Komisja Europejska

DZIAŁANIA UE W ZAKRESIE CHORÓB RZADKICH

Poprawa dostępu pacjentów do diagnostyki, wiedzy i opieki

LUTY 2023 R.

«Choroby rzadkie, pacjentów wielu»

Niemal 36 mln osób w UE cierpi na choroby rzadkie. Europejczycy borykają się z ponad **6 tys**. różnych chorób rzadkich. O ile na niektóre choroby rzadkie cierpi bardzo niewielu pacjentów, inne mogą dotykać aż **250 tys**. osób.
Około **80 proc. chorób rzadkich jest pochodzenia genetycznego,** a **70 proc. z nich ujawnia się już w dzieciństwie**.
Działania UE w zakresie rzadkich chorób mają na celu poprawę diagnostyki, opieki i leczenia pacjentów cierpiących na choroby rzadkie przez łączenie zasobów i współpracę.

Wzmocnienie europejskiej współpracy i koordynacji w celu poprawy dostępu do wiedzy, diagnostyki i leczenia chorób rzadkich

Ponad 1 600 wyspecjalizowanych ośrodków i prawie 400 szpitali w 28 krajach jest połączonych przez **24 europejskie sieci referencyjne**.

Lepsza dostępność leków i lepszy dostęp do leków dla pacjentów z chorobami rzadkimi w UE

Ponad 2**00 leków sierocych** zostało dopuszczonych do obrotu, a ponad **2 700 leków oznaczono jakie sieroce produkty lecznicze**.

Poprawa rozpoznawania, uznawania i przypisywania kodów

Wsparcie dla **Europejskiej Platformy Rejestracji Chorób Rzadkich**

Wspieranie **Orphanet**, europejskiego portalu poświęconego chorobom rzadkim i lekom sierocym, a także opracowanie i utrzymanie systemu przypisywania chorobom rzadkim kodów (**Orphacodes)**.

Wsparcie szkoleń, rozwoju i badań

Wspieranie **programu wymiany specjalistów w ramach europejskich sieci referencyjnych** w celu dzielenia się wiedzą i stymulowania współpracy między pracownikami służby zdrowia

Program wytycznych w zakresie praktyk klinicznych europejskich sieci referencyjnych

Projekty badawcze finansowane przez UE

Wspieranie polityki krajowej w państwach członkowskich UE

Kilka **wspólnych działań** mających na celu opracowanie krajowych systemów informacji i danych, krajowych planów dotyczących chorób rzadkich, a także postępów w pracach nad nowotworami rzadkimi.

Wsparcie współpracy międzynarodowej

Uzupełnianie **Międzynarodowej Klasyfikacji Chorób** pod przewodnictwem WHO

W kierunku bardziej zdecydowanego działania UE w zakresie chorób rzadkich

Przegląd przepisów dotyczących leków na choroby rzadkie

Wspieranie opracowywania leków odpowiadających na niezaspokojone potrzeby medyczne oraz bardziej terminowego i przystępnego cenowo dostępu dla wszystkich.

Promowanie wykorzystywania dużych zbiorów danych dotyczących chorób rzadkich

Utworzenie ogólnounijnych rejestrów w celu ułatwienia badań klinicznych, poprawy planowania opieki zdrowotnej i opieki nad pacjentami, zgodnie z koncepcją europejskiej przestrzeni danych dotyczących zdrowia.

Zwiększone wsparcie dla państw członkowskich w latach 2023–2025

Rozpoczęcie wspólnego działania w sprawie integracji europejskich sieci referencyjnych z krajowymi systemami opieki zdrowotnej.

Wsparcie utworzenia ukraińskiego centrum ds. chorób rzadkich i wieloczynnikowych

Od zainicjowania jego działalności w 2022 r., do centrum skierowano ponad 600 przypadków pacjentów.

Skuteczniejsze i zwiększone finansowanie dla intensyfikacji oddziaływania

77 mln euro w formie dotacji bezpośrednich na europejskie sieci referencyjne.

Inauguracja partnerstwa europejskiego na rzecz badań naukowych dotyczących chorób rzadkich w 2024 r.

Ponad 2,4 mld euro przeznaczono na wsparcie krajowych, lokalnych i europejskich programów w zakresie badań naukowych i innowacji.

Solidniejsze europejskie sieci referencyjne

Utworzenie w 2022 r. wirtualnej Akademii europejskiej sieci referencyjnej.

Trwają prace nad udoskonaloną wersją platformy informatycznej ułatwiającej transgraniczną dyskusję na temat przypadków klinicznych, która zostanie udostępniona w 2024 r.

Pierwsza okresowa ocena europejskich sieci referencyjnych i aktywności ich członków po pięciu latach istnienia.

Finansowanie w ramach **Programu UE dla zdrowia** będzie nadal służyć wspieraniu badań nad chorobami rzadkimi oraz rozwojowi i poprawie ekosystemu europejskich sieci referencyjnych.