

FREMTIDEN FOR SJELDNE SYKDOMMER: INGEN SKAL UTELATES

Nøkkelfunn fra undersøkelsen om hva mennesker med sjeldne sykdommer mener om politikk som kan påvirke livene deres

Juni 2021



30 MILLIONER

mennesker lever med en sjelden sykdom i Europa, og 300 millioner i hele verden.



INGEN KUR

for de fleste av sykdommene og få behandlinger tilgjengelig.

Selv om det er gjort store fremskritt over det siste tiåret for å forbedre livene til mennesker som lever med sjeldne sykdommer er det fortsatt mange uoppfylt behov. Rare 2030 undersøkelsen hadde som mål å samle pasientenes perspektiver på fremtiden til sjeldne sykdommer for å bidra til å forme [anbefalinger for Rare 2030](#). Undersøkelsen viser at en helhetlig tilnærming til sjeldne sykdommer er nødvendig,

inkludert forskning, diagnose, behandling og pleie, og utnytting av nye teknologiske muligheter. Slik politikk må integreres i et nytt europeisk rammeverk om sjeldne sykdommer innen 2023 for å veilede den nasjonale planen for sjeldne sykdommer og sørge for at ingen som lever med en sjelden sykdom blir utelatt.

RESULTATER AV RARE 2030 UNDERSØKELSEN PÅ FREMTIDEN FOR SJELDNE SYKDOMMER

En storstilt kvantitativ undersøkelse av Rare Barometer

3 DESEMBER 2020



17 JANUARY 2021

3998 respondenter
verden over

23 språk

70 land

MÅLGRUPPE:

pasienter som lever med en sjelden sykdom eller familiemedlemmer (foreldre og nære slektninger)

978 sykdommer representert

1 MENNESKER SOM LEVER MED EN SJELDEN SYKDOM ANSER AT LIVSKVALITETEN DERES KUNNE BLITT FORBEDRET MED INTEGRERT HELSE - OG OMSORGSTJENESTER

De fleste mennesker som lever med en sjelden sykdom forventer ikke å bli kurert innen 2030, men vurderer at det er mulig å forbedre livskvaliteten med tilgang til integrert helse - og omsorgstjenester.



av mennesker som lever med en sjelden sykdom forventer ikke å være kurert fra sykdommen deres i løpet av de neste 10 årene, men de håper å:



58% få støtte til å håndtere de psykologiske eller emosjonelle aspektene ved den sjeldne sykdommen



53% få en stabilisering av den sjeldne sykdommen



49% håndtere symptomene på den sjeldne sykdommen selv om de fremdeles utvikler seg



44% få tilgang til tilpasset og tilgjengelig sysselsetting samt fleksible arbeidsordninger



39% ikke vil bli diskriminert på grunn av den sjeldne sykdommen eller på grunn av funksjonshemninger, i de forskjellige aspektene av dagliglivet

“Åpenbart vil jeg at kuren skal bli funnet, men hvis det ikke er mulig (som jeg tviler på om 10 år), så i det minste at vi behandles som pasienter med kronisk sykdom, noe vi allerede er, slik at vi kan få tilgang til det samme fordeler som dem”. **Person som lever med en sjelden sykdom, Spania**



Tror du det er mulig og realistisk at du eller personen du er omsorgsgiver for innen ti år ...

De viktigste prioriteringene for forbedret omsorg for mennesker som lever med en sjelden sykdom er:

-  **50%** Behandlinger og/eller terapier som ennå ikke eksisterer
-  **44%** Bedre koordinering mellom alt helsepersonell som er involvert i omsorg av sykdommen
-  **33%** Konsultasjoner med helsepersonell som er spesialisert på sykdommen
-  **28%** Bedre sosial anerkjennelse av sykdommen

“Innen 2030 ønsker jeg tilgang til nye medisiner og ny teknologi; god, spesialisert og tverrfaglig medisinsk behandling; og permanent psykoterapi. Jeg ønsker også bedre sosial anerkjennelse og inkludering av mennesker som lever med en sjelden sykdom: Å få tilgang til adekvate verktøy for å delta i hverdagen og arbeidslivet vil bidra til å bryte ned fordommer og forhindre risikoen for fattigdom”. **Person som lever med en sjelden sykdom, Tyskland**

Tilgang til diagnose har høyest prioritet for respondenter som ennå ikke er diagnostisert.

Q Innen de neste ti årene er de tre viktigste prioriteringene for forbedret omsorg for den sjeldne sykdommen din, tilgangen til:

2 FORBEDRE KOORDINERINGEN AV HELSETJENESTEN

Mennesker som lever med sjeldne sykdommer foretrekker å bli behandlet lokalt, men er villige til å bruke eksterne konsultasjoner for lettere å få tilgang til tverrfaglig helsetjenester.



81% er villig til å bruke eksterne konsultasjoner for å diskutere sykdommen med flere helsearbeidere.

“Ekspertsentrene tilbyr tverrfaglige konsultasjoner, og dette er veldig nyttig, men visse konsultasjoner burde vi kunne gjøre nærmere hjemmefra og få tilgang til flere eksterne konsultasjoner. Jeg kan håndtere symptomene på patologien min hjemmefra, men det tar mye tid og energi å krysse landet for å konsultere et ekspertsenter.” **Person som lever med en sjelden sykdom, Frankrike**

Q Innen de neste 10 årene, ville du være villig til å ha fjernkonsultasjoner (via telefon, video, e-post, SMS, app) for konsultasjoner der du kan diskutere sjeldne sykdommen din med flere helsearbeidere (for eksempel med spesialister og allmennlegen din)

Mennesker som lever med sjeldne sykdommer er veldig villige til å reise til et annet land for å få medisinsk behandling.



85% er villig til å reise til et annet land for å motta medisinsk behandling for deres sjeldne sykdom, enten ubetinget eller avhengig av medisinsk behandling eller landet.

Q Innen de neste ti årene og NÅR DET IKKE ER KRISETID, ville du ha vært villig til å reise til et annet land for å motta medisinsk behandling for den sjeldne sykdommen din?

3 MENNESKER SOM LEVER MED EN SJELDEN SYKDOM STØTTER NYFØDT SCREENING FOR SJELDNE TILSTANDER



95%

støtter nyfødt screening for sjeldne tilstander

“Jeg har bronkiektasi og fikk beskjed når jeg fikk diagnosen at jeg sannsynligvis hadde hatt det i mange år. Tidligere diagnose og behandling ville ha resultert i mindre skade på lungene og lavere bruk av medisiner. Med tidlig diagnose ville det være mulig for fremtidige mennesker med sjeldne sykdommer å bli behandlet riktig og raskt.”
Person som lever med en sjelden sykdom, Storbritannia



Etter din mening, for å diagnostisere sjeldne sykdommer på et tidlig tidspunkt, bør man utføre tester for sjeldne sykdommer ved barnets fødsel (f.eks. blodprøver, genetisk screening)

4 PASIENTORGANISASJONER VIL VÆRE AKTIVT INVOLVERT I FORSKNING FOR SJELDNE SYKDOMMER

For pasientrepresentanter bør pasientorganisasjoner bidra til forskning på sjeldne sykdommer ved å:



94%

være aktivt involvert i forskningsprosjekter som offisiell partner eller medvirkende utprøver



78%

skaffe midler til forskning på sykdommen din



71%

lede egne forskningsprosjekter

“Vi trenger mye forskning gjennom klinikker, doktoravhandlinger, studier - også internasjonalt! Vi trenger også at arbeidet til pasientorganisasjoner blir anerkjent og mer involvert i forsknings- og forsyningsprosessene.”
Person som lever med en sjelden sykdom, Tyskland



Som en pasientrepresentant, synes du at PASIENTORGANISASJONER skal bidra til forskning på sjeldne sykdommer ved å ...

For mer informasjon om spørsmålene til undersøkelsen eller om resultatene, [se hele rapporten på engelsk](#) eller kontakt rare.barometer@eurordis.org

Hvis du vil vite mer om Rare 2030 Foresight Study eller for å delta i Rare 2030-kampanjen for å implementere anbefalingene, kan du gå til action.eurordis.org/rare2030action

TAKK

til alle mennesker som lever med en sjelden sykdom som deltok i undersøkelsen, og til Rare Barometer og Rare 2030-partnere!



A EURORDIS INITIATIVE

EURORDIS-Rare Diseases Europe gjennomfører regelmessige samfunnsbaserte undersøkelser for sjeldne sykdommer via Rare Barometer-programmet. Disse studiene avklarer pasientenes perspektiver og behov for en rekke områder slik at de kan bli hørt i europeiske og internasjonale initiativer og politiske beslutningsprosesser. Rare Barometer Voices samler nærmere 15 000 pasienter, omsorgspersoner og pårørende for å styrke samfunnet for sjeldne sykdommer og sørge for at de blir hørt. For mer informasjon besøk eurordis.org/voices