

Organized by   

INTERNATIONAL CONGRESS ON
**Rare Diseases
& Orphan Drugs**



THURSDAY
29/02/24
& FRIDAY
01/03/24

TECHNOPOLIS CITY OF ATHENS
Gasholder 1 - Auditorium "Miliadis Evert"
& LIVE STREAMLINED

ΔΕΛΤΙΟ ΤΥΠΟΥ

Διεθνές Συνέδριο για τις Σπάνιες Παθήσεις και τα Ορφανά Φάρμακα ΣΠΑΝΙΕΣ ΑΣΘΕΝΕΙΕΣ: Η ΑΜΕΣΗ ΠΡΟΤΕΡΑΙΟΤΗΤΑ ΤΗΣ ΔΗΜΟΣΙΑΣ ΥΓΕΙΑΣ

Αθήνα, 6 Μαρτίου, 2024: Σε συνέχεια της φετινής Παγκόσμιας Ημέρας Σπανίων Παθήσεων, η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος (Ε.Σ.Α.Ε.) μέλος του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Σπανίων Παθήσεων (EURORDIS - Rare Diseases Europe) και η BOUSSIASEvents διοργάνωσαν το [Διεθνές Συνέδριο για τις Σπάνιες Παθήσεις και τα Ορφανά Φάρμακα](#) υβριδικά στις 29 Φεβρουαρίου στην Τεχνόπολη Δήμου Αθηναίων και διαδικτυακά την 1^η Μαρτίου 2024, με τη φυσική παρουσία 31 και τη διαδικτυακή παρουσία 32 διακεκριμένων Ελλήνων και ξένων ομιλητών, και περισσότερων από 380 συμμετεχόντων από 15 χώρες σε όλο τον κόσμο. Το Συνέδριο, το οποίο τέλεσε υπό την αιγίδα του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου, του Ελληνικού Υπουργείου Υγείας και του Δήμου Αθηναίων, με την υποστήριξη μεγάλων διεθνών και ελληνικών Οργανισμών, συγκέντρωσε φέτος το ενδιαφέρον της διεθνούς κοινότητας, εστιάζοντας στην: «Πλοήγηση στο Αχαρτογράφητο: Εξελίξεις, Συνεργασίες και Ελπίδες στις Σπάνιες Παθήσεις». Η έναρξη του Συνεδρίου κηρύχθηκε από τους συντονιστές Δημήτριο Αθανασίου, Πρόεδρο Ε.Σ.Α.Ε., Παιδιατρική Επιτροπή EMA, Μέλος Δ.Σ. 95, WDO, ΕΝ.ΑΣ.ΕΛ., και Βασιλή Καρατζιά, Πρόεδρο Ελληνικού Συνδέσμου Ataxia Friedreich, Διευθυντή Γραφείου Νομικών Συμβούλων, NATO Rapid Deployable Corps, Ελλάδα. Ο Δημήτριος Αθανασίου τόνισε την ανάγκη η Πολιτεία και οι εμπλεκόμενοι φορείς να θέσουν τα Σπάνια Νοσήματα ως Εθνική Προτεραιότητα και να συνδράμουν τις προσπάθειες που γίνονται στην Ευρώπη για τη δημιουργία του Ευρωπαϊκού Σχεδίου Δράσης. Με τις Σπάνιες Ασθένειες να επηρεάζουν έως και το 5% - 7% του πληθυσμού, δηλαδή πάνω από 500.000 οικογένειες, είναι σημαντική η άμεση υπογραφή και ενεργοποίηση του Εθνικού Μητρώου Σπάνιων Ασθενειών, αλλά και η ανανέωση, και τελικά η εφαρμογή του αντίστοιχου Εθνικού Σχεδίου Δράσης εντός του 2024. Χρειάζεται μια ολιστική αντιμετώπιση των Σ.Π. στη χώρα μας για την πρόληψη, την ισότιμη πρόσβαση σε θεραπείες, δράσεις για ολιστική υποστήριξη των ασθενών και των οικογενειών τους, καθώς και καμπάνιες ευαισθητοποίησης του κοινού για την εξάλειψη του στίγματος απέναντι στους σπάνιους ασθενείς.

Ελληνικός Κατάλογος Σπανίων Νοσημάτων και δημιουργία Εθνικού Μητρώου για τις Σπάνιες Ασθένειες

«Υπόσχομαι ότι θα είμαι απολύτως παρών στους αγώνες των ασθενών με τις Σπάνιες Παθήσεις, γνωρίζω από το πολύ κοντινό μου περιβάλλον τις προκλήσεις των ασθενών με σπάνια νοσήματα», δήλωσε ο Υπουργός Υγείας, **Άδωνις Γεωργιάδης**, ανοίγοντας τις εργασίες της πρώτης ημέρας του Διεθνούς Συνεδρίου. «Είμαι απόλυτα ενήμερος για τον αριθμό των οικογενειών που αντιμετωπίζουν με θάρρος ασθένειες, οι οποίες είναι άγνωστες στους περισσότερους από εμάς. Η παρουσία μου εδώ είναι το μήνυμα του Υπουργείου ότι θα είμαστε παρόντες. Επιπλέον, θα υπάρχει διάταξη στο επόμενο Νομοσχέδιο για να έχουν διαφορετική αντιμετώπιση τα ορφανά φάρμακα όσον αφορά το clawback», δήλωσε ο Υπουργός Υγείας και πρόσθεσε ότι δεν υπάρχει περίπτωση η Κυβέρνηση να μην εξασφαλίσει την πρόσβαση των ασθενών στην Καινοτομία. «Η Ελλάδα έχει μείνει πίσω όσον αφορά το Εθνικό Σχέδιο Δράσης για τις Σπάνιες Παθήσεις, και αυτό θα αλλάξει», είπε χαρακτηριστικά ο Υπουργός Υγείας, και δεσμεύτηκε ότι πρωτεργάτης στον σχεδιασμό του θα είναι η Ένωση Σπανίων Ασθενών Ελλάδος. Αντίστοιχα και η

Αναπληρώτρια Υπουργός Υγείας, **Ειρήνη Αγαπηδάκη**, σε γραπτό της μήνυμα που απέστειλε, τόνισε την ακλόνητη δέσμευση της Κυβέρνησης για την αντιμετώπιση των σπάνιων ασθενειών, η οποία αποδεικνύεται με συγκεκριμένες ενέργειες και πρωτοβουλίες. Αναφέρθηκε στην εθνική στρατηγική που ξεκίνησε επίσημα πλέον από τις 17/01/2024 και περιλαμβάνει τόσο τον Ελληνικό Κατάλογο Σπανίων Νοσημάτων, όσο και τη δημιουργία ενός Εθνικού Μητρώου για τις Σπάνιες Ασθένειες, ένα κρίσιμο βήμα προς την κατανόηση, τον επιπολασμό και την κατανομή αυτών των συνθηκών στον πληθυσμό μας. Το Μητρώο δεν θα είναι απλώς μια βάση δεδομένων, αλλά ένα εργαλείο για την εκτίμηση της επιδημιολογίας της κάθε σπάνιας νόσου, που, διασυνδεδεμένο με τον Εθνικό Ηλεκτρονικό Φάκελο Υγείας, θα συνοδεύει τον κάθε πολίτη σε όλο του το ταξίδι», επεσήμανε η υπουργός. Ο Ευρωβουλευτής **Στέλιος Κυμπουρόπουλος** εξέφρασε την ικανοποίησή του ως σπάνιος ασθενής, ως ιατρός και ως πολιτικός για το γεγονός πως πλέον η κάθε εθνική και ευρωπαϊκή στρατηγική έχει μία ολιστική θεώρηση για τον σπάνιο ασθενή, βάζοντάς τον στο επίκεντρο, ωστόσο σημείωσε ότι ακόμα η Ευρώπη δεν έχει καταλάβει πλήρως το σημαντικό έργο των Κέντρων Αναφοράς, και γίνονται προσπάθειες για να γίνει αυτό κατανοητό, ώστε να αυξηθεί και η χρηματοδότησή τους. Ανέφερε ότι στο πλαίσιο της αλλαγής της φαρμακευτικής στρατηγικής στο Ευρωπαϊκό Κοινοβούλιο έχουν δημιουργηθεί διαφορετικές πολιτικές συμμαχίες, εκ των οποίων δύο είναι οι κυριότερες: Αυτή που αναφέρει ότι πρέπει να διατηρηθεί η πατέντα των οκτώ ετών για τα φάρμακα, και η άλλη που πιέζει για μείωση της πατέντας στα έξι χρόνια. Τόνισε ότι εάν περάσει η άποψη της δεύτερης συμμαχίας, καμία εταιρεία δεν θα φέρει στην Ευρώπη καινοτόμο φάρμακο. Τέλος, ανέφερε ότι καθώς η Επιστήμη και οι Κοινωνίες μας εξελίσσονται, η περιφρούρηση των δικαιωμάτων των σπάνιων ασθενών είναι ένας συνεχής αγώνας, στον οποίο ο ίδιος συμμετέχει όλη του τη ζωή, και θα συνεχίσει να συμμετέχει, μέσα από κάθε ρόλο του. Στο θέμα της πατέντας αναφέρθηκε στην ομιλία του και ο Γενικός Διευθυντής του ΣΦΕΕ, **Μιχάλης Χειμώνας**, τονίζοντας χαρακτηριστικά ότι οποιαδήποτε πρόθεση μείωσης του οικοσυστήματος της πατέντας θα έχει άμεση επίπτωση στην πρόσβαση των ασθενών σε καινοτόμα φάρμακα. Αναφέρθηκε σε μελέτη που διεξήγαγε η Dolon, κατόπιν αιτήματος της ΕΦΡΙΑ (Ευρωπαϊκής Ομοσπονδίας Φαρμακευτικών Βιομηχανιών και Ενώσεων), σύμφωνα με την οποία αν ίσχυαν σήμερα οι αλλαγές που προτείνει η Ε.Ε., και πάρουμε ως βάση τα 375 ορφανά φάρμακα που θα αναπτυχθούν μεταξύ 2020-2035, τότε μιλάμε για 135 λιγότερα ορφανά φάρμακα! Παράλληλα, σύμφωνα με την ίδια μελέτη, η μείωση του χρόνου προστασίας των δεδομένων (regulatory data protection) μειώνει το κίνητρο των εταιρειών που βασίζονται στην Ε&Α να επενδύσουν στα νέα φάρμακα 55% μέσα στα επόμενα 15 χρόνια, ενώ το 22% των προγραμμάτων Ε&Α δεν θα είναι πλέον οικονομικά βιώσιμο με πιθανό αποτέλεσμα η Ευρώπη να χάσει περίπου 50 από τις 225 νέες θεραπείες που αναμένονται τα επόμενα 15 χρόνια.

Έγκαιρη διάγνωση και ολιστική αντιμετώπιση των σπανίων νοσημάτων

Με επίκεντρο τα Κέντρα Εμπειρογνωμοσύνης Σπανίων Νοσημάτων

Στις προτεραιότητες του υπουργείου Υγείας εστίασε η Γενική Γραμματέας Υπηρεσιών Υγείας, **Λίλιαν-Βενετία Βιλδιρίδη**, πάντα σε συνεργασία με τους ασθενείς. Μίλησε για την έγκαιρη διάγνωση και ολιστική αντιμετώπιση των σπανίων νοσημάτων, με επίκεντρο τις 37 δομές υγείας που έχουν αναγνωριστεί ως Κέντρα Εμπειρογνωμοσύνης σπανίων νοσημάτων και μπορούν να προσφέρουν ολοκληρωμένη διάγνωση και θεραπεία. Όπως ανέφερε η κα Βιλδιρίδη, στο επόμενο διάστημα θα είναι έτοιμο το πρώτο μητρώο για ασθενείς με σπάνιες αιματολογικές παθήσεις, και θα ακολουθήσουν μητρώα ασθενών με σπάνια οφθαλμολογικά και ηπατικά νοσήματα. Μια άλλη παρέμβαση, τόνισε η κα Βιλδιρίδη, είναι το Εθνικό Σχέδιο Δράσης για τα Σπάνια Νοσήματα. Τον περασμένο Νοέμβριο κατατέθηκε το επικαιροποιημένο σχέδιο προτάσεων, και άμεσα προχωρά η εξέτασή τους από το υπουργείο. Στη χρηματοδότηση της Υγείας, και ειδικότερα στα ζητήματα χρηματοδότησης του φαρμάκου και των θεραπειών για τις σπάνιες παθήσεις αναφέρθηκε στην τοποθέτησή της η Γενική Γραμματέας Δημοσιονομικής Πολιτικής του Υπουργείου Εθνικής Οικονομίας και Οικονομικών, **Παυλίνα Καρασιώτου**. «Είμαστε στην αρχή της συζήτησης για τα σπάνια νοσήματα και την αντιμετώπισή τους» ανέφερε, ενώ πρόσθεσε: «Χρειαζόμαστε ένα πλαίσιο για τα ορφανά φάρμακα που να διασφαλίζει τη γρήγορη και απρόσκοπτη πρόσβαση των ασθενών σε αυτά, την παρακολούθηση των τιμών και των καναλιών τροφοδοσίας, αλλά και

την αποτελεσματικότητα αυτών, καθώς, στο σύνολό τους σχεδόν, πρόκειται για νέα και καινοτόμα φάρμακα. Πάνω σε αυτό έχουμε αρχίσει να δουλεύουμε οι συναρμόδιοι φορείς». Η κα Καρασιώτου τέλος αναφέρθηκε σε βήματα που έχουν γίνει τα τελευταία χρόνια, ώστε να καταστούν οι σπάνιες παθήσεις πιο ορατές κυρίως όσον αφορά στην αξιολόγησή τους, αλλά και στην ανάγκη πέρα από τη θεραπεία να μιλήσουμε και για την πρόληψη. Τέλος, η **Cornelia Zanetti**, General Manager Greece, Malta & Cyprus, TAKEDA Hellas SA, τόνισε ότι πρέπει να δώσουμε σημαντικά κίνητρα για κλινικές δοκιμές και έρευνα για τις σπάνιες παθήσεις, ώστε να αποκτήσουν πρόσβαση σε νέες θεραπείες, και αφού εγκριθούν, πρέπει να αντιμετωπίσουμε διαφορετικά τα ορφανά φάρμακα, ώστε να διατηρηθεί η πρόσβαση των ασθενών. Επιπλέον, πρέπει να αναγνωρίσουμε τις σπάνιες ασθένειες ως προτεραιότητα της Δημόσιας Υγείας στην Ελλάδα, όπως έχει ήδη αναγνωριστεί σε επίπεδο Ε.Ε., και πρέπει να συνεργαστούμε δυναμικά στο οικοσύστημα της Υγείας: οι ασθενείς, οι οικογένειες και οι φροντιστές τους, οι κλινικοί ιατροί, η Κυβέρνηση, οι πληρωτές, τα συστήματα Υγείας και η Βιομηχανία, για να ξεκλειδώσουμε την ευκαιρία της συνεργασίας στους τομείς της Έρευνας, της διάγνωσης, της πρόσβασης στη θεραπεία και της φροντίδας για τα άτομα που ζουν με μια σπάνια ασθένεια.

Η Πολιτεία έχει πλέον σχέδιο για τις Σπάνιες Παθήσεις και αυτό θα οδηγήσει σταδιακά στη λογική ενός οδικού χάρτη

Ο Γενικός Γραμματέας Κοινωνικών Ασφαλίσεων, **Νίκος Μηλαπιδης**, ανέφερε ότι έχουν γίνει και συνεχίζουν να γίνονται σημαντικά βήματα για μείωση του χρόνου αναμονής πιστοποίησης των ασθενών με σπάνιες παθήσεις μέσω του νέου θεσμικού πλαισίου λειτουργίας των ΚΕΠΑ και της Εθνικής Πύλης Αναπηρίας. Επόμενος στόχος, όπως ανέφερε, είναι η υποχρεωτική συμπλήρωση των κωδικών ORPHA στον εισηγητικό φάκελο ασθενούς με σπάνια πάθηση που θα σηματοδοτεί την εξέταση του ασθενούς σε σειρά προτεραιότητας από Υγειονομική Επιτροπή-ΚΕΠΑ, με ειδικά καταρτισμένους ιατρούς. Επιπλέον, τόνισε ότι σε συνεργασία με το Υπουργείο Υγείας θα προχωρήσει ο εκσυγχρονισμός και ενίσχυση του Ειδικού Σώματος Ιατρών ΚΕΠΑ με τον υπερδιαπλασιασμό του πλήθους των ιατρών, με τη διεύρυνση ειδικοτήτων και εξειδικεύσεων και με τα νέα προγράμματα εκπαίδευσης και επιμόρφωσης ιατρών και διοικητικού προσωπικού ΚΕΠΑ, με εισαγωγή νέων εκπαιδευτικών προγραμμάτων με αυτοτελή ενότητα για τις σπάνιες παθήσεις. Πολύ θετικό βήμα χαρακτήρισε ο Πρόεδρος της Εθνικής Επιτροπής για τα Σπάνια Νοσήματα-Παθήσεις και Καθηγητής & Πρόεδρος Β' Νευρολογικής Κλινικής στο Π.Γ.Ν. «Αττικόν», **Γεώργιος Τσιβγούλης**, την αποσύνδεση των ορφανών φαρμάκων από τους προϋπολογισμούς των νοσοκομείων, μιλώντας στο πάνελ με θέμα τον Στρατηγικό Σχεδιασμό για τις Σπάνιες Παθήσεις στην Ελλάδα. Όπως ανέφερε αυτό διευκολύνει και τους ιατρούς από ατέρμονες συζητήσεις με τους διοικητές των νοσοκομείων για την εισαγωγή κάθε νέου ασθενούς. Ερωτηθείς για τα Κέντρα Εμπειρογνωμοσύνης στην Ελλάδα, ο κος Τσιβγούλης είπε ότι η προηγούμενη Επιτροπή είχε αναγνωρίσει 28, η τωρινή έχει πιστοποιήσει ακόμα 9, και ετοιμάζονται για πιστοποίηση επιπλέον 2. Παράλληλα σε διαδικασία επαναπιστοποίησης βρίσκονται τα Κέντρα που έχουν ήδη συμπληρώσει μια πενταετία. Όσον αφορά τη διασύνδεση των Κέντρων αναφοράς με τα Ευρωπαϊκά Κέντρα Αναφοράς (ERNs), ο κος Τσιβγούλης είπε ότι γίνεται μέσω open call, και πρόσθεσε ότι η Επιτροπή έχει ετοιμάσει έναν αλγόριθμο για το πώς πρέπει να γίνεται η αίτηση του κάθε Κέντρου, προκειμένου να διασυνδεθεί με τα ERNs. Ο Διευθυντής ΕΣΥ – Κέντρο Υγείας Βάρης, Προϊστάμενος Γενικής Διεύθυνσης του Ο.ΔΙ.Π.Υ.Α.Ε., **Ελευθέριος Θηραίος**, υπογράμμισε το γεγονός ότι η Πολιτεία έχει πλέον σχέδιο για τις σπάνιες παθήσεις, και αυτό θα οδηγήσει σταδιακά στη λογική ενός οδικού χάρτη, ο οποίος θα ανταποκρίνεται στις προσδοκίες των ασθενών και των συγγενών τους. Αναφέρθηκε στα βασικά εργαλεία που έχουμε αυτήν τη στιγμή στη φαρέτρα μας, όπως: α) το ORPHACode, τον πρώτο Ελληνικό Κατάλογο Σπάνιων Νοσημάτων, που είναι πλέον διασυνδεδεμένο με το ICD-10, ώστε να μη χάνουμε καμία διάγνωση από το παρελθόν, και να μπορούμε να ταυτοποιούμε τις νέες διαγνώσεις β) τα Εθνικά Δίκτυα Αναφοράς, και γ) το Μητρώο Σπανίων Παθήσεων. Ειδική αναφορά έκανε στην ελληνική έκδοση του ORPHANET με τα πρώτα 300 πιο συχνά νοσήματα που θα μεταφραστούν στα ελληνικά, η οποία, όπως είπε χαρακτηριστικά, με τη συνεργασία της Ε.Σ.Α.Ε. αναμένεται μέχρι το τέλος του χρόνου. Το ORPHANET έχει αναλάβει να υλοποιήσει ο Ο.ΔΙ.Π.Υ.Α.Ε. και θα βοηθήσει στη διάγνωση και θεραπεία των

ασθενών, καθώς θα περιλαμβάνει σε ελληνική μετάφραση την τεκμηριωμένη γνώση και πληροφόρηση για τα σπάνια νοσήματα, τα ορφανά φάρμακα και τα μητρώα από 41 χώρες στον κόσμο.

***Δεν υπάρχει χρηματοδότηση στα Κέντρα Εμπειρογνωμοσύνης για τα Σπάνια Νοσήματα
Μεγάλο γραφειοκρατικό βάρος στους ιατρούς***

Την ελλιπή χρηματοδότηση των Κέντρων Αναφοράς για τα Σπάνια Νοσήματα, τόσο στην Ευρώπη όσο και στην Ελλάδα, τόνισαν τόσο η **Δρ Χριστίνα Κανακά-Gantenbein**, Καθηγήτρια Παιδιατρικής-Παιδιατρικής Ενδοκρινολογίας, Διευθύντρια Α' Παιδιατρικής Κλινικής και Χωρεμείου Ερευνητικού Εργαστηρίου Ιατρικής Σχολής Εθνικού και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών, όσο και ο Πρόεδρος των Εθνικών Επιτροπών Μητρώων για Σπάνιες Παθήσεις και Παιδιατρικού Καρκίνου, **Αντώνης Καττάμης**, Καθηγητής Παιδιατρικής Αιματολογίας/Ογκολογίας, Διευθυντής του Τομέα Παιδιατρικής Αιματολογίας/Ογκολογίας στην Α' Παιδιατρική Κλινική του ΕΚΠΑ, Διευθυντής στο Νοσοκομείο Παιδών «Αγία Σοφία», στο πάνελ που εστίασε στην Ενσωμάτωση των ERNs στο ΕΣΥ, που συντόνισαν η **Λαμπρινή Σωτηροπούλου**, Μέλος του Διοικητικού Συμβουλίου Ε.Σ.Α.Ε., και η **Εύη Ορφανού**, Υπεύθυνη Πρωτοβάθμιας Φροντίδας Υγείας Ε.Σ.Α.Ε.. Όπως αναφέρθηκε, σε ευρωπαϊκό επίπεδο κάποιες χώρες λαμβάνουν μεγαλύτερες ενισχύσεις ενώ χώρες όπως η Ελλάδα και η Πορτογαλία όχι. Στην Ελλάδα, τα Κέντρα Αναφοράς δεν έχουν επαρκές ιατρικό προσωπικό, αλλά ούτε διοικητικό, με αποτέλεσμα οι ιατροί να αναγκάζονται να ασχολούνται με τη γραμματειακή υποστήριξη, γεγονός που στερεί χρόνο από τους ασθενείς τους. Η Έρευνα που γίνεται στα ελληνικά Κέντρα Αναφοράς είναι αξιόλογη, ωστόσο η ένταξή τους στο ΕΣΥ θα βοηθήσει ακόμα περισσότερο προς αυτή την κατεύθυνση. Τονίστηκε, επίσης, η ανάγκη τα Κέντρα Αναφοράς να λειτουργούν αυτόνομα, διότι σήμερα οι ασθενείς με σπάνια νοσήματα εντάσσονται στη λειτουργία του νοσοκομείου, ή πρέπει να απευθύνονται στο 1535 για ένα ραντεβού, που μπορεί να απαιτήσει πολύ χρόνο για να πραγματοποιηθεί. Από την πλευρά του, ο **Γιώργος Παπαδήμας**, Νευρολόγος στην Α' Νευρολογική Κλινική του Πανεπιστημίου Αθηνών, στο Εργαστήριο Μυϊκών Παθήσεων, πρότεινε τη δημιουργία κοινών χρηματοδοτικών δικτύων για την καλύτερη διαχείριση των πόρων (απασχόληση ανθρώπινου δυναμικού, προμήθεια ιατρικού εξοπλισμού, λουπές υποδομές κ.λπ.), χαρακτηρίζοντάς την ιδιαίτερα σημαντική για την αποτελεσματικότερη και αποδοτικότερη ενσωμάτωση των ERNs στο Εθνικό Σύστημα Υγείας. Όσον αφορά την καταγραφή της εμπειρίας των ασθενών, η πρόεδρος Ο.ΔΙ.Π.Υ.Α.Ε., **Δάφνη Καϊτελίδου**, ανέφερε ότι ο οργανισμός συμμετέχει σε μελέτη μαζί με άλλα 19 κράτη που θα καταγράφει την εμπειρία των ασθενών σε όλες αυτές τις χώρες. Ιδιαίτερη αναφορά έκανε στο ευρωπαϊκό δίκτυο Orphanet, το οποίο ανέλαβε να υλοποιήσει και στη χώρα μας ο Ο.ΔΙ.Π.Υ.Α.Ε., σε συνεργασία με την Ε.Σ.Α.Ε., και στόχος του οποίου, εκτός των άλλων, είναι η ενίσχυση της επιστημονικής έρευνας και η ανάπτυξη δικτύων με την ενεργό συμμετοχή όλων των φορέων που συμβάλλουν στην αντιμετώπιση των σπανίων νοσημάτων, και βεβαίως των ίδιων των ασθενών.

Έχει έρθει η στιγμή να σχεδιάσουμε μια παράλληλη χρηματοδότηση για τα καινοτόμα-ορφανά φάρμακα

Σύντομα η κατ' οίκον αποστολή φαρμάκων για ασθενείς με σπάνιες παθήσεις

Η πρόσβαση των ασθενών με σπάνιες παθήσεις σε θεραπείες θα πρέπει να είναι εξασφαλισμένη, γιατί ο αριθμός των ασθενών υπό αγωγή είναι σχετικά σταθερός και προβλέψιμος, η αποτελεσματική θεραπευτική προσέγγιση των ασθενών δύναται να εξοικονομεί πόρους για το Σύστημα Υγείας, και υπάρχουν αποτελεσματικοί τρόποι εξισορρόπησης της φαρμακευτικής δαπάνης για ορφανά φάρμακα με την εφαρμογή των κατάλληλων εργαλείων (συμφωνίες όγκου-αξίας, MEAs κ.ά.), όπως τόνισε ο **Άρης Αγγελής**, Γενικός Γραμματέας Στρατηγικού Σχεδιασμού του Υπουργείου Υγείας, στο πάνελ διαλόγου με θέμα την πρόσβαση στα Ορφανά Φάρμακα στην Ελλάδα, που συντόνισαν η **Βασιλική-Ραφαέλα Βακουφτσή**, Πρόεδρος της Ένωσης Ασθενών Ελλάδας, Πρόεδρος του Συλλόγου Ατόμων με Νόσο του Crohn και Ελκώδη Κολίτιδα Ελλάδας, μαζί με την Αντιπρόεδρο της Ε.Σ.Α.Ε. και Πρόεδρο του Πανελληνίου Συλλόγου Ασθενών & Φίλων Πασχόντων από Λυσοσωμικά Νοσήματα «Η Αλληλεγγύη», **Καίτη Θεοχάρη**. Ο κος Αγγελής τόνισε ότι τα κίνητρα λειτουργούν, ωστόσο η συζήτηση πλέον μετακινείται σε επίπεδο αξιολόγησης,

τιμολόγησης και αποζημίωσης. Επεσήμανε ότι είναι αναγκαίο να καταλάβουμε ποιες είναι οι ανάγκες της χώρας μας, και πρόσθεσε ότι η είσοδος φαρμάκων μέσω ΙΦΕΤ είναι δίκαιο μαχαίρι, καθώς σαφώς προσθέτει δαπάνες, ενώ από την άλλη αποτελεί ένα σημαντικό εργαλείο για την άμεση πρόσβαση σε φάρμακα που δεν έχουν εισαχθεί μέσω της τυπικής διαδικασίας. Είναι χαρακτηριστικό ότι 82 ορφανά φάρμακα αποζημιώνονται από τον ΕΟΠΥΥ, ενώ 74 ορφανά φάρμακα διανέμονται μέσω ΙΦΕΤ (μέσω της διαδικασίας έκτακτης εισαγωγής). Από τα 267 εκατ. ευρώ περίπου που είναι ο προϋπολογισμός του ΙΦΕΤ, 92,8 εκατ. ευρώ αποτελούν τη δαπάνη για σπάνιες παθήσεις (ποσοστό 34,82%). Ανέφερε επίσης ότι η δαπάνη ορφανών φαρμάκων από τον ΕΟΠΥΥ ήταν 3,6% το 2020, ενώ το 2023 έφτασε στο 5.7%. Εξαιρούνται φυσικά τα νοσοκομειακά φάρμακα, όπου εκεί έχουμε πολύ ακριβές θεραπείες. Τέλος, ανέφερε ότι έχει έρθει η στιγμή να σχεδιάσουμε μια παράλληλη χρηματοδότηση για τα καινοτόμα-ορφανά φάρμακα, ίσως με τη μορφή ενός fund καινοτομίας, ώστε να εξασφαλίσουμε καλύτερα την πρόσβαση των ασθενών σε νέες θεραπείες. Στον ρόλο του ΕΟΦ όσον αφορά την πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα αναφέρθηκε ο **Ευάγγελος Μανωλόπουλος**, πρόεδρος του ΕΟΦ, καθηγητής φαρμακολογίας, Ιατρική Σχολή ΑΠΘ. Σύμφωνα με τον κ. Μανωλόπουλο, οι αλλαγές που θα γίνουν στον ΕΟΦ θα ευνοήσουν τα ορφανά φάρμακα, καθώς θα επιταχυνθούν και θα αυτοματοποιηθούν κάποιες διαδικασίες, βελτιώσεις στις οποίες θα βοηθήσουν και η ύπαρξη μητρώων ασθενών, η καταγραφή των νόσων κ.λ.π.. Ωστόσο, όπως τόνισε ο πρόεδρος του ΕΟΦ, πρέπει να αποδεχτούμε ότι η δαπάνη για τα ορφανά φάρμακα θα είναι μεγάλη και γι' αυτό θα πρέπει να σκεφτούμε και παράλληλες πηγές χρηματοδότησης. Η **Χαρά Κανή**, Φαρμακοποιός, Προϊσταμένη Διεύθυνσης Φαρμάκου, Γενική Διεύθυνση Οργάνωσης και Σχεδιασμού Υπηρεσιών Υγείας, ΕΟΠΥΥ, σημείωσε ότι γίνονται μεγάλες προσπάθειες στον οργανισμό για σταθερή ροή φαρμάκων μέσα από τα φαρμακεία του ΕΟΠΥΥ. Ανέφερε ότι στο πλαίσιο αυτό σύντομα θα ανακοινωθεί η κατ' οίκον αποστολή φαρμάκων για ασθενείς με σπάνιες παθήσεις, μειώνοντας την ταλαιπωρία τους. Η κα Κανή πρόσθεσε ότι θέλουμε πιο προηγμένες συμφωνίες από αυτές που είχαμε μέχρι σήμερα. Ανέφερε επίσης ότι έχουμε συμφωνίες επιμερισμού κινδύνου, αλλά μας λείπουν αρκετά πρακτικά βήματα, ποιοι είναι οι εμπλεκόμενοι, ποιος συλλέγει τα δεδομένα. Τέλος, έκανε λόγο για την εισαγωγή πληρωμών σε δόσεις όσον αφορά πανάκριβες γονιδιακές θεραπείες. Για τον ρόλο του ΙΦΕΤ στη διακίνηση των ορφανών φαρμάκων μίλησε η **Ελευθερία Τοκατλίδη**, Διευθύνουσα Σύμβουλος του ΙΦΕΤ, κάνοντας αναφορά στον σχεδιασμό που υπάρχει, ώστε να ομαλοποιηθεί η πρόσβαση των ασθενών στις θεραπείες που έχουν ανάγκη. Όπως ανέφερε, βρίσκεται υπό υλοποίηση ειδική πλατφόρμα, μέσω της οποίας όλοι οι εμπλεκόμενοι φορείς θα έχουν άμεση γνώση για τις εισαγωγές φαρμάκων, τους χρόνους, τις ποσότητες και τις τιμές με απόλυτη διαφάνεια. Είναι άξιο αναφοράς ότι θα μπορεί ο κάθε ασθενής να βλέπει τους χρόνους παράδοσης του φαρμάκου που έχει ανάγκη, πράγμα ιδιαίτερα σημαντικό. Η **Υβόνη Παπαστελάτου**, Country Lead Greece & General Manager Specialty Care Greece & Cyprus, τόνισε από την πλευρά της ότι η πρόσβαση των ασθενών με σπάνια νοσήματα οφείλει να στηρίζεται σε τρεις πυλώνες, στην έγκαιρη και έγκυρη διάγνωση, στην ένταξή τους σε κλινικές μελέτες νέων θεραπειών και στη διασφάλιση ξεχωριστής χρηματοδότησης για τα ορφανά φάρμακα. Όπως χαρακτηριστικά είπε: «Η δημιουργία ενός ξεχωριστού προϋπολογισμού για φάρμακα σπανίων νοσημάτων μπορεί να διασφαλίσει τις κατάλληλες συνθήκες, ώστε τα καινοτόμα αυτά φάρμακα να είναι διαθέσιμα στους ασθενείς στην Ελλάδα».

Ο Ευρωπαϊκός Χώρος Δεδομένων Υγείας (EHDS) είναι ένας φάρος ελπίδας για εκατομμύρια ανθρώπους με σπάνιες παθήσεις

Κομβικής σημασίας η καταγραφή δεδομένων, η συνεργασία και η διασύνδεση

Ο αντίκτυπος του EHDS (European Health Data Space) στις σπάνιες ασθένειες και τα ορφανά φάρμακα είναι ιδιαίτερα βαθύς, προσφέροντας έναν φάρο ελπίδας για εκατομμύρια ανθρώπους τόνισε ο **Χαράλαμπος Βασιλείου**, Digital Transformation, Strategy and Innovation Advisor at the Strategic Planning & Coordination Unit, Head of European Programmes Sector, Directorate for Digital Transformation and Digital Skills at the National Infrastructures for Research and Technology Network (GRNET S.A.), στο πλαίσιο της ομιλίας του στο πάνελ που συντόνισαν ο **Ιωάννης Κωτσιόπουλος**, Γενικός Διευθυντής Pharma Innovation Forum (PIF), και η **Μένια Κουκουγιάννη**, Εκπρόσωπος Ε.Σ.Α.Ε. και Συν-

ιδρύτρια Karkinaki. Ο κος Βασιλείου ανέφερε μεταξύ άλλων ότι η πρωτοβουλία υπόσχεται επίσης τον εξορθολογισμό των κανονιστικών διαδικασιών, διευκολύνοντας την κυκλοφορία των καινοτομιών στα ορφανά φάρμακα στην αγορά. Συνολικά, το EHDS αποτελεί ένα καίριο βήμα προς ένα πιο ολοκληρωμένο, αποτελεσματικό και ασθενοκεντρικό οικοσύστημα υγειονομικής περίθαλψης στην Ευρώπη, με τη δυνατότητα να μεταμορφώσει το τοπίο της θεραπείας και της έρευνας για τις σπάνιες ασθένειες. Ο **Δρ Χαράλαμπος Μεσσαρόπουλος**, Πρόεδρος του ΚΕ.Τ.Ε.Κ.Ν.Υ. (Κέντρου Τεκμηρίωσης και Κοστολόγησης Νοσοκομειακών Υπηρεσιών) αναφέρθηκε στη δημιουργία του πρώτου Ελληνικού Καταλόγου Σπανίων Νοσημάτων (ORPHAcodes), ο οποίος αποτελεί ένα πολύτιμο εργαλείο για τη βελτίωση της ορατότητας των Σπανίων Ασθενειών στα συστήματα πληροφοριών υγείας και έρευνας, με απώτερο στόχο την καλύτερη διαχείρισή τους, του οποίου τη μετάφραση και κατάρτιση ανέλαβε το ΚΕ.Τ.Ε.Κ.Ν.Υ.. Ο Ελληνικός Κατάλογος Σπανίων Νοσημάτων εμπεριέχει περίπου 7.000 νοσήματα με αναφορά στον αγγλικό και ελληνικό όρο της κάθε σπάνιας νόσου, τον μοναδικό αριθμό ORPHAcode που έχει και την αντιστοίχισή του στο ICD-10 (διεθνής ταξινόμηση νόσων του WHO). Με την αξιοποίηση του εργαλείου αυτού, καθώς και του Ενιαίου Πίνακα Προσδιορισμού Ποσοστού Αναπηρίας, θα είναι δυνατή και ευκολότερη η πιστοποίηση των σπανίων παθήσεων σε κάθε επίπεδο. Όπως ανέφερε ο Δρ Μεσσαρόπουλος, ο κωδικός ORPHAcode καθώς και ο κωδικός ICD-10 θα αποτυπώνονται στο Εθνικό Μητρώο Σπανίων Παθήσεων που ετοιμάζεται, με στόχο τη βελτίωση της ποιότητας και την αύξηση του προσδόκιμου ζωής των ασθενών. Η **Παναγιώτα Μήτρου**, Παθολόγος-Διαβητολόγος, Προϊσταμένη του Ανεξάρτητου Τμήματος Θεραπευτικών Πρωτοκόλλων και Μητρώων Ασθενών του Υπουργείου Υγείας, τόνισε ότι τα μητρώα ασθενών μπορούν να εκπληρώνουν πολλαπλούς σκοπούς ως προς τη διαχείριση των σπανίων ασθενειών, ιδιαίτερα ως προς τη βελτίωση της γνώσης για τη φυσική ιστορία, και την γονοτυπική και φαινοτυπική ποικιλομορφία της ασθένειας, τον προσδιορισμό σημαντικών καταληκτικών σημείων για κλινικές δοκιμές, την τεκμηρίωση της διάγνωσης, τη συσχέτιση γονότυπου με φαινότυπο, τη διαστρωμάτωση κινδύνου, την αξιολόγηση της ασφάλειας, αποτελεσματικότητας και μακροπρόθεσμων οφελών για την υγεία, την εξαγωγή συμπερασμάτων ως προς τα οικονομικά και κοινωνικά οφέλη, τον σχεδιασμό προγραμμάτων πρόληψης και έγκαιρης διάγνωσης, και τέλος την αύξηση του πλήθους των αποδεικτικών στοιχείων που μπορούν να αξιοποιηθούν για τη σύνταξη θεραπευτικών στρατηγικών και κατευθυντήριων οδηγιών, ιδίως για ορφανά φάρμακα. Από την πλευρά της, η Μη Εκτελεστική Πρόεδρος του ΕΟΠΥΥ και Πρόεδρος της Επιτροπής Διαπραγμάτευσης Τιμών Φαρμάκων, **Δρ Νάντια Γκογκοζώτου**, έκανε αναφορά στην έλλειψη μετεγκριτικών και μετα-διαπραγματευτικών δεδομένων, τονίζοντας ότι θα ήταν σημαντικό η Επιτροπή να γνωρίζει την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου και την διάρκειά της, αν οι αρχικοί στόχοι που τέθηκαν ως προς την έκβαση των αποτελεσμάτων υγείας εκπληρώθηκαν κ.ο.κ. Αυτό θα έπρεπε να είναι το επόμενο project της Πολιτείας, όπως χαρακτηριστικά ανέφερε, ειδικά για παθήσεις που έχουν πολύ λίγους ασθενείς και είναι εύκολη η παρακολούθησή τους. Ένα άλλο πρόβλημα που ανέφερε είναι το ότι τα ορφανά φάρμακα συγκρίνονται με πολύ παλαιότερες θεραπείες και όχι με παρόμοιες ή λίγο νεότερες, πράγμα που καθιστά τα δεδομένα μη συγκρίσιμα. Σε κάθε περίπτωση, διαβεβαίωσε ότι παρότι υπάρχουν προβλήματα, η Επιτροπή τα έχει εντοπίσει και τα συζητά με το Υπουργείο. Ο **Νίκος Κωστάρας**, Γενικός Διευθυντής IQVIA, τόνισε ότι σημεία αυξημένου ενδιαφέροντος σχετίζονται με την ανωνυμοποίηση των δεδομένων, με την κλινική έρευνα για νέες θεραπείες, και με την ανάδειξη των ερευνητικών κέντρων και των επιστημόνων που ασχολούνται με σπάνιες παθήσεις. Είναι απαραίτητος ο συντονισμός όλων των μερών και η χρήση εξειδικευμένων φορέων, με τα κατάλληλα εργαλεία και διεθνή εμπειρία, που θα εξασφαλίζουν το βέλτιστο επίπεδο υλοποίησης. Τέλος, ο **Γιώργος Καραχάλιος**, Medical Affairs Director, CNS Unit, Genesis Pharma, τόνισε ότι στον τομέα των σπανίων παθήσεων, η Έρευνα προχωρά με μεγαλύτερη ταχύτητα και καλύτερα αποτελέσματα από ό,τι στο παρελθόν. Παραμένει, όμως, ακόμη εξαιρετικά δύσκολη, λόγω της συνθετότητας των νοσημάτων, κάνοντας το όραμά μας για πληθώρα νέων θεραπειών να μοιάζει λίγο πιο μακρινό. Αποκτά, λοιπόν, ξεχωριστή σημασία η καταγραφή δεδομένων, η συνεργασία και διασύνδεση όλων των εμπλεκόμενων, αλλά και η διαμόρφωση ενός πλαισίου που θα προσφέρει ερευνητικά και επενδυτικά κίνητρα, ώστε αυτό το όραμα να έρχεται κάθε μέρα λίγο πιο κοντά.

Νεότερα από τις μεγαλύτερες πρωτοβουλίες που θα αλλάξουν το τοπίο των Σπανίων Παθήσεων

Η **Valentina Bottarelli**, Public Affairs Director & Head of European Advocacy, EURORDIS-Rare Diseases Europe, στο πλαίσιο της εισαγωγικής της ομιλίας τη δεύτερη μέρα των εργασιών του Συνεδρίου μίλησε για μεγαλύτερη ισότητα για τα άτομα με σπάνιες ασθένειες, κάνοντας έκκληση για «μια ολοκληρωμένη πολιτική-πλαίσιο για τις σπάνιες παθήσεις με τη μορφή ενός Ευρωπαϊκού Σχεδίου Δράσης για τα Σπάνια Νοσήματα που θα καλύπτει όλες τις εναπομείνουσες ανάγκες και θα ενώνει τα κομμάτια του παζλ». Σύμφωνα με στοιχεία που παρέθεσε, αυτήν τη στιγμή, 13 χώρες έχουν ήδη ένα Σχέδιο Δράσης, 8 χώρες εργάζονται για την ανάπτυξη ενός νέου σχεδίου, και η Ελλάδα είναι μία από αυτές. Ο EURORDIS διεξήγαγε μια έρευνα σχετικά με τη διάγνωση που δείχνει ότι η καθυστέρηση κατά μέσο όρο για τη διάγνωση εξακολουθεί να είναι πολύ υψηλή -συνεχίζει να είναι 5 χρόνια κατά μέσο όρο-, ενώ είναι ακόμα πολλές οι λανθασμένες διαγνώσεις, και μερικές φορές υπάρχει αδυναμία διάγνωσης. Πρέπει να εναρμονίσουμε τα συστήματα των προγραμμάτων νεογνικού ελέγχου σε όλη την Ευρώπη, ώστε κάθε πολίτης της Ε.Ε. να έχει πρόσβαση σε αυτά. Όσον αφορά την Κοινή Δράση ERNs, ανέφερε ότι πρέπει να ενσωματωθούν με την κλινική έρευνα, με κινητήρια δύναμη τα δεδομένα. Για την πρωτοβουλία **Moonshot** μίλησε η **Magda Chlebus**, Executive Director Science Policy and Regulatory Affairs, European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations (EFPIA), παρουσιάζοντας την πρόοδο που έχει γίνει στην ανάπτυξη ενός συνόλου συστάσεων για την κλινική έρευνα και τη διάγνωση, ενώ αυτή την περίοδο ολοκληρώνονται και οι συστάσεις για τη μεταφραστική έρευνα. Ανέφερε ότι η κοινότητα της μεταφραστικής έρευνας έχει πλέον εντοπίσει τα κενά που υπάρχουν, και εργάζεται προκειμένου να αξιοποιηθούν οι υπάρχουσες προσπάθειες και να ξεκινήσουν νέες πρωτοβουλίες E&A στις περιοχές όπου υπάρχουν κενά, δουλεύοντας παράλληλα για την άρση των εμποδίων στις συνεργασίες ΣΔΙΤ. Τέλος, τόνισε τη σημασία ανάπτυξης ενός ευρωπαϊκού σχεδίου το οποίο θα διευκολύνει τις συνεργασίες δημόσιου και ιδιωτικού τομέα, και όλα τα είδη συνεργασιών που θα μας βοηθήσουν να αλλάξουμε το παράδειγμα της Έρευνας και θα ρίξουν το φως στις ανάγκες των σπανίων παθήσεων. Στην πρωτοβουλία **ERDERA** εστίασε την ομιλία του ο **Yanis Mimouni**, Senior Project Manager, EJP RD, INSERM, η οποία εγκρίθηκε στο πλαίσιο του προγράμματος «Ορίζοντας Ευρώπη» στις 25/01/2024 ως συγχρηματοδοτούμενη σύμπραξη της Ευρωπαϊκής Επιτροπής και των ευρωπαϊκών κρατών μελών με όραμα τη βελτίωση της υγείας των 30 εκατ. ανθρώπων που ζουν με σπάνιες ασθένειες στην Ευρώπη, αναδεικνύοντας την Ευρώπη ως παγκόσμιο ηγέτη στην E&A για σπάνια νοσήματα και παράγοντας συγκεκριμένα οφέλη μέσω της βελτίωσης της πρόληψης, διάγνωσης και θεραπείας. Στο πρόγραμμα συμμετέχουν 36 χώρες (26 είναι κράτη μέλη της Ε.Ε., 7 συνδεδεμένες χώρες και 3 χώρες εκτός Ε.Ε.) και 171 Οργανισμοί, ανάμεσά τους χρηματοδότες, Ερευνητικά Κέντρα, Κέντρα Εμπειρογνωμοσύνης των Ευρωπαϊκών Ερευνητικών Δικτύων, Οργανώσεις Ασθενών, Βιομηχανία και ιδιωτικοί εταίροι. Πρόκειται για ένα ολοκληρωμένο οικοσύστημα το οποίο θα δίνει τη δυνατότητα στους ανθρώπους με σπάνιες παθήσεις, στους κλινικούς ιατρούς και σε άλλους ενδιαφερόμενους φορείς να παράγουν γνώση, να χρησιμοποιούν τα δεδομένα για την υγεία, την υγειονομική περίθαλψη και την έρευνα. Μεταξύ των στόχων συγκαταλέγονται: α) μείωση καθυστέρησης διάγνωσης και διαπίστωση διάγνωσης ή εγγραφή σε συστηματική έρευνα κατά μέσο όρο εντός 6 μηνών από την αρχική προσέλευση στην ιατρική φροντίδα (στην Ε.Ε. και στις συνδεδεμένες χώρες), β) νέες αποτελεσματικές θεραπείες για σπάνιες ασθένειες που εγκρίθηκαν σε Ε.Ε. και πέραν αυτής, γ) καλύτερη κατανόηση του αντίκτυπου των σπανίων νοσημάτων στους ασθενείς, στις οικογένειες και στην κοινωνία. Στο πρόγραμμα **Screen4Care** αναφέρθηκε εκτενώς η **Alessandra Ferlini**, Professor in Medical Genetics and Director of the Medical Genetics Unit, University of Ferrara (Italy), Honorary Visiting Professor, University College of London, Leader of the Italian Euro-NMD ERN Genetic task and member of Euro-NMD, ITHACA, and EuroBloodNet ERNs at the University Hospital of

Ferrara, Screen4Care EU-IHI project scientific Coordinator, το οποίο ξεκίνησε τον Οκτώβριο του 2021 και είναι αφιερωμένο στη συντόμευση του χρόνου για τη γενετική διάγνωση σπάνιων ασθενειών με τη χρήση νεογνικού γενετικού ελέγχου και ψηφιακών τεχνολογιών. Όπως ανέφερε η Καθηγήτρια, αναμένεται το πρόγραμμα να προσφέρει γενετικό νεογνικό έλεγχο σε περίπου 4 εκατομμύρια νεογέννητα ετησίως, που είναι σήμερα ο αριθμός των βρεφών στην Ευρώπη με βάση τα στατιστικά γεννήσεων, τονίζοντας ότι υπάρχει τεράστια ανισότητα μεταξύ των χωρών, και για τον λόγο αυτόν είναι πολύ σημαντικό να προσφέρουμε τις ίδιες ακριβώς δυνατότητες και οφέλη νεογνικού ελέγχου σε όλα τα παιδιά στην Ευρώπη. Ο **Till Voigtlaender**, Assistant Professor, Institute of Neurology, Department of Neuropathology and Neurochemistry, MedUni Vienna, Coordinator JARDIN Joint Action, παρουσίασε το **JARDIN**, ένα πρόγραμμα κοινής δράσης για την ενσωμάτωση των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς στα Εθνικά Συστήματα Υγειονομικής Περίθαλψης, στο οποίο συμμετέχουν 58 ιδρύματα-εταίροι από 29 κράτη μέλη, δηλαδή όλες οι ευρωπαϊκές χώρες, συμπεριλαμβανομένης της Νορβηγίας, και επιπλέον και η Ουκρανία ως συνδεδεμένος εταίρος. Η κοινή δράση είναι ένα έργο βασικής χρηματοδότησης, το οποίο αντλεί χρήματα από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή καθώς και από τα κράτη μέλη, αλλά η Επιτροπή δίνει το 80% και τα κράτη μέλη δίνουν μόνο το 20%. Η Ε.Ε. θα συνεισφέρει σχεδόν 15 εκατομμύρια ευρώ, πράγμα που σημαίνει ότι τα κράτη μέλη πρέπει να δώσουν τουλάχιστον 3,75 εκατομμύρια ευρώ, δηλαδή συνολικά 18,75 εκατομμύρια ευρώ. Όπως ανέφερε ο Καθηγητής, χρειαζόμαστε καλύτερη πρόσβαση στη διάγνωση, στις θεραπευτικές επιλογές φροντίδας, καλύτερη χρήση των πόρων των ERNs που έχουμε τώρα, επειδή έχουν δημιουργηθεί το 2017, καλύτερη διαχείριση των δεδομένων υγείας, καλύτερη βιωσιμότητα του συστήματος ERN τόσο σε εθνικό επίπεδο από πλευράς των Επαγγελματιών Υγείας, όσο και σε ό,τι αφορά την ενσωμάτωσή τους στα αντίστοιχα ΕΣΥ των χωρών μελών. Τέλος, ο **Maurizio Scarpa**, Professor of Paediatrics, University of Padova I, Director, Regional Coordinating Center for Rare Diseases, Udine University Hospital Italy, Founder and President of Brains for Brain Foundation, Coordinator, European Reference Network for Hereditary Metabolic Diseases (MetabERN), παρουσίασε το πρόγραμμα **ERICA**, που αποσκοπεί στην ενίσχυση της ερευνητικής ικανότητας των ERNs συνολικά. Όπως εξήγησε ο Καθηγητής, η ικανότητα της Έρευνας εντός των ομάδων ERNs είναι τόσο υψηλή, που δεν μπορούμε να την αγνοήσουμε. Για παράδειγμα, το MetabERN έχει δημόσια και επίσημη σχέση ακόμα και με βασικά ινστιτούτα, όπως το EMBL, το Max Planck κ.λ.π.. Το ERICA έχει ως στόχο να συγκεντρώσει την ερευνητική δραστηριότητα στα ERNs και να εμπλέξει στα ερευνητικά προγράμματα, από τη βασική Έρευνα έως τις κλινικές δοκιμές, και τους ασθενείς, προκειμένου να τους ενδυναμώσει. Στόχος είναι η δημιουργία ανταγωνιστικών δικτύων για έργα εντός -και μεταξύ- των ERNs, καθώς και να δημιουργηθεί στρατηγική για τη συλλογή δεδομένων, για να βελτιωθεί η ποιότητα και ο αντίκτυπος των κλινικών δοκιμών. Συγκεκριμένα, το ERICA χωρίζεται σε έξι πακέτα εργασίας τα οποία δεν διευθύνονται μόνο από τα ERNs, αλλά συνδιοικούνται από διαφορετικούς οργανισμούς. Στόχος είναι πράγματι η συλλογή καλύτερων στρατηγικών για τη βέλτιστη συμμετοχή των ασθενών, τις κλινικές μελέτες και την πιθανή Καινοτομία. Μέχρι στιγμής, έχουν καταγραφεί περίπου 50.000 ασθενείς στα μητρώα. Ο αριθμός αυτός αυξάνεται καθώς τα μητρώα βρίσκονται σε εξέλιξη. Υπάρχουν πέντε μητρώα που είναι πλήρως ανεπτυγμένα, και το MetabERN είναι ένα από αυτά. Τα μητρώα είναι διαλειτουργικά λόγω του γεγονότος ότι το JRC έχει απαριθμήσει μια σειρά από ελάχιστα σύνολα δεδομένων που χρησιμοποιούν όλοι προκειμένου να μοιράζεται η πληροφορία, με εγγυημένη διαλειτουργικότητα και στα 24 ERNs. Ο κος Scarpa αναφέρθηκε επίσης στο αποθετήριο κλινικών δοκιμών που έχει αναπτυχθεί και εντοπίζει γρήγορα μια κλινική δοκιμή, τονίζοντας ότι για όλες τις δραστηριότητες υπάρχει σύνδεση με σημαντικούς δικτυακούς τόπους, όπως το clinicaltrials.gov και το Orphanet. Τέλος, αναφέρθηκε στο αποθετήριο PROMS, το οποίο συλλέγει τις πληροφορίες για κάθε ασθένεια, προκειμένου να κατανοήσουμε αν μια θεραπεία είναι αποτελεσματική ή όχι, και στις εκπαιδευτικές δράσεις που περιλαμβάνουν χιλιάδες διαδικτυακά σεμινάρια, master classes, και την ακαδημία ERNs, όπου σχεδιάζεται

το πρόγραμμα ERASMUS, ειδικά για τις σπάνιες ασθένειες. Τέλος, αλλά όχι λιγότερο σημαντικό, ανέφερε τη δημιουργία ενός καταλόγου υπηρεσιών για την προσέλκυση νέων ιατρών στις σπάνιες παθήσεις.

Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς και η δυναμική τους στην ανάπτυξη της Έρευνας

Ανοίγοντας τη συζήτηση, η **Sheela Upadhyaya**, FIPRA Special Advisor and Chair of Together4RD Steering Group, Life Sciences Consultant Specialising in Rare Diseases, Trustee at My Name'5 Doddie Foundation, Chair ISPOR Rare Disease SIG, Rare Disease Expert, με αφορμή την Παγκόσμια Ημέρα Σπάνιων Παθήσεων, έκανε λόγο για την πρόοδο που έχει επιτευχθεί από την επιστημονική κοινότητα, αλλά και για τη μακριά πορεία που πρέπει να διανύσουμε στο μέλλον. Αναφέρθηκε στην ανάγκη διακρατικής συνεργασίας στις μεγάλες προκλήσεις που υπάρχουν, και ενδεικτικά ανέφερε πως μόνο για το 7% των 7.000 σπάνιων παθήσεων έχει βρεθεί θεραπεία, ενώ μισό εκατομμύριο άνθρωποι διαγιγνώσκονται με μια σπάνια πάθηση ετησίως. Έκανε εισαγωγή στον ρόλο και στο έργο των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς για το πλαίσιο διάγνωσης και θεραπείας των σπάνιων ασθενών, για τη δικτύωση των εμπειρογνομόνων που έχει οδηγήσει σε βελτίωση της γνώσης και της επιστημονικής έρευνας γύρω από τις σπάνιες παθήσεις με την υφιστάμενη δράση των 24 Ευρωπαϊκών Δικτύων. Η αξιολόγηση αυτής της αποδοτικότητας έχει οδηγήσει την Ευρώπη σε περεταίρω αναμενόμενη επένδυση 77 εκατ. ευρώ σε άμεσες επιχορηγήσεις και σε δράσεις χωρών μελών της Ε.Ε., αξίας μεγαλύτερης των 18 εκατ. ευρώ. Όμως, για την αποτελεσματική αξιοποίηση των ανωτέρω στην υποστήριξη των σπάνιων ασθενών και των οικογενειών τους έχει ανακύψει η ανάγκη υποβοήθησης των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς στο έργο τους να δημιουργήσουν μητρώα ασθενών, και η ένταξη των δικτύων στα Εθνικά Συστήματα Υγείας είναι ένα σημαντικό μέτρο για να δρομολογηθεί αυτή η διαδικασία. Στη συνέχεια τέθηκε το πλαίσιο της συζήτησης στο οποίο οι καλεσμένοι εμπειρογνώμονες τοποθετήθηκαν για τις δράσεις που αναλαμβάνουν στο πλαίσιο συμμετοχής τους στα Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς και στις νέες ευκαιρίες που προβλέπουν για την κατανόηση και την επιστημονική έρευνα γύρω από τις σπάνιες παθήσεις. Ο **Yanis Mimouni** έκανε αναφορά στη σημαντική συνεισφορά των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς εκτός από την κλινική έρευνα, και στα θεμελιώδη θέματα της προ-κλινικής έρευνας με την ανάλυση των αποτελεσμάτων που οδηγούν στη δημιουργία αποτελεσματικών φαρμάκων. Τόνισε τη σημασία της συλλογής δεδομένων, και την αποτελεσματική αξιοποίηση και επαναχρησιμοποίησή τους με διάθεση στην ευρωπαϊκή έρευνα. Με την ενίσχυση της αποτελεσματικής έρευνας και της συλλογής δεδομένων, υπάρχει η προοπτική για ένα βελτιωμένο οδικό χάρτη επενδύσεων που θα προσαρμόζεται στις διαγνωσθείσες ανάγκες, αλλά και θα συμπεριλαμβάνει στο πλαίσιο δημιουργίας του την αξιολόγηση της αποτελεσματικότητας των υφιστάμενων λύσεων με τη συμμετοχή των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς, όπως το πλαίσιο που εισήχθη με το έργο ERICA. Παράλληλα, η δράση των δικτύων πιστεύει πως μπορεί να επαναπροσδιορίσει τη στρατηγική της χρηματοδότησης, η οποία προς το παρόν δομείται με τις ανάγκες της Έρευνας, αλλά θα ήταν επιθυμητό να μεταβούμε σε ένα μοντέλο που θα λαμβάνει υπόψη τις ανάγκες για βελτίωση των υποδομών και του συστήματος συλλογής δεδομένων. Ο **Maurizio Scarpa**, με την ιδιότητα του ως Συντονιστής του Ευρωπαϊκού Δικτύου Αναφοράς για τις κληρονομικές μεταβολικές ασθένειες, μίλησε για την αποτελεσματικότητα την οποία έχει η παρούσα δομή του Δικτύου στη συλλογή δεδομένων και στη δικτύωση εμπειρογνομόνων, και πώς αυτό έχει βοηθήσει στη χαρτογράφηση και στην έρευνα των μεταβολικών ασθενειών. Χαρακτήρισε το Ευρωπαϊκό Δίκτυο Αναφοράς ως μια εργαλειοθήκη στην οποία μπορεί πλέον να βρει κάποιος οτιδήποτε αναζητά σχετικά με τις σπάνιες ασθένειες, και εξέφρασε την ικανοποίησή του για αυτό, καθώς ο ίδιος συνδράμοντας στη διαμόρφωσή του είχε πιστέψει στο όραμα αυτό. Η **Karolina Podolská** αναφέρθηκε στις προκλήσεις που αντιμετωπίζουν οι κλινικοί ιατροί στον χειρισμό των σπάνιων παθήσεων, περιγράφοντας το πλαίσιο της Τσεχίας, στο οποίο αναδεικνύονται ως αδύναμα σημεία το Εθνικό Σύστημα Υγείας, η έλλειψη πληροφόρησης των ιατρών και διασύνδεσης με την Έρευνα, αλλά και με

άλλους κλινικούς ιατρούς ανά τον κόσμο, για την αξιοποίηση της υφιστάμενης γνώσης. Αναφέρθηκε στο Εθνικό Πρόγραμμα που υλοποιείται με τη βοήθεια του Ευρωπαϊκού Δικτύου Αναφοράς, και εξέφρασε την προσδοκία της πως αυτό θα υποστηρίξει τους κλινικούς ιατρούς να αντιμετωπίσουν τις δυσκολίες αυτές. Ο **Till Voigtlaender** υπογράμμισε μεταξύ άλλων τη σημασία της συλλογής δεδομένων υγείας, ωστόσο ανέφερε την ανάγκη εξορθολογισμού της διαδικασίας, αλλά και της μέριμνας για την προστασία των δεδομένων, ένα ζήτημα που δεν έχει λυθεί αποτελεσματικά. Ανέφερε πως έχει επιτευχθεί πρόοδος μέσω των Ευρωπαϊκών Δικτύων Αναφοράς, και πως το επόμενο βήμα είναι η διασύνδεση των διαδικασιών με τα Εθνικά Συστήματα Υγείας και τα υπό διαμόρφωση μητρώα ασθενών, κάτι που θα υποστηρίξει σημαντικά τους κλινικούς ιατρούς. Τα Εθνικά Συστήματα Υγείας πρέπει να αξιοποιούν την εγχώρια Έρευνα και την εξειδίκευση των κλινικών ιατρών, και αυτό, όπως είπε, συνδέεται με τη δομή τους και με τη διαμόρφωση των προτεραιοτήτων από το εκάστοτε Υπουργείο Υγείας. Η **Alessandra Ferlini** αναφέρθηκε στο έργο Screen4Care και στην προοπτική δημιουργίας ενός πλαισίου για την επιτάχυνση της διάγνωσης σπάνιων ασθενειών, η οποία θα βασίζεται σε δύο κεντρικούς πυλώνες: στον γενετικό έλεγχο νεογνών και στις ψηφιακές τεχνολογίες. Η διασύνδεση του Screen4Care με τα Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς θα επιτευχθεί με τον γενετικό έλεγχο νεογνών και την παραπομπή τους στα κατάλληλα Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς, ένα εγχείρημα που θα βοηθήσει στη συλλογή δεδομένων υγείας, ενώ θα ανιχνεύσει τα πεδία συνεργασίας με κλινικούς ιατρούς και κέντρα, ξεκινώντας από τις χώρες αναφοράς του έργου. Εν κατακλείδι, σχετικά με τις ευκαιρίες χρηματοδότησης που θα μπορούσαν να αξιοποιηθούν από τα Ευρωπαϊκά Δίκτυα Αναφοράς, οι ομιλητές ανέφεραν μεταξύ άλλων την ενίσχυση της τεχνητής νοημοσύνης, τη συλλογή και αξιοποίηση δεδομένων, τη δημιουργία συμπράξεων δημοσίων και ιδιωτικών φορέων με σκοπό τη βελτίωση όλων των παραγόντων γύρω από τις σπάνιες παθήσεις, δηλαδή της διάγνωσης, της κλινικής αντιμετώπισης και της Έρευνας και Καινοτομίας.

Η νέα φαρμακευτική πολιτική της Ε.Ε. θα καθορίσει το μέλλον της Έρευνας και της πρόσβασης στα ATMPs για πολλές δεκαετίες στο μέλλον

Στις ευκαιρίες αλλά και στις προκλήσεις που δημιουργεί η νέα ευρωπαϊκή φαρμακευτική πολιτική όσον αφορά τα φάρμακα προηγμένης θεραπείας (ATMPs) για τις σπάνιες παθήσεις επικεντρώθηκαν οι ομιλητές του αντίστοιχου πάνελ. Ανοίγοντας τη συζήτηση, ο **Victor Maertens**, Government Affairs Director, EUCOPE, τόνισε τη σημασία να ληφθούν τώρα οι σωστές αποφάσεις από τα αρμόδια ευρωπαϊκά fora, καθώς αυτή η νέα φαρμακευτική πολιτική της Ε.Ε. θα καθορίσει το μέλλον της Έρευνας και της πρόσβασης στα ATMPs για πολλές δεκαετίες αργότερα. «Επειδή βλέπουμε ολοένα και περισσότερες καινοτόμες θεραπείες να αναπτύσσονται παγκοσμίως, χρειάζεται να διασφαλίσουμε ότι δεν θα υπάρχουν εμπόδια στο μέλλον για την πρόσβαση σε αυτές», τόνισε. Μιλώντας από την πλευρά των ασθενών για το ζήτημα, ο **Βασίλειος Καρατζιάς**, Πρόεδρος Ελληνικού Συλλόγου για την Αταξία του Φρίντριχ, Αντιπρόεδρος Ε.Σ.Α.Ε., Μέλος Δ.Σ. EUROATAXIA, εστίασε στις κυριότερες προκλήσεις που πρέπει να αντιμετωπίσει η νέα φαρμακευτική πολιτική. Ως πρώτη ανέφερε την περιορισμένη συμμετοχή των ασθενών στη διαδικασία της λήψης αποφάσεων, τονίζοντας ότι οι εκπρόσωποι των ασθενών θα πρέπει να ενσωματωθούν σε αυτές τις διαδικασίες. Η πολυπλοκότητα όσον αφορά την πρόσβαση και την αποζημίωση των ATMPs μεταξύ των διαφόρων χωρών της Ε.Ε. είναι ακόμα ένα ζήτημα που πρέπει να αντιμετωπιστεί, γιατί δημιουργεί αβεβαιότητα στους ασθενείς όσον αφορά την ισότιμη πρόσβασή τους στην Καινοτομία. Ένα ακόμα θέμα είναι η μακροχρόνια παρακολούθηση των ασθενών που έχουν κάνει χρήση των ATMPs, ώστε η πορεία τους να αποτελεί μέρος της αξιολόγησής τους. Επίσης, σύμφωνα με τον κ. Καρατζιά, πρέπει να αντιμετωπιστούν εντός της Ε.Ε. οι ανισότητες στην πρόσβαση των καινοτόμων θεραπειών, καθώς ακολουθούνται διαφορετικές πολιτικές σε κάθε χώρα, και υπάρχει ο κίνδυνος κάποιες ομάδες ασθενών να περιθωριοποιηθούν. Επίσης, χρειάζεται να διασφαλιστεί ότι η φωνή των ασθενών θα ακούγεται στις διαδικασίες HTA, καθώς τα RWE (Real World Evidence) πρέπει να προέρχονται από τους ασθενείς. Τέλος, ο κ. Καρατζιάς τόνισε την ανάγκη ύπαρξης ηθικού πλαισίου σε όλες τις διαδικασίες. Η **Caroline Pothet**, Head of

Advanced Therapies and Haematological diseases, Human Medicines Division, European Medicines Agency (EMA), ανέφερε τα βήματα που έχουν γίνει με τη νέα φαρμακευτική νομοθεσία για να λυθούν προβλήματα, όπως η σωστή συλλογή και αξιολόγηση των δεδομένων, η διεξαγωγή των κλινικών μελετών δεδομένης και της σπανιότητας των ασθενών, η πολυπλοκότητα της κατασκευής των ATMPs, και τέλος η ισότιμη πρόσβαση των ασθενών σε αυτές. Από την πλευρά του, ο **Giovanni Migliaccio**, Scientific Director of the Consorzio per Valutazioni Biologiche e Farmacologiche, (CVBF Pavia, IT), Senior Advisor for the EATRIS, BoD Member of the EPTRI, αναφέρθηκε στις διαφορετικές οπτικές που έχουν οι ερευνητές και η Βιομηχανία όσον αφορά την παραγωγή των ATMPs, σημείωσε ότι η νέα νομοθεσία έχει λάβει πολλά νέα μέτρα προς τη σωστή κατεύθυνση, όπως π.χ. η διεξαγωγή κλινικών μελετών μέσα στα νοσοκομεία, πιο ελαχιστικοί κανόνες όσον αφορά την παραγωγή των ATMPs, ωστόσο, όπως είπε, υπάρχουν και πολλές προκλήσεις που πρέπει να αντιμετωπιστούν, και αυτό σημαίνει ότι ο δρόμος είναι ακόμα μακρύς. Τέλος, από την πλευρά της Βιομηχανίας, ο **Etienne Régulier**, Head of Patient Access, Pricing and Public Affairs (EMEA), Santen Pharmaceutical, Participating member to WHO EURO Access to Novel Medicines Platform (NMP), σημείωσε ως μεγαλύτερη πρόκληση την ανεπαρκή μεθοδολογία όσον αφορά τα συστήματα HTA, και ως μεγαλύτερη ευκαιρία τη συμμετοχή των ασθενών στη λήψη αποφάσεων. Όλοι οι ομιλητές συμφώνησαν στην αξία της συνεργασίας όλων των εμπλεκόμενων μερών στις διαδικασίες, αλλά και στην ανάγκη ύπαρξης Κέντρων Εμπειρογνωμοσύνης για κάθε σπάνια πάθηση στις χώρες της Ε.Ε..

Οι ανάγκες των ασθενών με σπάνια νόσο παραμένουν ουσιαστικά ανεκπλήρωτες

Ο καθορισμός και η μέτρηση των ανεκπλήρωτων αναγκών υγείας που έχουν οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις σε ευρωπαϊκό επίπεδο ήταν το θέμα του σχετικού πάνελ συζήτησης, με συντονιστή τον **Adrien Samson**, Healthcare Policy Senior Manager, EuropaBio. Όλοι οι συμμετέχοντες συμφώνησαν ότι, παρότι στην Ευρώπη παρέχεται στους πολίτες υψηλό επίπεδο κοινωνικής προστασίας, οι ανάγκες των ασθενών με σπάνια νόσο παραμένουν ουσιαστικά ανεκπλήρωτες. Η συντριπτική πλειονότητα των σπάνιων ασθενειών δεν έχει ακόμη καμία θεραπεία, η βρεφική θνησιμότητα είναι πολύ υψηλή, ενώ ακόμα και όταν αναπτύσσεται μια ασφαλής και αποτελεσματική θεραπεία σπάνιων ασθενειών, η πρόσβαση των ασθενών μπορεί να διαφέρει δραματικά από το ένα κράτος μέλος της Ε.Ε. στο άλλο, θέτοντας βασικά ερωτήματα ισότητας στον τομέα της Υγείας. Όπως ανέφερε η **Julie Spony**, Policy Officer European Patients Forum (EPF), το θέμα των ανεκπλήρωτων αναγκών υγείας που έχουν οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις είναι κομβικό, και εκτείνεται πέρα από την έρευνα και ανάπτυξη φαρμάκων. Η πρόταση της Κομισιόν αναφέρεται μόνο στη θνητότητα και νοσηρότητα, και αγνοεί άλλους σημαντικούς δείκτες που επηρεάζουν την πορεία της ασθένειας ή την ποιότητα ζωής των ασθενών και των φροντιστών τους. Για τον λόγο αυτό, πρόσθεσε, το EPF έχει συντάξει μια σειρά από επεξηγήσεις αναφορικά με τις ανεκπλήρωτες ανάγκες των ασθενών με σπάνιες παθήσεις, καθώς αυτές διαφέρουν σημαντικά από τις ανεκπλήρωτες ανάγκες των υπολοίπων ασθενών. Η **Solange Corriol-Rohou**, Senior Director Regulatory Affairs & Policy, Europe, AstraZeneca, ανέφερε ότι το θέμα των ανεκπλήρωτων αναγκών των ασθενών είναι ένα θέμα που συζητείται εδώ και αρκετά χρόνια. Έκανε ειδική αναφορά σε ένα workshop για τις ανεκπλήρωτες ανάγκες των παιδιατρικών ασθενών, το οποίο οργανώθηκε κατά τη διάρκεια της πανδημίας και στο οποίο συμμετείχαν όλοι οι stakeholders, για να τονίσει ότι η συνεργασία όλων είναι η μόνη εγγύηση για μια ευρωπαϊκή συμφωνία που θα υπολογίζει όλες τις παραπάνω παραμέτρους όσον αφορά τις ανεκπλήρωτες ανάγκες. Τέλος, ανέφερε ότι ορισμένα από τα κριτήρια που προτείνονται δεν είναι απολύτως σαφή, και υπόκεινται σε διαφορετικές ερμηνείες, κάτι που αυξάνει την αβεβαιότητα για τη φαρμακευτική βιομηχανία. Η **Victoria Hedley**, Rare Disease Policy Manager, Co-Lead of the Newcastle University Centre of Research Excellence in Rare Disease, επεσήμανε την ευθύνη όλων των stakeholders για μια σύγκλιση απόψεων που θα διασφαλίσει ότι στο μέλλον οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις θα μπορούν να έχουν θεραπεία, και παράλληλα το περιβάλλον έρευνας και ανάπτυξης να μη γίνει εχθρικό στο

μέλλον αναφορικά με την ανακάλυψη και παραγωγή νέων θεραπειών που είναι τόσο κρίσιμες για τους ασθενείς με σπάνιες παθήσεις που ακόμα δεν έχουν θεραπεία.

Στόχος μέχρι το 2025 να έχουμε πρόσβαση στα δεδομένα πραγματικού κόσμου για τεκμηριωμένη και αποτελεσματική λήψη αποφάσεων

Στην κεντρική ομιλία, ο **Patrice Verpillat**, Head of Real-World Evidence (TDA-RWE), Data Analytics and Methods Task Force (TDA), European Medicines Agency (EMA), παρουσιάζοντας νεότερα δεδομένα από το πρόγραμμα DARWIN EU, αναφέρθηκε στο όραμα του EMA και του δικτύου που είναι μέχρι το 2025 να έχουμε τη δυνατότητα πρόσβασης στα δεδομένα, συμπεριλαμβανομένου του EHDS. Όπως χαρακτηριστικά είπε: «Η διαδικασία θα έχει οικοδομηθεί, τα πρότυπα θα έχουν καθοριστεί, οι μέθοδοι θα επικυρωθούν, η γνώση θα μοιραστεί και οι προκλήσεις θα αντιμετωπιστούν. Και αυτό σημαίνει ότι η αξία θα έχει καθιερωθεί σε διάφορες περιπτώσεις χρήσης, και επίσης ότι έχουμε βασιστεί σε υφιστάμενες πρωτοβουλίες σε διεθνές επίπεδο, όπως αυτή των εταιρειών μάθησης, ISPE-ISPOR, ICMRA, αλλά και της Διεθνούς Συνεργασίας των ρυθμιστικών οργανισμών φαρμάκων ή ICH». Οι προτεραιότητες σύμφωνα με το σχέδιο εργασίας της συντονιστικής ομάδας για τα μεγάλα δεδομένα 2022-2025 είναι 11, ενώ το Darwin EU είναι πρώτο στη λίστα. Darwin σημαίνει Data Analysis and Real-World Interrogation Network, ένα ομοσπονδιακό δίκτυο δεδομένων, εμπειρογνομωσύνης και υπηρεσιών που υποστηρίζει τη λήψη καλύτερων αποφάσεων καθ' όλη τη διάρκεια του κύκλου ζωής του προϊόντος με τη δημιουργία έγκυρων και αξιόπιστων αποδεικτικών στοιχείων από δεδομένα υγειονομικής περίθαλψης του πραγματικού κόσμου. Οι αρχές του ομοσπονδιακού δικτύου είναι κρίσιμες επειδή τα δεδομένα παραμένουν τοπικά, και χρησιμοποιείται ένα κοινό μοντέλο δεδομένων (OMOP) για την έγκαιρη εκτέλεση μελετών και την αύξηση της συνοχής των αποτελεσμάτων. Το συντονιστικό κέντρο είναι το Ιατρικό Κέντρο Erasmus, με άλλους εταίρους, όπως η Οξφόρδη ή άλλοι. Και συνδέονται με εταίρους δεδομένων, που μπορεί να είναι ένας μόνο πόρος ή μια αρχή αδειοδότησης δεδομένων. Όπως είπε ο κος Verpillat: «από την αρχή αυτού του ταξιδιού έχουμε ενσωματώσει αρκετούς εταίρους δεδομένων και αρχές αδειοδότησης δεδομένων, και σκοπεύουμε να αποκτήσουμε άλλους 10 το επόμενο έτος, άρα, μέχρι και 40 ή και λίγο περισσότερους αν μπορούμε. Στη φάση I, έχουμε δεδομένα από περίπου 26 εκατομμύρια ενεργούς ασθενείς, ενώ στη Φάση II αναμένεται η προσθήκη περισσότερων από 100 εκατομμύρια ενεργών ασθενών. Τα δεδομένα αυτά θα μας βοηθήσουν: α) να κατανοήσουμε το κλινικό πλαίσιο: την επιδημιολογία της νόσου, την κλινική διαχείριση, τη χρήση φαρμάκων, β) να υποστηρίξουμε τον σχεδιασμό και να διασφαλίσουμε την εγκυρότητα των κλινικών μελετών, γ) να διερευνήσουμε συσχετισμούς και επίπτωση με μελέτες αποτελεσματικότητας και ασφάλειας και τις επιπτώσεις των ρυθμιστικών δράσεων. Συνολικά, το DARWIN EU παρέχει: μελέτες για τις οποίες ένα γενικό πρωτόκολλο προσαρμόζεται σε ένα ερευνητικό ερώτημα, αναλύσεις ρουτίνας με βάση ένα γενικό πρωτόκολλο μελέτης, μελέτες που απαιτούν ανάπτυξη ή προσαρμογή ειδικών σχεδίων μελέτης, πρωτοκόλλων και σχεδίων στατιστικής ανάλυσης (SAP), με εκτεταμένη συλλογή ή εξαγωγή δεδομένων και μελέτες που δεν μπορούν να βασίζονται μόνο σε ηλεκτρονικές βάσεις δεδομένων υγειονομικής περίθαλψης ή που θα απαιτούσαν σύνθετη μεθοδολογική εργασία. Αυτήν τη χρονιά, αναβαθμίζουμε την παράδοση και την ικανότητά μας να υποστηρίξουμε τακτικά τις επιστημονικές αξιολογήσεις των επιτροπών του EMA με την παράδοση μελετών και τη διατήρηση πηγών δεδομένων, και ευελπιστούμε στο 2025/2026 το DARWIN EU να λειτουργεί πλήρως και να εξελίσσεται, ώστε να ανταποκρίνεται στις ανάγκες του ρυθμιστικού δικτύου της E.E., και φυσικά να έχει ενσωματωθεί με το EHDS». Στη συζήτηση που ακολούθησε, την οποία συντόνισε η **Viktorija Prantauer**, Founder of TheChiefPatientOfficer.com, Manager, Capgemini Invent, ο **Niklas Hedberg**, Chief Pharmacist, Swedish Dental and Pharmaceuticals Benefits Agency (TLV), τόνισε ότι χρειάζονται δεδομένα παρακολούθησης, ενώ πρέπει να έχουμε έναν δομημένο και τακτικό τρόπο χειρισμού των δεδομένων των ασθενών, των καταχωρημένων δεδομένων, των

δεδομένων παρακολούθησης και να μπορούμε να ακολουθήσουμε κάτι σαν καλή κλινική πρακτική. Η μεγαλύτερη πρόκληση, όπως ανέφερε, είναι πώς θα αξιολογήσουμε και θα αποτιμήσουμε την ισχύ των δεδομένων που προέρχονται από αυτά τα υψηλής ποιότητας μητρώα. Από την πλευρά του, ο **Stanislav Kniazkov**, Technical Officer, Medical Product Regulation, World Health Organization (WHO Europe), έδωσε έμφαση σε δύο πτυχές. Την πτυχή της εμπιστοσύνης ως παράγοντα αλληλεγγύης, η οποία είναι εξαιρετικά σημαντική για τις σπάνιες παθήσεις και τους ασθενείς που ζουν με άλλες παθήσεις. Η εμπιστοσύνη είναι ο παράγοντας που επιτρέπει την αποτελεσματική λειτουργία του Συστήματος Υγείας με τον τρόπο που δίνει έμφαση στην αλληλεπίδραση και στις αλληλεξαρτήσεις μεταξύ των δομικών στοιχείων. Αναφέρθηκε στην εμπιστοσύνη στους επαγγελματίες που αναπτύσσουν, κατασκευάζουν, προμηθεύουν και χειρίζονται προϊόντα, στην εμπιστοσύνη στα ίδια τα προϊόντα, και στην εμπιστοσύνη στα υποκείμενα πλαίσια. Και η εμπιστοσύνη στα προϊόντα φέρνει στο προσκήνιο την τετράδα της αλληλεγγύης, της ασφάλειας, της αποτελεσματικότητας και της ποιότητας. Εδώ είναι που μπαίνουν τα δεδομένα από τον πραγματικό κόσμο. Η διαφάνεια είναι ο παράγοντας της εμπιστοσύνης, ιδίως για τα κλινικά δεδομένα, συμπεριλαμβανομένων αυτών που προέρχονται από τα στοιχεία του πραγματικού κόσμου, αλλά δεν αρκεί μόνο η συλλογή αυτών των δεδομένων. Αυτό πρέπει να συντονίζεται σε όλες τις δικαιοδοσίες και σε διαφορετικούς τύπους ανάλυσης, όπως η ρυθμιστική, η αξιολόγηση HTA, όπως το έργο που κάνουν οι κοινοποιημένοι οργανισμοί. Επομένως, η συντονισμένη ανάλυση είναι εξίσου σημαντική με τη συλλογή δεδομένων, και επίσης η διαθεσιμότητα τόσο των αναλυτικών προϊόντων όσο και των ίδιων των ακατέργαστων δεδομένων στις αρχές που εγκρίνουν τα προϊόντα για σπάνιες παθήσεις. Ο ρόλος του ΠΟΥ τριπλασιάζεται. Πρώτα η δύναμη σύγκλησης, στη συνέχεια η υποστήριξη της ετοιμότητας των ρυθμιστικών αρχών για την ανάλυση των δεδομένων του πραγματικού κόσμου, και η ετοιμότητα των μητρώων για ευθυγραμμισμένη, συντονισμένη και σε ορισμένες περιπτώσεις συμπληρωματική συλλογή δεδομένων, ώστε να μην έχουμε τις διαφορετικές μετρήσεις για την ίδια πάθηση του ίδιου προϊόντος. Και τέλος, αυτό που είναι σημαντικό για τις χώρες εκτός της Ευρωπαϊκής Ένωσης, που ανήκουν όμως στον ΠΟΥ Ευρώπης, η ανάπτυξη ικανοτήτων για τις εθνικές αρχές. Καταλήγοντας τόνισε ότι τα δεδομένα του πραγματικού κόσμου είναι ένα πολύ σημαντικό στοιχείο των αποτελεσματικών ρυθμιστικών συστημάτων, των αποτελεσματικών πλαισίων για τη διαθεσιμότητα και την οικονομική προσιτότητα των φαρμάκων, και ως εκ τούτου ένα μέσο για την αλληλεγγύη, η οποία είναι η κατάλληλη προσέγγιση για τις σπάνιες παθήσεις. Από την πλευρά του, ο **Sergio Diaz**, Associate Director Patient Advocacy Strategic Operations Europe, Middle East, Africa and South Asia, IQVIA, μίλησε για την αξία των ενημερωμένων και ευαισθητοποιημένων ασθενών σε ότι αφορά τα δεδομένα τους και εάν αυτά χρησιμοποιούνται προς όφελός τους. Τόνισε ότι οι Οργανώσεις Ασθενών διαδραματίζουν απίστευτο ρόλο σε αυτόν τον χώρο, και βρίσκονται στην προνομακική θέση να είναι ο καταλύτης και το μέσο για τη δημιουργία δεδομένων στο οικοσύστημα. Βρίσκονται στη θέση να μπορούν να ηγηθούν συνεργασιών δημιουργίας δεδομένων με κυβερνήσεις, ακαδημαϊκούς φορείς, συστήματα υγειονομικής περίθαλψης και τη βιομηχανία. Μέσω αυτών των συνεργασιών, συλλέγουν, διασφαλίζουν και καθιστούν τα δεδομένα προσβάσιμα προς όφελος του ασθενούς. Θα μπορούσε να είναι η Έρευνα, θα μπορούσε να είναι η πρόσβαση σε καινοτόμες θεραπείες, ρυθμιστικές διαδικασίες, διαδικασίες HTA. Κατά τη γνώμη του, οι Οργανώσεις Ασθενών βρίσκονται σε αυτήν τη θέση γιατί έχουν μακροπρόθεσμες στρατηγικές, οι οποίες λειτουργούν τέλεια για αυτού του είδους τις διαχρονικές συλλογές δεδομένων σε σχέση με τις βραχυπρόθεσμες στρατηγικές συλλογής δεδομένων. Επειδή τους εμπιστεύονται οι ασθενείς και οι αρχές, θα μπορούσαν να λειτουργούν ως αποθήκες δεδομένων. Επιπλέον, έχουν ένα τεράστιο δίκτυο ενδιαφερομένων, την πρώτη επαφή με τα άτομα που ζουν με την πάθηση. Έτσι, με αυτόν τον τρόπο, για την Έρευνα, μπορούν να επιταχύνουν αυτού του είδους τις συλλογές δεδομένων μέσω της επαφής με τους ασθενείς. Και μπορούν να λειτουργήσουν όχι μόνο ως

οντότητες για τη συλλογή δεδομένων, αλλά και ως παράγοντες που θα κινητοποιήσουν την πρόσβαση και τη σύνδεση των υφιστάμενων δεδομένων.

Στρατηγικές πρόσβασης και αποζημίωσης για τα ορφανά φάρμακα στην Ευρώπη

Οι αλλαγές που θέτει η σχεδιαζόμενη νέα ευρωπαϊκή φαρμακευτική πολιτική όσον αφορά την πρόσβαση και αποζημίωση, και τις συνέπειες που ενδέχεται να έχει αυτή στα ορφανά φάρμακα ήταν το θέμα της συζήτησης που συντόνισε η **Anja Schiel**, Special Adviser, Lead Methodologist in Regulatory and Pharmacoeconomic Statistics, Norwegian Medical Products Agency (NoMA). Σε ευρωπαϊκό επίπεδο, η αποζημίωση των φαρμάκων για σπάνιες παθήσεις από τους ασφαλιστικούς οργανισμούς είναι ένα θέμα πολύ ευρύτερο από το ίδιο το φάρμακο. Είναι ένα θέμα που αφορά την κοινωνική δικαιοσύνη, την αλληλεγγύη και την κοινωνική συνοχή, επεσήμανε ο **Γιάννης Νάτσης**, Διευθυντής του European Social Insurance Platform (ESIP), του ευρωπαϊκού οργανισμού-ομπρέλα που ασχολείται με την κοινωνική ασφάλιση. Σχολιάζοντας τις συζητήσεις που λαμβάνουν χώρα επί του παρόντος στην Κομισιόν γύρω από τη νέα φαρμακευτική πολιτική, επεσήμανε ότι δείχνουν έλλειψη σαφούς προτεραιότητας, η οποία, κατά τον ίδιο, θα έπρεπε να είναι η προστασία των ασθενών και του κοινωνικού κράτους. Και πρόσθεσε την ανάγκη παροχής επαρκούς επιστημονικής τεκμηρίωσης και δεδομένων προς τους πληρωτές από τις φαρμακευτικές εταιρείες, ειδικά όσον αφορά τις θεραπείες για σπάνιες ασθένειες, οι οποίες είναι όλο και πιο ακριβές. Η αναθεωρημένη φαρμακευτική πολιτική της Ε.Ε. έχει πάρει πλέον μια διαφορετική κατεύθυνση, θέτοντας προκλήσεις τόσο για τις φαρμακευτικές εταιρείες που επενδύουν σε φάρμακα για τις σπάνιες παθήσεις, όσο και για τους ίδιους τους ασθενείς αναφορικά με την πρόσβασή τους σε αυτές, ενώ παράλληλα θα μειώσει τις δαπάνες σε R&D κατά 4,5 δισ. ευρώ, τόνισε ο **Ηλίας Πυρνοκόκης**, Head of Value, Access & External Affairs, Chiesi Hellas. Αντί να προστατεύουν την πρόσβαση των ασθενών με σπάνιες παθήσεις στις θεραπείες τους, οι νέες ρυθμίσεις «ποινικοποιούν» την Καινοτομία. Ανέφερε ότι, αναφορικά με την Ελλάδα, το ρυθμιστικό πλαίσιο στο παρελθόν ήταν αρκετά πιο ευνοϊκό για τα ορφανά φάρμακα, επιταχύνοντας την είσοδό τους στο Σύστημα Υγείας. Αναφορικά με το νέο πλαίσιο που συζητείται επί του παρόντος, τόνισε ότι αυτό που δεν συζητείται επαρκώς είναι η προσφερόμενη αξία, καθώς οι συζητήσεις έχουν επικεντρωθεί στις τιμές. Ο **Colin O'Donnell**, Senior Director, Head of International Government Affairs, Alexion, AstraZeneca Rare Disease, επεσήμανε το καθεστώς αβεβαιότητας αναφορικά με το ρυθμιστικό και το οικονομικό πλαίσιο, υπό το οποίο καλούνται σήμερα οι φαρμακευτικές εταιρείες να λειτουργήσουν και να ανακαλύψουν νέες θεραπείες, και τόνισε ότι ήδη η Ευρώπη βρίσκεται πίσω όσον αφορά τη φαρμακευτική καινοτομία, όπως δείχνουν και τα πρόσφατα στοιχεία της IQVIA.

Νέα ρυθμιστικά μοντέλα για τα Ορφανά Φάρμακα

Στα νέα ρυθμιστικά μοντέλα για τα Ορφανά Φάρμακα και στις προκλήσεις που υπάρχουν επικεντρώθηκαν οι ομιλητές του αντιστοιχού πάνελ. Τα υπάρχοντα ρυθμιστικά μοντέλα δεν είναι σχεδιασμένα για τα ορφανά φάρμακα, ενώ ταυτόχρονα η ταχύτητα των επιστημονικών ανακαλύψεων και οι διαθέσιμοι πόροι, τόσο σε εξειδικευμένη γνώση, όσο και σε άλλους πόρους είναι προϋπόθεση και ζητούμενο και για τις ίδιες τις ρυθμιστικές αρχές, τόνισε ο συντονιστής του σχετικού πάνελ, ανοίγοντας τη συζήτηση, **Δημήτρης Αθανασίου** Πρόεδρος της Ε.Σ.Α.Ε. και μέλος του Δ.Σ. του WDO, GPA και μέλος του PCWP του EMA. Παίρνοντας τον λόγο, ο **Steffen Thirstrup**, MD, PhD Chief Medical Officer του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA), και πρώην μέλος της CHMP του EMA, ανέφερε πως η τιμολόγηση και η αποζημίωση των φαρμάκων είναι πολύ σημαντική πρόκληση, κι αν και ο EMA δεν ευθύνεται για αυτά τα δύο, σίγουρα παίζει ρόλο σε αυτά, αφού στο τέλος εκείνος δίνει την άδεια κυκλοφορίας σε ένα σκεύασμα. Ωστόσο, η μεγαλύτερη πρόκληση για τον τομέα των Ορφανών Φαρμάκων αυτήν τη στιγμή είναι πως, μολονότι πολλές φαρμακευτικές εταιρείες προχώρησαν στην Έρευνα και στην Ανάπτυξη Φαρμάκων για σπάνιες παθήσεις των οποίων γνωρίζουμε τους μηχανισμούς, σήμερα υπάρχει μία μεγάλη μερίδα ανθρώπων που νοσούν με πολύ πιο σπάνιες ασθένειες, για τις οποίες είναι ακόμα

πιο δύσκολο να ανακαλυφθεί μία θεραπεία, είτε γιατί το κόστος είναι πολύ υψηλό, είτε γιατί είναι δύσκολη η πρόσβαση σε ασθενείς που θα συμμετάσχουν σε Κλινικές Δοκιμές, είτε γιατί αν κάποιος ασθενής μπει σε μία μελέτη ενδεχομένως μετά να μην μπορεί να είναι επιλέξιμος για κάποιο άλλο σκεύασμα. Συνεπώς, κρίνεται απαραίτητη η συμμετοχή των Συλλόγων Ασθενών σε δημόσιες και ιδιωτικές συμπράξεις, και η επικοινωνία με τη Φαρμακοβιομηχανία, ώστε να πραγματοποιούνται πιο στοχευμένες μελέτες, με την ελπίδα να αναπτυχθούν και άλλα φάρμακα. Ακόμα μία πρόκληση είναι πως υπάρχουν σκευάσματα που ονομάζονται ορφανά, έχοντας τα προνόμια που προβλέπονται για αυτά και βάζοντας υψηλές τιμές, χωρίς ωστόσο να θεραπεύουν σπάνια νοσήματα, κάτι που δημιουργεί προβλήματα για τα Εθνικά Συστήματα Υγείας, αφού έτσι εξαντλούνται πόροι. Οι ρυθμιστικές αρχές, ως προστάτες της Δημόσιας Υγείας, οφείλουν να διασφαλίζουν πως τα φάρμακα που καταλήγουν στην Αγορά είναι ασφαλή και αποτελεσματικά, σε ό,τι αφορά όμως τις σπάνιες ασθένειες, θα πρέπει να είναι και υποστηρικτές της Έρευνας, συνεχίζοντας να προστατεύουν τη Δημόσια Υγεία. Χρειάζεται, λοιπόν, επικοινωνία ανάμεσα στη Βιομηχανία, στους Ακαδημαϊκούς και στους Ασθενείς, ώστε να γίνεται απολύτως κατανοητή μία ασθένεια και τι ακριβώς χρειάζονται οι άνθρωποι που νοσούν, ενώ οι ασθενείς θα πρέπει να συζητούν νωρίς με τις ρυθμιστικές αρχές, ώστε να μη χάνεται πολύτιμος χρόνος. Στη συνέχεια, η **Violeta Stoyanova-Beninska**, MD, PhD, MPH Πρόεδρος της Επιτροπής Ορφανών Φαρμάκων στον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων (EMA), Division Europe and International Affairs at MEB, Vice Chair of Regulatory Science Committee of IRDiRC, ανέφερε πως οι ρυθμιστικές αρχές είναι εκείνες που αποφασίζουν ποια σκευάσματα έχουν προοπτική να κάνουν μια μέρα τη διαφορά στη ζωή ενός ασθενή με σπάνια πάθηση, και ποια όχι, μία απόφαση που δεν είναι πάντα εύκολη, δεδομένου ότι πρέπει να συνδυαστεί η επιστημονική γνώση με την κλινική πρακτική, και αυτό να ενταχθεί στο ρυθμιστικό πλαίσιο που υπάρχει. Σήμερα, το εν πλαίσιο άλλοτε διευκολύνει, άλλοτε περιορίζει και άλλοτε επιτρέπει την εκμετάλλευση του Συστήματος. Απαιτείται συνέπεια στις αποφάσεις που λαμβάνουν οι ρυθμιστικές αρχές, να είναι δίκαιες απέναντι σε όλες τις ασθένειες, και να μην επιτρέπουν την «ορφανοποίηση» σκευασμάτων, τα οποία δεν θα έπρεπε να απολαμβάνουν τα οφέλη που προβλέπονται για την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων. Και συνέχισε λέγοντας πως μία ακόμα σημαντική πρόκληση είναι ότι η Επιστήμη εξελίσσεται γρήγορα, και άρα πρέπει να προσαρμοζόμαστε συνεχώς στις τελευταίες ανακαλύψεις γύρω από τις ασθένειες, αλλά και γύρω από ό,τι εργαλεία είναι διαθέσιμα, τις νέες μεθοδολογίες που χρησιμοποιούνται, ενώ τόνισε πως είναι άκρως σημαντική η επικοινωνία με τα επιμέρους ενδιαφερόμενα μέρη, ιδίως σε ό,τι αφορά τη σωστή διαχείριση των προσδοκιών των ασθενών και των οικογενειών τους, οι οποίοι εύλογα αναμένουν την ανάπτυξη νέων θεραπειών. Τέλος, ο **Tomasz (Tomek) Grybek**, Μέλος του Διοικητικού Συμβουλίου της EURORDIS, Μέλος της Παιδιατρικής Επιτροπής του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA PDCO), και Διευθύνων Σύμβουλος του Ιδρύματος Borys the Hero, δήλωσε πως η Κοινότητα των Ασθενών αυτό που επιθυμεί είναι να έχει πρόσβαση σε προσιτές θεραπείες, και όχι να υπάρχουν θεωρητικά στην αγορά σκευάσματα στα οποία ωστόσο να μην μπορεί να έχει πρόσβαση, γιατί τότε είναι σαν να μην έχει θεραπεία. Επίσης, ανέφερε πως είναι πολύ σημαντικό να υπάρχει από νωρίς διάλογος με τους Ασθενείς, διότι, σήμερα, δυστυχώς, δεν υπάρχει πάντοτε επικοινωνία ανάμεσα στη Φαρμακοβιομηχανία και στην Κοινότητα των Ασθενών, με αποτέλεσμα να μη γίνεται συλλογή δεδομένων που είναι απαραίτητα για τους ασθενείς σε ό,τι αφορά την πρόσβαση σε ένα φάρμακο.

Το Συνέδριο τέλεσε υπό την αιγίδα του **Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου**, του **Ελληνικού Υπουργείου Υγείας** και του **Δήμου Αθηναίων**, ενώ είχε την υποστήριξη μεγάλων διεθνών και ελληνικών Οργανισμών όπως της **Ευρωπαϊκής Ομοσπονδίας Φαρμακευτικών Βιομηχανιών και Συνδέσμων (EFPIA)**, της **Ευρωπαϊκής Συνομοσπονδίας Φαρμακευτικών Επιχειρηματιών (EUCOPE)**, της **Ευρωπαϊκής Ένωσης Βιοτεχνολογικών Βιομηχανιών (EuropaBio)**, του **Κοινού Ευρωπαϊκού**

Προγράμματος για τις Σπάνιες Παθήσεις (EJP RD), της Ένωσης Ασθενών Ελλάδος (ΕΑΕ), του Συνδέσμου Φαρμακευτικών Επιχειρήσεων Ελλάδος (ΣΦΕΕ) του PhARMA Innovation Forum (PIF) και της Πανελλήνιας Ένωσης Φαρμακοβιομηχανίας (ΠΕΦ).

Μεγάλος Χορηγός του συνεδρίου ήταν η εταιρεία AstraZeneca, χορηγοί οι εταιρείες Chiesi, GENESIS Pharma, IQVIA, PTC Therapeutics, ROCHE, SANOFI, TAKEDA, UCB και υποστηρικτές οι εταιρείες ARDIUS Pharma, CSL Behring, INTEGRIS Pharma, IPSEN, JANSSEN, PFIZER, ενώ το συνέδριο στήριξαν και οι εταιρείες ARITI και SPECIALTY Therapeutics. Η εταιρία CONEQ Hellas ήταν χορηγός Οπτικοακουστικών. Media Partner ήταν η εταιρία Perception.

Για περισσότερες πληροφορίες :

ΕΣΑΕ: Δημήτρης Αθανασίου, T: +30 6944604292, E: dathax@gmail.com

BOUSSIAEvents: Ναταλία Τουμπανάκη, T: 6947936708 | E: ntoubanaki@boussias.com