

# České předsednictví 2022

Co se doposud podařilo v prioritě  
vzácných onemocnění?

Anna Arellanesová  
Konference členů ČAVO  
22. 11. 2022

# Naše advokacie začala již v roce 2019

## Proč?

Vše se rozhoduje již dlouho před samotným  
předsednictvím

## S kým?

Společně s Eurordisem

Společně s našimi odborníky na VO

Společně s předsednickým triem

## Cíl?

Pomoci zlepšit situaci v oblasti VO pro celou EU !!



Česká lékařská společnost  
Jana Evangelisty Purkyně



# Priority ve zdravotnictví

- Onkologie ( Europe's Beating Cancer Plan „BECA“)
- **Problematika vzácných onemocnění a zlepšení dostupnosti léků na vzácná onemocnění**
- Očkování
- Posílení globální úlohy EU v oblasti zdraví
- Ukrajina



## Czech Presidency of the Council of the European Union



### Zlepšení dostupnosti a přístupu k orphanům

- **Revize Nařízení o léčivých přípravcích na vzácná onemocnění z roku 2000**  
**Proč?**
  - Nenaplněné potřeby více než 90% VO
  - Rozdílná dostupnost léčiv na národní úrovni („princip subsidiarity“)
  - Výzkum&Vývoj není dostatečně podpořen
- **Nová farmaceutická strategie** – nová pravidla pro vstup léčiv, pobídky...
- **European Health Data Space** – zlepšení přeshraniční péče, sdílení dat...

# Technická schůzka v Brně



Czech Presidency of the Council  
of the European Union



## Včasná diagnostika pacientů se vzácným onemocněním v EU : Klíčová role novorozeneckého screeningu (NBS)

novorozenecký screening

SESSION I SESSION II PANEL DISCUSSION GENERAL DISCUSSION SUMMARY PROGRAMME

EARLY DIAGNOSIS OF PATIENTS WITH RARE DISORDERS IN THE EU:  
CRUCIAL ROLE OF THE NEWBORN SCREENING

Skip to videos

- Pod záštitou CZ PRES
- Proběhla 23. července 2022 v Brně jako součásti 200. výročí narození G.J. Mendla
- Web se záznamem meetingu:

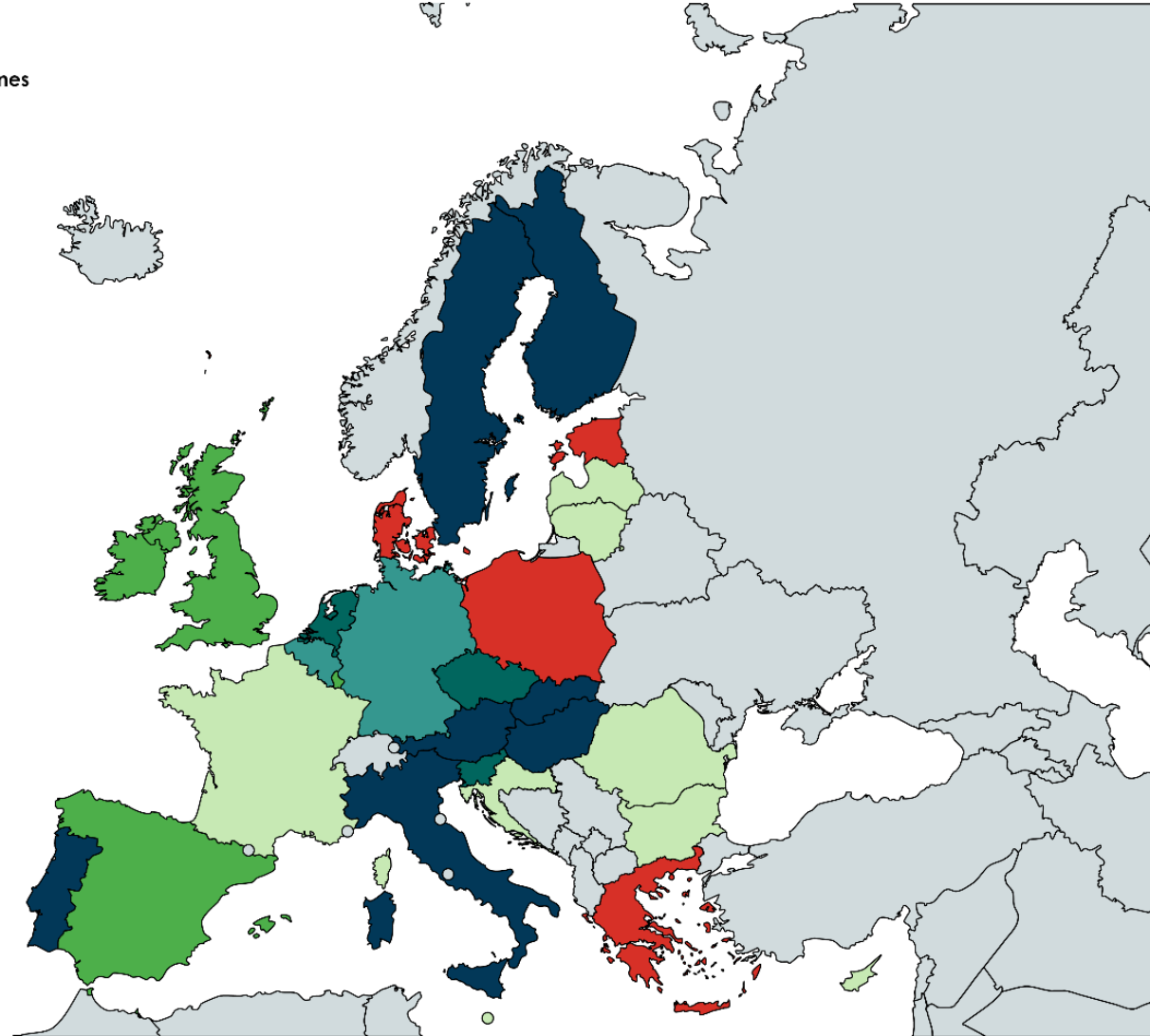
<https://novorozeneckyscreening.vzacna-onemocneni.cz/>



# Počet screenovaných VO v programech pro NBS v Evropě je různý

No. of diseases included in Newborn Screening programmes

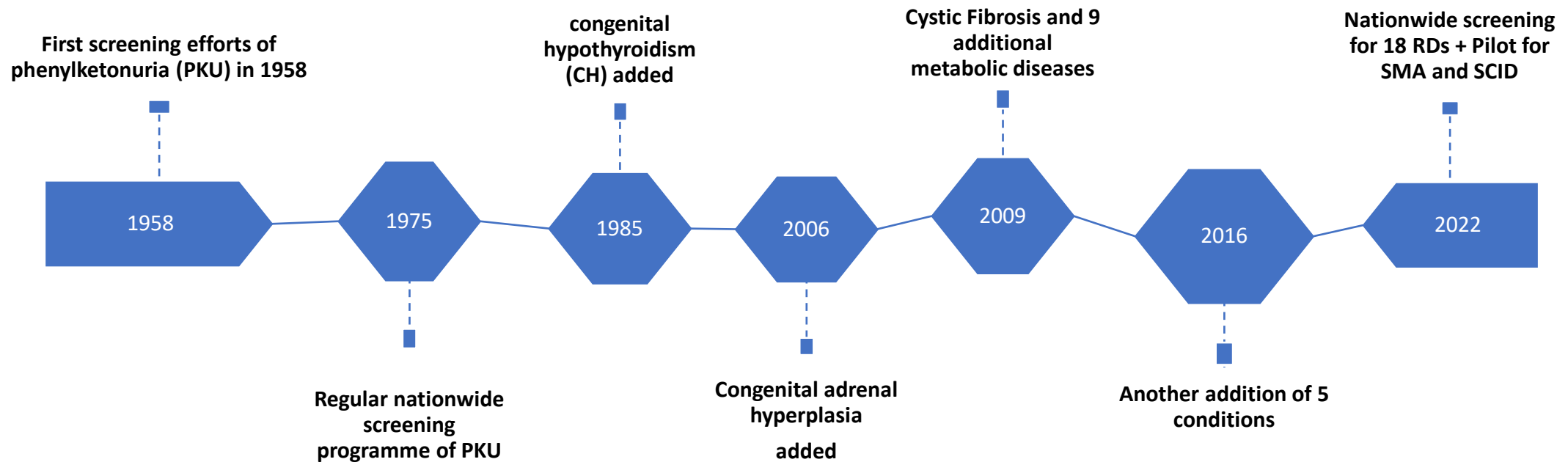
- Between 1-5 conditions
- Between 6-10 conditions
- Between 11-15 conditions
- Between 16-20 conditions
- Over 20 conditions
- No data provided



Created with mapchart.net ©

# NBS v Československu/České republice

## – pohled v čase



Source: [novorozeneckyscreening.cz](http://novorozeneckyscreening.cz)

# Expertní konference o vzácných onemocněních Towards a New European Policy Framework: „Building the Future Together“



EU2022.CZ

..s hlavním cílem: Evropský akční plán pro vzácná onemocnění  
založený na doporučeních výhledové studie Rare2030.eu

Praha, 25.- 26. října 2022 v Kongresovém centru

- Session I. – A new goal-based and **coordinated strategy** for rare diseases
- Session II. – **Early Diagnosis** for rare diseases
- Session III. – Revision of the **Orphan Drug and Paediatric Drug Regulations**
- Session IV. – **Instruments for improving access** to treatments for rare diseases
- Session V. – **Holistic healthcare pathways**: Integrating European Reference Networks (ERNs) into European health care and social systems



# Výstavy pacientů na konferenci



# Výzva k akci (Call to Action)



EU2022.CZ

- Připravil Eurordis společně s ČAVO a našimi odborníky
- Obsahuje 5 částí:
  1. **Výzva** k přípravě koordinovaného Evropského akčního plánu pro vzácná onemocnění
  2. **Včasná diagnostika** vzácných onemocnění
  3. **Revize Nařízení** pro orphany a pediatrické léky
  4. **Nástroje** pro zlepšení přístupu k lékům na VO
  5. **Ucelený přístup k péči**: Integrace ERNů do evropských zdravotních a sociálních systémů



EU2022.CZ

## Call to Action

from the Expert Conference on Rare Diseases

Towards a new European policy framework on rare diseases:

“Building the future together for rare diseases”

On 25 and 26 October 2022, in Prague

The Czech Presidency of the EU Council organised the Expert Conference on Rare Diseases in Prague on 25-26 October 2022 to explore how the European Union can take continued steps towards a coordinated strategy for rare diseases to better address current unmet needs by setting meaningful goals for patients, families and for society at large, integrated at the national and regional levels.

Rare diseases, including rare cancers, are a heterogeneous group of largely incurable, complex conditions. There are over 6000 rare diseases, and more than 70% have a genetic origin. Although individually characterised by low prevalence, the sheer number of rare diseases results in a directly affected community of 20 million people across the EU. Rare diseases are chronic, progressive, degenerative, disabling and frequently life threatening. They are typically accompanied by a scarcity of knowledge and expertise.

In 2021, an average of 5 years is still needed to obtain a diagnosis, and only 6% of rare diseases can benefit from a specialized treatment. People living with a rare disease experience a high psychosocial, emotional and financial burden and are often excluded from society. The COVID-19 pandemic has exacerbated their vulnerabilities, with 84% of

# Co bude dál.....



EU2022.CZ

## Doposud vyjádřily podporu tyto země:

- Česká republika
- Francie
- Španělsko
- Dánsko
- Finsko
- Chorvatsko
- Rumunsko
- Lotyšsko
- Itálie
- Slovensko
- Slovinsko
- Řecko
- Lucembursko

## Představení závěrů na setkání ministrů zdravotnictví 9. prosince (EPSCO)

- Výsledek bude předán EK
- Potřeba získat podporu co nejvíce států
- Pak musí EK konat !!!

**Příprava Evropského akčního plánu pro vzácná onemocnění 😊**



