



# Strategie ČAVO v oblasti výzkumu

Lenka Hajgajda

18.4.2026

SAMI VZÁCNÍ, SPOLU SILNÍ

Existují tisíce vzácných diagnóz, které dohromady ovlivňují miliony lidí. Přesto pro většinu z nich zatím neexistuje účinná léčba.

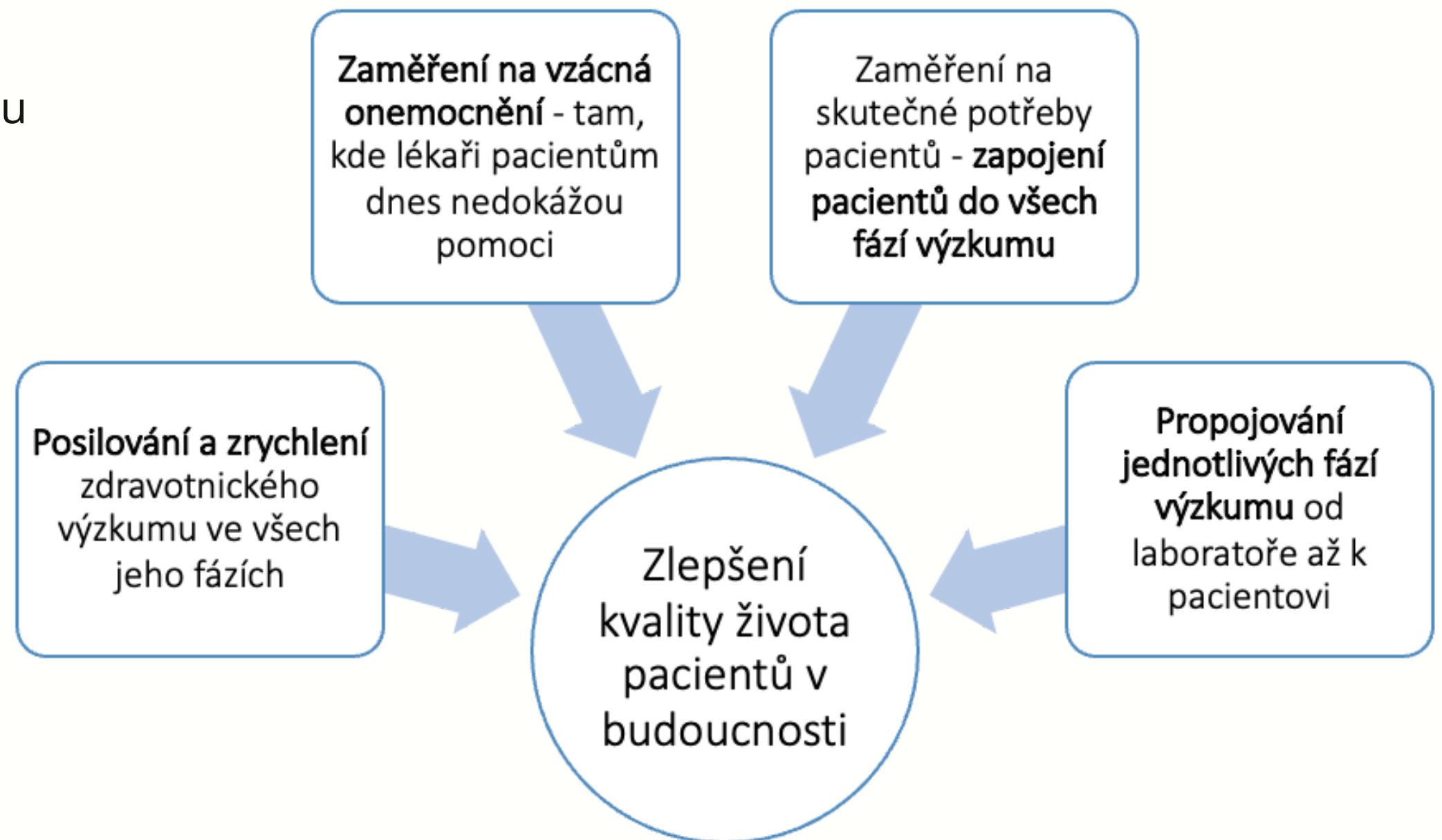
Dnes známe **více než 8000 vzácných onemocnění**.  
Až pro **95% vzácných onemocnění neexistuje lék**.

Za každým VO se skrývá **příběh konkrétního pacienta** a jeho rodiny. Jednotlivě postihují málo lidí, ale společně představují **velkou celospolečenskou výzvu**.



# Posílení výzkumu vzácných onemocnění má potenciál zásadně zlepšit kvalitu života pacientů v budoucnosti

- stanovisko ČAVO pro oblast výzkumu
- STRATEGIE
- Akční plán



# KLÍČOVÉ POTŘEBY Z POHLEDU LIDÍ S VO

## DIAGNOSTIKA A ZÁKLADNÍ POZNATKY

Pacienti potřebují, aby výzkum přinesl základní poznatky o diagnostice jejich onemocnění, protože často obtížně hledají lékaře, kteří by jim dokázali pomoci.

## VÝVOJ LÉČBY

Je třeba výzkum zaměřený na vývoj léků a léčebných postupů pro VO, protože na 95% z nich dnes lék neexistuje. Léky nejen pro záchranu života, ale i pro zlepšení kvality života.

## RYCHLÝ TRANSFER POZNATKŮ

Zkrátit cestu „z laboratoře k pacientovi“ – výzkum musí být zaměřen tak, aby nové poznatky nacházely praktické uplatnění co nejrychleji.

# KLÍČOVÉ POTŘEBY Z POHLEDU LIDÍ S VO

## POROZUMĚNÍ PRŮBĚHU NEMOCI

Pacienti a jejich rodiny čelí velké nejistotě kvůli nedostatku informací o vývoji onemocnění a vyhlídkách, proto potřebují výzkum, který toto zodpoví.

## KOMPLEXNÍ PŘÍSTUP

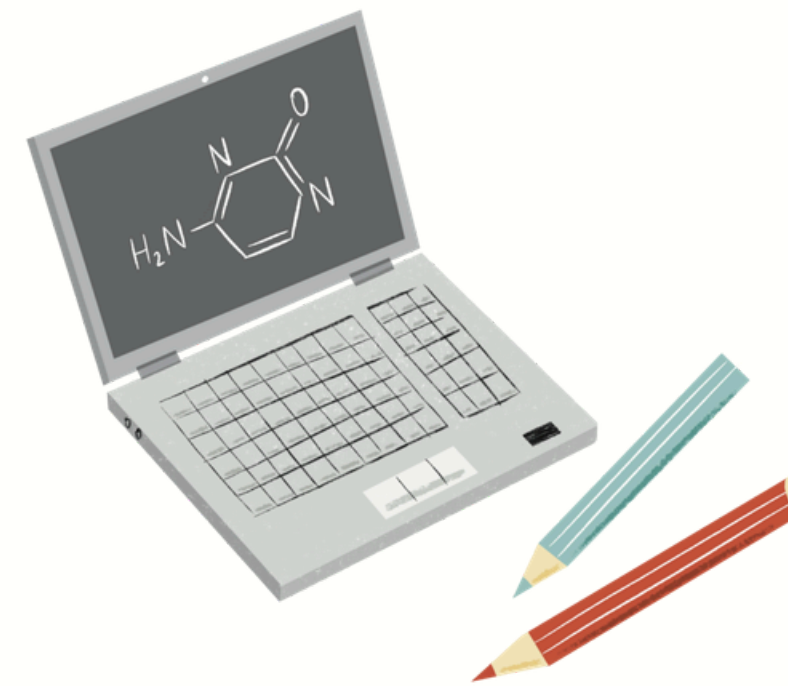
Zapojit pacienty jako aktivními účastníky v komunikaci s lékaři i výzkumníky. Zapojení pacientů do všech fází výzkumu – jedině tak lze nasměrovat výzkum na skutečné potřeby.

*Z pohledu pacientů jde tedy především o to, aby výzkum přinesl praktické řešení jejich každodenních problémů s diagnostikou, léčbou a nejistotou do budoucnosti.*

## Celospolečenský pohled

*Investice do výzkumu VO přinášejí **ekonomické přínosy celé společnosti**, protože snižují náklady na péči a umožňují vyšší zapojení pacientů do ekonomického života.*

*Velké objevy z oblasti VO navíc **často otevírají nové možnosti léčby i pro častá onemocnění**, což přináší prospěch mnohem širšímu spektru pacientů.*



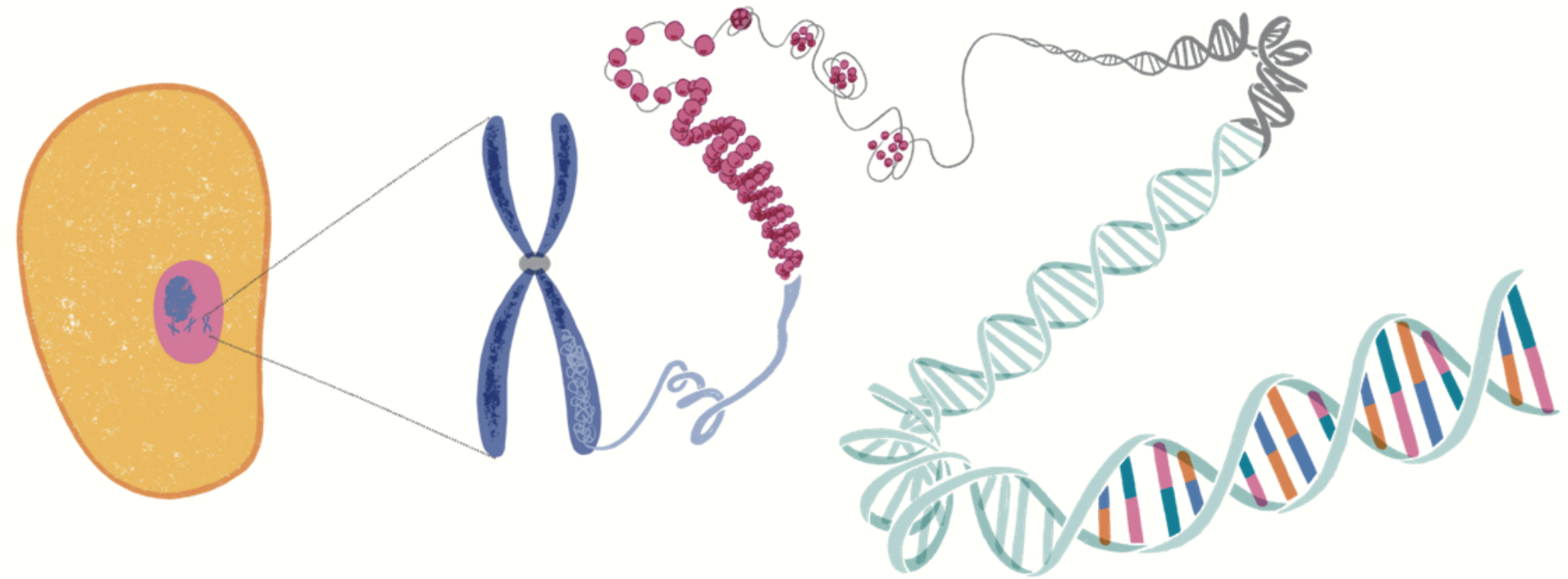
## RD Factory

Partnerský program Českého centra pro fenogenomiku (CCP), a olomouckého Ústavu molekulární a translační medicíny (IMTM)

**Výzkumný program, do kterého můžete nominovat svůj gen nebo nemoc**

Výzva je určena **vědcům, klinickým odborníkům, patientským organizacím i rodinám**, které se potýkají se VO.

Obecně se vybírají onemocnění, která nejsou dosud dostatečně prozkoumána jinde ve světě. Posuzuje se také, zda odborné znalosti CCP mohou přispět k rozšíření poznatků o dané chorobě a zda je návrh realizovatelný z hlediska kapacit a financování.



## RD Factory

Je vyhlášena **třetí výzva nominací.**

Návrhy jsou přijímány průběžně až do prosince 2026 a vyhodnocovány do tří týdnů od podání.

<https://forms.img.cas.cz/ccp/view.php?id=45954>

V předchozích kolech CCP obdrželo a posoudilo téměř 90 nominací, z nichž 24 bylo vybráno pro další výzkum.

<https://www.genova-terapie.cz/2025/10/treti-vyzva-pro-sber-nominaci-rd-factory/>

## ERDERA

### European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA)

= velké evropské partnerství pro výzkum vzácných onemocnění

- V Evropě žije 30 milionů lidí se vzácným onemocněním, 95 % nemocí nemá léčbu  
**výzkum je roztržštěný a pomalý**
- Propojuje vědce, lékaře, patientské organizace i firmy z celé Evropy, aby spolupracovali a sdíleli informace. Součástí iniciativy je podpora **klinických studií** a snaha lépe propojovat pacienty s výzkumem, například aby měli větší šanci zapojit se do studií, které pro ně mohou být relevantní.
- Hlavním cílem ERDERA je **zkrátit dobu k diagnóze a urychlit vývoj nových léčebných možností.**

## AZV granty

= Agentura pro zdravotnický výzkum České republiky

- Hlavním cílem je podpořit výzkum, který má přímý dopad na zlepšení zdravotní péče a kvality života pacientů.
- Pacientské organizace se do nich mohou zapojit jako **partneři výzkumných týmů**.
- Role patientských organizací:
  - pomáhají například definovat, co je pro pacienty skutečně důležité,
  - podílejí se na návrhu výzkumu,
  - pomáhají s oslovováním pacientů do studií nebo s šířením výsledků směrem ke komunitě



# Děkuji za pozornost

Ing. Lenka Hajgajda

[hajgajda@vzacna-onemocneni.cz](mailto:hajgajda@vzacna-onemocneni.cz)

