

# BUDOUCNOST VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ: NIKDO NESMÍ ZŮSTAT OPOMENUT!

Klíčová zjištění průzkumu na názorům lidí se vzácným onemocněním na strategie, které by jim mohly ovlivnit život

Červen 2021



**30 MILIONŮ**

lidí v Evropě a 300 milionů lidí po celém světě žije se vzácnou nemocí



**NEEXISTUJE LÉK**

Pro většinu vzácných nemocí není k dispozici žádný lék ani léčba

Ačkoli se během posledních desetiletí udělalo v oblasti zlepšování kvality života lidí se vzácnými onemocněními spousta práce, některé jejich potřeby zůstávají stále nevyřešené. Průzkum Rare 2030 byl zaměřen na shromažďování názorů pacientů se vzácnými onemocněními na budoucnost léčby vzácných onemocnění. Cílem bylo sestavit [doporučení Rare 2030](#). Průzkum ukázal, že je zapotřebí holistický

přístup, který zahrnuje výzkum, diagnostiku, léčbu a péči a který klade důraz na nové technologické příležitosti. Tyto strategie je nutno do roku 2023 začlenit do nového Evropského rámce pro léčbu vzácných onemocnění, jímž se budou řídit národní plány léčby vzácných onemocnění, aby žádný pacient se vzácným onemocněním nezůstal opomenut.

## EVROPSKÉ VÝSLEDKY PRŮZKUMU RARE 2030 O BUDOUCNOSTI VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

Rozsáhlá kvantitativní studie sdružení Rare Barometer

**3 PROSINCE** 2020

**17 LEDNA** 2021

**3770** respondentů  
v Evropě

**23** jazyků

**70** zemí

### CÍLOVÁ POPULACE:

pacienti žijící se vzácným onemocněním nebo členové jejich rodiny (rodiče a blízcí příbuzní)

**978** zastoupených  
onemocnění

# 1 LIDÉ TRPÍCÍ VZÁCNÝM ONEMOCNĚNÍM SE DOMNÍVAJÍ, ŽE BY SE JIM MOHLA ZLEPŠIT KVALITA ŽIVOTA DÍKY INTEGRACI ZDRAVOTNÍ A SOCIÁLNÍ PÉČE

Většina lidí trpících vzácným onemocněním neočekává, že se během následujících 10 let vyléčí. Domnívají se však, že kvalita jejich života by se mohla zlepšit díky přístupu k integrované zdravotní a sociální péči.



lidí trpících vzácným onemocněním neočekává, že by se z tohoto onemocnění mohli během následujících 10 let vyléčit, ale byli by rádi, kdyby:



58%

měli k dispozici podporu, která by vám pomohla zvládat psychologické nebo emocionální aspekty vzácného onemocnění



53%

mohli dosáhnout stabilizace svého vzácného onemocnění: vzácné onemocnění by stále existovalo, ale příznaky by se nezhoršovaly



49%

dokázali zvládat příznaky vzácného onemocnění, i když by se stále ještě zhoršovaly



44%

mohli získat přístup k přizpůsobenému a přístupnému zaměstnání a také k pružným pracovním ujednáním



39%

nebyli diskriminováni kvůli svému vzácnému onemocnění nebo postižení v různých oblastech každodenního života

“ Samozřejmě bych byl rád, kdyby našli lék, ale pokud to není možné (což během 10 let asi není), chtěl bych alespoň, abychom byli léčeni jako pacienti s chronickými onemocněními, kterými de facto také jsme, a abychom měli přístup ke stejným výhodám jako oni“. **Pacient se vzácným onemocněním, Španělsko**

0

Myslíte si, že je možné a realistické, že byste do 10 let vy nebo osoba, o kterou pečujete...

Lidé se vzácným onemocněním mají následující priority, které by měly pomoci zlepšit poskytovanou péči:

-  **51%** Způsoby léčby, popř. terapie, které dosud neexistují
-  **45%** Lepší koordinace mezi všemi zdravotnickými odborníky zapojenými do péče o nemocného
-  **32%** Konzultace se zdravotnickými odborníky specializovanými na toto onemocnění
-  **28%** Lepší sociální uznání onemocnění

“Do roku 2030 bych chtěl mít přístup k novým lékům a technologiím, ke kvalitní, specializované a interdisciplinární zdravotní péči a trvalé psychoterapii. Ocenil bych také lepší společenské uznání a začlenění lidí se vzácnými onemocněními a přístup k adekvátním nástrojům, které by jim pomohly zapojit se do každodenního života. V pracovní sféře by pomohlo, kdyby se odbouraly předsudky a předcházelo se rizikům chudoby”. **Pacient se vzácným onemocněním, Německo**

**Přístup k diagnostice je nejdůležitější prioritou respondentů, kteří zatím nejsou diagnostikováni.**

0 V příštích 10 letech budou třemi nejdůležitějšími prioritami v oblasti zlepšování léčby vašeho vzácného onemocnění přístup k:

## 2 ZLEPŠENÍ KOORDINACE ZDRAVOTNÍ PÉČE

Lidé trpící vzácným onemocněním preferují lokálně poskytovanou léčbu, jsou však ochotni využívat konzultace na dálku, aby se snáze dostali k multidisciplinární zdravotní péči.



**81%** pacientů je ochotno využívat konzultace na dálku a diskutovat o svém onemocnění s několika zdravotnickými pracovníky.

“Expertní střediska umožňují multidisciplinární konzultace a jsou velmi užitečná, pomohlo by však, kdybychom mohli některá vyšetření absolvovat blíže k domovu a mít přístup k dalším konzultacím na dálku. Osobně dokážu dobře zvládat příznaky svého onemocnění i doma, cesta do zahraničního expertního střediska však vyžaduje spoustu času a energie.” **Pacient se vzácným onemocněním, Francie**

0 Byli byste během příštích 10 let ochotni zúčastnit se konzultací na dálku (prostřednictvím telefonu, videa, e-mailu, textových zpráv, aplikace): Pokud budete moci vaše vzácné onemocnění probrat s několika zdravotnickými odborníky (například se specialisty a svým praktickým lékařem)

Lidé se vzácným onemocněním jsou velmi ochotni cestovat za účelem léčby do jiné země.



**86%** pacientů by bylo ochotno cestovat za účelem léčby svého vzácného onemocnění do jiné země, a to buď bez žádných podmínek, nebo podle druhu léčby či dané země.

0 Byli byste v příštích 10 letech a V DOBÁCH MIMO KRIZE ochotni cestovat do jiné země za účelem léčby svého vzácného onemocnění?

### 3 LIDÉ TRPÍCÍ VZÁCNÝM ONEMOCNĚNÍM DŮRAZNĚ PODPORUJÍ NOVOROZENECKÝ SCREENING VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ



95%

pacientů podporuje novorozenecký screening vzácných onemocnění



“ Trpím bronchiektázií a když mi byla diagnostikována, bylo mi řečeno, že ji mám nejspíš už mnoho let. Kdyby mě diagnostikovali a léčili dříve, znamenalo by to proměněnší poškození plic a méně léků. Díky včasější diagnostice by pacienti se vzácným onemocněním mohli být do budoucna léčení adekvátně a včas.”

Pacient se vzácným onemocněním, Velká Británie

0

Měla by se podle vašeho názoru v zájmu časně diagnostiky provádět vyšetření na vzácná onemocnění v době početí dítěte (např. při oplodnění in vitro, genetickém poradenství)

### 4 PACIENTSKÉ ORGANIZACE SE CHTĚJÍ AKTIVNĚ PODÍLET NA VÝZKUMU VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

Dle zástupců pacientů by se pacientské organizace měly podílet na výzkumu vzácných onemocnění následujícími způsoby:



93% oficiální partner nebo spoluřešitel



78% budou získávat finanční prostředky na výzkum příslušných onemocnění



72% povedou vlastní výzkumné projekty



“ Potřebujeme zintenzivnit výzkum na klinikách, formou doktorandských prací a studií – v mezinárodním měřítku, prosím! Chceme také, aby práce pacientských organizací byla uznávána a aby se častěji zapojovaly do výzkumu a dodavatelských procesů.”

Pacient se vzácným onemocněním, Německo

0

Myslíte si jako zástupce pacientů, že by PACIENTSKÉ ORGANIZACE měly přispívat k výzkumu vzácných onemocnění tím, že...

Další informace ohledně otázek v průzkumu nebo jejich výsledků [najdete v kompletní zprávě v angličtině](#) nebo kontaktujte [rare.barometer@eurordis.org](mailto:rare.barometer@eurordis.org)

Chcete-li se dozvědět více o prognostické studii Rare 2030 nebo se podílet na kampani Rare 2030 a pomoci uskutečnit doporučení, která z ní vyplývají, navštivte stránku [action.eurordis.org/cs/rare2030action](http://action.eurordis.org/cs/rare2030action)

## Děkujeme vám

všem lidem se vzácným onemocněním, kteří se zúčastnili ankety a zapojili do diskusních skupin, a partnerům programu Rare Barometer a Rare 2030!