Vzácná onemocnění, léky pro vzácná onemocnění- 2012-2013

Kateřina Kubáčková

FN Motol, Praha

Vzácná onemocnění
(Rare Diseases)

- **prevalence 5/10 000**

<u>Nejčastější vzácná onemocnění:</u>

Děti

- **Dědičné metabolické choroby, nádory**
- Proximální svalová atrofie
- Neurofibromatóza
- Osteogenesis imperfecta
- Chondrodysplazie

Dospělí

- Huntigtonova choroba, ALS,
- **Nádorová onemocnění- 20%**

Vzácná onemocnění

- *Příčina často není známa*
- ***80% genetický podklad***

- ***6 000- 8 000 nemocí***
- ***600 000- 800 000 postižených v ČR***

Legislativa

Nařízení (ES) č.141/2000 Evropského parlamentu a Rady ze dne 16. prosince 1999 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění

- kritéria designace LPVO

Nařízení komise (ES) č.847/2000

- koncepce „podobných léčivých přípravků“
- koncepce „klinické superiority“

Nařízení (ES) č.141/2000- Léčivé přípravky pro vzácná onemocnění

- ***Zajistit přístup nemocných se vzácnými chorobami k léčbě***

- Podporovat výzkum, vývoj a uvedení na trh LPVO
- Pobídky (incentives)
- USA 1983, Japonsko 1993, Austrálie, Singapur
- Snaha o koordinaci podpory na úrovni EU

Nařízení EK No.141/2000

- vysoké náklady na vývoj a uvedení na trh léčivých přípravků (LP) pro diagnostiku, prevenci a léčbu
- běžné podmínky trhu = **nezájem farmaceutického** průmyslu o vývoj takovýchto léčivých přípravků

LPVO (Orphan Drugs, OD)

Nařízení (ES) č.141/2000

Kritéria designace LPVO:

- Pro diagnostiku, prevenci a léčbu
- Prevalence 5/10 000 obyvatel EU
- ***Život ohrožující, chronicky invalidizující či závažná a chronická onemocnění***
- Ustanovení komise expertů- COMP, EMA

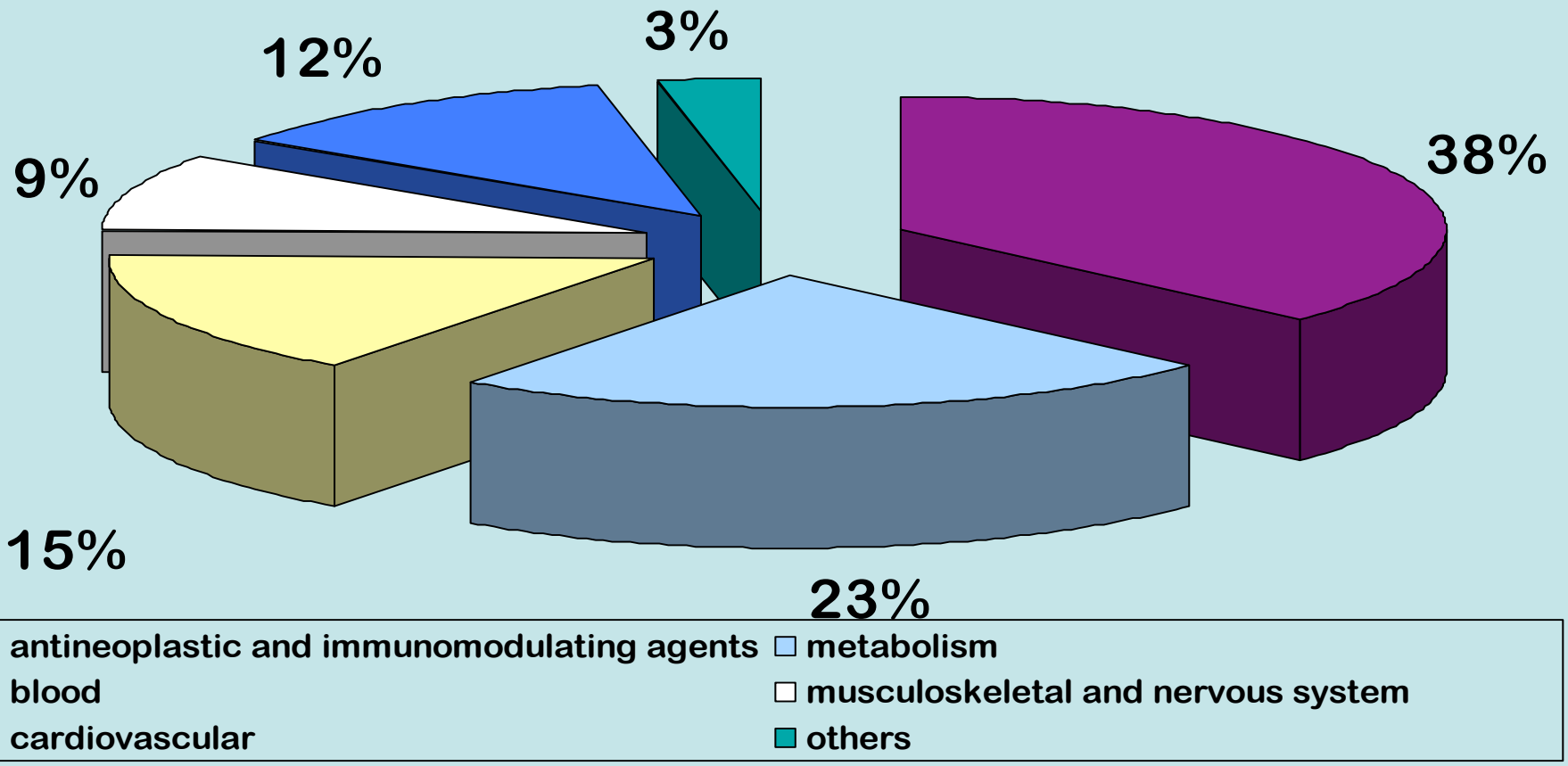
Kritéria dezignace
II.

- neexistuje jiná uspokojivá metoda diagnostiky, prevence nebo léčby registrovaný v EU

- **pokud existuje LP musí prokázat významný užitek pro pacienta (significant benefit, SB)**

Distribution of Orphan MAA

64 orphan authorised by centralised MA*



*2 withdrawn from the register of orphan drugs

Zákon č. 378/2007 Sb. § 11 zákona o léčivech

- činit opatření za účelem zajištění dostupnosti léčivých přípravků významných pro poskytování zdravotní péče a **přijímá opatření na podporu výzkumu, vývoje a dostupnosti léčivých přípravků pro vzácná onemocnění** a léčivých přípravků, které mohou být jako takové stanoveny, jakož i léčivých přípravků pro použití v dětském lékařství,

VLÁDA ČESKÉ REPUBLIKY

USNESENÍ

VLÁDY ČESKÉ REPUBLIKY
ze dne 14. června 2010 č. 466

o Národní strategii pro vzácná onemocnění
na léta 2010-2020

Vláda

I. **schvaluje** Národní strategii pro vzácná onemocnění na léta 2010-2020, obsaženou v části III materiálu č.j. 593/10 (dále jen „Národní strategie");

II. **ukládá**

1. členům vlády plnit Národní strategii,

2. ministryni zdravotnictví ustavit meziresortní a mezioborovou pracovní skupinu, která připraví Národní akční plán pro vzácná onemocnění na léta 2011-2013 a která bude koordinovat aktivity v oblasti vzácných onemocnění,

3. ministryni zdravotnictví ve spolupráci s ostatními členy vlády předložit vládě do 30. června 2011 Národní akční plán pro vzácná onemocnění na léta 2011-2013;

III. **doporučuje** hejtmanům ve spolupráci s orgány místní samosprávy a nevládními organizacemi do krajských rozvojových plánů zohlednit řešení problematiky vzácných onemocnění.

Provedou:

členové vlády

Na vědomí:

hejtmani,
primátor hlavního města Prahy

Předseda vlády
Ing. Jan Fischer, CSc., v. r.

Národní strategie pro vzácná onemocnění na léta 2010-2020

- Mezi hlavní cíle Národní strategie proto patří **včasná diagnostika a dostupnost adekvátní léčby vzácných onemocnění, koordinace a centralizace efektivní péče o pacienty se vzácným onemocněním**, zlepšení vzdělání a informovanosti odborné i laické veřejnosti v dané oblasti a spolupráce na národní i mezinárodní úrovni se zapojením pacientských organizací a také zlepšení identifikace vzácných onemocnění v rámci systému Mezinárodní klasifikace nemocí (MKN).

VLÁDA ČESKÉ REPUBLIKY

USNESENÍ

VLÁDY ČESKÉ REPUBLIKY
ze dne 29. srpna 2012 č. 633

o Národním akčním plánu pro vzácná onemocnění
na léta 2012 - 2014

V l á d a

I. **s c h v a l u j e** Národní akční plán pro vzácná onemocnění na léta 2012-2014, obsažený v části III. materiálu č.j. 712/12 (dále jen Národní akční plán);

II. **u k l á d á**

1. ministrovi zdravotnictví

a) koordinovat plnění aktivit obsažených v Národním akčním plánu,

b) předložit vládě do 31. prosince 2014

ba) zprávu o plnění Národního akčního plánu,

bb) Národní akční plán pro vzácná onemocnění na léta 2015 – 2017,

c) koordinovat činnost Meziresortní a mezioborové pracovní skupiny pro vzácná onemocnění v souladu s aktivitami obsaženými v Národním akčním plánu,

2. členům vlády realizovat v rámci své působnosti aktivity obsažené v Národním akčním plánu;

Úkoly a aktivity v letech 2012-2014

- Zlepšení informovanosti o RD
- Vzdělávání v oblasti RD
- Prevence RD
- Zlepšení screeningu a diagnostiky u RD
- Zlepšení dostupnosti a kvality péče pro pacienty s RD
- Zlepšení kvality života a sociálního začlenění osob s RD

Úkoly a aktivity v letech 2012-2014

- Podpora vědy a výzkumu v oblasti RD
- Sjednocení a rozvoj sběru dat a biologických vzorků o RD
- Podpora a posílení role organizací pacientů se vzácným onemocněním
- Meziresortní a mezioborová spolupráce
- Zahraniční spolupráce v oblasti RD

ZÁKLADNÍ SÍŤ CENTER PRO VZÁCNÁ ONEMOCNĚNÍ

Ministerstvo zdravotnictví, jako správní orgán věcně příslušný podle § 112 zákona č. 372/2011 Sb., o zdravotních službách a podmínkách jejich poskytování (zákon o zdravotních službách), informuje o tom, že dne 18. 4. 2012 vydalo rozhodnutí o udělení statutu:

„Národního koordinačního centra pro pacienty se vzácným onemocněním"
na dobu do 30. 4. 2015:

- Fakultní nemocnici v Motole, V Úvalu 84, 150 06 Praha 5 – Motol

„Centra vysoce specializované zdravotní péče o pacienty s cystickou fibrózou"
na dobu do 30. 4. 2014:

- Fakultní nemocnici Brno, Jihlavská 20, 625 00 Brno
- Fakultní nemocnici Hradec Králové, Sokolská 581, 500 05 Hradec Králové
- Fakultní nemocnici v Motole, V Úvalu 84, 150 06 Praha 5 – Motol
- Fakultní nemocnici Olomouc, I. P. Pavlova 6, 775 20 Olomouc
- Fakultní nemocnici Plzeň, Dr. E. Beneše 13, 305 99 Plzeň – Bory

„Centra vysoce specializované zdravotní péče o pacienty s dědičnými metabolickými poruchami"
na dobu do 30. 4. 2015:

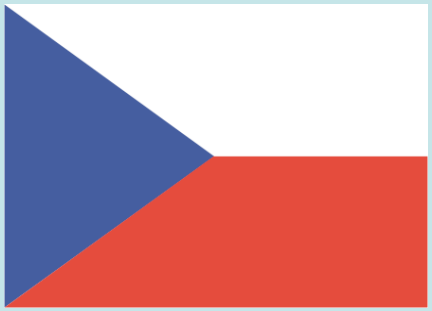
- Všeobecná fakultní nemocnici v Praze, U nemocnice 499/2, 128 08 Praha 2

„Centra vysoce specializované zdravotní péče o pacienty s epidermolysis bullosa congenita"
na dobu do 30. 4. 2015:

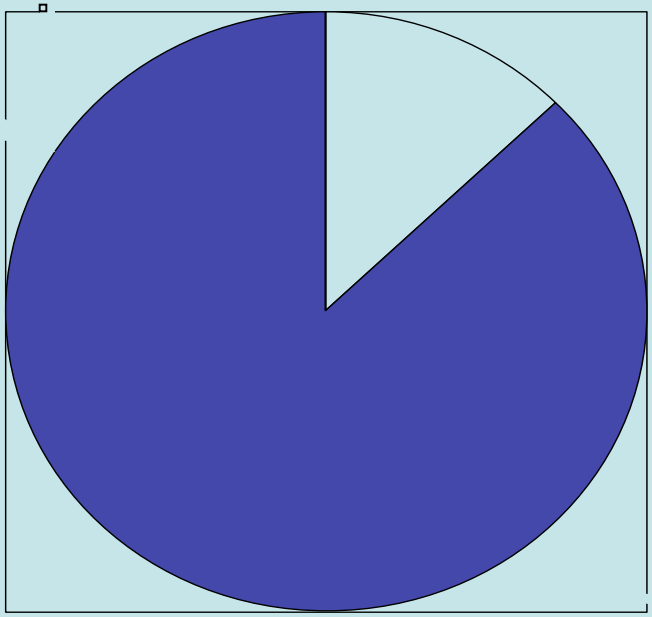
- Fakultní nemocnici Brno, Jihlavská 20, 625 00 Brno

MUDr. Ferdinand Polák
náměstek ministra

Dostupnost „ orphan“ léků v ČR



59 dostupné



67 centrálně schváleno

§ 16

- Vymezení pro neregistrované léky, indikace s nedostatečnými daty o bezpečnosti a účinnosti

- Administrativní zátěž

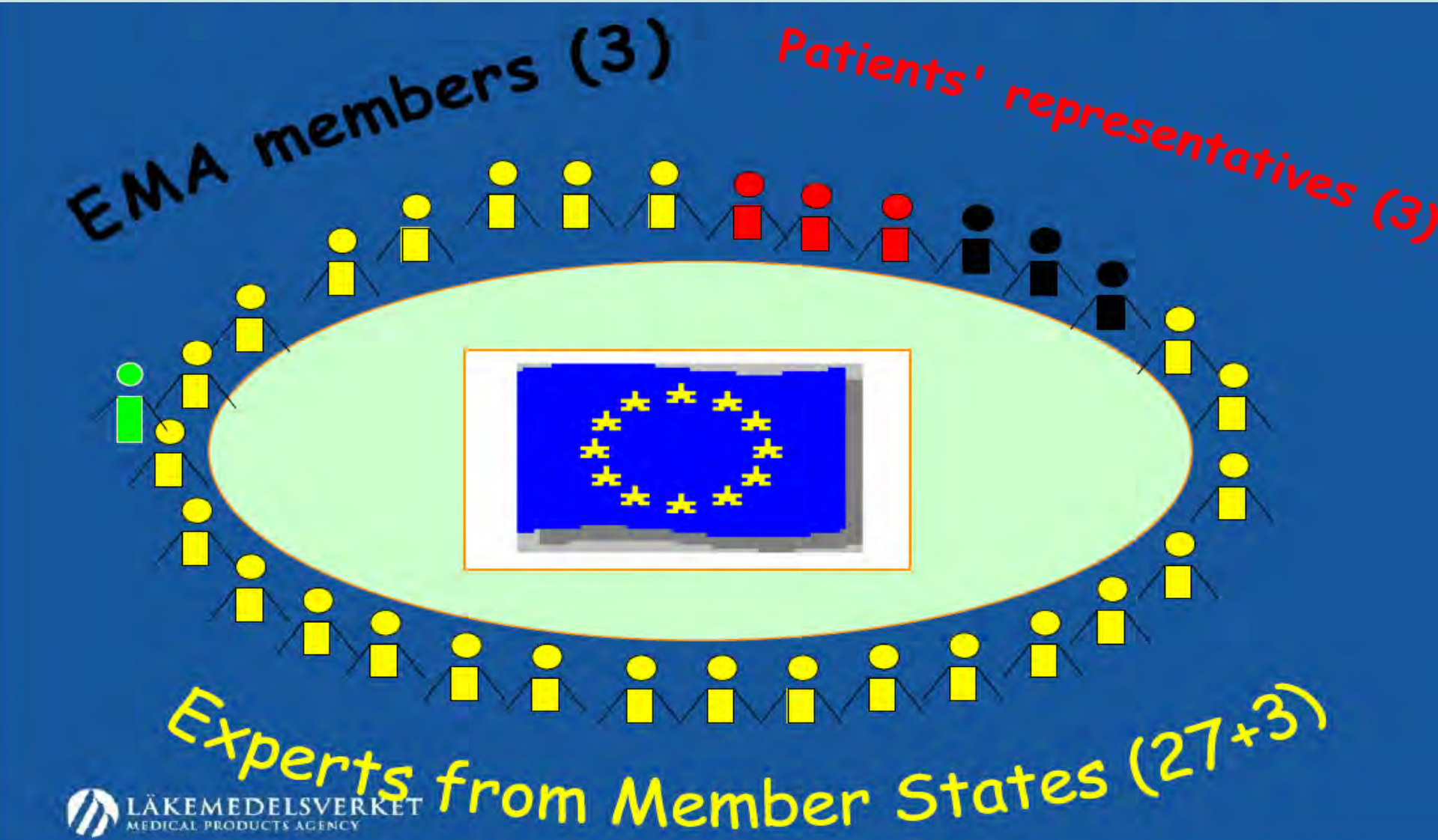
- Prodlužování přístupu inovativních léků k pacientům

LPVO a nákladová efektivita

VILP

- **Stanovení trvalé úhrady**
  - jeho terapeutická účinnost a bezpečnost- **risk/ benefit- EU,EMA,COMP**
  - závažnost onemocnění, k jejímuž léčení je určen- **statut orphan léku**
  - nákladová efektivita a náklady - **jak ji stanovit**
  - doporučené postupy odborných institucí a odborníků, a to vždy z hlediska nákladové efektivity a s ohledem na dopad na finanční prostředky zdravotního pojištění

Committee for Orphan Medicinal Products- COMP



Risk Management Plan

Definition:

What is PNH?

- Paroxysmal nocturnal haemoglobinuria (PNH) is an acquired disease that causes so… …lls (RBCs) to be destroyed by a process called haemolysi…
  PNH is a complex disease with signs and symptoms that are nonspecific, unpredictable, an… …iseases.

What is the PNH Registry?

- The PNH Registry is a prospective, international, non-interventional study that compiles important data on the natu… …istory and management of patients diagnosed or with sig…
  of PNH.

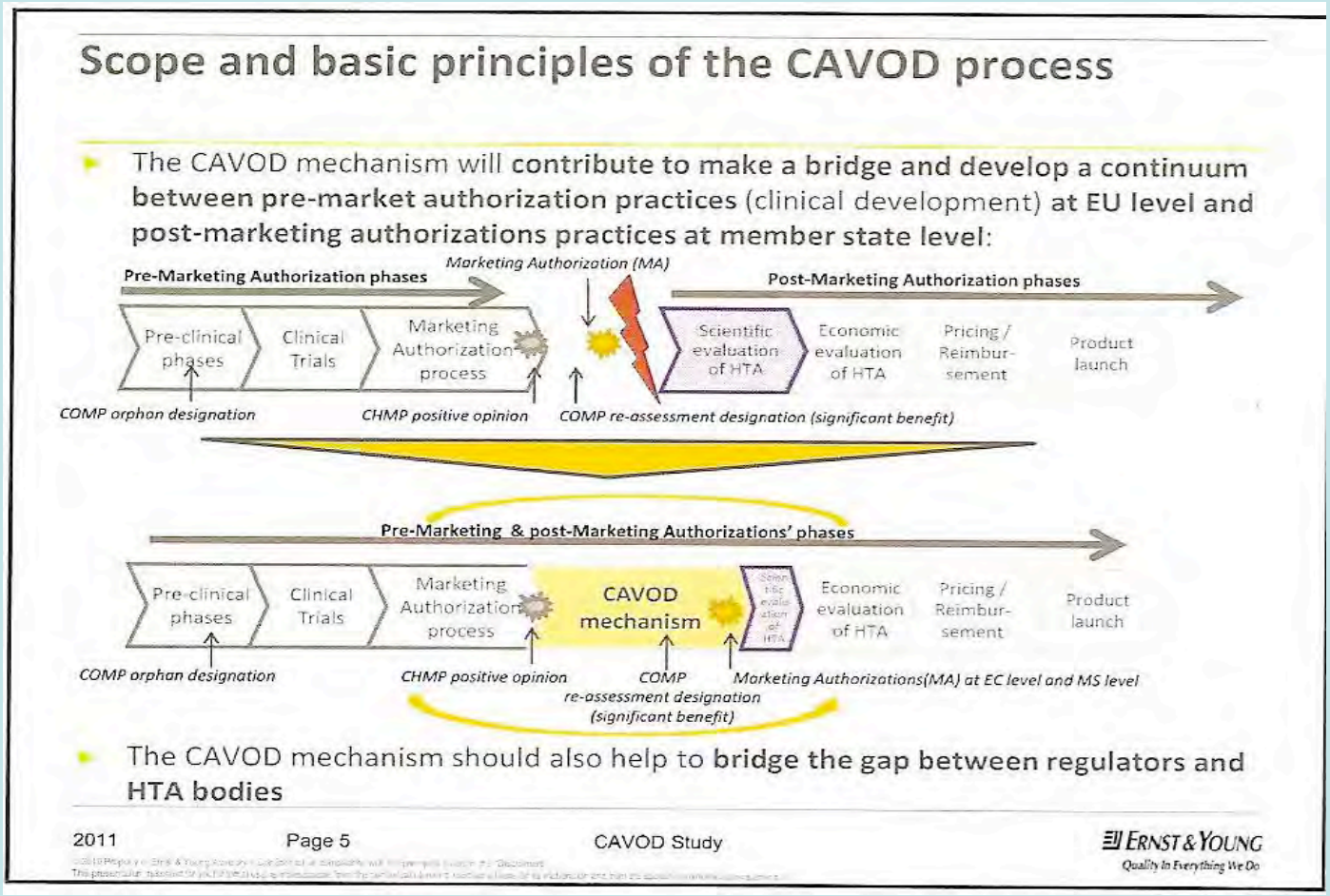
Following a post-marketing commitment requested by both the EMA (European Medicines Agency) and the FDA (Food and Drug Administration), the PNH Registry has been collaboratively designed and developed with a Scientific Advisory Board comprised of a team of international doctors and opinion leaders.

The aim of the PNH Registry is to collect data to characterise the progression of PNH as well as associated clinical outcomes, mortality and morbidity. Results from the PNH Registry will provide a better understanding of PNH and its real-world outcomes.

Patient inclusion: All your patients with a PNH clone may be enrolled in the PNH Registry.
Data collection: Clinical and patient reported outcomes will be collected fro… …NH Registry's duration
Registry duration: It is anticipated that patients who par… …rs.

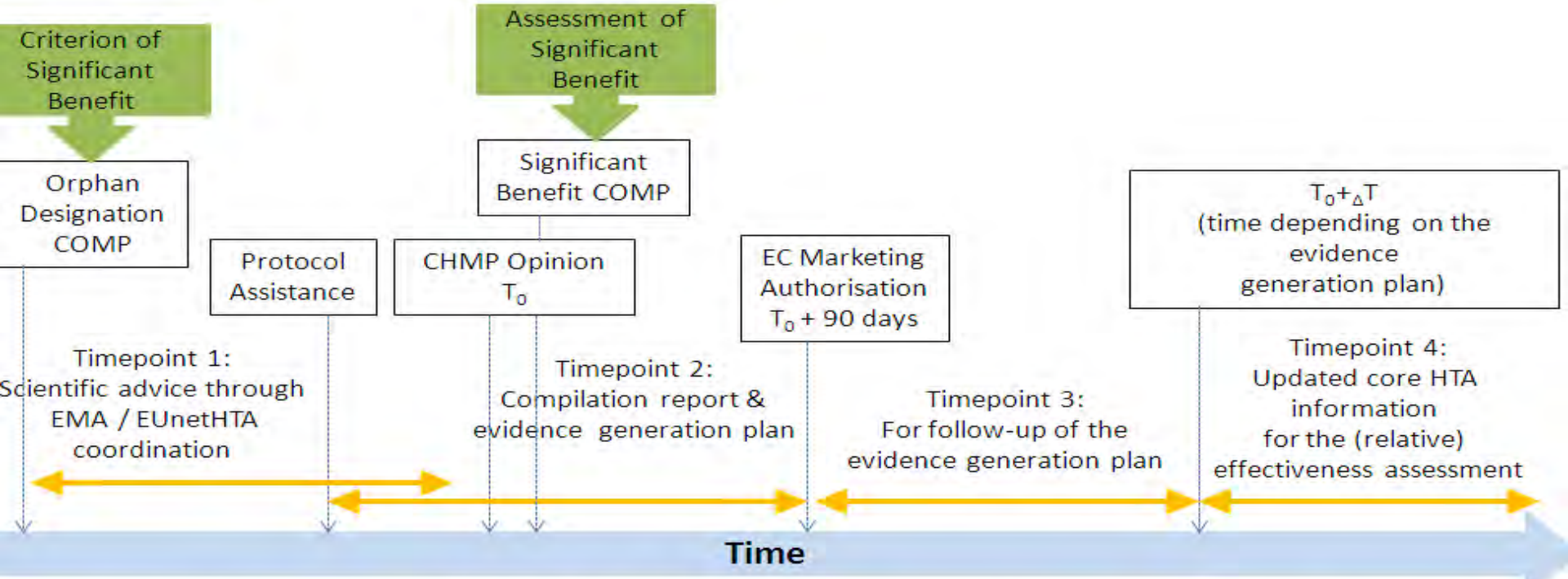
Implementace směrnice o farmakovigilanci

CAVOMP- Clinical Added-Value (Relative Effectiveness) of Orphan Medicinal Products



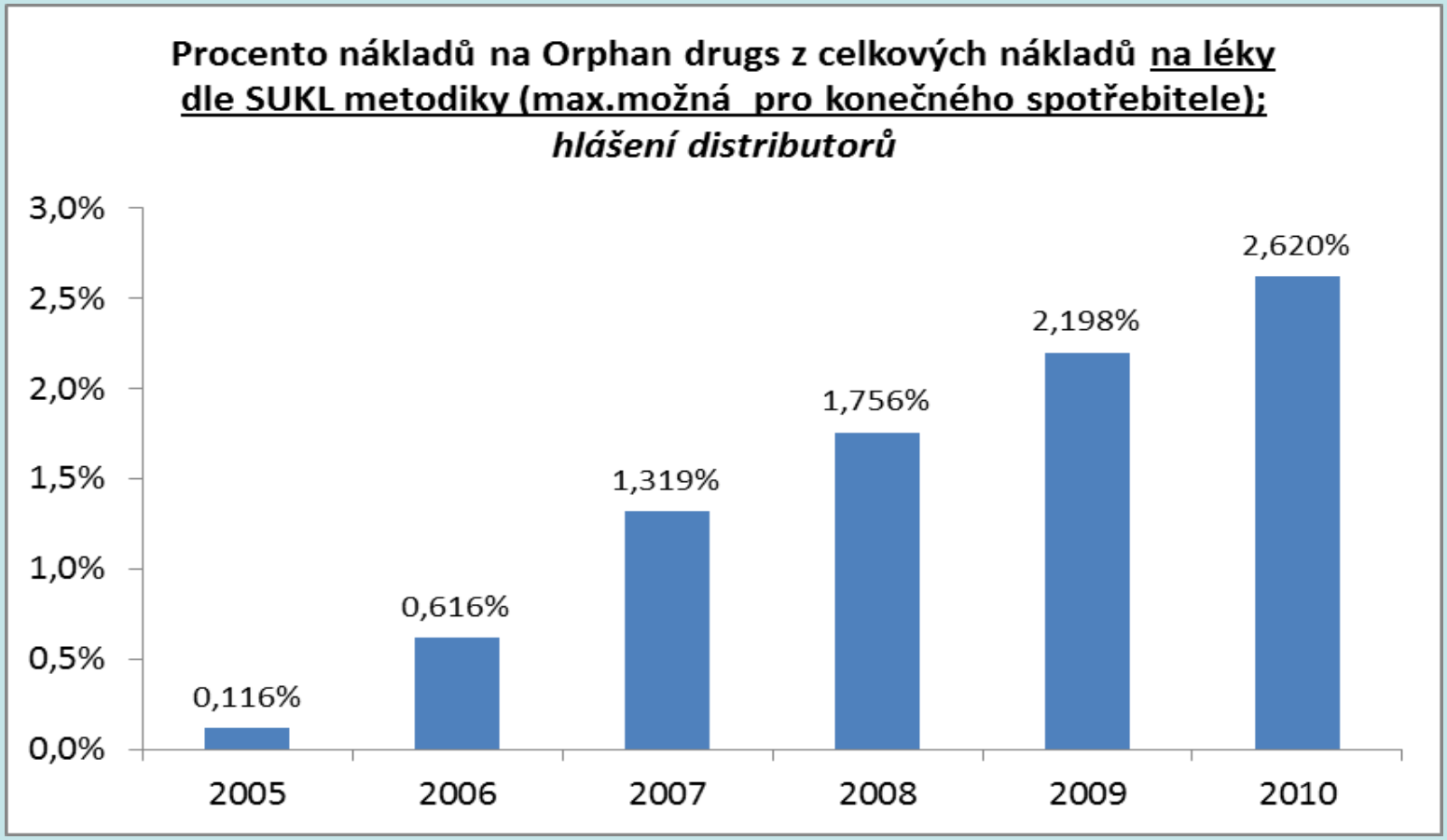
CAVOMP- Clinical Added-Value (Relative Effectiveness) of Orphan Medicinal Products

Stavět na existujících strukturách



Early Dialogue	Information exchange and defining the evidence generation plan	Evidence generation	Assessment
• EMA • EUnetHTA • Sponsor • Patients • Experts	• EMA • EUnetHTA • Sponsor • Patients & treating physicians	• EMA • EUnetHTA • MAH • Centres of Expertise (CE) & European Reference Networks (ERNs)	• EUnetHTA • EMA • MAH • Patients & CEs/ERNs
• Could be implemented already	• Could be implemented immediately	• Could be implemented immediately	• Adapted methodologies / tools for OMPs to be developed

Value outcomes – s.r.o.- Náklady na léky pro vzácná onemocnění



Paying for the Orphan Drug System: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments?

2007 dopad na lékové rozpočty

- BE 2 %
- FR 1% ,
- NE 1 %
- UK 1%
- DE 2.1%
- IT 2%
- ES 2 %

průměrně 1.7 %
v 5 zemích s nevyššími náklady na léky

Paying for the Orphan Drug System: break or bend? Is it time for a new evaluation system for payers in Europe to take account of new rare disease treatments?

Wills Hughes-Wilson[1*]
* Corresponding author
Email: wills.hughes-wilson@sobi.com

Ana Palma[2]
Email: apalma@shire.com

Ad Schuurman[3]
Email: ASchuurman@cvz.nl

Steven Simoens[4]
Email: steven.simoens@pharm.kuleuven.be

[1] EU Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD), Global Public Policy & Government Relations, SOBI – Swedish Orphan Biovitrum, Tomtebodvägen, 23a, Solna, Sweden

[2] Market Access & Public Affairs, Shire Human Genetic Therapies, Lambroekstraat 5C, B-1831 Diegem, Belgium

[3] Business Contact Centre & International Affairs, Dutch Health-Care Insurance Board (CVZ – College voor zorgverzekeringen), Eekholt 4, 1112 XH Diemen, Netherlands

[4] Pharmaco-economics Katholieke Universiteit Leuven, Research Centre for Pharmaceutical Care & Pharmaco-economics O&N2 Bus 521, Herestraat 49, B-3000 Leuven, Belgium

Orphanet Journal of rare Diseases 2012, 7:74

Table 1 Proposed criteria for evaluation of orphan drugs and corresponding potential parameters

Criteria	Price Differential		
	Lower	Medium	Higher
Rarity	1:2,000 - 1:20,000 or COMP figures > 3 in 10,000 (11%)	1:20,000 - 1:200,000 or COMP figures 1–3 in 10,000 (51%)	Less than 1:200,000 or COMP figures less than 1 in 10,000 (38%)
Level of research undertaken	Literature review	Building on previous existing knowledge	"Blue-sky" – starting research & development programme in an unknown area
Level of uncertainty of effectiveness	Immature, but promising data	Appropriate surrogate end-points	Robust clinical end-points
Manufacturing complexity	Not complex – small molecule / classic galenic form	Moderately complex	Highly complex biological and galenic form
Follow up measures (additional benefits and associated costs)	Moderate to none	Designed to answer specific, defined, delineated question	Safety and efficacy studies + size and duration of study
Characteristics without direct cost impact			
Disease severity	Morbidity	Mortality / severe invalidity in adulthood	Mortality / severe invalidity as infant
Available alternatives / unmet medical need	Alternatives with similar characteristics	Alternatives – but offering strong innovation to the disease treatment	No alternative
Level of impact on condition / disease modification	Low	Medium	Strong
Use in unique indication or not	Existing orphan or non-orphan indications for the same molecule*	Potential for multiple indications	Unique indication – no other use possible

*N.B. Another element could be the total revenues in the context of multiple indications for the same molecule owned by the same company

Dostupnost - ale

- *Legislativa hrazené péče a stanovení cen- nezná „orphans“*
- *Nezohledněn parametr závažnosti a chybění alternativní léčby*
- *Stejné posuzování jako standardní léčivé přípravky*
- *Jak hodnotit nákladovou efektivitu*

Mylné vnímání léků pro vzácná onemocnění

- nejvyšší profit farmaceutického průmyslu
- „ tsunami“ orphanů
- precedens „ blockbustru“ imatinib
- nedostatečné hodnocení orphanů

Multi-million Euro IRDiRC projects launched in Barcelona

IRDiRC
INTERNATIONAL
RARE DISEASES RESEARCH
CONSORTIUM

- EU 40 mil. €

- 7 rámcový program EK
- Nová terapie pro vzácná onemocnění
- *“central global rare disease hub”* – 70 výzkumných institucí po celém světě sdílení genomických dat

Home

Projects

Calls for proposals

International Cooperation

Committed members

Become a member

How will it work?

Governance

Current state of play

Documents

Conference 2013

Contact Corner

International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)

In the Spotlight

Watch the videos "In search of IRDIRC" and "IRDIRC, teaming up for research".

First International Rare Diseases Research Consortium Conference, Dublin, Ireland, 16-17/04/2013.

Introduction

Maximising scarce resources and coordinating research efforts are key elements for success in the rare diseases field. Worldwide sharing of information, data and samples to boost research is currently hampered by the absence of an exhaustive rare disease classification, standard terms of reference and common ontologies, as well as harmonised regulatory requirements.

The International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC) **was launched in April 2011** to foster international collaboration in rare diseases research. IRDiRC will team up researchers and organisations investing in rare diseases research in order to achieve two main objectives, namely to deliver **200 new therapies for rare diseases and means to diagnose most rare diseases by the year 2020.**

For any questions or queries with regard to IRDiRC, please use the following e-mail address: **RTD-IRDIRC [at] ec.europa.eu**

EURenOmics

Partner Projects

NeuromOmics

RD-Connect

IRDiRC
INTERNATIONAL RARE DISEASES RESEARCH CONSORTIUM

Welcome to EURenOmics!

Our Consortium is devoted to improving the lives of patients affected by rare kidney diseases. In line with the objectives of the International Rare Disease Research Consortium (IRDiRC), we aim to develop novel tools that will allow to make more accurate diagnoses, predict the disease course and the efficacy of available treatments, and help developing new and better therapies for rare kidney diseases.

This project is receiving funding as part of the European Community's commitment to the IRDiRC initiative. In this quest we are joining forces with our FP7 partner project Neuromics (for neuromuscular disorders) and the RD-CONNECT infrastructure platform.
The research efforts of EURenOmics are focused on the following 5 groups of kidney diseases:

- Steroid resistant nephrotic syndrome (WP2)
- Membranous nephropathy (WP3)
- Tubulopathies (WP4)
- Complement disorders such a haemolytic uraemic syndrome (WP5)
- Congenital kidney malformations (WP6)

Our Consortium comprises 18 academic institutions and 8 industry partners . We have access to the largest rare renal disease cohorts assembled to date (collectively >12,000 patients) with detailed clinical information and comprehensive biorepositories containing DNA, blood, urine, amniotic fluid and kidney tissue.

In EURenOmics we will utilize a wide array of high-throughput technologies to find new genes causing or predisposing to kidney diseases, characterize molecular signatures uniique to

Consortium

Work Packages

Click on the image for a bigger workpackages map

Quicklinks

NeuromOmics

Integrated European Project on Omics Research of Rare Neuromuscular and Neurodegenerative Diseases

News

38 million EUR for rare disease research

On 24 January 2013, international experts will explain the latest cutting-edge approaches to medical research in the rare disease field at a press conference to celebrate the launch of 38 million EUR of funding for rare disease research and therapy development.

Project aims

Neuromics aims to revolutionize diagnostics and develop new treatments for ten major neuromuscular and neurodegenerative diseases.

It will do this by bringing together leading research groups in Europe, five highly innovative SMEs and overseas experts. Together, they will use the most sophisticated -omics technologies in order to:

Disease fields

Neurodegenerative (NDD) and neuromuscular (NMD) diseases are amongst the most frequent of rare diseases, affecting the life and mobility of more than 500,000 patients and families in Europe.

The focus of Neuromics is on 10 major disease categories. Some of these are at a promising stage of etiological and therapeutic research, whilst in others, diagnostic and therapeutic concepts are still

Project partners

- **University of Tübingen, Germany - Coordinator**
- Agilent Technologies, Sweden
- Ariadne Diagnostics, LLC, USA
- Bio-Prodict, The Netherlands
- Cambridge University, UK
- Children's National Medical Center, USA
- deCODE genetics, Iceland
- German Center for Neurodegenerative Diseases
- Institut National de la Santé et de la Recherche

RD Connect

Search this website...

ABOUT RD-CONNECT | GLOBAL PLATFORM | CONTACT US | NEWS | EVENTS

About RD-Connect

An introduction from the coordinator

Objectives

Partners

Governance

About IRDiRC

About -omics

Events

About RD-Connect

RD-Connect is a unique global infrastructure project that links up databases, registries, biobanks and clinical bioinformatics data used in rare disease research into a central resource for researchers worldwide.

In a six-year project funded by the European Union but uniting researchers across the world, it will develop an integrated research platform in which complete clinical profiles are combined with -omics data and sample availability for rare disease research, in particular research funded under the International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC).

Quick links

- Contact us
- Contacts directory
- Events
- Intranet

Related projects

EURenOmics

NeurOmics

IRDiRC

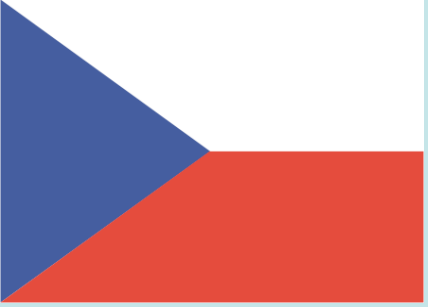
Přeshraniční lékařská péče

Směrnice EP a Rady o uplatňování práv pacientů v přeshraniční péči

- 19.1.2011
- MS 30 měsíců na implementaci

- **Vzácné onemocnění-** samostatný dodatek, síť evropských referenčních center

- Vznik národních kontaktních center, úřad evropského ochránce práv pacientů



Pozice ČR

- Podpora vznik evropské referenční sítě
  - **Centra pro vzácná onemocnění**
  - **Národních koordinační centrum**- Směrnice Evropského parlamentu a Rady 2011/24/EU ze dne 9. března 2011 o uplatňování práv pacientů v přeshraniční zdravotní péči.
  - Sítě center vysoce specializované péče nevzácných diagnóz
  - Nákladnou a komplexní terapii, jako např. ***transplantace solidních orgánů, dětská ortopedie, kardiochirurgie, onkologie, popáleniny***
- Vznik center vysoce specializované péče dle přijatého **zákona 372/2011 o zdravotních službách** dává předpoklad navázání těchto center na ERN
- **Dobrovolné připojení** a být v souladu s národní strategií centralizace léčby specifických diagnóz.

European Union Committee of Experts on Rare Diseases

EUCERD

DOPORUČENÍ O KRITÉRIÍCH KVALITY PRO ODBORNÁ CENTRA PRO VZÁCNÁ ONEMOCNĚNÍ V ČLENSKÝCH STÁTECH

EUCERD Recommendations to the European Commission and the Member States on European Reference Networks for Rare Diseases

EUCERD
European Union Committee of Experts on Rare Diseases

EUCERD RECOMMENDATIONS on RARE DISEASE EUROPEAN REFERENCE NETWORKS (RD ERNS)

31 JANUARA 2013

Pozice ČR

- 01/03/2012 –Návrh směrnice urychlující přístup pacientů k novým lékům

  - ….. decisions should be taken within 120 (180) days for innovative medicines, as a rule, and for generic medicinal products within only 60

EUROPEAN COMMISSION

Brussels, 1.3.2012
COM(2012) 84 final

2012/0035 (COD)

Proposal for a

DIRECTIVE OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL

elating to the transparency of measures regulating the prices of medicinal products for human use and their inclusion in the scope of public health insurance systems

(Text with EEA relevance)

{SWD(2012) 29 final}
{SWD(2012) 30 final}

Informovanost

Orphanet Česká republika

orphanet Inserm

Orphanet - národní stránka

Přístup ke službám Orphanetu v České republikce a v dalších zemích v: English OK

Česká republika

> Úvod
> Kontakt
> Vedení a dohled
> Sponzoři a partneři
> Zaregistrujte Vaši aktivitu

Vyberte jazyk

Používá technologii Google™ Pře

NOVINKY

MEZINÁRODNÍ NOVINKY

Third International Symposium on Paediatric Movement Disorders, 25-26 February 2011, Barcelona, Spain [↗]

World Orphan Drug Congress USA 2011, 13-15 April 2011, Washington DC, USA [↗]

Treat-NMD Global Conference, 8-11 November 2011, Geneva, Switzerland [↗]

UDÁLOSTI

OBECNÉ INFORMACE

- Stručně o Orphanetu
- O vzácných onemocněních
- O léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění
- Úmluva kvality

DOKUMENTY

:: O léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění

Co jsou léčivé přípravky pro vzácná onemocnění?
Tzv. léčivé přípravky pro vzácná onemocnění jsou určeny pro léčbu onemocnění, která jsou tak vzácná, že výrobci se zdráhají vyvíjet tyto přípravky za běžných tržních podmínek, protože poptávka po těchto léčivech nezaručuje návratnost investice do výzkumu a vývoje takového produktu.
Pacienti se vzácnými onemocněními však nemohou zůstávat na okraji současného vývoje vědy a nových léčiv, mají stejná práva na léčbu jako kterýkoliv jiný pacient. Pro stimulování výzkumu a vývoje léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, úřady zavádějí pobídky pro zdravotnický a biotechnologický průmysl. Toto započalo ve Spojených státech amerických již v roce 1983 schválením zvláštního zákona. Japonsko zavedlo takový zákon v roce 1993 a Austrálie v roce 1997. Evropa následovala v roce 1999 zavedením společné politiky pro všechny členské státy.

Evropská regulace léčivých přípravků pro vzácná onemocnění
Dne 16. prosince 1999 Evropský parlament a Evropská komise zavedla Nařízení (EC) číslo 141/2000 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění.
Dále Evropská komise dne 27. dubna 2000 zavedla Opatření (EC) číslo 847/2000, určující finance pro aplikaci kritérií pro označení a definování pojmů „podobné léčivé přípravky" a „klinická nadřazenost".
Dle nařízení 141/2000, pouze léčiva pro humánní použití mohou být označena jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění", proto se to netýká veterinárních léčiv, zdravotnických zařízení, potravinových doplňků a dietních přípravků.
Léčiva takto označená jsou zadána ve společném registru.

Dostupnost léčivých přípravků pro vzácná onemocnění v Evropě
Schválení léčiva neznamená, že lék je dostupný ve všech zemích Evropské unie (seznam léčiv pro vzácná onemocnění na evropském trhu). Držitel oprávnění se musí předem rozhodnout, zda přípravek projde potřebnými procedurami pro každou zemi k určení úhrad a obvykle také konečné ceny.
Navzdory společným snahám, různost přístupů v jednotlivých zemích činí přístup pacientů k těmto lékům složitý.

Politiky na podporu léčivých přípravků pro vzácná onemocnění v Evropě

Popis Evropské politiky pro oblast vzácných onemocnění a léčivých přípravků pro vzácná onemocnění je možné nalézt na webu Evropské komise.
Popis národních iniciativ a pobídek Evropské komise, Evropské unie a okolních zemí je možné nalézt na webu Evropské komise expertů na vzácná onemocnění.

Seznam léčivých přípravků pro vzácná onemocnění

Orphanet udržuje Seznam léčivých přípravků pro vzácná onemocnění dostupných v Evropě, který je aktualizován každý měsíc.
Orphanet rovněž poskytuje přístup k informacím o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění, které jsou teprve ve vývoji (označení jako léčivý přípravek pro vzácná onemocnění, klinické studie) či jsou již v prodeji, kategorizovaný dle skupiny chorob, typu léčiva, názvu účinné látky, sponzora či země.

Inserm

Přístup ke službám Orphanetu v České republikce a v dalších zemích v: |Français |English |Español |Deutsch |Italiano |Portuguese

Legal notice — Kontaktujte nás — Poslední aktualizace: 1. 9. 2010

ZDN.CZ

Pacientské organizace

orphaNews Europe
Newsletter of the European Union Committee of Experts on Rare Diseases
Summary
28 March 2012
print

- ***Czech Republic lays groundwork for the Czech Association for Rare Diseases***

OrphaNews Europe : 28 March 2012

Editorial
EUCERD Joint Action kick-off meeting reviews the work plan designed to help implement the Council Recommendation on an action in the field of rare diseases

EU Policy News
New European Commission proposal would give patients faster access to medicines

National & International Policy Developments

Other European news
Czech Republic lays groundwork for the Czech Association for Rare Diseases

česká asociace pro vzácná onemocnění

ČAVO

- zal. v březnu 2012
- 27 členů – pacientsk ch organizací pro VO
- Spolupráci s odborn mi garanty, EUCERD, Orpha.net
- členem Meziresortní a mezioborové komise pro VO při MZ R
- členem Eurordis
- Zpravodaj „ AVO“
- www.vzacna-onemocneni.cz
- Zvyšování povědomí o VO u nás

  Semináře, medializace

česká asociace pro vzácná onemocnění

Cíle ČAVO

- **zvyšování povědomí o VO**
- **vymezení** specifické kategorie vzácn ch onemocnění a zakotvení zvláštního režimu **orphan drugs** (tzv. sirotčí léky) v **české legislativě**
- **usnadnění přístupu** pacientů k nov m lékům a léčebn m postupům
- **rozvoj diagnostiky** tak, aby co nejméně pacientů zůstávalo bez správné diagnózy
- **standardizace léčebn ch postupů** pro jednotlivé diagnózy v souladu s doporučen mi evropsk mi standardy
- **vytvoření sítě** vysoce specializovan ch léčebn ch center pro VO (pro některé nemoci dosud neexistuje odpovídající pracoviště)
- posílení **přeshraniční spolupráce** při léčbě a v zkumu
- **sociální politika** – zohlednění specifik vzácn ch onemocnění
- **uskutečňování jednotliv ch cílů v rámci** Národního plánu pro vzácná onemocnění (NAP)
- **úzká spolupráce s experty**

„Sami vzácní, spolu silní“

SAMI VZÁCNÍ,
SPOLU SILNÍ

DEN PRO VZÁCNÁ ONEMOCNĚNÍ®

28. února 2013

www.rarediseaseday.org