



EU-SATSING MOT SJELDNE SYKDOMMER

Bedre tilgang til kunnskap, diagnose og behandling for pasientene

FEBRUAR 2023

«Sjeldne sykdommer, men mange pasienter»

Rundt **36 millioner mennesker** i Europa lever med en sjelden sykdom. Vi kjenner til mer enn **6 000** sjeldne sykdommer i Europa. Noen av disse rammer bare et fåtall pasienter, mens andre kan ramme så mange som **250 000**. Rundt **80% av sjeldne sykdommer er arvelige**, og **70%** av disse utvikler seg **fra barndommen** av. Formålet med EU-satsingen mot sjeldne sykdommer er å gi pasientene bedre diagnose, behandling og omsorg gjennom samarbeid og samling av ressurser.



Styrket europeisk samarbeid og samordning for å sikre bedre tilgang til kunnskap, diagnose og behandling

24 europeiske referansenettverk knytter sammen over 1 600 kunnskapssentre og nesten 400 sykehus i 28 land.



Støtte til opplæring, forskning og utvikling

Støtte til ERN-programmet for **utveksling av helsefagfolk** med sikte på kunnskapsdeling og økt samarbeid

ERN-programmet for kliniske retningslinjer

EU-finansierte forskningsprosjekter



Bedre tilbud av og enklere tilgang til medisiner mot sjeldne sykdommer i Europa

Mer enn **200 legemidler** har fått godkjenning og **2 700 legemidler** er utpekt som legemidler mot sjeldne sykdommer.



Støtte til nasjonale helsepolitiske tiltak i medlemsstatene

En rekke **fellestiltak** for utvikling av nasjonale IT-systemer og handlingsplaner mot sjeldne sykdommer samt økt innsats mot sjeldne typer kreft.



Lettere gjenkjenning gjennom bedre synlighet og merking

Støtte til **EU-plattformen for registrering av sjeldne sykdommer**

Støtte til **Orphanet**, EU-portalen for sjeldne sykdommer og særlegemidler som bl.a. utvikler og vedlikeholder en klassifisering av sjeldne sykdommer (**Orphacode**).



Støtte til internasjonalt samarbeid

Deltakelse i arbeidet med en **internasjonal klassifisering av sykdommer**, ledet av Verdens Helseorganisasjon



Mot en styrket EU-innsats mot sjeldne sykdommer



Revisjon av lovgivningen om legemidler mot sjeldne sykdommer

Målet er utvikling legemidler som dekker uoppfylte medisinske behov til overkommelige priser.



Støtte til bruk av stordata på området sjeldne sykdommer

Målet er å opprette EU-dekkende registre for å fremme klinisk forskning, helseplanlegging og pasientomsorg i samsvar med målsetningene for det europeiske helsedataområdet.



Økt støtte til medlemsstatene i 2023-2025

Lansering av en felles satsing for å integrere europeiske referansenettverk i nasjonale helsevesen.



Støtte til opprettelse av et ukrainsk senter for sjeldne og sammensatte sykdommer

Over 600 pasienter har blitt henvist til senteret siden det ble opprettet i 2022.



Bedre resultater gjennom og økt og mer målrettet finansiering

Det er satt av €77 millioner i direkte tilskudd til referansenettverkene.



Lansering i 2024 av et europeisk partnerskap for forskning på sjeldne sykdommer

Over €2,4 milliarder er øremerket for støtte til lokale, nasjonale og europeiske forsknings- og innovasjonsprogrammer.



Utvidelse av de europeiske referansenettverkene

I 2022 ble et opprettet et virtuelt ERN-akademi.

En forbedret utgave av IT-plattformen for drøfting av kliniske tilfeller er under utvikling og vil bli lansert i 2024.

Den første periodiske vurderingen av referansenettverkene og dets medlemmer vil finne sted fem år etter lanseringen.



Finansiering av forskning på sjeldne sykdommer under **EU4Health** vil fortsette med sikte på videreutvikling av ERN-økosystemet.