

LETNO SREČANJE EVROPSKEGA ZDRUŽENJA ZA CISTIČNO FIBROZO

Alja Klara UGOVŠEK in Marija ŠPELIČ
Šmarješke toplice, junij 2015

Bruselj – srce Evrope



Aktivnosti CFE 2014



Bolnikovo predstavništvo in mednarodno sodelovanje



☐ oskrba in raziskave

- ☐ ECFS (evropski CF registri, medmrežje CF kliničnega preizkušanja, srečanja **mladih raziskovalcev** 2016 - CFE: komunikacija po Evropi, delovna skupina za oskrbo odraslih, soglasja za standarde za oskrbo, skupni projekti)
- ☐ ECORN-CF – pilotski projekt iz EU iz leta 2007, referenčna mreža za CF – poveča razpoložljivost znanja za paciente in ne samo za strokovnjake
- ☐ EU projekti za raziskave

☐ EU

- ☐ Evropski parlament, Komisija, konzultacije in razprave, EU sredstva

☐ Kronične in redke bolezni

- ☐ (Eurordis, evropske bolnikove skupnosti)

☐ Razvoj zdravil

- ☐ EMA – evropska agencija za zdravila (pregled protokolov)
- ☐ Svetovna konferenca o zdravilih sirotah
- ☐ Industrija (Novartis, PTC, Vertex)

Sodelovanje pri evropskih raziskavah

□ **Projekt IMPACTT** – 7. okvirni program EU, začel 1.1.2011, 2013 - preskušanje klinične učinkovitosti in varnosti pseudomonasnih protiteles IgY v fazi III

Cilj: preprečevanje okužbe s *Pseudomonas aeruginosa* (PA) v CF pljučih bolnikov in s tem ublažitev negativnega vpliva PA na kakovost življenja CF bolnikov in njihovih družin;

Namen: podaljšati čas ponovitve okužbe s PA po uspešnem akutnem zdravljenju ali s prekinitvami okužb

Sodelovanje pri evropskih raziskavah

- Horizon 2020: Obzorje 2020 – novi okvirni program EU za **raziskave in inovacije**, aktiven v obdobju od 2014 do 2020 in nadomešča 7. okvirni program, ki se je iztekel 2013;

Cilj: dvigniti konkurenčnost EU;

Namen: odkriti novosti in ideje iz laboratorijev prenesti na trg

- Dve aplikaciji za razvoj novih terapij za odpravljanje vzroka za CF

□ Projekt MyCyFAPP – MY APP FOR Cystic Fibrosis

Razvijajo mobilno aplikacijo APP za natančno doziranje encimov, prilagojena starosti (igre, algoritmi) – kaj poješ in koliko encimov je treba nadomestiti – omogoča neprekinjeno spremljanje in hitro ukrepanje, če je treba

- Nadomešča tradicionalno posvetovanje z zdravnikom v bolnišnici, dolgočasnemu in dragemu analitskemu določanju (npr. zbiranje blata za vsebnost maščob)
- Sodeluje multidisciplinarna raziskovalna skupina



Spodbujanje dostopa do optimalne diagnoze in oskrbe



- ☐ Delovna skupina za oskrbo odraslih (ERS + ECFS) – objava
- ☐ Evropski standardi za nego (+ ECFS)
 - ☐ 2014 objava
 - ☐ 2015 izvedba CF centrov
- ☐ Diagnostično medmrežje (NNS)
- ☐ ECFS registri
- ☐ Lobiranje EU in v posameznih državah

Ozaveščanje in zastopanje bolnikov za boljši dostop do oskrbe in kvalitetnejšega življenja

- ☐ Podpora nacionalnim društvom
 - ☐ Strokovna IV na domu
 - ☐ Povračilo stroškov terapije in oskrbe
 - ☐ Oskrba v CF centru
- ☐ Evropski teden ozaveščenosti za CF
(21. november 2015)
 - ☐ Nacionalne kampanje v manj kot 20-ih državah

Izobraževanja, medmrežje in usposobljenost



2014

- Baltska konferenca (srečanje z vlado v Estoniji in Latviji)
- Letna konferenca in delavnica v Gothenburgu (27 držav)
- Jugovzhodna konferenca v Grčiji (več kot 200 udeležencev iz 9 držav)

2015

- CF šola v Rusiji in Delavnica za fizioterapijo na Poljskem
- 19-20. september → jugovzhodna konferenca v Romuniji

CFE kot organizacija



- Proračun (Hilde De Keyser)
- Nov statut
 - Preselitev sedeža iz Nemčije v Belgijo (Boon → Bruselj)
 - Zaradi boljše logistike in političnih razlogov
 - Interesi bolnikov s CF bi morali biti evropska zdravstvena politika in raziskovalni programi
 - Bolniki s CF potrebujejo evropsko zastopanje na vseh nivojih (Evropski parlament, Komisija, Evropsko medmrežje (EUPATI, Eurordis), itd.
 - Zaposleni z osredotočenostjo za CFE so se že preselili v Bruselj
 - Belgija ponuja posebno zakonodajo za Evropske dobrodelne organizacije
- 2016 → CF konferenca v Švici

Nova opredelitev poslanstva in vizije



CFE si prizadeva za daljše in boljše življenje ljudi s CF:

- ☐ Grajenje strokovnega znanja in zastopanje pred Evropsko politiko, raziskavami in nego
- ☐ Podpiranje nacionalnih CF društev bolnikov

Vizija kot „ciljna podoba“

- ☐ CFE si zamišlja prihodnost s tem, da je omogočen dostop oskrbe vsem ljudem s CF in končno najti zdravilo

Glavne aktivnosti



Grajenje znanja
in zagovorniške
zmogljivosti

Spodbujanje in podpiranje raziskav

Spodbujanje optimalne nege

Zastopanje in zagovarjanje interesov

Podpiranje
nacionalnih
društev

Informiranje in deljenje najboljših
praks med člani

Prilagajanje podpore članom

Volitve

Nova predsednica:
Jacqueline Noordhoek
(Nizozemska)



Nov upravni odbor:



- Jacqueline Noordhoek (Nizozemska) – predsednica
- Hilde De Keyser (Belgija) - sekretarka
- Karleen De Rijcke (Belgija)
- Birgit Dembski (Nemčija)
- Dragan Djurović (Srbija)
- Angelo Guidi (Italija)
- Ilknur Gorgun (Turčija)
- Alicja Rostacka (Poljska)



Delavnica: učinkovito vključevanje društev bolnikov pri sprejemanju odločitev



Kaj?

- ☐ želite pridobiti:
 - ☐ poznati svoje pravice
 - ☐ postaviti jasne cilje in prioritete
- ☐ res najbolj potrebujete:
 - ☐ kar je najbolj učinkovito
- ☐ je dokaz vaših potreb:
 - ☐ znanstveni podatki

Kdo?

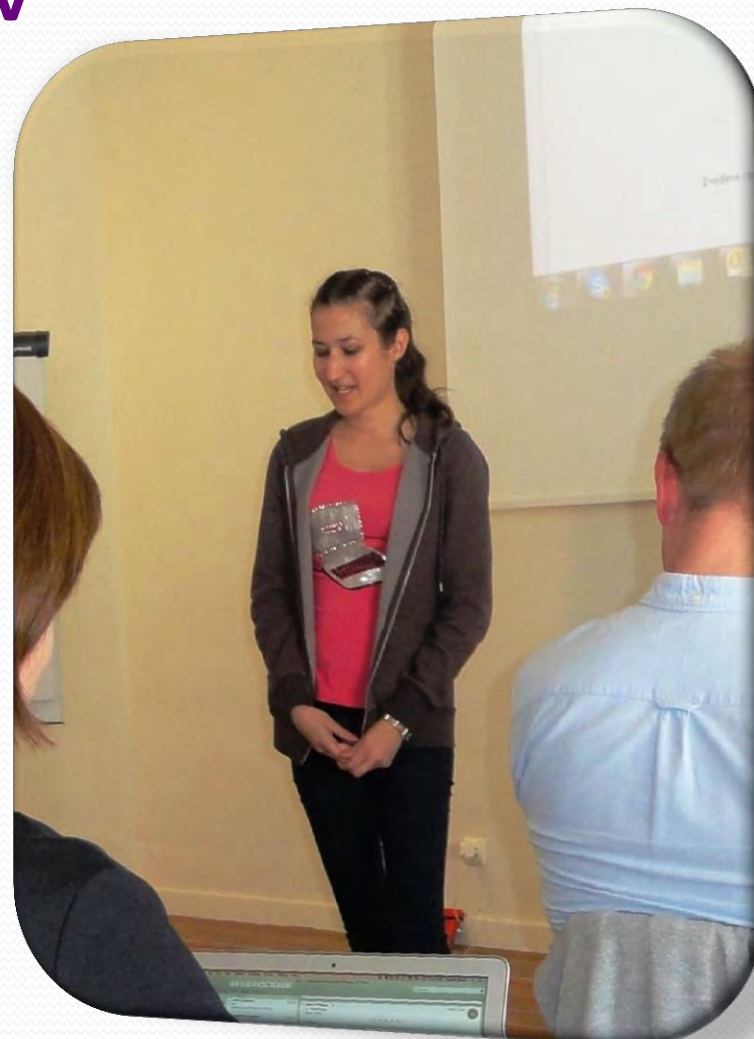
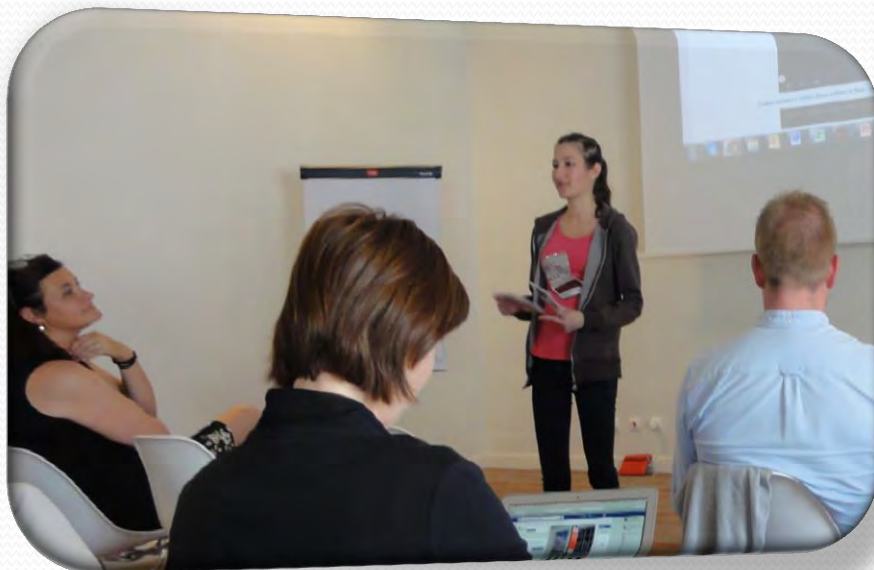
- ☐ so ključni ljudje in odločevalci:
 - ☐ označite interesne skupine, ki jih želite doseći (družine, zdravnik, politiki, javnost, slavni ljudi)

Kako?

- ☐ kontaktirate odločevalce
 - ☐ pripravite državne organe, da vas poslušajo in pridejo k dejanju: komunicirajte z njimi, pogajajte se, sodelujte z vsemi interesnimi skupinami, tudi s politiki,
 - ☐ imejte pozitivno sporočilo in predloge
 - ☐ predlagajte rešitve
 - ☐ dajte ekonomsko sporočilo
 - ☐ predstavite osebne zgodbe

Predstavitev društev

- ☐ Moldavija
- ☐ Slovenija
- ☐ Norveška
- ☐ Kosovo





WELCOME TO THE 38th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE



CFE/ECFS skupni simpozij za dostop do novih terapij (zdravil)

Kako lahko
društvo bolnikov,
raziskovalci,
zdravstveni delavci,
državni organi
in industrija
prispeva?



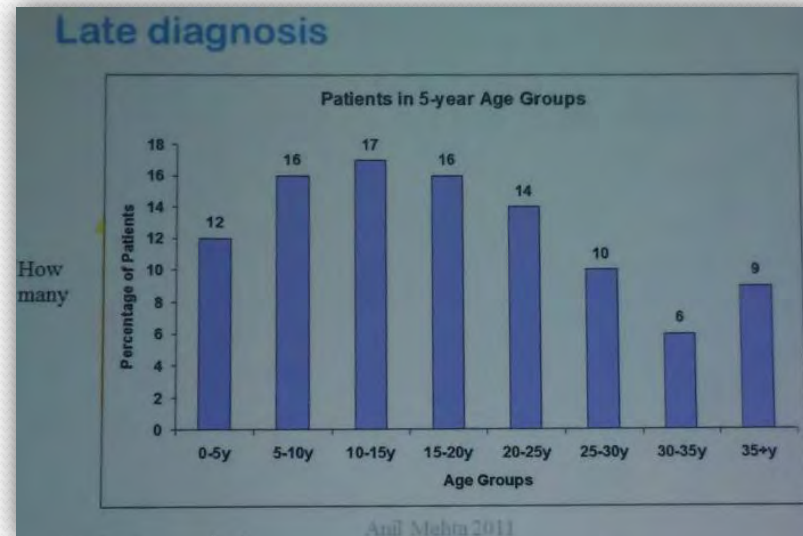
Dostop do CF zdravil v Evropi

Karleen De Rijcke

- ECFS register bolnikov
 - Pomembno orodje za izboljšanje oskrbe bolnikov s CF (28 držav, 32,248 bolnikov, 61 centrov)
 - Obvestijo nas, če je izboljšanje v oskrbi bolnikov s CF
 - Obvestijo nas o položaju CF v Evropi
 - Povečanje starostne dobe (skandinavske države 55:45, bivše sovjetske 30:70 → skupno: 50:50 odrasli:otroci)



- Velike razlike med državami, ki so se pridružile Evropski Uniji pred 2003 in tistimi, ki so se pridružile 2003, kljub podobni populaciji prebivalstva za gen CF
- Pozna diagnoza
 - Najpogosteje med 10. in 15. letom
 - Najredkeje med 30. in 35. letom





Neenakosti in večkratna diskriminacija pri dostopu do kakovosti zdravstvenega varstva

Nekateri CF bolniki dosežejo več kot 50 let
... drugi 10 let,
odvisno kje živijo
in kakšno oskrbo dobijo

Dostop do zdravil

- ☐ Zdravstveno stanje
- ☐ Preživetje
- ☐ Kvaliteta življenja



Zapiranje vrzeli v zdravstvenih rezultatih in preživetju

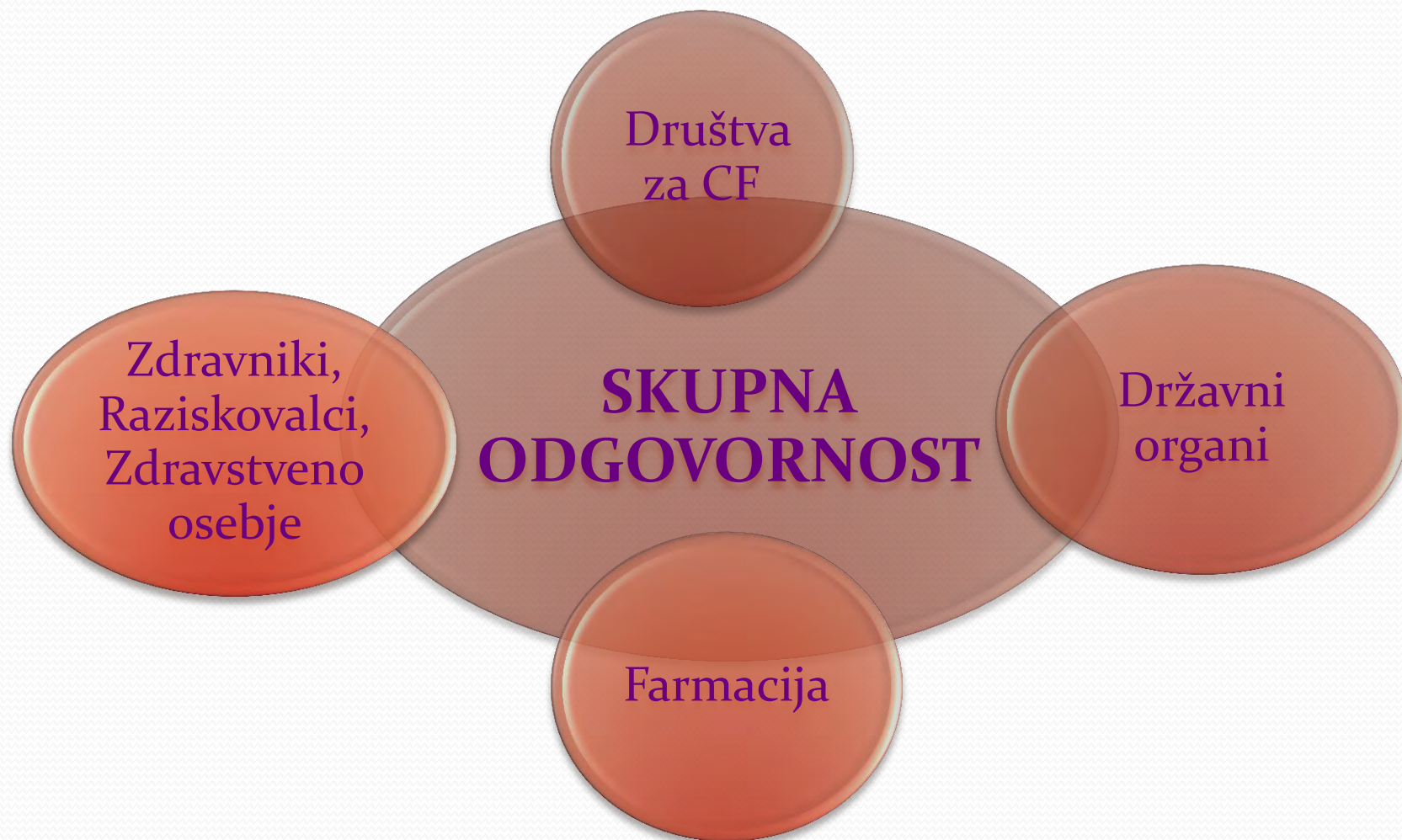


- 1) Kaj je dobra oskrba: VEDETI
 - ☐ Smernice, standardi
- 2) Izvajanje dobre oskrbe: NAREDITI
 - ☐ Strokovno znanje, pregled, organizacija
- 3) Dostop do dobre oskrbe: DOBITI
 - ☐ Razvoj
 - ☐ Ozaveščanje in izobraževanje
 - ☐ Zagovorništvo: dobiti pravo terapijo/zdravila pravemu bolniku

Izzivi za dostop do CF zdravil

Prava zdravila	Dostopnost
☐ razvoj ☐ prioritete	☐ ni na prodaj v državi ☐ težko se jih dobi ☐ začasno pomanjkanje ☐ ne povrnejo / preveč drago za bolnika
Priložnosti	Rezultati
☐ Rastoča skupina zelo predanih LJUDI: družine (društva) in zdravstveni delavci ☐ Partnerstva: družine, oskrba bolnikov, raziskave, državni organi, farmacija ☐ Ogromen POGON	☐ CF je bolje poznana ☐ Boljša CF oskrba ☐ Boljši dostop do oskrbe

Izboljšanje dostopnosti do oskrbe CF:



Dostop in pospeševanje do novih zdravil



Bolnikov pogled: Ulrike Pypops



Kaj želijo družine?



- ☐ Vsak starš želi premagati CF in / ali imeti zdravilo, ki se spopada s simptomi, ko zdravilo za CF zanj(o) še ni možno
- ☐ CF skrajšuje življenje
- ☐ V zadnjem stadiju in v nekaterih državah je CF smrtonosna bolezen
- ☐ Diagnoza cistična fibroza NI brezupna smrtna obsodba
- ☐ Upanje je veliko več, kot „čudežno zdravilo“

Veliko je bilo storjenega v teh letih...

- Na EU ravni smo videli veliko iniciativnih pobud za pospešitev dostopa do redkih zdravil / zdravil sirot na tržišče
- Na farmacevtski ravni so iniciative promovirale razvoj inovativnih terapij /zdravil v podobnih bolnikovih populacijah
- Tržišče, ki proizvaja objavljena „zdravila“ in „terapije“ za redke bolezni po zelo visoki ceni

Bolnikovo mnenje



- Več sistematičnih predstavitev/zastopanja pri odločevalcih v procesu (EMA ali EU)
 - Ad hoc posvetovanja in „povabite se sami“ za odločanje
 - Lahko se sprožijo vprašanja o legitimnosti in reprezentativnosti o glasu ljudstva
 - Dodana vrednost (ekspert „strokovnjak na področju“)
 - Kje je upoštevano mnenje potencialnega „končnega uporabnika“?
- Več EU usmerjanja na izvajanju pristopa bolnikovega zastopanja in postopek povračila na ravni držav članic

Bolnikovo mnenje



- Več EU usmerjanja/vodenja in pobude v razvoju „EU Agencije za javno naročanje zdravil“
 - Poznavanje zdravstvenega sistema je pristojnost držav članic in v izključnem nadzoru
 - S centralnim naročilom bi se bolje pogajalo za optimalne cene glede na večjo količino, kar bi omogočilo tudi cenovno dostopnejše za posamezne države
 - Racionaliziranje procesa in odstranjevanje dvojnikov ter zamud pri dostopu
 - Izboljšanje poštenosti in enakosti za bolnike
 - Vzpostavljanje zanesljivega EU trga

Bolnikovo mnenje



- Bolj sistematično zastopanje (CFE) in primerne poti za razpravljanje o strategijah, pričakovanjih, s farmacevtskimi družbami.
- Tveganja:
 - Ad hoc razprave: na posameznih/zaprtyh srečanjih z bolnikovimi zastopniki, zdravniki, plačniki
 - Ni transparentnosti: kdo pove kaj v kakšni situaciji in kakše so posledice?
 - Tvegano delo: „upanje“ (obupanih) bolnikov in njihovih zastopnikov je veliko oglaševanje farmacevtskih družb in LAHKO ustvarijo lažno upanje za ostale, ki gledajo le na svojo osebno situacijo (in ne vidijo širše)

Bolnikovo mnenje



- Zakaj je bistveno sistematično bolnikovo zastopanje na vseh nivojih? Kako lahko pomaga pospešiti dostop?

Prinaša pošteno, dobro uravnoteženo mnenje in enoten glas za študijske modele, dovoljenje na trgu in povračilo, ki bo povečalo in olajšalo dostopnost, ker je tako bolj jasno, kaj prinaša zdravilo bolniku. Zdravila bodo bila podprta z vso skupnostjo (plačniki, bolniki, farmacevtski, zdravstveni strokovnjaki) in bodo odobrili dostop / povračilo.

Nova zdravila

☐ Ivacaftor (Kalydeco), Vertex

- ☐ mutacije iz II razreda (F508del)
- ☐ že na tržišču

☐ Ataluren, PTC

- ☐ mutacije I razreda (W128X, R553X, G542X)
- ☐ klinična preizkušanja (nad 6 let, nad 16 kg, 40-90% FEV₁, saturacija večja od 92%, ne uporabljajo inhalacijskih aminoglikozidov (npr. Tobramycin) ali ga ne inhalirajo vsaj 4 mesece pred pregledom, dokumenti o genski mutaciji in znojenju, niso prej sodelovali)



Mutacije razreda I

Molekularna napaka

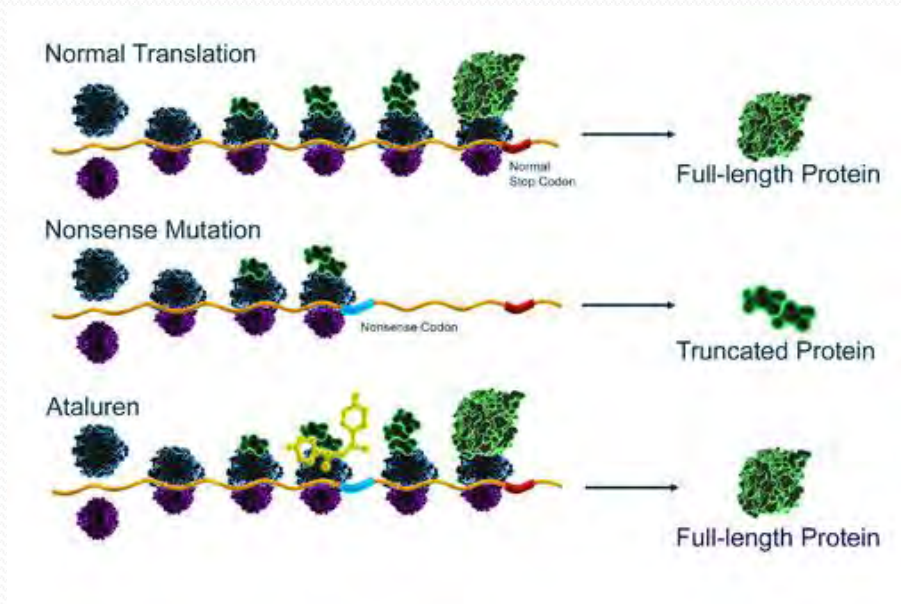
- ne privedejo do funkcionalne beljakovine CFTR
- običajno „stop kodon“, povzroči prezgodnje krajšanje beljakovine, ni stabilna in ne pride na površino celice
- če ni funkcionalne beljakovine CFTR gre ponavadi za hudo bolezen

Funkcionalna posledica

CFTR beljakovina ni izražena

Primeri mutacij

W128X, R553X, G542X



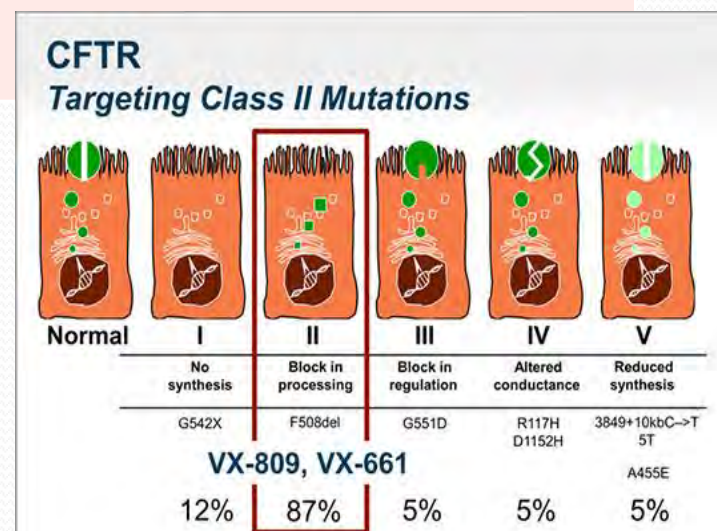
CFTR Mutation Class I

Normal	I	II	III	IV	V
	No synthesis	Block in processing	Block in regulation	Altered conductance	Reduced synthesis
	G542X	F508del	G551D	R117H D1152H	3849+10kbC→T 5T A455E
	12%	87%	5%	5%	5%

Scriver CR, et al. *The Metabolic and Molecular Bases of Inherited Disease*. 2001:5121-5188.^[8]

Mutacije razreda II

Molekularna napaka	- beljakovina je nepravilno zgrubana - nastane nepravilni kloridni kanal, ki onemogoča prehod Cl ionov na celično membrano - ne zadošča za ustvarjanje potrebne tekočine na površino dihalnih celic
Funkcionalna posledica	onemogoča proces beljakovine
Primeri mutacij	F508del, 1507del, N1303K, S549N



www.cfcare.net

cf CARE

Cystic Fibrosis Collaborative Adherence Resources & Education



Cystic Fibrosis Collaborative Adherence Resources & Education

The information contained on CFCARE.net is intended for healthcare professionals working within the European Union and Australia. By continuing to use CFCARE.net I confirm that I am a healthcare professional practicing in the European Union or Australia.

Program CF CARE



- Namen programa:
- Prepoznavanje ovir in upoštevanje pri zdravljenju
- Zagotavljanje izobraževalnih vsebin in orodij zdravstvenim delavcem za njihovo podporo pri upravljanju in sprejemanju izzivov

Zdravila ne delujejo pri bolnikih, ki jih ne jemljejo.

Charles Everett Koop

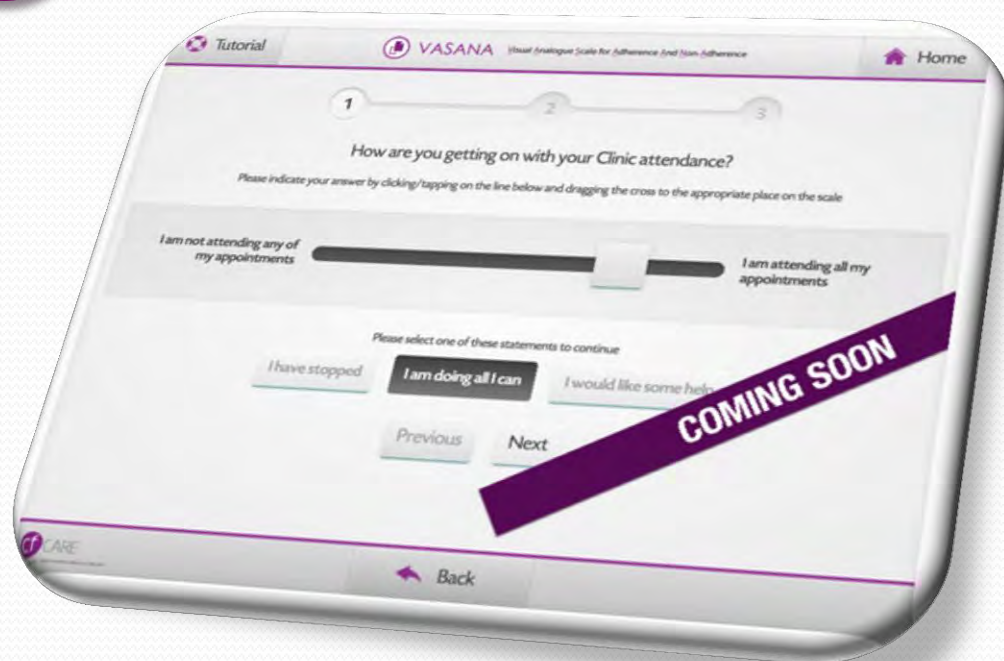
Bolnik vsakodnevno
vnaša podatke o svojih
aktivnostih (terapijah) in
zdravstvenem stanju

Zdravnik ima
tako celoten
pregled



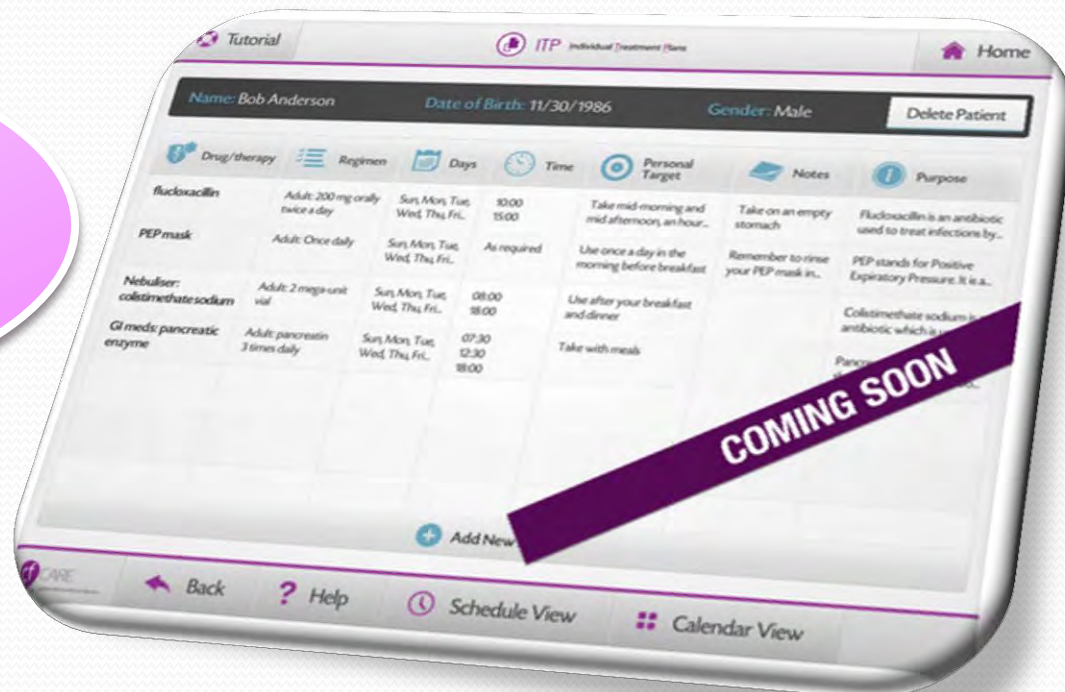
Program pomaga:

- Povečati morebitne koristi za motivacijski pogovor
- Optimizirati razvoj individualiziranih načrtov zdravljenja
- Zdravniku pri prepoznavanju področij neoptimalne upoštevanosti



Plan individualnega zdravljenja
pomaga bolnikom s CF izvajati
nadzor nad svojim zdravljenjem
in upravljanjem s časom
(pozabljenost, nepripravljenost)

Ne gre samo zgolj za seznam
zdravil, temveč se lahko
prilagodi individualnim
potrebam bolnika, se lahko
posodobi ali natisne

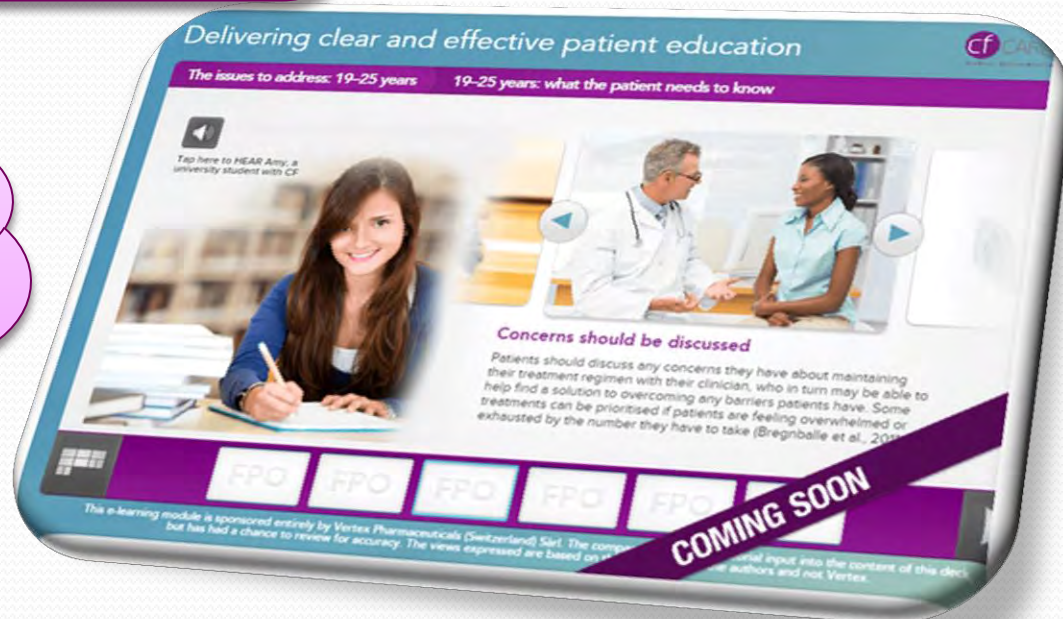


E-učenje



Jasno in učinkovito izobraževanje bolnikov:
modul je razdeljen na 9 poglavij (predstavitev, vprašanja po starostnih skupinah: 0-5, 6-12, 13-18, 19-25, 25 let +, pozna diagnoza, izobraževanje bolnikov in njihovih družin, posegi, ki so v pomoč pri upoštevanju zdravljenja)

Podpora zdravstvenim delavcem, ki delajo z bolniki s CF pri zagotavljanju izobraževanja bolnikov



CF CARE is led by an independent steering committee of international experts in the areas of Respiratory Medicine, Paediatrics, Pulmonology and Psychology.



Dr Raphaël Chiron
France – Paediatric Respiratory Medicine



Dr Damian Downey
UK and Republic of Ireland – Respiratory Medicine



Dr Silvia Gartner
Spain – Paediatric Pulmonology



Professor Lutz Goldbeck
Germany – Psychology



Dr Charles Haworth
UK – Respiratory Medicine



Dr Gary Latchford
UK – Psychology



Professor Phil Robinson
Australia – Paediatric Respiratory Medicine



Dr Doris Staab
Germany – Paediatric Pulmonology



Dr Carla Colombo
Italy – Paediatrics



Dr Rainald Fischer
Germany – Pulmonology



Ms Kairen Griffiths
UK – Specialist CF nursing



Dr Trudy Havermans
Belgium – Psychology



Ms Maya Kirszenbaum
France – Psychology



Dr Jonathan McCormick
UK – Pulmonology



Dr Nicholas Simmonds
UK – Respiratory Medicine



„Učenje in izobraževanje,
komunikacija in medsebojno sodelovanje
s sodelavci in bolniki,
je najboljša pot naprej.“

Dr. Trudy Havermans – psihologinja,
Univerzitetna bolnišnica Leuven, Belgija

38th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE
10 – 13 JUNE 2015 | BRUSSELS, BELGIUM



HVALA ZA POZORNOST

WELCOME TO THE
38th EUROPEAN CYSTIC FIBROSIS CONFERENCE

