



---

# Az EURORDIS ajánlása az Európai referenciahálózatoknak (ERH) a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrálására

---

2018. november



[EURORDIS.ORG](http://EURORDIS.ORG)

[WWW.RIROSZ.HU](http://WWW.RIROSZ.HU)

Az ERH-k (European Reference Networks [európai referenciahálózatok]) az EU teljes területét átfogó, tudásmegosztást és ellátási koordinációt célzó irányítási struktúrát hoznak létre, most azonban fel kell állítanunk azon működési mechanizmusokat, amelyek szabályozzák a nemzeti egészségügyi rendszerekkel való együttműködésüket, ideértve a nemzeti szakértői központokkal és hálózatokkal történő tudás- és információcserét támogató szervezeti folyamatokat és struktúrákat, valamint a betegirányításra vonatkozó szabályokat. Az alábbi ajánlások áttekintést biztosítanak azokhoz a legfontosabb intézkedésekhez, amelyek az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való hatékony integrációjához szükségesek.

## Ajánlások

- 1 Nemzeti szinten hatékony figyelemfelhívás az ERH modellre vonatkozóan valamennyi fő érdekelt fél körében
- 2 A politikai vezetőség ERH rendszert érintő támogatásának és elkötelezettségének biztosítása, valamint az ERH modell értékeinek szilárd tényekkel való alátámasztása
- 3 A ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti politikák felülvizsgálata vagy módosítása az ERH-k nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrációjának elősegítése érdekében
- 4 A tagállamoknak létre kell hozniuk a ritka betegségek szakértői központjaiból és a ritka betegségekből szenvedők közösségéből álló nemzeti hálózatokat, hogy e nemzeti hálózatok illeszkedjenek az ERH által megalkotott betegségcsoportok kategorizálásához
- 5 Új teljes jogú tagok és társult partnerek bevonása, különösen az ERH-kat érintő földrajzi és/vagy szakértelmi területen megnyilvánuló hiányosságok kiküszöbölése érdekében
- 6 Nemzeti koordinációs csomópontok felállítása, és az ERH-k nemzeti kapcsolattartó pontjainak kijelölése
- 7 A folyamat egyszerűsítése a teljes jogú tagságot támogató egészségügyi szolgáltatók támogatása érdekében
- 8 Az ERH betegirányítási útjának nemzeti szinten való meghatározása és ellenőrzése, hogy biztosítható legyen az ERH tanácsadáshoz való időbeni hozzáférés, valamint az esetirányítás megfelelő kezelése
- 9 Finanszírozási mechanizmus meghatározása az ERH-k virtuális konzultációinak finanszírozása érdekében
- 10 Az ERH-k által felülvizsgált vagy elfogadott klinikai iránymutatások nemzeti szinten történő elismertetésére és elfogadtatására szolgáló mechanizmus kidolgozása

## Tartalomjegyzék

Ajánlások .....	2
1. Előzmények .....	4
2. A javaslatok összegzése.....	7
A. Javaslatok olyan környezet megteremtésére, amely lehetővé teszi az ERH-k integrációját a nemzeti egészségügyi rendszerekbe .....	7
B. Ajánlások az ERH bővítési program végrehajtásához, valamint a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációt lehetővé tevő mechanizmusok megalkotására .....	8
3. Ajánlások .....	10
Kedvező környezet kialakítása .....	10
1. Nemzeti szinten hatékony figyelemfelhívás az ERH modellre vonatkozóan valamennyi fő érdekelt fél körében .....	10
2. A politikai vezetés ERH rendszert érintő támogatásának és elkötelezettségének biztosítása, valamint az ERH modell értékeinek szilárd tényekkel való alátámasztása .....	11
3. A ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti politikák felülvizsgálata vagy módosítása az ERH-k nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrációjának elősegítése érdekében .....	12
4. A tagállamoknak létre kell hozniuk a ritka betegségek szakértői központjaiból és a ritka betegségekben szenvedők közösségéből álló nemzeti hálózatokat, hogy e nemzeti hálózatok illeszkedjenek az ERH által megalkotott betegcsoportok kategorizálásához .....	14
Az ERH bővítési program végrehajtása, valamint a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációt lehetővé tevő mechanizmusok megalkotása .....	15
5. Új teljes jogú tagok és társult partnerek bevonása, különösen az ERH-kat érintő földrajzi és/vagy szakértelmi területen megnyilvánuló hiányosságok kiküszöbölése érdekében.....	15
6. Nemzeti koordinációs csomópontok felállítása, és az ERH-k nemzeti kapcsolattartó pontjainak kijelölése .....	16
7. A folyamat egyszerűsítése a teljes jogú tagságért folyamodó egészségügyi szolgáltatók támogatása érdekében .....	17
8. Az ERH betegirányítási útjának nemzeti szinten való meghatározása és ellenőrzése, hogy biztosítható legyen az ERH tanácsadáshoz való időbeni hozzáférés, valamint az esetirányítás megfelelő kezelése .....	17
9. Finanszírozási mechanizmus meghatározása az ERH-k virtuális konzultációinak finanszírozása érdekében .....	18
10. Az ERH-k által felülvizsgált vagy elfogadott klinikai iránymutatások nemzeti szinten történő elismertetésére és elfogadtatására szolgáló mechanizmus kidolgozása .....	19

# 1. Előzmények

Az európai referenciahálózatok (ERH-k) a ritka, kis prevalenciájú és összetett betegségekkel foglalkozó egészségügyi szakemberek egész Európára kiterjedő hálózatai. Ezek létrehozatalának célja, a ritka és összetett betegségekhez kapcsolódó, az Európai Unió (EU) területén korlátozott mértékű és szétszórt orvosi szakértelemnek abból a célból való összevonása, hogy a ritka vagy összetett betegségekben szenvedő betegek, függetlenül attól, hogy az EU mely országában élnek időbeni és pontos diagnózist, valamint megfelelő kezelést kaphassanak. A végső cél, hogy minden ritka betegséggel küzdő személy egyenlő módon férjen hozzá a speciális egészségügyi szakellátáshoz.

2017. március 1<sup>én</sup>, az Európai Bizottság 24 ERH működését indította el, amelyek egy-egy tág betegségcsoportra összpontosítanak. Ezen ERH-k összességében közel 1000 tagot számlálnak, akik az EU országokban a ritka és összetett betegségek területén nyújtanak speciális egészségügyi szakellátást, kiválasztásukat pedig a nemzeti és az EU illetékes egészségügyi hatóságai végezték egy szigorú minőségügyi feltételrendszer alapján.

A 24 ERH működésének elindítása rendkívüli jelentőséggel bír a ritka betegségek közössége szempontjából, hiszen az EURORDIS és tagjai több mint 10 éve sürgetik a ritka betegségekkel foglalkozó európai egészségügyi hálózatok kiépítését.

Az európai referenciahálózatok (ERH-k) nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrálása azon irányelvekre, szabályokra és eljárásokra utal, amelyek az ERH-rendszer nemzeti szinten való beillesztéséhez szükségesek annak biztosítására, hogy az Európában élő, ritka vagy összetett betegségekkel küzdő valamennyi érintett részesülhessen a modell által nyújtott előnyökből.

Jelenleg nem minden európai uniós tagállam rendelkezik képvisellel a különböző ERH-kban. Ez akadályozza az ERH-khoz való hozzáférést azon betegek esetében, akik olyan tagállamban élnek, amely nem rendelkezik teljes jogú taggal valamely érintett ERH-ban. Ez a kiegyensúlyozatlan földrajzi lefedettség ugyancsak kihívást jelent az ERH-k által kidolgozott tudásnak és bizonyítékoknak valamennyi EU tagállammal való megosztása és azok területén belül történő terjesztése esetén.

Az ERH-k nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrálása tehát azért is szükséges, hogy megoldható legyen a hozzáférés problémája, valamint megkönnyítse a tudás és a szakértelem beépítését valamennyi nemzeti egészségügyi rendszerbe. Az ERH-k kizárólag ebben az esetben tudják teljes mértékben kifejteni hatásukat, valamint egyenlő mértékű támogatást nyújtani a betegeknek, lakóhelyüktől függetlenül.

Az ERH „bővítési” program, új teljes jogú tagok felvételével, valamint a társult partnerek kinevezésével (az első körben ez az együttműködő nemzeti központokra és nemzeti koordinációs csomópontokra korlátozódik), várhatóan hozzájárul az ERH-k és a nemzeti egészségügyi rendszerek közötti távolság áthidalásához. **Mindazonáltal, többre van szükség az ERH rendszernek a nemzeti egészségügyi infrastruktúrákkal való összekapcsolódásához. Ez egy jelentős technikai és pénzügyi vonatkozásokkal járó, ambiciózus és összetett folyamat, amely legalábbis megköveteli az alábbiakat:**

- A tagállamoknak egyértelmű keretrendszert kell meghatározniuk, ideértve a betegirányítási útvonalakat, a szervezeti folyamatokat, az irányelveket és infrastruktúrákat, hogy saját nemzeti egészségügyi rendszereiket csatlakoztathassák az ERH-khoz;
- Az ERH-knak integrációs stratégiákat kell kidolgozniuk a társult partnerek számára, valamint további innovációs lehetőségeket kell találniuk a többi szakértői központtal és hálózattal való, nemzeti és nemzetközi szinten történő együttműködéshez;

- Megfelelő infrastruktúrát és szervezeti folyamatokat kell létrehozni annak érdekében, hogy a tudás és a szakértelem az ERH-k keretén kívül is felhalmozható és megosztható legyen - elérve ezáltal a nemzeti, regionális és helyi szinteket is.

Szintén fontos kiemelni, hogy az ERH rendszer egy számos érdekelt felet tömörítő együttműködés, és egy évtizednél is hosszabb ideje tartó munka eredményeképpen jött létre:

- 2004 - 2009 (Ritka betegségekkel foglalkozó munkacsoport, Az egészségügyi szolgáltatások és ellátás területén működő magas szintű csoport);
- 2010 - 2017. március (Európai Unió Ritka betegségek Szakértői Bizottsága; Európai Bizottság Ritka Betegségek Szakértői Csoportja; EUCERD Együttes fellépés és RD-ACTION – Ritka betegségekkel szembeni együttes fellépés; ERH-kal foglalkozó tagállami munkacsoport; az Európai Bizottság felhatalmazáson alapuló határozata és végrehajtási határozata, ERH-k pályázati és elbírálási folyamatáért felelős konzorcium: PACE-ERN; a tagállamok képviselőit tömörítő testület megalakítása),
- 2017 márciusától - napjainkig (az ERH-k hivatalos elindítása; ERH koordinátorok munkacsoportja; az Egészségügyi és Élelmiszerbiztonsági Főigazgatóság (DG Santé) ERH-ért felelős egységének fejlesztése; bevezetési fázis).

Bár elvii kezdeményezésére évekkal ezelőtt, míg kidolgozására az elmúlt évtized alatt került sor, az ERH rendszer formális felállításának ideje a ritka betegségek 24 nemzeti tervének elfogadását követően jött el (a ritka betegségek területén való fellépésről szóló, 2009<sup>1</sup> júniusában kiadott Tanácsi ajánlást követően, az érintett tervek fokozatos elfogadása 2013-2018 között történt meg). E tervek központi elemét a szakértői központok, valamint az ezek formális elismeréséhez szükséges feltételrendszer kijelölése képezi. Számos ritka betegségre vonatkozó nemzeti terv foglal magában a szakértői központok és az ERH-k összekapcsolására vonatkozó intézkedéseket; ezen intézkedéseket azonban frissíteni kell az ERH-k létesítésére és fejlesztésére vonatkozó legújabb szabályokkal és eljárásokkal. Az **ERH rendszer ugyanis mostantól teljes működési feltételrendszert követel meg a teljes jogú tagság megszerzése feltételeként. A különböző minőségügyi szabványokkal rendelkező országok közötti ellentmondások, valamint a nemzeti szakértői központok és a valamely érintett ERH teljes jogú tagjaként elfogadott központok közötti eltérések kezelése érdekében, fontos szempont a tagállamok által a szakértői központokra vonatkozóan alkalmazott akkreditációs feltételrendszereknek a teljes jogú ERH tagokat érintő működési feltételrendszerrel történő lehető legmagasabb szintű összehangolása.** Ugyanakkor, az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő hatékony beillesztése megkövetelheti a ritka betegségek nemzeti terveinek a céllal történő módosítását, hogy meghatározzák azokat a technikai kapacitásokat, valamint szervezeti és jogi reformokat, amelyek szükségessé válnak az új struktúrának az egyes nemzeti egészségügyi rendszerekbe való beillesztéséhez.

2017 októberében, a tagállamok képviselőiből álló testület (ERN Board of Member States, BoMS) létrehozta az ERH integrációs munkacsoportot, amely a tagállamok képviselőiből, az ERH koordinátorokból és a Bizottság képviselőiből tevődik össze. A fenti csoport a következő stratégiai kérdések területén nyújt iránymutatást a tagállamok számára<sup>2</sup>:

- **A betegeknek az ERH-khoz való irányítási szabályainak megalkotása, amelyet illetően elsőként a nemzeti egészségügyi rendszereken belüli betegút kereteit kell meghatározni;**
- **Megállapodásra kell jutni arról, milyen formában támogatják a tagállamok a koordinátorokat és az ERH tagjait;**
- **Meg kell könnyíteni a költségtérítési eljárást az ERH javallata alapján felmerült betegmobilitáshoz kapcsolódóan;**

<sup>1</sup> A Tanács ajánlása (2009/C 151/02) (június 8.) a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről

<http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>

<sup>2</sup> [Minutes of the Board of Member States meeting, 10 October 2017](#)

- Az egészségügyi szolgáltatók ERH tagokká válásának jóváhagyási eljárásainak kidolgozása ;
- **Meg kell határozni, milyen módosításokat kell alkalmazni a nemzeti szakpolitikában és a jogi keretrendszerekben** az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrálásához;
- **Tagállami szintű tájékoztatásnyújtás az ERH-kra vonatkozóan.**

A jelenlegi szakaszban, az integrációs csoport megbízatása szerint, a tagállamoknak elsődlegesen arra kell összpontosítaniuk, hogy lehetővé tegyék az érintett esetek ERH virtuális konzultációk elé juttatását, valamint a betegek határokon átnyúló egészségügyi ellátását. Az ERH-k egyértelmű irányítási struktúrát határoznak meg az EU-n belüli tudásmegosztás és az ellátás koordinációja érdekében, a rendszer azonban nem lesz képes elérni teljes potenciálját, ha nem használja ki egy szélesebb körű betegközösség lehetőségeit, azon esetek szűk körén túlmenően, amelyeket minden évben felülvizsgálunk az ERH-k Klinikai betegkezelő rendszeren belül. Tehát egyformán fontos a nemzeti szakértői központokkal és hálózatokkal való tudás- és információcserét támogató szervezeti folyamatok és struktúrák kialakítása, valamint az adatgyűjtés és adatcsere területén elért előre lépések megosztása. Így az ERH egészségügyi adatok jövőbeni ökoszisztémája összehangolható lesz a nemzeti digitális egészségügyi kezdeményezésekkel.

## 2. A javaslatok összegzése

### A. Javaslatok olyan környezet megteremtésére, amely lehetővé teszi az ERH-k integrációját a nemzeti egészségügyi rendszerekbe

1	<p>Nemzeti szinten hatékony figyelemfelhívás az ERH modellre vonatkozóan valamennyi fő érdekelt fél körében</p> <ul style="list-style-type: none"><li>Az ERH-kban résztvevő valamennyi érdekelt félnek részt kell vállalnia a nemzeti figyelemfelhívási folyamatban. A tagállamoknak határozottabb erőfeszítéseket kell tenniük e cél érdekében, mivel ők vannak a legelőnyösebb helyzetben az érintett, nemzeti és helyi érdekelt felekkel való kapcsolatfelvétel szempontjából, hogy ismertethessék velük az ERH modellel járó előnyöket, valamint áttekinthessék az esetleges aggályokat. Az ERH-k munkájában már résztvevő klinikai orvosok és betegképviselői szervezetek nemzeti szinten támogatnák ezt az erőfeszítést.</li></ul>
2	<p>A politikai vezetőség ERH rendszert érintő támogatásának és az iránti elkötelezettségének biztosítása, valamint az ERH modell értékeinek szilárd tényekkel való alátámasztása</p> <ul style="list-style-type: none"><li>Az ERH-k hosszú távú fenntarthatósága minden tagállamtól megköveteli, hogy a legmagasabb politikai szinten és a különböző kormányzati portfóliókat összefogóan elkötelezettséget vállaljon az ERH modell iránt. Megfelelő finanszírozásról, elegendő erőforrásról és hosszú távú pénzügyi tervezésről kell gondoskodni, amennyiben biztosítani kívánják az ERH-k állandó struktúráként való működését, valamint fenn kívánják tartani azok működési folytonosságát.</li><li>Arra biztatjuk az ERH-kat, az Európai Bizottságot és a BoMS tagokat, hogy fordítsanak kiemelt figyelmet az ERH-k teljesítményének mérésére, valamint bocsássák rendelkezésre az ERH-k folyamatos megfigyelési keretrendszerének telepítéséhez szükséges erőforrásokat. Továbbá gondoskodjanak a szélesebb körű betegcsoport számára biztosított előnyök megfelelő méréséről. Arra is biztatjuk őket, hogy szélesebb körben terjesszék az ERH-k időszakos önértékelési folyamatának, valamint a tevékenységeik eredményeit.</li><li>Valamennyi tagállamnak fel kell mérnie és meg kell határoznia az ERH szolgáltatások iránti igényét. Az ilyen jellegű tervezés lehetővé teszi az ERH-k számára az előzetes tervekészítést, a tevékenységek igazítását, valamint az erőforrások olyan módon való megszervezését, hogy hatékonyabban tudjanak reagálni a nemzeti egészségügyi rendszerek szükségleteire. A decentralizált egészségügyi rendszerrel rendelkező tagállamoknak szoros együttműködést biztosító mechanizmust kell megteremtíteniük a regionális egészségügyi hatóságokkal, a szükségletek meghatározása érdekében.</li><li>Az ERH-khoz kapcsolódó valamennyi szempont koordinációjának elősegítése érdekében, felkérjük a tagállamokat, hogy hozzanak létre nemzeti ERH koordinációs csoportokat, amelyek tömörítik az összes érintett érdekelt felet, ideértve az európai betegképviselői csoport (ePAG) tagjait, a Ritka betegségek nemzeti szövetségeit, klinikai orvosokat, kutatókat, kórházigazgatókat, valamint a nemzeti és regionális szintű egészségügyi és szociális ellátási szakpolitikai döntéshozókat.</li></ul>
3	<p>A ritka<sup>3</sup> vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti politikák felülvizsgálata vagy módosítása az ERH-k nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrációjának elősegítése érdekében</p> <ul style="list-style-type: none"><li>A tagállamoknak át kell tekinteniük vagy módosítaniuk kell a ritka, kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti stratégiáikat, hogy meghatározzák a technikai kapacitásokat, valamint azokat a szervezeti és jogi reformokat, amelyek szükségesek az</li></ul>

<sup>3</sup> A jelen javaslatok alkalmazásában, a ritka betegségek fogalom magában foglalja a ritka rákbetegségeket is



	<p>ERH-eknek a nemzeti egészségügyi és szociális ellátási rendszereikbe való beillesztéséhez, valamint hogy elősegítsék az ilyen betegségekkel együtt élő emberek számára nyújtott holisztikus, integrált ellátáshoz kapcsolódó valamennyi területen megszerzett tudás és szakértelem széles körű megosztását.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Arra biztatjuk azon tagállamokat, amelyek még nem rendelkeznek átfogó nemzeti stratégiával a ritka, kis prevalenciájú és összetett betegségeket illetően, hogy tegyenek azonnali intézkedéseket annak megalkotására.</li> <li>• Mivel az ERH-rendszer most már működési feltételrendszert biztosít a teljes jogú tagság feltételeinek teljesítésére vonatkozóan, a jövő útja a tagállamok esetében az, ha a szakértői központokra vonatkozó akkreditációs feltételrendszereiket összehangolják az ERH teljes jogú tagjaira vonatkozó működési feltételrendszerrel. Fontos kiemelni, hogy a szakértői központok akkreditációjának, valamint az ERH-kban való részvételnek dinamikus és előremutató folyamatnak kell lennie.</li> </ul>
4	<p><b>A tagállamoknak létre kell hozniuk a ritka betegségek szakértői központjaiból és a ritka betegségekben szenvedők közösségéből álló nemzeti hálózatokat, hogy e nemzeti hálózatok illeszkedjenek az ERH által megalkotott betegségcsoportok kategorizálásához</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• A tagállamoknak meg kell vizsgálniuk, hogy megvalósítható-e a ritka betegségek nemzeti referenciahálózatának létrehozatala, majd pedig azoknak a vonatkozó Ritka betegségek nemzeti terveibe vagy stratégiáiba való beépítése, továbbá meg kell bízniuk a klinikai orvosokat és a betegeket azok felállításával és elindításával.</li> <li>• A nemzeti szinten szerveződött, a ritka betegségtől szenvedő betegközösség tagjainak mérlegelniük kell hálózatuk tevékenységének újra szervezését egy olyan struktúra köré, amely illeszkedik az ERH által megalkotott betegségcsoportok kategorizálásához. Ezáltal lehetővé válna számukra a hasonló betegségterületek közötti együttműködés megvalósítása, valamint elősegíthetnék a 24 európai betegképviselői csoport közötti együttműködést.</li> </ul>

## B. Ajánlások az ERH bővítési program végrehajtásához, valamint a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációt lehetővé tevő mechanizmusok megalkotására

5	<p><b>Új teljes jogú tagok és társult partnerek bevonása, különösen az ERH-kat érintő földrajzi és/vagy szakértelmi területen megnyilvánuló hiányosságok kiküszöbölése érdekében</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Az alul reprezentált tagállamokban működő egészségügyi szolgáltatóknak csatlakozniuk kellene az ERH-khoz, ideértve az alább felsoroltakat : Ausztria, Horvátország, Ciprus, Észtország, Görögország, Lettország, Litvánia, Málta, Szlovák Köztársaság, Szlovénia, Spanyolország és Luxemburg.</li> <li>• Minden ERH-t arra ösztönzünk, hogy betegségcsoportján belül - a klinikai hálózat érettségének megfelelő szinten - terjessze ki betegség-lefedettségét, majd fokozatos megközelítést alkalmazzon az összes beteg bevonásának céljából.</li> <li>• Bármely jövőbeni ERH bővítési folyamat során formális egyeztetéseket kell folytatni a ritka betegségekben szenvedők közösségével, a ritka betegségek nemzeti szövetségeivel és a PAG közösséggel.</li> </ul>
6	<p><b>Nemzeti koordinációs csomópontok felállítása, és minden egyes ERH-nak ki kell jelölnie nemzeti kapcsolattartó pontjait</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• A tagállamoknak ERH nemzeti koordinációs csomópontokat kell létrehozniuk, hogy kapcsolódhassanak azon ERH-khoz is, amelyek nem képviselik magukat a területükön</li> </ul>



	<p>belül. Ezen csomópontoknak kettős feladatot kell ellátniuk: ERH tanácsadási pontként, valamint tudáskezelési csomópontként kell szolgálniuk.</p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Arra biztatjuk az ERH koordinátorokat és a BoMS tagokat, hogy közösen fejlesszék ki az „ERH nemzeti kapcsolattartó pontot”, azaz formálisan jelöljenek ki egy egészségügyi szolgáltatót minden tagállamban, amely nemzeti szintű belépési pontként és tudás-csomópontként is szolgálna az érintett ERH-t illetően.</li> <li>• Bármely, decentralizált egészségügyi rendszerrel rendelkező tagállamnak az ERH-khoz kapcsolódó szoros együttműködési mechanizmust kell kialakítaniuk a regionális egészségügyi hatóságokkal.</li> </ul>
7	<p><b>A folyamat egyszerűsítése a teljes jogú tagságért folyamodó egészségügyi szolgáltatók támogatása érdekében</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Figyelemmel a teljes jogú tagokra vonatkozó újabb felhívásra, arra biztatjuk a tagállamokat, hogy osszák meg a támogatási folyamatokra, valamint a döntéshozatal átláthatóságának fenntartására vonatkozó helyes gyakorlatokat, annak biztosítása érdekében, hogy a folyamat színvonala, valamint az egészségügyi szolgáltatókkal szemben alkalmazott mérce minden országban azonos legyen. Előzetes tervezést is kell végezniük, valamint kiegészítő erőforrásokat kell biztosítaniuk, amennyiben szükséges, annak érdekében, hogy az egészségügyi szakemberek ellenőrzését zökkenőmentesen és szigorú szabályozás mellett hajthassák végre.</li> </ul>
8	<p><b>Az ERH betegirányítási útjának nemzeti szinten való meghatározása és ellenőrzése, hogy biztosítható legyen az ERH tanácsadáshoz való időbeni hozzáférés, valamint az esetirányítás megfelelő kezelése</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• A nemzeti ERH betegirányítási útvonalakat a nemzeti jogszabályokkal összhangban kell kidolgozni, a helyi klinikai orvosok és betegközösség bevonásával, valamint az ERH koordinátorokkal történő egyeztetés mellett.</li> </ul>
9	<p><b>Finanszírozási mechanizmus meghatározása az ERH virtuális konzultációk támogatása érdekében</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• Az ERH-k virtuális konzultációinak finanszírozása szempontjából kritikus egy megfelelő pénzügyi mechanizmus rendelkezésre állása, hogy biztosítható legyen a szolgáltatás fenntartása, majd végső soron olyan mértékben való biztosítása, amely követi az ERH konzultációra irányított betegek számát, miután az ERH-k hatékonyan beágyazódtak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe.</li> </ul>
10	<p><b>Az ERH-k által felülvizsgált vagy elfogadott klinikai iránymutatások nemzeti szinten történő elismertetésére és elfogadtatására szolgáló mechanizmus kidolgozása</b></p> <ul style="list-style-type: none"> <li>• A tagállamnak, a BoMS-en keresztül, meg kell határoznia egy közös eljárást az ERH-k irányelveinek támogatására. Ezen eljárás központi eleme az ERH iránymutatások tagállamon belüli alapos felülvizsgálata és elfogadása, amelyet e protokollok megfelelő értékelésére alapoznak.</li> <li>• A tagállamok számára javasolt egy, az ERH irányelvek értékelésére és a nemzeti egészségügyi rendszerükbe való beillesztésre vonatkozó protokoll meghatározása, ideértve az ERH iránymutatások jogi státuszának, valamint az elfogadásra javasolt iránymutatások vizsgálatáért felelős nemzeti testületnek a meghatározását.</li> <li>• A tagállamokat arra biztatjuk, hogy az általuk létrehozott iránymutatásokkal foglalkozó tanácsadó bizottságba vonják be a nemzeti betegszervezeteiket és az ePAG tagokat, valamint az ERH irányelvek vizsgálatára és elfogadására vonatkozó protokolljukat építsék be nemzeti egészségügyi rendszereikbe.</li> </ul>

## 3. Ajánlások

### Kedvező környezet kialakítása

#### 1. Nemzeti szinten hatékony figyelemfelhívás az ERH modellre vonatkozóan valamennyi fő érdekelt fél körében

Az ERH-k működésének elindítására 2017-ben került sor, a tagállamokban azonban továbbra is alacsony az ERH modell ismertsége. A nemzeti szinten fő érdekelt feleknek számító személyek, ideértve a **nemzeti és regionális szakpolitikai döntéshozókat, kórházigazgatókat, egészségügyi szakembereket, kutatókat és a betegközösséget**, még mindig nincsenek teljes mértékben tudatában az ERH rendszert alátámasztó érveknek. Annak, hogy a rendszer hogyan illeszkedik az európai politika részét képező, határokon átnyúló egészségügyi ellátás és a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti stratégiák szélesebb összefüggéseibe; mi a célkitűzés; milyen tevékenységek végzését vállalják fel az ERH-k; milyen betegségterületek tartoznak az egyes ERH-k hatáskörébe, továbbá milyen irányítási struktúrával rendelkeznek.

**Az ERH-kban résztvevő valamennyi érdekelt félnek részt kell vállalnia a nemzeti figyelemfelhívási folyamatban.** A hálózataikon és szervezeteiken keresztül a betegek és a klinikai orvosok máris részt vesznek ebben az erőfeszítésben; az Európai Bizottság elindított egy, az ERH-kra vonatkozó külső kommunikációs kampányt (2018-2019), amelynek célközönségét az egészségügyi szakemberek, a kórházigazgatók és a betegek jelentik<sup>4</sup>.

**A tagállamok részéről határozottabb erőfeszítést kell tenni** a folyamatban való részvétel érdekében. A tagállamoknak aktívan támogatniuk kell az Európai Bizottság által meghirdetett, az ERH-kra összpontosító kommunikációs kampányt, valamint tovább kell adniuk az információkat, hiszen ők vannak a legelőnyösebb helyzetben ahhoz, hogy felvehessék a kapcsolatot az érintett érdekelt felekkel nemzeti és helyi szinten egyaránt, **hogy ismertessék az ERH modellel járó előnyöket, és választ adhassanak az esetleges aggályokra.** Az ERH-k munkájában már résztvevő klinikai orvosok és betegképviselői szervezetek nemzeti szinten támogathatják ezt az erőfeszítést.

A tagállamok által megtett intézkedések akár az alábbiakat is magukban foglalhatják:

- A többi érdekelt fél által - nemzeti szinten - végzett kommunikációs tevékenységek támogatása (Ritka Betegségek Nemzeti Szövetségei, betegszervezetek, betegek, klinikai orvosok és kutatók)
- Kapcsolatfelvétel a ritka betegségekből szenvedő személyek szervezeteivel és a tudományos közösségekkel az ERH-k által kínált szolgáltatásokról és lehetőségekről való tájékoztatás érdekében,
- Kapcsolatfelvétel a kórházigazgatókkal az ERH-k által kínált előnyökről, valamint a helyi koordinátorok és tagok részére nyújtott támogatásról szóló tájékoztatáshoz.
- A regionális egészségügyi hatóságok tájékoztatása az ERH modellel járó előnyökről, továbbá arról, hogy azok hogyan illeszkednek a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti stratégiához, valamint miként járulhatnak hozzá a hatékonyabb és magasabb színvonalú egészségügyi ellátáshoz.
- A regionális hatóságok, illetve a kórházigazgatók által esetlegesen felvetett, a kórházak teljes jogú tagként vagy társult partnerként való részvételéhez kapcsolódó finanszírozási aggályok, valamint az ERH konzultáció következtében megvalósuló betegmobilizáció esetén, a határokon átnyúló egészségügyi szolgáltatások költségtérítésével kapcsolatos aggályok kezelése.

<sup>4</sup>A kommunikációs anyagok az alábbi weboldalon érhetők el: [https://ec.europa.eu/health/ern\\_en](https://ec.europa.eu/health/ern_en), a Kapcsolódó információk címszó alatt

- A kapcsolódó dokumentumok lefordításához nyújtott támogatás. Az ERH-khoz kapcsolódóan elkészült információk nagy része kizárólag angol nyelven áll rendelkezésre. A kapcsolódó dokumentumok és egyéb ismeretanyagok - nem csupán az Európai Bizottság által készített hivatalos dokumentumok - további nyelvekre történő lefordítása kritikus fontosságú az ERH-kkal kapcsolatos figyelemfelhívás szempontjából.

## 2. A politikai vezetőség ERH rendszert érintő támogatásának és elkötelezettségének biztosítása, valamint az ERH modell értékeinek szilárd tényekkel való alátámasztása

Az ERH modell megvalósítása még mindig korai szakaszában jár, azonban már most egyértelműen látszik, hogy hosszútávú fenntarthatósága megköveteli a legmagasabb szintű politikai támogatást a tagállamok részéről. A 24. ERH 2017. évi elindítása jelzésértékű volt a ritka betegségekben szenvedők közössége számára, azonban továbbra sem tisztázott, hogy hosszú távon hogyan és milyen mértékben fogják támogatni a tagállamok az új modellt, továbbá hogyan alakul majd annak finanszírozása.

Ákár nemzeti, akár EU szintű finanszírozási mechanizmusról születik megállapodás, az utolsó szó joga a tagállamokat illeti meg arra vonatkozóan, hogy milyen szintű erőforrásokat biztosítanak az ERH-k számára. Megfelelő finanszírozási forrásokra van szükség a hálózatok koordinációjának, az ismeretek és információk megosztásának, a klinikai irányelvek és nyilvántartások kidolgozásának, az ERH-k által folytatott érdemi betegellátás, a képzési és oktatási tevékenységek, a virtuális konzultációk, valamint a fenti hálózatok tevékenységét segítő digitális technológiák támogatásához. Mindezekon túl, az ERH-k integrációja további költségeket ró minden egyes tagállamra, mivel gondoskodniuk kell a nemzeti egészségügyi rendszer és az egyes ERH-k közötti eltérések hatékony áthidalásához szükséges infrastruktúráról és erőforrásokról.

Jelen pillanatban, az ERH-k nem rendelkeznek hosszú távú pénzügyi tervekkel. Körültekintő pénzügyi tervezés hiányában, a többféle forrásból származó finanszírozás annak kockázatát rejti magában, hogy az ERH-k különféle tevékenységeit időleges, önálló projekteként kezelik, nem pedig egy állandó struktúra funkcióiként. Az ERH koordinátoroknak azzal a kihívással kell szembenéznük, hogy fragmentált finanszírozási környezetben kell működniük, amely megnövekedett bürokráciával jár, időigényes, és esetlegesen akadályozhatja az ERH-k állandó struktúráként való működését.

Az ERH-k működésének pénzügyi tervezése nemzeti szinten is létfontosságú, hiszen a tagállamoknak meg kell határozniuk, milyen erőforrásokat biztosítanak az adott országban dolgozó egészségügyi szakemberek ERH-kban való részvételéhez, amelyhez nemzeti és európai uniós finanszírozási forrásokat is igénybe kell venniük. Különböző európai uniós finanszírozási mechanizmusok állnak rendelkezésre, amelyek felhasználhatók ezen hálózatok működésének támogatására a 2021-2027-es időszak hosszú távú uniós költségvetése keretén belül, ideértve az európai strukturális alapokat, úgymint az ERDF-et és az ESF+ programot, a Digitális Európa programot, valamint a Horizon Europe, az InvestEU programokat, illetve az Európai Beruházási Bank által nyújtott kölcsönöket. A tagállamoknak előzetesen meg kell tervezniük, hogyan szeretnék felhasználni ezen eszközöket az ERH-működésének és infrastruktúrájának finanszírozásához, továbbá milyen további nemzeti forrásokat tudnak mozgósítani a hálózatokban résztvevő egészségügyi szolgáltatók támogatása céljából.

Különösen a strukturális alapok (Structural Funds, SF) játszanak jelentős szerepet az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációjában (pl. az egészségügyi szakembereknek, a nemzeti hálózatoknak és/vagy szakértői központoknak nyújtott támogatások; a szakemberképzés finanszírozása; a digitális infrastruktúra és szolgáltatások, valamint az átjárhatóság megvalósításának támogatása). E lehetőség kiaknázása szempontjából rendkívül fontos, hogy a következő SF programidőszakban a tagállamok prioritásként határozzák meg ezeket a tevékenységeket tematikus célkitűzéseik között, és belefoglalják azokat operatív programjaikba.

Az ERH-k megfelelő potenciállal rendelkeznek az ellátás színvonalának és az egészségügyi eredményeknek a javítására, a tudományos kiválóság fejlesztésére, valamint az összetett és ritka betegségek kutatásának és az ahhoz kapcsolódó szakértelemnek az előmozdítására, hozzásegítve ezáltal a tagállamokat saját egészségügyi rendszereik diagnosztikai és kezelési képességeinek megerősítéséhez. Az ERH-k által, a szélesebb betegközösség szempontjából megtestesített érték alátámasztása, valamint eredményeik mérése és teljesítményük értékelése kritikus fontosságú a finanszírozási források mobilizációjához, valamint annak biztosításához is, hogy a rendszer az EU-t érintő, illetve a nemzeti szintű politikai változások közepette is folytassa működését.

Az ERH-k hosszú távú fenntarthatósága minden **tagállamtól megköveteli, hogy a legmagasabb politikai szinten és a különböző kormányzati portfóliókat** összefogóan, ideértve a pénzügyi, egészségügyi és szociális ellátási, kutatási és oktatási területeket, elkötelezettséget vállaljon az ERH modell iránt. **Megfelelő finanszírozásról, elegendő erőforrásról és hosszú távú pénzügyi tervezésről kell gondoskodni, amennyiben biztosítani kívánják az ERH-k állandó struktúrákként való működését, valamint fenn kívánják tartani azok működési folytonosságát.**

Ugyanakkor, meggyőző bizonyítékkal kell alátámasztanunk a modell által képviselt értéket. Ezen rendkívül fontos bizonyítékokon alapuló tényanyag összeállítása érdekében arra biztatjuk az ERH-kat, az **Európai Bizottságot és a tagállamok képviselőiből álló testületet (BoMS), hogy fordítsanak elsődleges figyelmet az ERH-k teljesítményének mérésére, valamint bocsássák rendelkezésre az ERH-k folyamatos megfigyelési keretrendszerének telepítéséhez szükséges erőforrásokat**, továbbá gondoskodjanak a szélesebb körű betegcsoport számára biztosított előnyök helyes méréséről. Arra is biztatjuk őket, hogy szélesebb körben terjesszék az ERH-k időszakos önértékelési folyamatának eredményeit, valamint a tevékenységeik következtében felmerülő eredményeket.

További operatív szintről vizsgálva a helyzetet, a tagállamok által az ERH modell iránt vállalt elkötelezettség tovább erősíthető, ha ez az új struktúra képes hatékonyan reagálni a nemzeti egészségügyi rendszerek igényeire. **Valamennyi tagállamnak fel kell mérnie és meg kell határoznia az ERH szolgáltatások iránti igényét** (képzés, szakértelem, klinikai gyakorlati irányelvek bevezetése, ajánlások, virtuális konzultáció stb.). Az ilyen jellegű tervezés lehetővé teszi az ERH-k számára az előzetes tervezést, a tevékenységeik kiigazítását, valamint erőforrásaik olyan megszervezését, hogy hatékonyan tudjanak reagálni a nemzeti egészségügyi rendszerek szükségleteire. A decentralizált egészségügyi rendszerrel rendelkező tagállamoknak szoros együttműködést biztosító mechanizmust kell megteremtíteniük a regionális egészségügyi hatóságokkal a szükségletek meghatározása érdekében.

Az ERH-khoz kapcsolódó valamennyi szempont koordinációjának elősegítése érdekében felkérjük a tagállamokat, hogy hozzanak létre **nemzeti ERH koordinációs csoportokat**, amelyek magukban foglalják az összes érintett érdekelt felet, ideértve a ritka betegségek európai betegképviselői csoportjának (ePAG) tagjait, a Ritka betegségek nemzeti szövetségeit, klinikai orvosokat, kutatókat, kórházigazgatókat, valamint a nemzeti és regionális szintű egészségügyi és szociális ellátási szakpolitikai döntéshozókat.

### 3. A ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti politikák felülvizsgálata vagy módosítása az ERH-k nemzeti egészségügyi rendszerekbe történő integrációjának elősegítése érdekében

A finanszírozás mellett, az ERH rendszer teljes potenciáljának kiaknázásához szükséges **az egységes ágazatközi együttműködési készség** nemzeti szinten történő biztosítása.

Az ERH-k összegyűjtik és fejlesztik a helyes gyakorlatokat és az ellátási normákat; meghatározzák a ritka, vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó integrált ellátási útvonalakat; iránymutatást adnak a multidiszciplináris ellátás legmegfelelőbb módjaira; új kezelési ismereteket és klinikai irányelveket dolgoznak ki; kutatásokat végeznek; nyilvántartásokat hoznak létre, továbbá képzések és oktatási lehetőségek fejlesztésén

dolgoznak. Ezt követően mindezen információkat és tudást nemzeti szinten kell összehangolni, megosztani és beépíteni, hogy fejleszhető legyen a nemzeti egészségügyi rendszerek ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségek diagnosztizálására és kezelésére vonatkozó képessége. Ez nem következik be egyik napról a másikra; körültekintő tervezést és olyan nemzeti szintű stratégiát igényel, amely alapján megteremthetők a hatékony tudáskezelést lehetővé tevő technikai kapacitások, infrastruktúra és szervezeti megállapodások.

Ebben a szakaszban, az ERH-k elsődlegesen orvosi kérdésekre összpontosítanak, de várakozásaink szerint, idővel tevékenységeik köre kiterjed majd a szociális és az ellátási szempontokra is. A holisztikus, integrált ellátás központi jelentőségű a ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekben szenvedők életminőségének javítása szempontjából. Az ERH-k kulcsfontosságú szerepet tölthetnek be a helyes gyakorlatok és az ellátási normák meghatározásában, fejlesztésében és/vagy elterjesztésében (pl. holisztikus módszerek meghatározása, a betegek szükségleteinek és az „ideális” multidiszciplináris egészségügyi munkacsoportok részletes ismertetése; az egészségügyi szakemberek által alkalmazott helyes gyakorlatok megosztása; részvétel a harmadlagos megelőzésben iránymutatások révén).

Az ERH által a jövőben adott ajánlások, valamint az integrált ellátásra vonatkozó helyes gyakorlatok megvalósítása érdekében a tagállamoknak már most el kell fogadniuk az integrált ellátási útvonalak megvalósításához szükséges szervezeti és technikai intézkedéseket, ami által lehetővé válik az információcsere, valamint a nemzeti, regionális és helyi szinten működő egészségügyi, szociális és egyéb támogató szolgáltatások közötti koordináció.

**A tagállamoknak át kell tekinteniük vagy módosítaniuk kell a ritka, kis prevalenciájú és összetett betegségekre vonatkozó nemzeti stratégiáikat, hogy meghatározzák a technikai kapacitásokat, valamint azokat a szervezeti és jogi reformokat, amelyek szükségessé válnak az ERH-knak a nemzeti egészségügyi és szociális ellátási rendszereikbe való beillesztéséhez, valamint hogy elősegítsék az ilyen betegségekkel együtt élő emberek számára nyújtott multidiszciplináris, integrált ellátáshoz kapcsolódó valamennyi területen megszerzett tudás és szakértelem széles körű megosztását.**

**Arra biztatjuk azon tagállamokat, amelyek még nem rendelkeznek átfogó nemzeti stratégiával a ritka, kis prevalenciájú és összetett betegségeket illetően, hogy tegyenek azonnali intézkedéseket annak megalkotására.**

Az egyértelmű feltételrendszer meghatározásának szintjén változásokra, valamint nemzeti szinten átlátható folyamatra van szükség a szakértői központok kijelöléséhez és a betegutak meghatározásához.

A 2009-es Tanácsi ajánlásban<sup>5</sup> foglaltaknak megfelelően, a tagállamoknak „2013 végére azonosítaniuk kell a megfelelő szakértői központokat” és azok létrehozásának támogatását, amely a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek és stratégiák egyik központi elemét jelenti. 2011-ben, az EUCERD ajánlást adott a ritka betegségekkel foglalkozó szakértői központok minőségi feltételrendszerével kapcsolatban<sup>6</sup>, mely szerint „segítséget kíván nyújtani a tagállamok számára a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek és stratégiák átgondolásában, illetve az ide tartozó irányelvek kidolgozásában, valamint a nemzeti és európai szintű egészségügyi ellátás útvonalainak megszervezését érintő kérdésekben”. Ezen ajánlások további részleteket foglaltak magukban az országok számára a központok kijelölését, valamint az EU-n belüli bizonyos mértékű egységesség biztosítását illetően. Azonban az ajánlások, valamint a 2018 szeptemberében elfogadott 24 ritka betegségekre vonatkozó nemzeti terv, illetve stratégia ellenére, nem minden EU ország határozta meg az ilyen nemzeti szakértelem formális megállapításához szükséges feltételrendszert, valamint, ahol erre sor került, még mindig tapasztalhatók eltérések az egyes országok között.

<sup>5</sup> A Tanács ajánlása (2009/C 151/02) (június 8.) a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről  
<http://eurlex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF>

<sup>6</sup> [http://www.eucerd.eu/?post\\_type=document&p=1224](http://www.eucerd.eu/?post_type=document&p=1224)

Aggodalomra ad okot, hogy azokban országokban, amelyek nem rendelkeznek a szakértői központra vonatkozó formális kijelölési eljárással, hogy az egészségügyi szakemberek ERH-khoz való csatlakozásának támogatása átvette a helyét más létfontosságú nemzeti erőfeszítésnek. Pl.: amelynek meg kell határozni és fel kell térképezni az országban rendelkezésre álló szakértelmet, valamint ehhez hasonlóan, meg kell határozni a betegek egészségügyi ellátásának útvonalait, amelyeket kiegészíthetnek, de nem helyettesíthetnek az európai hálózatok.

Az európai uniós politikával és az ajánlásokkal összhangban, a tagállamok részéről szükséges a ritka vagy kis prevalenciájú és összetett betegségekkel foglalkozó nemzeti szakértői központok kijelölésére, és általánosan a kiválóságuk elismerésére vonatkozó eljárások és feltételrendszerek módosítása és harmonizációja. Mivel az ERH rendszer most már olyan működési feltételrendszert ad a teljes jogú tagság teljesítésére vonatkozóan, amely magában foglalja és továbbfejlesztette az EUCERD feltételrendszerét, **a jövő útja a tagállamok esetében az, ha a szakértői központokra vonatkozó akkreditációs feltételrendszereiket összehangolják az ERH teljes jogú tagjaira vonatkozó működési feltételrendszerrel. Ezen összehangolás révén leküzdhető lenne az eltérő minőségügyi normákból adódó kockázat, valamint áthidalhatóak lennének a nemzeti szakértői központok és egy adott ERH teljes jogú tagjaként működő központok közötti eltérések.** Szintén fontos kiemelni, hogy a szakértői központok akkreditációjának, valamint az ERH-kban való részvételnek **dinamikus és előremutató folyamatnak kell lennie.**

A formális megvalósítás jelzéséül a tagállamok számára ajánlott a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervük vagy stratégiájuk felülvizsgálata és szükség szerinti módosítása, valamint egy olyan harmonizált eljárás végrehajtása, amely optimalizálja a nemzeti szakértelem feltérképezését, ezáltal elősegíti az orvosi szakértők európai szintű kapcsolatfelvételét, miközben gondoskodik az ezen ERH-kkal kapcsolatos betegirányítási folyamatokról, azaz a hálózatoknak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációjáról.

#### 4. A tagállamoknak létre kell hozniuk a ritka betegségek szakértői központjaiból és a ritka betegségekben szenvedők közösségéből álló nemzeti hálózatokat, hogy e nemzeti hálózatok illeszkedjenek az ERH által megalkotott betegcsoportok kategorizálásához

A szakértői központok hálózatának létrehozatalát nemzeti szinten kell irányítani, legalábbis azon országokban, amelyek mérete indokoltá teszi az ilyen jellegű szervezeti megközelítést. Tulajdonképpen, ilyen hálózatok már az ERH-k bevezetését megelőzően is léteztek egyes országokban (pl. a francia ritka betegségekkel foglalkozó nemzeti hálózat – „filières” -, vagy a ritka rákbetegségekre specializálódott olaszországi hálózat). Egy másik opció lehetne a tudományos társaságok meglévő infrastruktúrájának felhasználása.

A ritka betegségek diagnosztizálására, kezelésére és ellátására vonatkozó jól szervezett, hálózat jellegű, nemzeti megközelítés rendkívül fontos a ritka betegségekkel élő emberek egészségügyi ellátási útvonalainak megfelelő működéséhez, de egyúttal az ERH-k hatékony működéséhez is (amelyek inkább kiegészítik, de semmi esetre sem helyettesítik a betegek számára biztosított nemzeti útvonalakat).

Az ERH struktúrát követő nemzeti hálózatok megkönnyítenék az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való beillesztését, ezáltal optimalizálnák és megkönnyítenék a betegek ERH-khoz történő irányítását, valamint a hálózati struktúrák közötti tudásáramlást. Továbbá, különösen a nagyobb tagállamokban létező ritka betegségekkel foglalkozó nemzeti hálózatok segítségével megvalósítható lenne az ERH-k megfelelő földrajzi egyensúlya, valamint elkerülhető lenne a nagyobb tagállamok felülreprezentáltsága.

A szakértői központok nemzeti hálózatai szintén megfelelő struktúrát biztosítanak a betegek és a klinikai orvosok számára minden egyes tagállamban a közigazgatási határokon és szakterületeken átívelő szorosabb együttműködéshez. Végeredményben, az ERH rendszert alátámasztó indokok érvényesnek bizonyulnak nemzeti szinten is: az erőforrások és a ritka betegségekhez kapcsolódó szakértelem nemzeti szinten történő összegyűjtése



hozzájárulhat az egészségügyi ellátás javításához, és csökkenthetné a ritka betegségekkel küzdők ellátáshoz való hozzáférését illetően egyes tagállamokban látható különbségeket.

A fentiekhez hasonlóan, a ritka betegségekkel élő személyek nemzeti szintű közössége szintén profitálhatna a hálózati tevékenység hasonló betegségcsoportok köré történő átszervezéséből. Ez elősegíthetné a 24 európai betegképviselői csoport közötti kooperációt, valamint lehetővé tenné számukra a közös jegyeket mutató betegségterületeken való együttműködést.

Azon tagállamoknak, ahol ez a megközelítés még nem működik, meg kell **vizsgálniuk, hogy megvalósítható-e a ritka betegségek nemzeti referenciahálózatának létrehozatala**, azt be kell építeni a nemzeti tervekbe vagy stratégiákba, továbbá be kell vonniuk a klinikai orvosokat és a betegeket azok felállításába és elindításába.

A nemzeti szinten szerveződött, a **ritka betegségtől szenvedő betegközösség tagjainak** mérlegelniük kell **hálózatuk tevékenységének újra szervezését egy olyan struktúra köré, amely illeszkedik az ERH által megalkotott betegségcsoportok kategorizálásához**. Ezáltal lehetővé válna számukra a hasonló betegségterületek közötti együttműködés megvalósítása, valamint elősegíthetnék a 24 európai betegképviselői csoport közötti kooperációt.

## Az ERH bővítési program végrehajtása, valamint a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációt lehetővé tevő mechanizmusok megalkotása

### 5. Új teljes jogú tagok és társult partnerek bevonása, különösen az ERH-kat érintő földrajzi és/vagy szakértelmi területen megnyilvánuló hiányosságok kiküszöbölése érdekében

Az ERH bővítési program, új teljes jogú tagok felvételével, valamint a társult partnerek kinevezésével, várhatóan hozzájárul az ERH-k és a nemzeti egészségügyi rendszerek közötti távolság áthidalásához. Fontos hangsúlyozni, hogy az ERH tagság megszerzésének dinamikus és előremutató folyamatnak kell lennie, amely tükrözi a központok kapacitás és teljesítmény fejlődését, valamint a szakértők mobilitását, a nemzeti egészségügyi rendszerek átszervezését, valamint az egészségügyi szolgáltatók egyesülését.

A társulási folyamat az alábbi lépéseket foglalja magában: (i) a társult partnerek meghatározása (a tagállamok által); (ii) társulási stratégia megalkotása (az ERH-k által és a BoMS tagok jóváhagyásával), továbbá (iii) a kiválasztott társult nemzeti központok integrációja az érintett ERH-kba. Ugyanakkor az Európai Bizottság is közzé tehet felhívásokat az egészségügyi szolgáltatók számára, az ERH-khoz való, teljes jogú tagként való csatlakozás érdekében. **A bővítési folyamatokat megfelelően kell irányítani, hogy elkerülhető legyen az ERH-k munkájának megzavarása, különösen a jelen korai szakaszban.**

**Az ERH-k bővítését minden esetben a földrajzi és a szakértelem terén megnyilvánuló rések áthidalása céljával kell irányítani.**

Arra ösztönözzük a tagállamokat, hogy az ERH-k bővítési folyamatának céljaként kifejezetten a **szakértelem területén valamint a földrajzi hézagokban megnyilvánuló rések csökkentését jelöljék meg**.

Az alulrepräsentált tagállamokban működő egészségügyi szolgáltatóknak javasolt csatlakozniuk az ERH-khoz, ideértve az alább felsoroltakat: **Ausztria, Horvátország, Ciprus, Észtország, Görögország, Lettország, Litvánia, Málta, Szlovák Köztársaság, Szlovénia, Spanyolország és Luxemburg.**



Minden ERH-t arra **ösztöndzünk, hogy betegségcsoportján belül** - a klinikai hálózat érettségének megfelelő szinten - terjessze ki betegség-lefedettségét, majd fokozatos megközelítést alkalmazzon az összes beteg bevonásának céljából.

Bármely jövőbeni ERH bővítési folyamat során formális egyeztetéseket kell folytatni a **ritka betegségekben szenvedők közösségével, a ritka betegségek nemzeti szövetségével és az ePAG közösséggel**. A tagállamoknak és az ERH koordinátoroknak kapcsolatba kell velük lépni a szakértelmet érintő és a földrajzi hiányosságok meghatározásának érdekében. A betegek abban a kivételezett helyzetben vannak, hogy saját tapasztalataikkal és hálózataikkal hozzájárulhatnak e feltérképezési folyamathoz.

## 6. Nemzeti koordinációs csomópontok felállítása, és az ERH-k nemzeti kapcsolattartó pontjainak kijelölése

Az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való teljes körű integrációja kettős és kiegészítő jellegű tájékoztatási stratégia alkalmazását követeli meg a tagállamoktól és az ERH-ktől:

1. Nem minden tagállamnak áll módjában, hogy teljes jogú egészségügyi szakemberekkel vagy társult nemzeti központokkal rendelkezzen mind a 24 ERH-ban. Egy nemzeti ERH koordinációs csomópont kialakítása segítséget jelenthet számukra az olyan ERH-kkal közösen kialakított interfész létrehozatalában, amelyek nincsenek jelen az adott területen. Függetlenül attól, hogy milyen típusú szervezetet jelölnek ki nemzeti koordinációs csomópontként, annak kettős szerepet kell betöltenie. Egyrészt az ERH konzultációhoz való hozzáférés belépési pontjaként, másrészt tudáskezelési csomópontként is kell szolgálnia az azon ERH-k által generált információk és tudás továbbítására és megosztására, amelyek nincsenek jelen az adott területen<sup>7</sup>.
2. Ugyanakkor, szintén nagyon fontos, hogy az ERH-k rendelkezzenek a nemzeti egészségügyi szolgáltatókkal és a ritka betegségekkel foglalkozó hálózatokkal való együttműködést és kapcsolatfelvételt segítő mechanizmusokkal. Minden egyes ERH-nak formálisan ki kell jelölnie egy nemzeti kapcsolattartó pontot azokban a tagállamokban, amelyekben taggal rendelkeznek, hogy belépési pontként, valamint formális áthidaló pontként szolgáljanak az ERH és a nemzeti egészségügyi rendszer között.

A tagállamoknak ERH nemzeti koordinációs csomópontokat kell létrehozniuk, hogy kapcsolódhassanak azon ERH-khoz is, amelyek nem képviselik magukat a területükön belül. E **csomópontoknak egyrészt az ERH konzultációhoz való hozzáférés belépési pontjaként, másrészt tudáskezelési csomópontként is kell szolgálnia az azon ERH-k által generált információk és tudás továbbítására és megosztására, amelyek nincsenek jelen az adott területen.**

Arra biztatjuk az ERH koordinátorokat és a BoMS tagokat, hogy közösen, az ePAG tagokkal szorosan együttműködve **fejlesszék ki az „ERH nemzeti kapcsolattartó pontot”**, azaz formálisan jelöljenek ki egy egészségügyi szolgáltatót minden tagállamban, amely nemzeti szintű belépési pontként és tudás-csomópontként is szolgálna az érintett ERH esetén.

Mindkét esetben, a decentralizált egészségügyi rendszerrel rendelkező tagállamnak az ERH-khoz kapcsolódó szoros együttműködési mechanizmust kell kialakítaniuk a regionális egészségügyi hatóságokkal.

<sup>7</sup> Az EURORDIS együttműködést folytat 8 tagállam nemzeti szövetségével, az ERH nemzeti koordinációs csomópontok funkcióinak és az azokra vonatkozó követelményeknek a meghatározása érdekében, és ezen erőfeszítés során felveszi a kapcsolatot a tagállamok képviselőiből álló testülettel és az ERH-kkal is.

## 7. A folyamat egyszerűsítése a teljes jogú tagságért folyamodó egészségügyi szolgáltatók támogatása érdekében

Az ERH-k megalapítását megelőző időszak során minden ország feladatul kapta egy olyan saját eljárás kidolgozását, amelynek keretében támogatni tudja egészségügyi szakembereinek az ERH-kban való részvételét. Az egészségügyi szakemberek részvételének értékelésére és támogatására vonatkozóan benyújtott eljárások, az első körben, eltéréseket mutattak a tagállamok között. A folyamat túlságosan lassúnak bizonyult egyes tagállamok esetében, amelynek következtében nagyon kis számú egészségügyi szakember részesült támogatásban, valamint egyes tagállamokban a betegközösség aggodalmának adott hangot az eljárás megfelelőségét illetően. Tekintettel arra, hogy az egészségügyi szolgáltatók értékelését ugyanazon működési feltételrendszer alapján végzik el, az egészségügyi szakemberek támogatási folyamatának nem lenne szabad túlzott eltéréseket mutatni az egyes országok között.

A teljes jogú tagokra vonatkozó újabb felhívás tudatában arra **biztatjuk a tagállamokat, hogy osszák meg a támogatási folyamatokra, valamint a döntéshozatal átláthatóságának fenntartására vonatkozó helyes gyakorlataikat, annak biztosítása érdekében, hogy a folyamat színvonala, valamint az egészségügyi szolgáltatókkal szemben alkalmazott mérce minden országban azonos legyen.** Előzetes tervezést is kell végezniük, valamint kiegészítő erőforrásokat kell biztosítaniuk, amennyiben szükséges, annak érdekében, hogy az egészségügyi szakemberek ellenőrzését zökkenőmentesen és szigorú szabályozás mellett hajthassák végre.

## 8. Az ERH betegirányítási útjának nemzeti szinten való meghatározása és ellenőrzése, hogy biztosítható legyen az ERH tanácsadáshoz való időbeni hozzáférés, valamint az esetirányítás megfelelő kezelése

Az egyes betegek nem rendelkeznek közvetlen hozzáféréssel az ERH-khoz. Mindazonáltal, a helyi szakorvos elirányíthatja az adott esetet az illetékes ERH taghoz, illetve a jövőben az illetékes társult nemzeti központhoz, hogy innen virtuális konzultációra irányíthassák a beteget a vonatkozó ERH-hoz.

**A nemzeti ERH betegirányítási útvonalakat a nemzeti jogszabályokkal összhangban kell kidolgozni, a helyi klinikai orvosok és betegközösség bevonásával, valamint az ERH koordinátorokkal történő egyeztetés mellett.** Ezeket egy sor szabványosított működési eljárással kell alátámasztani (a szerepek megjelölésével, eszkalációs folyamatokkal, a késedelmek és egyéb problémák eszkalációs folyamatával stb. egyetemben), amelyek a helyi vagy nemzeti irányelvek változásának megfelelően átdolgozhatók és módosíthatók. Bizonyos esetekben, a beutaló klinikai orvosnak fordítási segítségére is szüksége lehet.

A hatékony ERH betegirányítási útvonalnak az alábbi alapelveken kell alapulnia<sup>8</sup>:

- Rövid várakozási idő biztosítása, a várható folyamatok egyértelmű közlése, annak sorrendjét és időpontját illetően.
- A betegirányítási útvonal nemzeti szinten való teljes körű kidolgozása, valamint annak biztosítása, hogy a beteg tovább irányítását megelőzően, a ritka betegségek nemzeti diagnosztikai és kezelési kapacitását teljes körűen igénybe vették.
- Megfelelő egyensúly megteremtése az ERH-hoz való irányítási igény és az ERH kapacitás között.

<sup>8</sup> [Elective care guide Referral to treatment pathways: A guide to managing efficient elective care, third edition, NHS. May 2017 \(adapted\)](#)

- A betegek klinikai prioritási sorrendben történő tovább irányítása; ugyanolyan prioritással rendelkező betegek esetében a várólistára való felkerülés idejét kell figyelembe venni.
- A betegút során a betegek számára állapotuknak és a fontos mérföldköveknek megfelelő aktív kezelés nyújtása.
- A klinikai orvosok és a betegek tájékoztatása a betegirányítási folyamatról, majd annak következetes alkalmazása a nemzeti egészségügyi rendszeren belül.
- Fordítási segítségnyújtás nemzeti szinten, amennyiben erre szükség van a betegirányításnál, illetve az ERH vizsgálat eredményének lefordítása.

Az ERH betegirányítási útvonal ismertetésének legalább az alábbi elemeket kell tartalmaznia:

1. **Betegirányítási folyamat.** A folyamat összes feladatának meghatározása, a beutaló klinikai orvos és a koordinációs csomópont feladatának és felelősségi körének megállapítása, mérföldkövek, becsült időtartam, az incidensek és késedelmek kezelésének ismertetése.
2. **Adminisztratív feltételek (adminisztratív rangsorolás).** Ide tartozik annak meghatározása, hogy a helyi egészségügyi szakemberek beutalhatnak-e, és milyen esetekben betegeket az ERH nemzeti koordinációs csomópontba.
3. **Klinikai felülvizsgálat (klinikai rangsorolás - kapuőrzés).** Azon klinikai értékelési megállapítások meghatározása, amelyek indokoltá teszik a betegek beutalását az ERH vizsgálatra. Helyi klinikai orvosokból álló testület megszervezése, a klinikai felülvizsgálatok és a beutaló klinikai orvossal való kétirányú folyamat működtetése céljából, annak biztosítására, hogy kizárólag azon eseteket irányítsák tovább az ERH vizsgálatra, amelyeket nemzeti szinten nem lehet diagnosztizálni vagy megfelelően kezelni.
4. **Felelősség.** A beteggel kapcsolatos felelősség határainak egyértelmű meghatározása a betegirányítási út során.
5. **A betegek ERH vizsgálatot követő kezelése, valamint a járóbeteg és fekvőbeteg útvonalak irányítása.** A fentiek magukban foglalják a betegek irányítását, a további diagnosztikai tesztekhez vagy feltáró vizsgálatokhoz szükséges időpontok lefoglalásának megkönnyítését, továbbá a konzultációk vagy tesztek ugyanazon npra való csoportosításának és az időpontok megszervezésének felajánlását.

## 9. Finanszírozási mechanizmus meghatározása az ERH-k virtuális konzultációinak finanszírozása érdekében

Az ERH-knak a nemzeti szinten való teljes körű integrálása érdekében a klinikai orvosok és kutatók számára ösztönzőket és erőforrásokat kell biztosítani, hogy megfelelő időt tudjanak fordítani az ERH-val kapcsolatos munkavégzésre.

Végezetül, az ERH-knak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe való integrációja következtében megnövekszik azon esetek száma, amelyeket tovább irányítanak az ERH-k által biztosított virtuális vizsgálatokra. Mindazonáltal, a jelenleg a klinikai betegkezelő rendszeren át biztosított ERH virtuális vizsgálatokat a klinikai orvosok önkéntes alapon végzik.

Az ERH-kkal való virtuális konzultáció finanszírozása szempontjából kritikus fontosságú egy **megfelelő finanszírozási mechanizmus rendelkezésre állása, hogy biztosítható legyen a szolgáltatás fenntartása**, majd végső soron olyan mértékben való biztosítása, amely követi az ERH konzultációra irányított betegek számát, miután az ERH-k hatékonyan beágyazódtak a nemzeti egészségügyi rendszerekbe.

## 10. Az ERH-k által felülvizsgált vagy elfogadott klinikai iránymutatások nemzeti szinten történő elismertetésére és elfogadtatására szolgáló mechanizmus kidolgozása

A ritka betegségekhez kapcsolódó tudás és szakértelem - legjobb esetben is - minden országban korlátozottan áll rendelkezésre, és számos ritka betegséget félrediasztizálnak, amelynek következtében sok költséges tesztet végeznek el, majd nem megfelelő kezelést alkalmaznak. Az európai referenciahálózat lehetőséget kínál arra, hogy az Európában rendelkezésre álló kollektív tudásra és szakértelemre alapozva a beteg utaztatása helyett a szakértelem helybe jöjjön. A klinikai irányelvek kiváló eszközök biztosítanak arra, hogy e ritka tudás kommunikálható és valamennyi tagállamban helyileg felhasználható legyen a diagnózis és a kezelés irányítása révén, csökkentve ezáltal a ritka betegségekkel járó terheket mind a beteg, mind az egészségügyi rendszer szempontjából.

Az ERH-k keretében kidolgozott klinikai iránymutatások, kezelési protokollok és ellátási eljárások képviselik azon hálózatépítő tevékenységek egyik fajtáját, amelyek minden országban lehetőséget adnak a legújabb elképzelések és bizonyítékok megosztására, lehetővé téve a tagállamok számára a ritka betegségek közegészségügyi vonatkozásainak kezelését, továbbá magasabb szintű hozzáférést biztosítva a kiváló színvonalú diagnózishoz, ellátáshoz és kezeléshez. Ezen irányelveket, protokollokat és eljárásokat a tagállamok által támogatott, elismerésnek örvendő szakértők állítják össze. Ezen irányelvek elismerése és minden egyes tagállamban történő alkalmazása kritikus fontosságú az ERH-k megosztással, ellátással és gyógyítással kapcsolatban megfogalmazott törekvéseinek teljesüléséhez.

A tagállamokat, az ERH testületi tagokon keresztül, arra kérjük, hogy **határozzanak meg egy, az ERH irányelvek támogatására vonatkozó egységes folyamatot**. Ezen eljárás központi elemeként szolgál az ERH iránymutatások felülvizsgálata és elfogadása, amelyet az iránymutatások megfelelő értékelésére alapoznak, valamint az iránymutatás tagállamon belüli elfogadására tett ajánlás.

A tagállamok számára javasolt egy, az ERH iránymutatások értékelésére és a nemzeti egészségügyi rendszerükbe való beillesztésre vonatkozó **protokoll meghatározása**, ideértve az ERH iránymutatások jogi státuszának, valamint az elfogadásra javasolt iránymutatások vizsgálatáért felelős nemzeti testület meghatározását.

A tagállamokat arra biztatjuk, hogy az általuk létrehozott iránymutatásokkal foglalkozó tanácsadó bizottságba **vonják be nemzeti betegszervezeteiket és az ePAG tagokat, valamint az ERH irányelvek vizsgálatára és elfogadására vonatkozó protokolljukat** építsék be nemzeti egészségügyi rendszereikbe.



#### EURORDIS-RARE DISEASES EUROPE

Plateforme Maladies Rares ♦ 96 rue Didot  
75014 Párizs ♦ Franciaország

#### Az EURORDIS brüsszeli irodája

Fondation Universitaire ♦ Rue d'Egmont 11  
1000 Brüsszel ♦ Belgium

#### Az EURORDIS barcelonai irodája

Recinte Modernista Sant Pau ♦ Pabellón de Santa Apolonia  
Calle Sant Antoni M<sup>a</sup> Claret 167 ♦ 08041 Barcelona ♦  
Spanyolország

**EURORDIS.ORG**

**WWW.RIROSZ.HU**

This paper was produced thanks to funding received under an operating grant from the European Union's Health Programme (2014-2020).



Co-funded by  
the Health Programme  
of the European Union

