

# EU-MAATREGELEN INZAKE ZELDZAME ZIEKTEN

## De toegang van patiënten tot diagnose, kennis en zorg verbeteren

FEBRUARI 2023

### «Zeldzame ziekten, talloze patiënten»

Ongeveer **36 miljoen mensen** in de EU hebben een zeldzame ziekte. Er zijn meer dan **6 000** zeldzame ziekten in de EU en hoewel de ene zeldzame ziekte maar een handjevol patiënten treft, kan een andere wel **250 000** personen treffen. Ongeveer **80 % van de zeldzame ziekten heeft een genetische oorzaak** en van die groep **begint 70 % al in de kindertijd**. Het EU-optreden inzake zeldzame ziekten is erop gericht om voor patiënten met zeldzame ziekten de diagnose, zorg en behandeling te verbeteren door samenwerking en het samenbundelen van middelen.



**Een robuustere Europese samenwerking en coördinatie om de toegang tot kennis over en diagnose en behandeling van zeldzame ziekten te verbeteren.**

De **24 Europese referentienetwerken** verbinden meer dan 1 600 gespecialiseerde centra en bijna 400 ziekenhuizen in 28 landen.



**Betere beschikbaarheid van en toegang tot geneesmiddelen voor patiënten met zeldzame ziekten in de EU**

Er zijn meer dan **200 weesgeneesmiddelen** toegelaten en meer dan **2 700 producten als weesgeneesmiddel** aangewezen.



**De erkenning, zichtbaarheid en codering verbeteren**

Ondersteuning van het **Europees platform voor de registratie van zeldzame ziekten**

Ondersteuning van **Orphanet**, het Europees portaal voor zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen, en het ontwikkelen en onderhouden van het coderingssysteem voor zeldzame ziekten (**Orphacodes**).



**Ondersteuning voor opleiding, ontwikkeling en onderzoek**

Ondersteuning van het **ERN-uitwisselingsprogramma voor professionals** om kennis te delen en samenwerking tussen zorgprofessionals te stimuleren

**ERN-richtsnoerenprogramma voor de klinische praktijk**

Door de EU gefinancierde onderzoeksprojecten



**Nationaal beleid in de EU-lidstaten ondersteunen**

Verscheidene **gezamenlijke acties** om nationale informatie- en gegevenssystemen en nationale plannen inzake zeldzame ziekten te ontwikkelen alsook werk op het gebied van zeldzame vormen van kanker te steunen.



**Internationale samenwerking ondersteunen**

Deelname aan de **internationale classificatie van ziekten (ICD)**, onder leiding van de WHO

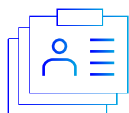


## Naar een sterkere EU-aanpak van zeldzame ziekten



### Herziening van de wetgeving inzake geneesmiddelen bij zeldzame ziekten

Het bevorderen van de ontwikkeling van geneesmiddelen die in onvervulde medische behoeften voorzien en een snellere en betaalbaardere toegang tot geneesmiddelen voor iedereen.



### Het gebruik van "big data" over zeldzame ziekten stimuleren

In overeenstemming met de Europese ruimte voor gezondheidsgegevens EU-brede registers opzetten om klinisch onderzoek te vergemakkelijken en de patiëntenzorg en de planning van de gezondheidszorg te verbeteren.



### Meer steun aan de lidstaten in 2023-2025

Start van de gezamenlijke actie inzake de integratie van ERN's in de nationale zorgstelsels.



### Ondersteuning van de oprichting van een Oekraïense hub voor zeldzame en complexe ziekten

Meer dan 600 gevallen zijn naar de hub doorverwezen sinds het begin van de activiteiten ervan in 2022



### Verbeterde en verhoogde financiering om een groter effect te sorteren

77 miljoen euro aan rechtstreekse subsidies voor ERN's.



### Lancering van een Europees partnerschap voor onderzoeksactiviteiten inzake zeldzame ziekten in 2024

Er is meer dan 2,4 miljard euro uitgetrokken voor de ondersteuning van nationale, lokale en Europese onderzoeks- en innovatieprogramma's.



### Verbeterde Europese referentienetwerken

Oprichting van een virtuele ERN-academie in 2022.

Er wordt gewerkt aan een verbeterde versie van het IT-platform ter ondersteuning van de grensoverschrijdende besprekingen van klinische gevallen. Het verbeterde platform zal in 2024 beschikbaar zijn.

Eerste periodieke evaluatie van ERN's en hun leden vijf jaar na de oprichting van de netwerken.



De **financiering** in het kader van **EU4Health** zal het onderzoek naar zeldzame ziekten en de ontwikkeling en verbetering van het ecosysteem van de ERN's blijven ondersteunen.