



Az Eurordis tagszervezete

## Ritka Betegségek Napja

**2010. február 28.**

*Információs füzet*

*“Betegek & Kutatók: Partnerség az életért!”*

**EURORDIS**  
Plateforme Maladies Rares  
102 rue Didot – Paris 75014 – France  
Tel + 33 1 56 53 52 10  
Brussels office: Tel/fax + 32 2 733 81 10  
[eurordis@eurordis.org](mailto:eurordis@eurordis.org)

**RITKA ÉS VELESZÜLETETT  
RENDELLENESÉGGEL ÉLŐK  
ORSZÁGOS SZÖVETSÉGE**  
1082 Budapest Üllői út 82.  
Tel.: + 36 1 326 7492  
[info@rirosz.hu](mailto:info@rirosz.hu)  
[www.rirosz.hu](http://www.rirosz.hu)

**A Ritka és Veleszületett Rendellenességgel élők  
Országos Szövetsége (RIROSZ) kiadványa**

# Tartalom



Laura, Finnország, Dysmelia

1. Az esemény védnökei
2. Mi a RIROSZ?
3. Ritka betegségek, mint népegészségügyi prioritás
4. A 2010. évi kampány témája: híd a betegek és kutatók között
5. Miért pont most helyezzük előtérbe a ritka betegségek kutatását?
6. Szervezési elvek
7. Kinek szervezzük a Ritka Betegségek Világnapját?
8. Milyen célokat szolgál ez a nap?
9. Mi fog történni európai szinten?
10. Mi fog történni a különböző országokban?
11. Hasznos eszközök:
  - a. Sajtóközlemény
  - b. Logó, banner, e-mailek
  - c. Szlogen
  - d. Poszter
  - e. Weboldal
  - f. Szóróanyagok
12. Gyakorlati útmutató
  - Hogyan működik a közös nemzetközi honlap?
  - Hogyan valósul meg a “Ritka Betegségek Barátja” program?
  - Hogyan szervezzünk POLKA játékokat?
  - Hogyan szervezzünk meg egy eseményt tudományos központban vagy múzeumban?

# 1. Az esemény védnökei

## Sólyom Erzsébet asszony, a Magyar Köztársaság Elnökének felesége



„A betegség mindig együtt jár a kiszolgáltatottsággal, amit végletekig fokozhat, ha a betegség ritka, kezelése körül sok a tanácstalanság. Számukra még diagnózishoz jutni is kálvária, ha egyáltalán sikerül.

Hazánkban például a Williams szindrómával élők számát nyolcszázra becsülik, de hatvan százalékuk nincs diagnosztizálva. További 800 gyermek él együtt a Sclerosis tuberosa-val. A világban 8000-féle ritka betegséget diagnosztizáltak, s ezek a lakosság 10%-át érintik, s csak Európában 30 millió embert sújtanak.

A ritka betegségekben szenvedő gyermekek szülei sorstársakat kerestek. A Ritka és Veszélyes Rendellenességgel Élők Országos Szövetsége azért jött létre, hogy segítsen leküzdeni a magányt, és a közösség erejével növelje a reményt. A Szövetség érdekképviselőt és szakmai-civil bázist épített fel. Azonban a segítség útja a betegek és családjaik együttműködése a kutatókkal és orvosokkal.

Az Egészségügyi Világszervezet (WHO) felhívása alapján második alkalommal kerül sor február végén a Ritka Betegségek Világnapja rendezvényeire. Az egészségpolitika viszont – még ha van is benne jó szándék – a gyógyszergyártók, forgalmazók és a belőlük élő kutatásnak érdektelenségével találja szemben magát. A magyar Szövetség támogatásra érdemes célja, hogy létrejöjjön a Ritka Betegségek (Re)Habilitációs Központja, s ezzel közelebb kerüljünk az esélyegyenlőséghez.

A Ritka Betegségek Világnapja idén a kutatásra koncentrál. Csakis a kutatás adhat reményt arra, hogy minél több ritka betegség kezelhető legyen. Ha a Világnap, az Európai Unió, a magyarországi betegek és gyógyítók mind a ritka betegek esélyegyenlőségéért küzdenek, akkor ennek része, hogy a kutatásuk is egyenlően részesedjék a támogatásból. A ritka betegségek kutatása nemcsak az ebben szenvedőknek segít, hanem eredményei egyértelműen hasznára vannak a gyakoribb betegségek gyógyításának is. S az intenzív kutatás egyben szorosabbá teszi a kutatók és orvosok kapcsolatát a betegekkel és szüleikkel is. A ritka és szétszórtan előforduló betegségek esetében különösen fontos ez az együttműködés, mert így jutnak a kutatók elegendő adathoz. Ugyanezen sajátosságok miatt viszont hasonlóan szükségesek a hosszú távú adatbázisok, az együttműködők széles hálózata. Az ilyen infrastruktúra azonban fokozottan rá van utalva a megbízható állami támogatásra. Nem adhatjuk fel a reményt, hogy az állami egészségügy, a gyógyszergyártók, és a társadalom is meghallja a ritka betegségben szenvedők hangját.”



**Mádl Dalma asszony, Dr. Mádl Ferenc volt köztársasági  
elnök felesége**



**Göncz Zsuzsa asszony, Göncz Árpád volt köztársasági  
elnök felesége**



**Köszönjük megtisztelő támogatásukat!**



## 2. Mi a RIROSZ?



Fanni, Magyarország, Rett szindróma

- A ritka betegségek magyarországi szervezete (RIROSZ) 2006.05.05-én alakult meg hosszú évek előkészítő munkája után, nyolc alapító betegszervezet összefogásával. Napjainkban hazánk 24 olyan betegszervezetét, és számos egyéni tagját tömöríti, akik aktívan tevékenykednek a ritka betegségek területén. A Szövetség elkötelezett a ritka betegséggel élők segítésében, és az őket szolgáló szervezetek támogatásában.
- Rare Diseases Hungary - Szövetségünk 2007-ben felvételt nyert hazánk képviselőjeként az EURORDIS-ba, mely a ritka betegségek európai ernyőszervezete, valamint a Nemzeti Szövetségek Európai Tanácsába. 2008-ban pedig az IAPO, a Betegszervezetek Világszervezete is tagjává fogadta a szövetségünket.

### Céljaink:

- A hazánkban élő kb. 800000 ritka és veleszületett rendellenességgel élő ember egyenjogú és teljes körű társadalmi beilleszkedésének elősegítése, érvényesítése és védelme.
- A hazai szervezetek összefogása, tevékenységük segítése, összehangolása.
- A ritka betegségekkel kapcsolatos ismertség és tudatosság növelése, népegészségügyi kérdésként történő elismertetésük elősegítése.
- Közös programok szervezése a ritka betegséggel élők életének megkönnyítésére (konferenciák, kiadványok, képzések, információ terjesztés, a sajátos szükségletek kielégítésére szociális, egészségügyi és oktatási szolgáltatások).

### Jelenlegi tagszervezeteink:

Angelman Szindróma Alapítvány, CML és GIST Betegek Egyesülete, Cri Du Chat Baráti Társaság, Csúpaszívek Társasága, Dávid Kisemberek Társasága, Epidermolysis Bullosa Alapítvány (DebRA Magyarország), Klub a Prader-Willi Gyerekekért, Magyar Ataxiás Betegek Alapítványa, Magyar Hemofília Egyesület, Magyar Izomdisztrófia Társaság, Magyar Mukopoliszaccharidózis Társaság, Magyar Porphyrinosis Egyesület, Magyar VHL Társaság, Magyar Williams Szindróma Társaság, Magyarországi Hemokromatózisos Betegek Társasága, Magyarországi PKU Egyesület, Martin-Bell Alapítvány, MEOSZ-Myasthenia Gravis Önszervező Betegcsoport, Narkolepszia klub, Neurofibromatózisos Betegek és Segítőik Társasága, Országos Cisztás Fibrózis Egyesület, Országos Scleroderma Közhasznú Egyesület, Primer Immunhiányos Betegek Egyesülete, Retina Magyarország Egyesület, Rett Szindróma Alapítvány, Sclerosis Tuberosa Társaság, Siketvakok Országos Egyesülete, Turner Szindróma Klub, Wolf-Hirschhorn-szindróma klub



### 3. Ritka betegségek, mint népegészségügyi prioritás



Jonathan, Németország,  
Maroteaux-Lamv szindróma

Ez a 2008-2011 választott átfogó témája. Akikhez szólni szeretnénk, kiváltképp a társadalom, nincsen tisztában a ritka betegségek mibenlétével, a betegek életére gyakorolt hatásával, a szükséges teendőkkel. Ezért kellett egy átfogó témát választanunk, amely lehetővé teszi a **ritka betegségek fogalmának bevezetését az egészségügybe**, annak fontosságát hangsúlyozva.

Ezt a koncepciót az európai és nemzeti szintű törvényhozás fejlődése között tapasztalható összhang fényében kell néznünk: Három “forró” témakör illusztrálja ezt a jelenséget: az **Európai Bizottság konzultációs előterjesztésének elfogadása a ritka betegségekről, a ritka betegségekkel kapcsolatos Nemzeti Tervek kidolgozása több országban, és a “Ritka Tudásközpontok” és az Európai Referenciahálózatok kifejlesztése, a kutatások serkentése.**

Az utóbbi ponthoz kapcsolódik a magyar viszonyoknak megfelelő aktuális konkrét célunk továbbra is, ami **támogatás szerzése a leendő Ritka Betegségek (Re)Habilitációs Központja számára.** Néhány tény:

- **A ritka betegségben szenvedő egyén gyakran az egészségügyi rendszerek árvája, gyakran diagnózis nélkül, kezelés nélkül, kutatás nélkül, és ezért szinte minden remény nélkül.**
- **A ritka betegségek az életet veszélyeztető, vagy krónikus leépüléssel járó betegségek,** alacsony előfordulási gyakorisággal és magas szintű komplexitással. 6000-8000 féle ilyen betegséget azonosítottak már, amelyek 30 millió európai polgárt érintenek. A nagyon ritka betegségben szenvedők és családjaik különösen elszigeteltek és sebezhetőek. A ritka betegek élettartama jelentősen rövidebb, és a betegségek többsége együtt jár valamilyen fogyatékkal, ami hátrányos megkülönböztetésük forrása lehet és csökkentheti vagy el is lehetetlenítheti oktatási, szociális és munkalehetőségeiket.
- **A megkülönböztető egészségügyi politika és a tapasztalatok hiánya** okozza a megfelelő diagnózishoz jutás késedelmét és a megfelelő ellátáshoz való hozzáférés nehézségeit. Meglehetősen nagy minőségi és mennyiségi eltérések figyelhetők meg a ritka betegséggel élők diagnosztikája, kezelése és gondozása területén a nemzeti egészségügyi szolgálatok között. Az európai állampolgárok jelenleg nem egyenlő eséllyel juthatnak hozzá a szükséges egészségügyi és egyéb szolgáltatásokhoz, valamint a ritka („árva”) gyógyszerekhez.
- **A ritka betegségek kutatása igen gyér**
- Ezt a koncepciót meg kell vizsgálni a ritka betegségekkel kapcsolatos törvényhozás korábbi és jelenlegi összefüggéseiben, mind európai, mind nemzeti szinten.



➤ **1999 óta az Európai Unió intézkedéseket foganatosított a ritka betegségek elleni küzdelem terén, enyhítve e betegségeknek az emberek életére gyakorolt hatását. A ritka betegségeket az uniós népegészségügyi programok prioritásává tette:**

- ❖ EU Szabályozás az un. ritka (árva) gyógyszerek terén (1999)
- ❖ EU Szabályozás a gyermekgyógyászati gyógyszerek terén (2006)
- ❖ EU Szabályozás az un. haladó terápiák terén (2007)
- ❖ Közösségi Akció Program a népegészségügy területén (1999-2003)
- ❖ Közösségi Akció Program a népegészségügy területén (2007-2013)
- ❖ Az EU 7. Kutatási Keretprogramja (2007-2013)
- ❖ Társadalmi konzultáció a ritka betegségekről (2007. november)
- ❖ Európai Bizottság Kommunikációja a ritka betegséggel élők ellátásáról (2008. november)
- ❖ EU Tanácsi ajánlás a ritka betegségek területén megvalósítandó európai lépésekről (2009. június)
- ❖ Az utóbbi néhány évben több tagország **Nemzeti Tervet dolgozott ki a ritka betegségekkel kapcsolatban.**

Minden ország nemzeti terve vagy stratégiája a fejlesztés különböző szintjén van, ezért a kommunikációt minden ország saját körülményeihez kell igazítani.

**Háttér információkért lásd:**

Az Eurordis és tagjai által kidolgozott "Alapelveket":

- Magyarul
  - o <http://www.rirosz.hu/themes/Kaput/ritkaismertet.doc>
- Angolul
  - o [http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Princeps\\_document-EN.pdf](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Princeps_document-EN.pdf)

❖ **Az EU irányító intézményeiről:**

Azok számára, akik nem minden nap foglalkoznak EU-s ügyekkel, leírjuk (ismét), hogy az Unióban a legfőbb döntéshozó szerv az **Európai Tanács** (Council), mely az állam- és kormányfők értekezlete. A jogi döntéshozatal pedig az ún. „intézményes háromszög” együttműködésében történik: az **Európai Bizottság** (Commission), az **Európai Parlament** (EP), és a **Miniszterek Tanácsa** (v. az EU Tanácsa) - rájuk jellemző, hogy egyik sem abszolút, viszont többnyire egyik sem nélkülözhető. A nemzetek feletti Bizottság (az EU „kormány”), azonban csak kezdeményezhet (s végrehajthat), de nem dönthet. Szervezete főigazgatóságokra (DG) és szolgálatokra tagolódik. Dönteni csak a nemzetek (kormányok) közötti Miniszterek Tanácsa tud, amelyekben minden ország jelen van. Ők viszont többnyire csak arról dönthetnek, amit a nemzetek feletti Bizottság kezdeményezett. A döntéshozatalban a Parlament háromféle módon is részt vesz – a véleményezési, a hozzájárulási és az együttdöntési eljárás alkalmazásával. Az Európai Tanács az Európai Unió állam- és kormányfőinek, valamint a Bizottság elnökének testülete. Az Unió csúcsszerve, amely meghatározza az Európai Unió általános politikai irányait. Bővebben lásd itt: [http://www.euvonal.hu/index.php?op=tenyek\\_intezmenyrendszer](http://www.euvonal.hu/index.php?op=tenyek_intezmenyrendszer)



## 4. A 2010-es év fő témája

**“Betegek & Kutatók: Partnerség az életért! - Híd a betegek és kutatók között”**

### A Ritka Betegségek Napjának fő üzenetei:

A ritka betegségek fontos területet jelentenek a kutatás szempontjából

A ritka betegségek kutatását jobban kell támogatni

A betegek és a kutatók csak együttműködve nyerhetnek

### A betegeknek szükségük van a kutatásra...

**A kutatás jelenti a reményt azon milliónyi ritka betegnek, akik számára még nincs terápia.** Ez elmúlt évtizedben nagy előrelépések történtek a genetikában és az egészségügyi technológiában, ami nagy reményeket ébresztett a tudomány és a terápia fejlődését illetően.

Ennek ellenére, a ritka betegségekre irányuló jelenlegi állami kutatási programok nem elégségesek, és a gyógyszerfejlesztések csupán kevés beteg számára hozzáférhetőek, így a lehetőségek nagyon korlátozottak. A betegek és a kutatók „szétszórt” helyzete tovább nehezíti a már megszerzett értékes tudás gyakorlati hasznosítását.

### A kutatásokhoz nélkülözhetetlenek a betegek...



Gergő, Magyarország,  
Williams szindróma

**A ritka betegek a legjobb partnerek, akiket a kutatók kívánhatnak.** A különböző klinikai kísérletekben, biobankokban, adatbázisokban és felmérésekben történő részvételük nélkül a kutatás nem hozhat eredményt. Ezen túlmenően a ritka betegek, mint a kutatás alanyai gyakorlati tapasztalataikat adják a kutatáshoz, amit az érintettek és családjaik ismernek leginkább. Ezáltal segítik mind az alapkutatást mind a megfelelő terápia megtalálását, elősegítve a betegség epidemiológiájának, lefutásának, természetének mélyebb megértését. *“A családok légzési nehézségeket jeleztek a túlsúly problémák nélkül élő betegek*

*esetében is. Átadtuk ezeket a tapasztalatokat az orvosoknak. Egy következő találkozás alkalmával egy tudós úgy döntött egy egérkísérlettel modellezi a tünetet, ami alapján a felvetés megerősítést nyert.”*  
Egy Prader Willi szindrómás beteg szülője

**Célunk: Minden egyes egyéni történetünket a tudományos fejlődés mérföldkövévé tenni.**

**Ritka betegek szervezetei a kutatási projektek értékes partnerei lehetnek** – akár a kutató csoportok, infrastruktúrák vagy képzések támogatásában, vagy a partneri kapcsolatok kialakításában, kampányok szervezésében a szükséges biológiai minták begyűjtése érdekében. A betegek gyakran, katalizátorokként segítik elő a kutatók,





klinikusok, az ipar és a betegek együttműködését. **Éppen ezért fontos a betegek és a kutatók szoros együttműködése!**

### Miért kell a Ritka Betegségeket kutatni?

Alapvető erkölcsi, tudományos, gazdasági és politikai okok támasztják alá a ritka betegségek kutatásának szükségességét.

**A ritka betegséggel élőknek a többi beteghez hasonlóan ugyanolyan joguk van az egészséges élethez és az új kezelések reális reményéhez.**

**Ritka betegségek kutatása elvezethet gyakoribb betegségek terápiájának fejlődéséhez.** A ritka betegségek modellként szolgálhatnak olyan gyakori betegségek vizsgálatához, mint a cukorbetegség vagy az elhízás. Ezen túlmenően a ritka betegségek összetett jellege gyakran multidiszciplináris és innovatív megközelítést kíván. A ritka betegek számára kifejlesztett új eszközöket, módszereket vagy termékeket gyakran alkalmazni lehet gyakoribb betegségeknél is, így a tágabb társadalom számára is hasznosítható, megtérülő befektetés lehet.

A közelmúltban, mikor a gyógyszeripar zömmel a nagy tömegeket célzó termékeket fejlesztette, néhány cégnek sikerült keveseket érintő betegségek gyógyszerei hosszú távú tesztjeit lebonyolítani, annak ellenére, hogy azok eredeti piaca minimálisnak tűnt. **Azonban, ha egy gyógyszer hatékonynak bizonyul egy betegség ellen, érdemes egy másik betegségre is tesztelni.** Néhány "árva" gyógyszer, mint a Gleevec, amelyet eredetileg egy ritka vérrákra engedélyeztek (évente néhány ezer embert érint ez a betegség), később hat másik életveszélyes betegség ellen bizonyult hatásosnak.

**A ritka betegségek kutatása jó a gazdaságnak.** Az "árva" gyógyszerek fejlesztését elősegítő szabályozás beindította az KKV-k (kis és közepes vállalkozások) kifejlesztését a biotechnológiai ágazatban. A ritka betegségek kutatásának gazdasági értékét a gyógyszeripar is felismerte és növelték az ez irányú befektetéseiket.

**A ritka betegségek kutatása sok pénzt takaríthat meg az egészségügyi költségvetésnek,** ha csak néhányat tudunk jobban megismerni a 7000-re becsült ritka betegségből, az több terápiás lehetőséghez és korábbi diagnózishoz vezethet.

További irodalom: Corley and Daly, June 2009, ["Importance of Research on Rare Diseases and Orphan Drugs"](#)

### Mi segíthet fellendíteni a Ritka Betegségek kutatását?

- A jelenlegi kutatási projektek és kutatói erőforrások azonosítása, az elért eredmények megosztása, és az erőfeszítések jobb hasznosítása érdekében.
- Folytatni kell a szükségletek és a prioritások meghatározását a különböző kutatási szinteken (alap, klinikai, alkalmazott és szociológiai) összekapcsolva ezeket a Tudásközpontokkal.
- Az orvos-biológiai, egészségügyi és társadalmi kutatási területek lefedése



- Új kutatók részvételének elősegítése az EU által támogatott ritka betegségeket érintő kutatásokban
- Állami és privát együttműködések elősegítése (segíteni a „laboratóriumtól az ágyig” átvitelt).
- További pénzügyi források létrehozása a kutatások támogatására

## A több és jobb támogatás szükségessége

A Ritka betegségek kutatásához szükségesek a nemzeteken átívelő közös infrastruktúra, hosszú távú projektek és fenntartható megoldások. De mivel ezek a betegségek ritkák, így a várható piaci érdeklődés csekély, ezért nem vonzó a magántámogatók számára az e kutatásokhoz nélkülözhetetlen kutatási infrastruktúra hosszú távú támogatása. **Éppen ezért a ritka betegségek területén folyó kutatások hosszútávon működő háttérének megteremtéséhez (mint pl. biobankok, adatbázisok és regiszterek fenntartása), elérhető állami támogatások biztosítására lenne szükség.**

Elegendő pénz kell ahhoz, hogy hosszú távú alap- és klinikai kutatás folyjon a ritka betegségek vagy betegségcsoportok területén. Ez szoros kapcsolatban áll a “Tudásközpontok Európai Referenciahálózatának és az Európai Kutatói Hálózatok” fenntarthatóságának szükségességével, különös tekintettel az alkalmazott kutatások erősítésére.

## Mi az európai hozzáadott érték?

Az európai szinten koordinált kutatások feltétlenül szükségesek, hiszen ez az egyetlen módja, hogy növeljük a kutatásba bevonható betegek számát egy adott tanulmányhoz és összefogjuk a szétszórta élő szakértőket, így biztosítva a multidiszciplináris együttműködés lehetőségét és a jó gyakorlatok megosztását az adott kutatási témában.

*“A betegek szétszórva élnek Európában, ami nehezé teszi a betegcsoportok létrehozását és a klinikai vizsgálatok elvégzését. A klinikai és tudományos adatok nem központosítottak, a kutatócsoportok támogatása nem elegendő, a gyógyszeripar érdeklődése viszonylag alacsony, ami szükségessé teszi a multidiszciplináris és szoros együttműködést. Mindezen tényezők a ritka betegségeket tökéletes modellé teszik Európa számára ahhoz, hogy a világ kutatás-fejlesztésének élvonalában legyen.”*

## Eurordis/Ritka Betegek hozzájárulása a szükséges kutatások elősegítéséhez, a megtett fő lépések és mérföldkövek:

- [Position Paper in 2005 for the preparation of the 7th FP European Workshop on “Gaining Access to RD Research Resources” in 2007](#)
- [Collaboration on the preparation of the EC conference on “Rare Disease research: building on success” \(Sept 2007\)](#)
- [Research Priorities for Rare Diseases Eurordis Specific Contribution to the Public Consultation: “Rare Diseases: Europe’s Challenges” \(Feb 2008\)](#)



# 5. Miért pont most helyezük előtérbe a ritka betegségek kutatását?

## Az Európai Tanács Ajánlása a ritka betegségekkel kapcsolatos Európai teendőket illetően

Az elmúlt két évben egyre nagyobb figyelmet kapott a ritka betegségek ügye az európai politikában. Első lépésként 2007 novemberében sikeresen lezajlott a Ritka Betegségek Társadalmi Konzultációja, majd ezt követte 2008 novemberében az Európai Bizottság Közleménye Ritka betegségekre vonatkozóan. Legújabb lépésként 2009 Novemberében az Európa Tanács elfogadta a fenti ajánlásokat a ritka betegségek ellátását szabályozó irányelvekkel. Mindegyik lépés megmutatta, hogy mennyire fontos az EU szerepvállalása és a tagállamok együttműködése.



Jacob, Egyesült Királyság,  
Spinális izomsorvadás

Bár a kiadott Közlemények és Irányelvek nem kötelező érvényűek a tagállamokra, komoly politikai súlyuk van. A Tanács új irányelve megalkotta az Európai Unió ritka betegségekre vonatkozó jövőbeli stratégiájának kereteit a népegészségügy, a kutatás és a terápia fejlesztésének területén. Más szavakkal ez a legjobb eszköz annak további elősegítésére, hogy a ritka betegségeket népegészségügyi és kutatási prioritásaként kezeljék. A Tanács irányelvei fontos szerepet játszanak nemzeti szinten is a prioritások és irányelvek kijelölésében, az országok saját, a

ritka betegségek kezelésére vonatkozó nemzeti tervének megalkotásához.

A Tanács irányelvei egy fontos mérföldkövet jelentenek minden ritka betegséggel élő embernek Európában. **Ennek elfogadásával minden tagállamban a betegek képviselői nagyobb részvételt kapnak a ritka betegségekre vonatkozó stratégiák kialakításban. Ugyanígy szerepük lesz azon kulcselemek teljesítésének nyomon követésében, melyek létfontosságúak a ritka betegségekre vonatkozó kutatások előmozdításában, mint pl.:**

- Biztosítani, hogy a ritka betegségeket megfelelően osztályozzák és kódolják.
- Támogatni a ritka betegségek kutatását
- Azonosítani a Tudásközpontokat és támogatni az Európai Referencia Hálózatban való részvételüket.
- Támogatni az Európai szinten meglévő tapasztalatok összegyűjtését
- Megosztani az „árva” gyógyszerek klinikai hozzáadott értékének összegzéseit
- Megerősíteni a betegek és képviselőik részvételét a döntéshozatali folyamatok minden lépésében
- Biztosítani a ritka betegséggel élők számára a már meglévő infrastruktúrák fenntartását.

## Az EU kutatási tervének formálása

A Kutatás és Technológiai Fejlesztésre vonatkozó Keretprogram (röviden Keretprogram – KP) az EU fő eszköze a kutatás támogatására. Annak érdekében,



hogy alakítani tudjuk az EU kutatási menetrendjét napjainkban és a jövőben, az imént említett pontokon kívül, a Ritka Betegségek Világnapja kampánya is hozzájárulhat a politikai döntéshozók szemléletének formálásához. Így a ritka betegségekre nagyobb hangsúlyt helyezhetnek az Európai Unió Keretprogramjának kidolgozásakor.

2013-ig a kutatásra vonatkozó támogatásokat a 7. Keretprogram részeként osztják szét. A speciális célok és akciók különböznek a támogatási periódusokban. Ezért nagyon fontos már most nagy hangsúlyt helyezni a kampányra, hogy a 8. Keretprogramban a ritka betegségek továbbra is helyet kapjanak.

Nem lehetne hatékonyan harcolni a Keretprogram finanszírozásának növeléséért, az olyan politikai fegyvertények nélkül, mint a Tanácsi Ajánlás, mely fontos elemként tartalmazza a ritka betegségek több és a jobb minőségű kutatásának szükségességét. Ez az ügy szorosan összekapcsolódik az Ajánlásban meghatározott másik fő céllal: a Tudásközpontok azonosításával és az Európai Referencia Hálózatokban való részvételük elősegítésével, a határokon átívelő kutatások reményében.

### **Az nemzeti kutatási tervek alakítása**

A nemzeti szövetségek egyik legfontosabb feladata, hogy a ritka betegségeknek kellő nyilvánosságot biztosítsanak a tagországok kutatás-tervezésében, a Tanácsi Ajánlás végrehajtása, a saját Nemzeti Terv létrehozása és az EUROPLAN Projektben való részvétel során.

További információ található:

[Eurordis' article on the Commission Communication and proposed Council Recommendation](#)

[Eurordis' article on the EuroPlan Project to promote National Plans for Rare Diseases](#)

[Eurordis' article on European reference networks of centres of expertise](#)

[Eurordis' article on Rare diseases and the 7<sup>th</sup> Framework Programme](#)



## 6. Szervezési elvek

A Ritka Betegségek Napja egy évenként megrendezésre kerülő, figyelemfelhívó esemény, amit EURORDIS koordinál nemzetközi szinten és a nemzeti szövetségek (mint a RIROSZ) nemzeti szinten. Ki vehet részt? Minden érdeklődő: Nemzeti Szövetségek, Beteg Szervezetek, egészségügyi szakemberek, kutatók, gyógyszerfejlesztők, EÜ minisztériumok – minél többen, annál jobb!

### **EURORDIS feladatai:**

- Dátum, témák és tartalom meghatározása
- A Ritka Betegségek Világnapjának nemzetközi koordinációja
- “A Ritka Betegségek Világnapja Barátainak” menedzselése
- A grafikus arculati elemek (logó, plakát, vizuális eszközök) kidolgozása
- Ritka Betegségek Világnapja központi honlapjának szerkesztése, fenntartása
- A közös kommunikációs és figyelemfelhívó eszközök kidolgozása
- Európai szintű esemény szervezéséhez (Brüsszelben)
- A Ritka Betegségek Kutatói Hírességek Csarnokának megszervezése
- A betegek kutatásban való részvételére vonatkozó felmérésének megszervezése és a prioritások megtalálása (részletek a 10. fejezet a „Felmérés” c. résznél)
- Fotó és videó verseny megszervezése
- Web 2.0-es közösségi média szolgáltatások menedzselése: Facebook, Twitter, Youtube és Flickr
- Az eredmények kiértékelése és az európai szintű analízis

### **A Nemzeti szövetségek feladatai:**

- Nemzeti szintű szervezés
- Amennyiben lehetséges, védnök találása, aki videó vagy írott üzenet ad támogatását kifejezve
- Frissíteni az információkat és az eseményeket a saját és a [www.rarediseaseday.org](http://www.rarediseaseday.org) honlapon
- A közös eszközök adaptációja, és a sajátok kifejlesztése
- A helyi akciók finanszírozásának biztosítása
- Adatgyűjtés (eredmények) & kiértékelés
- Sajtó / média kapcsolatok



## **A Ritka Betegségek Világnapja 2010. programja nemzeti/helyi szinten rugalmasan alakítható:**

A Nemzeti Szövetségek egyedi és nemzeti körülményeiktől függően, rendezhetnek egy napos, egy hétvégi, néhány napos, vagy egy hetes eseménysorozatot is. Néhány nemzeti szövetség úgy is határozhat, hogy nem használja fel ezt a napot adományok szervezésére. Az Eurordis változatos eszközöket ajánl a nemzeti szövetségek számára, melyek szabadon adaptálhatók és lefordíthatók. Természetesen a szövetségek ezek mellett saját eszközöket is kidolgozhatnak az egységes arculat megőrzése mellett. A célcsoportok eltérhetnek országonként.

### **Közös jellemzők:**

#### **Védnök**

A Nemzeti Szövetségeket Védnök támogatását kérhetik, aki lehet a Köztársági Elnök felesége, a királyi család tagja vagy más köztisztviselőben álló személyt. A Védnök szerepe hogy egy írott vagy videó üzenettel támogassa a Ritka Betegségek Világnapját, ami megjelenhet [www.rarediseaseday.org](http://www.rarediseaseday.org) honlapon és a médiának is elküldhető.

Nemzeti szinten a Védnök lehet a konferencia házigazdája vagy megnyitója, akár a díjak átadója, a nemzeti szövetség és a Védnök megállapodása alapján.

#### **A kutatók bevonása**

A Nemzeti Szövetségek meghívhatnak kutatókat és a kutatási kérdésekben döntéshozókat az eseményeikre.

E találkozások után következhetnek "Döntés Játzsza" alkalmak a következő témákban: Újszülöttkori szűrés, Genetikai tesztek és tanácsadás, Beültetés előtti genetikai diagnózis. ([www.playdecide.org](http://www.playdecide.org))

A Nemzeti Szövetségek kijelölhetnek egy kutatót, akit érdemesnek tartanak arra, hogy bekerüljön a Ritka Betegségek Kutatói Hírességeinek Csarnokába. Egy példa megtekinthető az NORD (Amerikai Egyesült Államok Nemzeti Ritka Betegségek Szövetsége) honlapján:

[http://www.rarediseases.org/rare\\_disease\\_day/Hall\\_of\\_Fame](http://www.rarediseases.org/rare_disease_day/Hall_of_Fame)

Szintén fontos, hogy a központi honlap „Ez évi fókusz” oldalán megjelenítsük a betegek – kutatók együttműködésének sikertörténeteit. Az ilyen történetek emberi arcot adnak annak az üzenetnek, amit meg szeretnénk jeleníteni a médiában.

Ha jelölni szeretnétek kutatót, vagy van jó történetetek a beteg-kutató együttműködésről, kérjük, küldjétek el [pogany@riosz.hu](mailto:pogany@riosz.hu) email címmel!



**A 2010-es Ritka Nap rendezvényeiben közreműködő nemzeti szövetségek:**

<b>Ország</b>	<b>Szervezet/Szövetség</b>	<b>Telefon</b>	<b>Kapcsolattartó e-mailje</b>
Argentína	GEISER	54 261 424 00 76	<a href="mailto:virginialejandrallera@yahoo.com">virginialejandrallera@yahoo.com</a>
Belgium	RaDiOrg	32 498 70 15 03	<a href="mailto:lut@boks.be">lut@boks.be</a>
Bulgária	NAPRD	359 888 323 748	<a href="mailto:tomov@gaucherbq.org">tomov@gaucherbq.org</a>
Kanada	CORD	1 416 969-7464	<a href="mailto:durhane@sympatico.ca">durhane@sympatico.ca</a>
Horvátország	Rijetke Bolesti	38 1 481-28-46	<a href="mailto:rijetke.bolesti@gmail.com">rijetke.bolesti@gmail.com</a>
Dánia	Rare Disorders Denmark	45 33 14 00 10	<a href="mailto:mail@raredisorders.dk">mail@raredisorders.dk</a>
Franciaország	Alliance Maladies Rares	33 1 56 53 53 40	<a href="mailto:lecerf.chantal@wanadoo.fr">lecerf.chantal@wanadoo.fr</a>
Németország	ACHSE	49 30 33 00 7080	<a href="mailto:mirjam.mann@achse-online.de">mirjam.mann@achse-online.de</a>
Görögország	PESPA	30 210 76 60 989	<a href="mailto:tsahellas@ath.forthnet.gr">tsahellas@ath.forthnet.gr</a>
Magyarország	HUFERDIS (RIROSZ)	36 1 326 74 92	<a href="mailto:pogany@rirosz.hu">pogany@rirosz.hu</a>
Írország	GRDO	353 709 30 50	<a href="mailto:avril.daly@fightingblindness.ie">avril.daly@fightingblindness.ie</a>
Olaszország	UNIAMO	39 0412410886	<a href="mailto:bellagambi.estero@uniamo.org">bellagambi.estero@uniamo.org</a>
Luxembourg	ALAN	352 266 112 1	<a href="mailto:bvogel@pt.lu">bvogel@pt.lu</a>
Hollandia	VSOP	31 35 603 40 43	<a href="mailto:c.oosterwijk@vsop.nl">c.oosterwijk@vsop.nl</a>
Románia	RONARD	40 260 616 585	<a href="mailto:doricad@yahoo.com">doricad@yahoo.com</a>
Spanyolország	FEDER	34 91 534 43 42	<a href="mailto:direccion@enfermedades-raras.org">direccion@enfermedades-raras.org</a>
Portugália	FEDRA	35 1 217786100	<a href="mailto:assessoria.fedra@hotmail.com">assessoria.fedra@hotmail.com</a>
Nagy-Britannia	Rare Diseases UK	442 077 043 141	<a href="mailto:Melissa@raredisease.org.uk">Melissa@raredisease.org.uk</a>
USA	NORD	1 203 744 01 00	<a href="mailto:mdunkle@rarediseases.org">mdunkle@rarediseases.org</a>



## 7. Kinek szervezzük a Ritka Betegségek Világnapját?

- Döntéshozók
  - európai és nemzeti egészségügyi hatóságok
  - parlamenti képviselők
- Kutatók, klinikai szakemberek, akadémikusok
- Gyógyszer- és biotechnológiai ipar
- Tágabb társadalom
- Média (mint a közvélemény megszólítására alkalmas eszköz)





## 8. Milyen célokat szolgál ez a nap?

A 2010-es Ritka Nap fő célja, hogy a közvélemény és a döntéshozók körében ismertebbé tegye a ritka betegségek problémakörét és azoknak a betegek életére gyakorolt hatását. Idén kiemelten az alábbi célok elérésére törekszünk:

- ráirányítani a kutatók érdeklődését a ritka betegségek területére
- elősegíteni a kutatók és a betegek együttműködését
- formálni a szakpolitikát és a kutatási programot
- biztosítani, hogy a betegek aktív szereplőként vehessenek részt a kutatásokban
- a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatási szükségletek és prioritások meghatározása

(ehhez felhasználhatók lesznek a felmérés eredményei lásd: 10. Fejezet keretezett írása)

A Ritka Nap további céljai:

- tudatosítani a ritka betegségek problémáját, és népegészségügyi prioritásként hangsúlyozni a jelentőségét
- a betegek képviselőinek megerősítése
- közelebb hozni egymáshoz az érintetteket
- az irányvonalak, akciótervek koordinálása az egyes országokban
- biztosítani az ellátáshoz és kezeléshez való egyenlő hozzáférést, reményt, információt és segítséget biztosítani a krónikus ritka betegeknek, különösen azok számára, akiknek a támogatói hálózata nem elérhető vagy nem ismert
- mind európai, mind hazai szinten szponzorokeresés, adományszervezés az akciók megvalósításához

Mi még egy témával kiegészítettük a fentieket, csatlakozva az Európai Unió által meghirdetett „szegénység és a társadalmi kirekesztés elleni küzdelem európai évéhez”. Ennek jegyében született az idei Ritka Világnapot és a problémakört bemutató filmünk: <http://sites.rirosz.hu/rbv/ritka-nap-2010/videok-2010>



## 9. Mi fog történni európai szinten?



Marianna, Finnország, Prader-Willi Szindróma

2010. március 1-én az EURORDIS szervezni fog egy rendezvényt Brüsszelben.

Az egynapos workshop meghívott résztvevői előtt - európai és nemzeti kutatói testületek, az Európai Bizottság döntéshozói, az Európai Gyógyszer Ügynökség (European Medicine Agency, EMA), a gyógyszeripar képviselői, kutatók, betegszervezetek és a média munkatársai – kívánunk fellépni egy **olyan jövőbeni, európai uniós kutatási program kialakításáért, amely figyelembe veszi a betegek szempontjait.**

Az esemény szervezésében részt vesz a 10 tagot számláló E-Rare (ERA-Net for research programs on rare diseases – ERA-Net a ritka betegségek témakörébe folyó kutatási programokért) gyűjtőszervezet is, amelyben köztestületek, minisztériumok és kutatásokat irányító szervezetek útján 8 ország képviselteti magát. Az E-Rare a ritka betegségek nemzeti/regionális kutatási programjainak fejlesztéséért és irányításáért felelős. Az E-Rare célja: előmozdítani a ritka betegségek kutatásait Európában.

A rendezvényt támogatja az Európai Bizottság Kutatási Főigazgatósága (DG Research) is. Reméljük, hogy a Kutatási Főigazgató a rendezvényt megnyitó politikai beszédében a betegközpontú kutatások fontosságát fogja hangsúlyozni. Ezt követően egy prezentáció keretében bemutatják a Kutatási Főigazgatóság támogatásával jelenleg futó kutatási tevékenységeket.

Az E-Rare ismertetni fogja a kezdeményezésüket, továbbá a kutatási területek prioritizálása érdekében a kutatók és más érintettek bevonásával végzett felmérések eredményeit.

Az EURORDIS 'A betegek lehetőségei a kutatások támogatására és főbb irányelveik' tárgyú közvélemény kutatás eredményeit mutatja be (lásd: keretezett írás, felmérés, 18. oldal). Ebben szerepeltünk mi magyar betegszervezetek olyan kiugró teljesítménnyel, amiért mindenkinek jár a köszönet!

Az Orphanet számára is lehetőséget biztosít a rendezvény ahhoz, hogy bemutathassák a kutatási trendek meghatározásáról szóló R(are)D(isease) Platform adatgyűjtő tanulmányt. RD Platform azokat a ritka betegségekre specializálódott kutatókat segíti, akik olyan multidiszciplináris kutatói csapatokba tömörülnek, amelyek alkalmasak arra, hogy jövőbeni kutatásokra vonatkozó javaslatokat fogalmazzanak meg a 27 tagállamra nézve.



A délutáni program a Kutatási Főigazgatóság (DG Research) előadásaival folytatódik:

- mi várható a jövőben a ritka betegségek ügyeinek anyagi támogatása terén;
- továbbá az Europlan Projekt keretében megfogalmazott ajánlások ismertetése, az RD kutatások a Nemzeti Terveken/Stratégiákon keresztül való támogatásának elősegítésére.

EURORDIS kihasználja a záró előadást a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatások elősegítésére. Az előadás keretében morális, jogi, tudományos, közgazdasági és politikai érvekkel indokolva, miért szükséges a ritka betegségek kutatásába befektetni.

Minden előadás végén nyilvános fórum keretében meghatározzuk a fő üzeneteket, illetve megfogalmazunk ajánlásokat.

Ez a feladat elősegíti azt, hogy **a kutatások vonatkozásában a ritka betegek közös álláspontját kialakíthassuk, továbbá egy lépéssel közelebb visz minket ahhoz, hogy megbizonyosodjunk arról, hogy a jelen és jövőbeni kutatási keretprogramok tartalmazzák a ritka betegségeket is.**

A rendezvény helyszíne az Európai Bizottság vagy a Belga Tudományos Múzeum (Belgian Museum of Science) épületében lesz.

A további részleteket tartalmazó sajtóközleményt az EURORDIS jelenteti meg a rendezvény időpontja előtt. A napirend elérhető lesz a [www.rarediseaseday.org](http://www.rarediseaseday.org) honlapon.

### A felmérés

Az EURORDIS - annak felmérésére, hogy **a betegek szempontjából milyen kutatási területeknek kellene elsőbbséget biztosítani** - a 2009. október közepétől 2009. december közepéig tartó időszakban on-line közvélemény kutatást végzett a betegszervezetek között. A felméréssel azt is szeretnénk kideríteni, hogy **a betegek milyen módon működnek együtt a kutatókkal** és ez az együttműködés milyen mértékben volt pozitív vagy negatív. A felmérés eredményeit felhasználva a nemzeti szervezetek saját országukon belül is hatékonyabban léphetnek fel azért, hogy több és jobb kutatás induljon meg a ritka betegségek területén. Azért, hogy a felmérés eredményeinek minél nagyobb súlya legyen, **a megfogalmazható fő üzeneteket a 2010-es Ritka Nap alkalmával fogják publikálni.** A felmérés eredményessége nagymértékben függ a résztvevő betegszervezetek számától. Ezért különösen örvendetes, hogy a magyar ritka betegszervezetek kiugró aktivitással vettek részt benne!

**Hasznos linkek (további információkért):**

**E-Rare:** [www.e-rare.eu](http://www.e-rare.eu), **RD Platform:** [www.rdplatform.org](http://www.rdplatform.org),  
[http://ec.europa.eu/dgs/research/index\\_en.html](http://ec.europa.eu/dgs/research/index_en.html)

**DG Research:**



# 10. Mi fog történni a különböző országokban?



Lilwen, Franciaország, Aniridia

A Ritka Betegségek Világnapjához kapcsolódva számtalan program kerül megvalósításra a nemzeti betegszervezetek szervezésében a résztvevő országokban. Az EURORDIS a következő lehetséges tevékenységeket javasolja. Természetesen mindezek egyénileg változhatnak az anyagi, az elérhető idő és támogatások, valamint a tervezett stratégia adta kereteken belül.

Mindezek megtekinthetők majd közös honlapunkon a [www.rarediseasday.org](http://www.rarediseasday.org) címen.

Néhány megvalósítható ötlet:

**Levél, ill. e-mail kampány szervezése** a helyi és/vagy nemzeti politikusok és döntéshozók irányába. Célja, hogy cselekvésre ösztönözzük őket a ritka betegséggel élők érdekében. A levélben foglalt témák a ritka betegséggel élők helyzetét mutassák be az adott ország viszonyai között.

**Sajtóközlemény küldése a média képviselőinek.**

**Az Európai Parlament Képviselői/ Egészségügyi Miniszter látogatásának megszervezése egy olyan kutatói laboratóriumba, ahol a saját betegségeddel foglalkoznak.** A betegszervezetek képviselői és a média szintén meghívást kaphat.

**Interjúk szervezése a média bevonásával,** amikor alkalom nyílik a ritka betegséggel élők helyzetének bemutatására (magazinok, újságok, televíziók, rádiók).

**Közösségi megmozdulások, események szervezése** a ritka betegségekhez, és az érintettek számára különösen fontos témákhoz kapcsolódva (konferencia, műhelymunkák, séták, tüntetések, sport rendezvények stb.)

**Egy különleges/híres személyiség megjelenése,** mint a nap védnöke vagy a már meglévő védnökünk bevonása.

**Díjátadó** azoknak a személyeknek, akik hatékonyan vagy kitartóan kiálltak a ritka betegek érdekei mellett.

**Verseny szervezése,** melynek középpontjában a ritka betegségek állnak: fotó-, művészeti-, prózáirói pályázat stb.

**Segélyvonal indítása,** hogy kezelni lehessen a megnövekedett érdeklődést vagy a már meglévő segélyvonal bővítése.

**Poszterek, logók és egyéb figyelemfelhívó megjelenések.**



**Matricák és szórólapok terjesztése** az utcán, iskolákban, kórházakban, egyetemeken

**Találkozók egyeztetése** a helyi és országos képviselő testületekkel.

**Adományszervező rendezvények vagy egyedi kampány megvalósítása:** adományok gyűjtése az utcán/ saját honlapon/ különleges vendégek meghívásával vacsora szervezése/ levél kampány/ egyedi tárgyak árulása/ szervezetek összefogása adományszervezés céljából vagy hosszú távú partnerség kialakítása.

**Az idei fő témához kapcsolódóan:**

**A kutatásért felelős politikai döntéshozóknak találkozó szervezése,** arról, hogy hogyan lehetne beilleszteni a nemzeti kutatások rendjébe a ritka betegségeket.

**Kutatók meghívása egy betegek szervezte találkozóra** annak érdekében, hogy javuljon a két fél közötti jobb megértés.

**„Dönts játszva” játék szervezése** a kutatásokhoz kapcsolódó témákban.

**Média megjelenések szervezése,** amikor kifejthető a kutatások támogatása egyesületi szinten (anyagi finanszírozási háttér megteremtése, klinikai próbák választéka stb.)

**A kedvenc kutatóval készült (video) interjú közzététele a saját weblapon.**

**Sztori Bank** létrehozása, hogy a ritka betegséggel élők hogyan segítik elő a kutatást, amik később a média megjelenések kapcsán felhasználhatóak lesznek. (Biztosítsd magad, hogy a történeteket beküldők tisztában legyenek azzal, hogy történetük esetleg részleteiben vagy teljes egészében széles nyilvánosság számára feldolgozásra kerül).



# 11. Hasznos eszközök

## 1. Logók



e-mail lábjegyzet



banner



## 2. Szlogen (a CNA gyűlésén meghatározva 2009. 11. 05-én)

“Betegek & Kutatók: Partnerség az életért!”

## 3. Poszter (a CNA gyűlésén meghatározva 2009. 11. 05-én)

(Lásd az utolsó oldalon. Véglegesítése folyamatban)

## 4. Honlap: <http://sites.rirosz.hu/rbv/>; [www.rareDiseaseday.org](http://www.rareDiseaseday.org) (folyamatosan frissítve)

## 5. Tájékoztató szóróanyagok:

[Mik azok a ritka betegségek?](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_RD.pdf) (www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact\_Sheet\_RD.pdf)

[Mik azok az „árva gyógyszerek”?](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_OD.pdf) (www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact\_Sheet\_OD.pdf)

[Ritka betegcsoportok az EU-ban](http://www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact_Sheet_PO.pdf) (www.eurordis.org/IMG/pdf/Fact\_Sheet\_PO.pdf)

... és még további anyagok tölthetők le ezen az oldalon: [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)

## 6. Sajtóközlemény



# Sajtóközlemény terve



## Ritka Betegségek Világnapja

2010. február 28.

**Hősök tere, (2010. február 27, 9. óra), és Magyar Mezőgazdasági Múzeum, (2010. február 28, 10 óra).**

**A Ritka és Veszélyeztetett Rendellenességgel élők Országos Szövetsége** 2010. február 27-28-án hazánkban is megrendezi a Ritka Betegségek Világnapját, Budapesten.

A Ritka Betegségek Világnapja 2010. fő célja felhívni a figyelmet a ritka betegséggel élőkre, gondolataikra, és azok életükre gyakorolt hatásaira, valamint megerősíteni, hogy ezt a területet továbbra is népegészségügyi prioritásként kezeljék. Az idei Ritka Betegségek Világnapja lehetőséget biztosít, hogy közben járjunk az illetékes döntéshozóknál és a tudományos szakma képviselőinél annak érdekében, hogy növeljük az érdeklődést és a ritka betegségekhez kapcsolódó kutatások támogatottságát.

A EURORDIS és a ritka betegeket tömörítő hazai tagszervezete, a RIROSZ, együttműködő partnereikkel remélik, hogy ennek a napnak a segítségével sikerül felhívni a figyelmet a gyakran halálos, krónikus ritka betegségekre és az ezekben szenvedő betegek szükségleteire.

“A Ritka Betegségek Világnapjának köszönhetően megnövekedett koncentrált figyelem egyenes eredményeként, reményeink szerint minden résztvevő országban fejlődésnek indul a nemzeti egészségügyi ellátórendszer, különös tekintettel a diagnosztika hozzáférhetőségére és minőségére, a ritka betegséggel élők kezelésére és gondozására”, mondta Yann Le Cam, a EURORDIS ügyvezető igazgatója.

A ritka betegségek az életet veszélyeztető, vagy krónikus leépüléssel járó betegségek, melyek gyakran nagy fájdalommal járnak. Napjainkban még mindig nincs létező gyógymód 6000-8000 féle létező ritka betegségre, melynek 75%-a gyermekeket érint.

Magyarországon megközelítőleg 800 000 ember szenved valamely ritka betegségben. A körülöttük élő családtagokkal, és a velük foglalkozó szakemberekkel együtt ez több mint 4 millió közvetlenül, vagy közvetetten érintettet jelent! Szerencsére sokuk rendszeres odafigyeléssel akár tünetmentes is lehet, ugyanakkor mások a súlyos egészségügyi és szociális gondok mellett nem tudnak bekapcsolódni még a rendelkezésre álló nagyon kevés (re)habilitációs programba sem, sok esetben pedig nincs is célszerűen felépített gondozási intézményrendszer Magyarországon.

Reméljük, hogy a rendezvényen sikerül az érintettek számára olyan fórumot teremteni, ahol a családok, érdekérvényesítő szervezeteik, a politikai döntéshozók, a szakemberek, kutatók, gyógyszergyártó cégek közösen tudják megvitatni a ritka betegségekkel élők jelenlegi és jövőbeli helyzetét, terveit.



A részletes program a [www.rirosz.hu](http://www.rirosz.hu) oldalról követve a rendezvény saját honlapján megtekinthető itt: <http://sites.rirosz.hu/rbv/>

Az idei év fő témája a: „Híd a betegek és kutatók között: Betegek és Kutatók: Partnerség az életért!” címmel, a ritka betegségek gyógyítását célzó kutatás lesz, hangsúlyozva a kutatók és a betegek közötti együttműködés fontosságát. Ugyanakkor tekintettel arra, hogy 2010. a szegénység és kirekesztés elleni küzdelem európai éve, az idei „beharangozó” kisfilmünk témája a ritka betegeket is sújtó kirekesztés.

(lásd: <http://sites.rirosz.hu/rbv/ritka-nap-2010/videok-2010>)

Védnökeink: Dr. Sólyom László, Sólyom Erzsébet, Mádl Dalma és Göncz Árpádné asszony

#### **Tudnivalók az RIROSZ-ról**

- A ritka betegségek magyarországi szervezete (RIROSZ) 2006 májusában alakult meg hosszú évek előkészítő munkája után, nyolc alapító betegszervezet összefogásával. Napjainkban hazánk 17 olyan betegszervezetét, és számos egyéni tagját tömöríti, akik aktívan tevékenykednek a ritka betegségek területén.
- A RIROSZ meggyőződése, hogy világszerte a betegeknek kell az egészségügy középpontjában állniuk.
- A RIROSZ küldetése, hogy hazánkban segítse a ritka betegséggel élőket és családjaikat.

További tájékoztatásért forduljon a következő munkatársunkhoz:

Pogány Gábor Ph.D.

elnök

Ritka és Veleszületett Rendellenességgel Élők Országos Szövetsége

Tel: +36 1 326-7492

Fax: +36 1 314-6664

E-mail: [pogany@williams.ngo.hu](mailto:pogany@williams.ngo.hu)

Honlap: [www.rirosz.hu](http://www.rirosz.hu)

-VÉGE-

#### **• Bővebb információt találhatunk az alábbi magyar nyelvű könyvben:**

- ❖ [RITKÁK - RITKA ÉS VELESZÜLETETT RENDELLENESSEGGEL ÉLŐK ÉS TÁMOGATÓ SZERVEZETEIK - Hasznos tudnivalók a hazánkban elérhető információforrásokról.](#) (Ajánlható nem csak ritka betegeknek)

A könyv beszerezhető a RIROSZ-tól, de ugyancsak letölthető a fenti linket követve a Rirosz honlapjáról is (pdf file, 2,4 MB):

<http://www.rirosz.hu/modules/publikaciok/ritkak.pdf>





# 12. Gyakorlati útmutató



Francesca, diasztrófikus törpenövés

## ➤ **Hogyan működik a közös nemzetközi honlap?**

Minden nemzeti szövetség, ill. az országos szervező(k) önállóan szerkeszthetik a központi honlap „Országról országra” fejezete alatt található saját weblapjukat.

Az alábbi információkat lehet beépíteni az országok saját oldalára:

- Bevezető oldal angolul (kép/fénykép+a védnök szöveges vagy video üzenete, esetleg az országonként tervezett program rövid bemutatása)
- Ugyanaz a bemutatkozó oldal (a saját nyelven)

- Eseménynaptár

Csak a nemzeti egyesületeknek lesz lehetősége egy külön panelt alkalmazni, amely az alábbiakat tartalmazza:

- az egyesület logója
- az egyesület rövid bemutatása és a saját weboldalra mutató link elhelyezése

## ➤ **Hogyan valósul meg a “Ritka Betegségek Barátja” program?**

A Ritka Betegségek Világnapja nyitott mindenki számára, aki részt kíván venni a programon (egyének, betegcsoportok, nemzeti egyesületek, európai szövetségek, egészségügyi szakértők, kutatók, gyógyszerészeti és biotechnológiai cégek, egészségügyi hatóságok, stb.)

A honlapon megtekinthető lesz azon emberek és szervezetek listája, akik a „Ritka Betegségek Világnapja Barátja”-ként feliratkoznak. A lista napi rendszerességgel frissül a Napot megelőző hetekben, annak érdekében, hogy a lista növekedése követhető legyen mindazok számára, akik szervezőként részt vesznek, s így újabb lendületet kapjanak tőle.

Ahhoz, hogy a „Ritka Betegségek Világnapja Barátja”-vá váljon valaki, az érdeklődőnek azonosulnia kell a Ritka Betegségek Világnapja szellemiségével és közvetíteni az információkat, törekedni a Nappal kapcsolatos érdeklődés felkeltésére.

A gyakorlatban ez azt jelenti, hogy üzenetet írhat a honlap „Letöltések” szekciójába, pl. az alábbiak szerint:



Emberek tömegei csatlakoznak világszerte, hogy 2010 februárjának utolsó napján (2010.02.28.), a 3. éve megrendezésre kerülő Ritka Betegségek Világnapja kapcsán felhívják a figyelmet a ritka betegségekre és a biztonságos és hatásos kezelések szükségességére. Az EURORDIS nemzetközi szinten koordinálja a projektet meghívva minden betegszervezetet, gondviselőt, kutatót és az „árva gyógyszereket” fejlesztő ipar képviselőit, hogy csatlakozzanak ehhez a kezdeményezéshez. A cél, hogy segítse fókuszálni a figyelmet a ritka betegségekre, az azok által támasztott kihívásokra és a diagnosztizálás és kezelések fejlesztését szolgáló kutatások jelentőségére.

Ha csatlakozni szeretne e különleges nap résztvevőjéhez, akkor adja meg a nevét a “Ritka Betegségek Barátja” listán.

A Partnereket arra kérjük, hogy:

- a Ritka Betegségek Világnapja logót helyezték el honlapjukon és a média megjelenéseikben.
- honlapjukról link mutasson a rendezvény honlapjára <http://sites.rirosz.hu/rbv/> ; [www.rarediseaseday.org](http://www.rarediseaseday.org)
- segítsék elő a Ritka Betegségek Világnapjával kapcsolatos média tudósítások létrejöttét pl. ajánljanak történeteket a saját média kapcsolataiknak a megelőző napokban, hetekben.
- próbáljanak ők is figyelemfelhívó tevékenységet szervezni a naphoz közeledve

A “Ritka Betegségek Barátja” internetes adatlapja:

Szervezet neve .....

Ország.....

( )EURORDIS tag ( ) egyéb betegszervezet, ( ) cég ( ) beteg ( ) gondozó ( ) egyéb

Kontaktszemély e-mail címe:.....

Honlap: .....

Honlapszerkesztő e-mail címe .....

Ha elküldi hozzánk a kitöltött adatlapot, akkor az Ön neve és e-mail címe felkerül a “Ritka Betegségek Barátja” listára, az esemény központi, nemzetközi honlapján.

Letöltheti a Ritka Betegségek Világnapja alábbi segédanyagait:

- 1, Plakát (nem változtatható pdf formátum)
- 2, Logo (nagy és kicsi)
- 3, Banner
- 4, e-mail lábléc
- 5, Információs füzet (pdf, ill. doc)

**Kérjük, hogy ezeket az esemény szellemében használják fel, azaz ne alkalmazzák kereskedelmi célokra őket, hanem azon globális összefogás szimbólumaként, mely a ritka betegséggel élők életének javítására törekszik!** Az Ön által kitöltött adatlap bizonyítja elkötelezettségét e különleges nap szellemisége mellett.

Köszönjük még egyszer, hogy e fontos eseményen mellénk állt.

A honlap „Kapcsolódj be” szekciója:

A Ritka Betegségek Világnapja mindenki számára nyitott.

**Amennyiben csatlakozni kíván, lépjen kapcsolatba a saját nemzeti Ritka Beteg Szövetségével.**

A listájuk a honlap „Országról országra” fejezeténél található a „Lásd a résztvevő Nemzeti Szövetségeket” résznl.

Ha az országában nincs Nemzeti Szövetség, vagy egy „ország főszervező, vagy egy páneurópai szervezetet képvisel, akkor is csatlakozhat felvéve a kapcsolatot az EURORDIS-al a [rarediseaseday@eurordis.org](mailto:rarediseaseday@eurordis.org) címen.

A honlap „Letöltések” részénél letölthető a program logója, egyéb kommunikációs eszközökkel együtt. **Csupán azt kérjük, hogy ezeket az esemény szellemében használják fel, azaz ne alkalmazzák**



**kereskedelmi célokra őket, hanem azon globális összefogás szimbólumaként, mely a ritka betegséggel élők életének javítására törekszik!**

Ha Ön ritka betegségben szenved, vagy egy betegszervezeti képviselő, akkor egyéb módokon is bekapcsolódhat:

- Benevezve a fotó, vagy video pályázatba
- Az ún. Fotófalra feltéve képeket vagy hozzászólásokat (saját anyanyelven megtehető)
- Csatlakozva a Ritka Világnap 2010 Facebook csoportjához
- Betegek és kutatók sikertörténeteinek beküldésével az [info@rirosz.hu](mailto:info@rirosz.hu), vagy a [rarediseaseday@eurordis.org](mailto:rarediseaseday@eurordis.org) címre

**Minél többen veszünk részt, annál nagyobb hatása lesz a napnak, és annál többet leszünk képesek tenni a ritka betegek érdekében!**

Köszönjük még egyszer, hogy e fontos eseményen mellénk állt.

### **Ötletek a kampány támogatásához:**

- Levél vagy e-mail kampány szervezése a helyi vagy országos politikusok és döntéshozók megkeresésével
- Sajtóközlemény küldése a médiának
- Nyilvános interjúk szervezése
- Adomány gyűjtés
- Rendezvények szervezése
- Egy híres ember megnyerése, hogy legyen a nap házigazdája, vagy ha már van patrónusa a szervezetnek az országban, akkor az Ő felkérésével.
- Díjak osztása olyan embereknek, akik ismertek arról, hogy hatásosan és kimagasló módon tettek valamit a ritka betegségekben érintettekért.
- Verseny, pályázat szervezése a ritka betegségekhez kapcsolódóan
- Segélyvonal létesítése az érdeklődőknek
- Poszterek, képek, vagy más figyelemfelkeltő dolgok felállítása
- Matricák, szórólapok osztása
- Találkozókat szervezni a helyi és a nemzeti hatóságokkal
- EP képviselő/ EÜ miniszter látogatásának megszervezése



## ➤ **Hogyan szervezzünk POLKA játékot?**

Szeretnél részt venni azon etikai kérdések eldöntésében melyek közvetlenül hatással vannak rád vagy más ritka betegséggel élő társadra, családtagjaidra? Gyakorold a véleményed mellett való kiállást és tanulj azoktól, akiknek a véleménye különbözik a tiédétől! Vegyél részt egy új játék programban, amit „Dönts játszva!”-nak neveznek ([www.playdecide.org](http://www.playdecide.org)). A POLKA projekt keretében 6, ritka beteget érintő téma kerül kidolgozásra, melyek 2010 januárjában letölthetőek lesznek az előbbi honlapról. Ezek a témák: őssejt kutatás, beültetés előtti genetikai diagnosztika, határon átvándorló egészségügyi ellátás, újszülöttek szűrése, meghatározható-e az egy betegre költendő költségvetési limit (pl: a ritka gyógyszerek esetében)?, diagnózis, információhoz jutás, genetikai konzultáció.

A „Dönts játszva!” program játékos jellege segíti az embereket, hogy olyan témában merjenek vitázni, melyről ez idáig csak kevés tudás állt rendelkezésükre. A CNA meetinget követően egy koktél-party keretében több csoportban szerveztünk „Dönts játszva!” játékot az Őssejt kutatás témájában. Ekkor nem csak saját élményű tapasztalatokat szereztek a küldöttek a játékról, de azt is megtanulhatták, hogyan szervezzenek hasonlókat a szervezeti tagoknak vagy hogyan tanítsák meg őket arra, hogy hogyan szervezhetnek maguk is hasonló eseményeket.

A EURORDIS és partnerei ( a Rirosz-t beleértve) határozták meg az eddig alkalmazott és még a jövőben kidolgozandó témákat, melyek a ritka betegségek esetén különleges jelentőségűek. E témákat lefordítjuk a legtöbb EU-ban használt nyelvre (magyarra is), így a betegek, családok, szülők, politikusok, egészségügyi szakértők is részt tudnak venni benne.

A cél, hogy legalább 600-1000 vitát szervezzünk 27 ország részvételével, 23 nyelvre lefordítva, országonként minimum 80 résztvevővel.

Annak érdekében, hogy célunkat elérjük, kérjük, jelentkezz és szervezz te is „Dönts játszva!” játékot. A játék bevezetőjét úgy terveztük, hogy mozgósítsa a betegeket és képviselőiket, hogy saját ügyük védelmezőivé váljanak, a ritka betegségek iránt felkeltse a figyelmet, de emellett általánosságban a kutatók és a tudományos testületek elérését is célozza, részvételre hívja.

Ha többet szeretnél megtudni erről vagy szeretnéd letölteni a játék csomagokat, ezen a weboldalon megteheted: [www.playdecide.org](http://www.playdecide.org)

Ha bármi kérdésed merül fel ezzel kapcsolatban, keresd: Boncz Beátát [bonczbea@rirosz.hu](mailto:bonczbea@rirosz.hu) vagy Anna Kole-t [anna.kole@eurordis.org](mailto:anna.kole@eurordis.org).



➤ **Hogyan szervezzünk meg egy eseményt tudományos központban vagy múzeumban?**

A „Dönts játszva!” játékokat a Tudományos Központok és Múzeumok Európai Hálózata („ECSITE”) fejlesztette ki. Az „Idegen szövetek átültetése”, a „Beültetés előtti diagnosztika”, az „Össejt kutatás” stb. témában már több hálózati tag alkalmazza Európa szerte a széles társadalmat bevonva.

A POLKA projekt kezdete óta az EURORDIS együttműködik az Ecsite hálózattal és örömmel veszik a megkereséseket, hogy segítsék hasonló programok szervezését a hálózat hazai tagjainak bevonásával.

A Tudományos Múzeumok teljes listája ezen a linken megtekinthető:

<http://www.ecsite.eu/?cat=8>





Rare Disease Day

# Ritka Betegségek Világnapja

[www.rirosz.hu](http://www.rirosz.hu)

Magyar Mezőgazdasági Múzeum, Városliget

2010

FEBRUÁR

28.

10:00-17:00-ig.

Betegek és Kutatók:  
Partnerség  
az Életért!

[www.rarediseaseday.org](http://www.rarediseaseday.org)

2010. 02. 27-én a Hősök terén figyelem felhívó „RITKA” előképet alkotunk 9:00-10:00-ig.

Photo: © Lutz BOSCHARD

