB Szakértői Központ kutatási tevékenységet is kell, hogy végezzen
- A kutatási támogatások azonban a hazai viszonylatban rendkívül korlátozottak, ezeknek a forrásoknak a bővítése szükséges.
- A RB Szakértői Központok menedzsmentjébe ideális esetben a ritka beteget és hozzátartozóik is bevonandóak.

Köszönöm a figyelmet!

