

EU-ÅTGÄRDER MOT SÄLLSYNTA SJUKDOMAR

Förbättra patienternas tillgång till diagnos, kunskap och vård

FEBRUARI 2023



«Sällsynta sjukdomar och många patienter»



Cirka **36 miljoner människor** i EU har någon sällsynt sjukdom. Det finns mer än **6 000** olika sällsynta sjukdomar i EU, vilket innebär att en viss sjukdom kanske drabbar bara en handfull patienter, medan en annan sjukdom kan drabba så många som **250 000**.

Omkring 80 % av de sällsynta sjukdomarna är av genetiskt ursprung och av dessa debuterar 70 % redan i barndomen. EU:s åtgärder mot sällsynta sjukdomar syftar till att förbättra diagnostisering, vård och behandling av patienter med sällsynta sjukdomar genom samarbete och koncentration av resurser.



Stärkt europeiskt samarbete och samordning för att förbättra tillgången till kunskap, diagnos och behandling av sällsynta sjukdomar

Fler än 1 600 specialiserade centrum och närmare 400 sjukhus i 28 länder är sammankopplade genom **24 europeiska referensnätverk**.



Stöd till utbildning, utveckling och forskning

Stöd till **det europeiska referensnätverkets program för personalutbyte** för att utbyta kunskap och stimulera samarbete mellan hälso- och sjukvårdspersonal.

Europeiska referensnätverkets program för riktlinjer för klinisk praxis

EU-finansierade forskningsprojekt



Bättre tillgång till läkemedel för patienter med sällsynta sjukdomar i EU

Över **200 sär läkemedel** har godkänts, medan över **2 700 sär läkemedel** har tagits fram.



Förbättra igenkännande, synlighet och klassificering

Stöd till den **europeiska plattformen för registrering av sällsynta sjukdomar**

Stöd till **Orphanet**, den europeiska portalen för sällsynta sjukdomar och sär läkemedel, samt utveckling och underhåll av systemet för klassificering av sällsynta sjukdomar (**Orphacodes**).



Stöd till EU-ländernas nationella politik

Flera **gemensamma åtgärder** för att utveckla nationella informations- och datasystem, liksom nationella planer för sällsynta sjukdomar och påskynda arbetet med sällsynta cancerformer.



Stöd till internationellt samarbete

Deltagande i **internationell klassificering av sjukdomar** under ledning av WHO



En förstärkt EU-strategi mot sällsynta sjukdomar



Översyn av lagstiftningen om läkemedel mot sällsynta sjukdomar

Främja utvecklingen av läkemedel för att tillgodose ouppfyllda medicinska behov, liksom snabbare och billigare tillgång för alla.



Främja användningen av stordata om sällsynta sjukdomar

Inrätta EU-omfattande register för att underlätta klinisk forskning, samt förbättra hälso- och sjukvårdsplanering och patientvård, i linje med det europeiska hälsodataområdet.



Ökat stöd till medlemsländerna 2023–2025

Lansering av den gemensamma åtgärden för att integrera europeiska referensnätverk i de nationella hälso- och sjukvårdssystemen.



Stöd till inrättandet av en ukrainsk kontaktpunkt för sällsynta och komplexa sjukdomar

Sedan verksamheten inleddes 2022 har över 600 patientfall hänvisats till denna kontaktpunkt.



Förbättrad och ökad finansiering för större genomslagskraft

77 miljoner euro i direkta bidrag till de europeiska referensnätverken.



Lansering av ett europeiskt partnerskap för forskningsverksamhet om sällsynta sjukdomar under 2024

Över 2,4 miljarder euro har anslagits för att stödja nationella, lokala och europeiska forsknings- och innovationsprogram.



Förbättrade europeiska referensnätverk

Inrättande av en virtuell akademi för referensnätverken 2022.

En förbättrad version av it-plattformen till stöd för gränsöverskridande diskussioner om kliniska fall håller på att utvecklas och kommer att bli tillgänglig 2024.

En första periodisk utvärdering av de europeiska referensnätverken och de parter som ingår efter 5 års existens.



Finansieringen inom ramen för **EU4Health** kommer att fortsätta att stödja forskning om sällsynta sjukdomar, liksom utveckling och förbättring av de europeiska referensnätverkens ekosystem.