



česká  
asociace  
pro vzácná  
onemocnění

orphanet

# Zpravodaj ČAVO 2012/1



*Česká asociace pro vzácná  
onemocnění je registrována!*

*Zpráva ze setkání 24. února 2012*

*Výsledky společné diskuse*

*Aktuální text společného prohlášení*

*Slovo dr. Kubáčkové a prof. Macka*

*Přihláška do asociace*

# Česká asociace pro vzácná onemocnění je na světě!



Vážení přátelé a kolegové z patientských organizací, rádi bychom vám oznámili, že jsme jako představitelé zakládajících organizací obdrželi od ministerstva vnitra registraci pro Českou asociaci pro vzácná onemocnění. Nyní tedy máme právní subjektivitu a můžeme začít fungovat a naplňovat cíle, které jsme si definovali na setkání 24. února 2012 v kavárně Thomayerovy nemocnice.

**Pro vstup do asociace je zapotřebí vyplnit přihlášku a odeslat ji na adresu ČAVO.** Asociace je primárně určena celým organizacím – tedy právními osobám zastupujícím zájmy pacientů se vzácnými onemocněními. Jednotlivci, pro něž dosud neexistuje patientská organizace, se mohou hlásit jako individuální členové.

Všechny související dokumenty včetně společného prohlášení najdete na stránkách [www.vzacna-onemocneni.cz](http://www.vzacna-onemocneni.cz).

*Za zakládající předsednictvo České asociace pro vzácná onemocnění*

*Markéta Lhotáková, místopředsedkyně Národního sdružení PKU a jiných DMP*

*Anna Arellanesová, předsedkyně Klubu nemocných cystickou fibrózou*

*Kateřina Uhlíková, předsedkyně sdružení META – sdružení pacientů se střádatými onemocněními*

**Prosíme vás, abyste v případě zájmu o členství v České asociaci pro vzácná onemocnění vyplnili přiloženou přihlášku a odeslali ji na naši adresu nejpozději do 15. května 2012. Přihlášené organizace budou pozvány na setkání, které proběhne v první polovině června 2012.**



Jistě jste si povšimli, že už máme i logo. Vytvořil ho pro nás pan Mihule, člen Klubu nemocných cystickou fibrózou, za což mu patří náš velký dík.

# Na cestě k asociaci

Je to už více než rok, co jsme se poprvé sešli s několika dalšími zástupci organizací sdružujících pacienty se vzácným onemocněním. Tehdy jsme se chtěli především vyjádřit ke složité situaci v oblasti vzácných onemocnění. Chtěli jsme, aby byl slyšet náš hlas. Začali jsme postupně dávat dohromady společné prohlášení, v němž jsme se snažili zohlednit své názory a požadavky především ve věci národního plánu pro vzácná onemocnění. Stáli jsme tehdy na počátku cesty, která tehdy ještě mizela někde v dálce a neměla jasné obrysy. Vše začalo krystalizovat až na podzim, zejména kolem setkání pacientů na ministerstvu zdravotnictví a ve Státním ústavu pro kontrolu léčiv.

Ukázalo se, že abychom se mohli jednoznačně vyjadřovat k celé problematice, potřebujeme si nejdříve sami mezi sebou vyjasnit, co je pro nás jako pacienty podstatné. Proto jsme se rozhodli svolat setkání u příležitosti Dne vzácných onemocnění: bylo potřeba se vidět a poznat, říct si, co nás nejvíc trápí a co nám naše spolupráce může přinést. Ze setkání letos v únoru vzešlo jasné společné stanovisko a podařilo se nám definovat i společné zájmy a cíle.

Bylo velmi zajímavé vidět prezentace všech zástupců organizací. Nejsme žádná jednodušná, uniformní skupina, naopak. Problémy a potřeby pacientů se vzácným onemocněním jsou opravdu velmi různorodé, stejně jako jsou různé samy nemoci, s nimiž žijeme a každý den bojujeme. Bylo také vidět, že skupiny pacientů jsou často velmi malé, což je dáno vzácností nemocí. Tím spíše vyvstala potřeba sjednotit se a hovořit navenek společným hlasem.

Jsem ráda, že se setkání podařilo. Ukázalo nám, že naše potřeby a názory se

v mnohém protínají a že o asociaci, která se bude na národní úrovni věnovat vzácným onemocněním, je zájem. Asociace je nyní na světě a doufám, že budeme mít dost sil na to, abychom skutečně začali dosahovat těch cílů, které jsme si vytknuli.

Fakt, že podpora našemu úsilí přišla i ze strany odborníků na vzácná onemocnění, konkrétně od prof. Milana Macka a MUDr. Kateřiny Kubáčkové, snad ukazuje, že cesta, kterou nastupujeme, je smysluplná.

Jako první úkol vidím zajistit co nejlepší komunikaci mezi námi, tedy především zprovoznit web ([www.vzacna-onemocneni.cz](http://www.vzacna-onemocneni.cz)). Na něj umístíme aktualizovanou databázi kontaktů a budeme zde zveřejňovat všechny informace, které se nás týkají (zatím třeba stanov, přihlášku a společné prohlášení), respektive dokumenty k jednotlivým oblastem dotýkajícím se života se vzácným onemocněním tak, jak budou vznikat pracovní skupiny.

Před létem potom svoláme členskou schůzi, kam bychom rádi pozvali všechny organizace, které se nám přihlásí, a kterou tematicky věnujeme problematice národního plánu v oblasti vzácných onemocnění.

*Všechny vás srdečně zdravím!*

*Markéta Lhotáková*



# Setkání pacientů se vzácným onemocněním

## 24. února 2012

V pátek 24. února se setkali zástupci organizací sdružujících pacienty se vzácným onemocněním, jejich rodiny a přátele,

jejich sdružení, i se svými konkrétními záměry a dlouhodobými cíli.

Po obědě se účastníci setkání rozdělili do diskusních skupin, v nichž mohli vyjádřit své představy o připravované národní asociaci a navrhnout, co by mělo být předmětem činnosti asociace a jakou prioritu by měly mít jednotlivé druhy této činnosti. Ukázalo se, že přes různost nemocí a osobních zkušeností je možné shodnout se na společných potřebách, jejichž naplňování by mělo být důležitou aktivitou vznikající národní asociace. Po



aby představili svá sdružení a diskutovali o připravované zastřešující organizaci pro vzácná onemocnění v ČR. Setkání proběhlo v kavárně v areálu Fakultní Thomayerovy nemocnice v Praze 4.

Úvodního slova se ujala Anna Arellanesová z Klubu nemocných cystickou fibrózou. Následně zazněla přednáška MUDr. Kateřiny Kubáčkové, uznávané expertky na vzácná onemocnění. Závěrečná část dopoledního programu byla vyhrazena pro prezentace patientských sdružení. Jednotliví zástupci seznámili stručně všechny zúčastněné s problematikou vlastního vzácného onemocnění, s důvody, které vedly ke vzniku

prvním shrnutí výsledků diskuse informovala všechny přítomné o současném stavu přípravy této asociace Markéta Lhotáková z Národního sdružení PKU a jiných DMP.

Celé setkání moderovala Lenka Skočdopole Vakermanová

z Klubu nemocných cystickou fibrózou a na jeho organizaci a průběhu se podíleli další členové zúčastněných sdružení. V závěru setkání se účastníci na základě výzvy Eurordisu propojili svými palci a zdviženými dlaněmi a výsledkem byla pěkná společná fotografie.

Setkání bylo velmi příjemnou událostí a ukázalo zájem zúčastněných patientských sdružení o vytvoření zastřešující asociace pro vzácná onemocnění na národní úrovni, která by představovala jednotný hlas směrem ke státním a dalším klíčovým autoritám na poli vzácných onemocnění.

*Roman Lang*

# Jaké byly výsledky společné diskuse nad cíli asociace?

*Vzácná onemocnění jsou na první pohled velmi různorodá a také sdružení pacientů, kteří jimi trpí, řeší velmi rozdílné problémy. Chtěli jsme zjistit, co nás spojuje a čím si můžeme být navzájem užiteční.*

Pokusili jsme se zjistit, jaké problémy jednotlivá patientská sdružení řeší a co pro ně může asociace udělat. V rámci pěti diskusních skupin, které se sešly během setkání u příležitosti Dne vzácných onemocnění, jsme hledali společné postoje a názory. Ty pak na závěr setkání prezentovali moderátoři jednotlivých skupin. Výstupy z diskusních skupin jsme pak ještě mezi sebou porovnali a došli jsme k následujícím závěrům.

## SPOLEČNÉ BODY V ZÁVĚRECH PRACOVNÍCH SKUPIN

### 1. Asociace by měla členským organizacím poskytovat tyto služby:

- a. zastupování společných zájmů při jednání se zástupci veřejných institucí,
- b. platformu pro sdílení informací – nedostatek informací je obecným problémem vzácných onemocnění,
- c. vzdělávání a poradenství (v otázkách zdravotní a sociální péče i v otázkách fungování samotných sdružení).

### 2. Kde a jak prosazovat zájmy?

- a. ministerstva, pojišťovny, posudkoví lékaři, pracovní skupina pro VO,
- b. podpora při vyjednávání.

### 3. Kde a jak informovat o vzácných onemocněních?

- a. odborná veřejnost – lékaři i pracovníci v sociální oblasti,
- b. laická veřejnost by měla být informována o problematice vzácných onemocnění,
- c. politici by měli být informováni



o specifických potřebách pacientů se vzácným onemocněním.

### 4. Jakou formou budeme spolupracovat?

- a. setkání členů nad určitým tématem jednou nebo dvakrát ročně,
- b. většina komunikace by měla být dostupná v elektronické podobě,
- c. k jednotlivým tématům by měly být ustaveny pracovní skupiny.

Z těchto závěrů tedy budeme vycházet při formování konkrétního programu asociace na nejbližší období. Snad se nám jej bude dařit společně uskutečňovat.

# Společné prohlášení pacientských organizací ke Dni vzácných onemocnění

V Praze dne 24. února 2012

Toto společné prohlášení zástupců organizací pacientů se vzácnými onemocněními poukazuje na oblasti a témata, která jsou z pohledu pacientů nejdůležitější a měla by být zohledněna při další práci na národním plánu pro vzácná onemocnění i při tvorbě národní legislativy v oblasti vzácných onemocnění.

Když člověk onemocní vzácnou chorobou, je v podstatně složitější situaci než člověk s chorobou častou, ať už jde o diagnostiku, možnosti léčby nebo informace o nemoci. Přitom by měl mít stejná práva jako ostatní pacienti. Aby bylo možné napravit znevýhodnění, které takové diagnózy znamenají, je zapotřebí kategorií vzácných onemocnění zakotvit v příslušných předpisech a standardizovat specifický přístup tak, jak je tomu například ve většině zemí Evropy a USA a jak to předpokládá Nařízení rady Evropy z roku 1999/2000.

Diagnostika, léčba a péče o pacienty se vzácným onemocněním je v České republice na rozdílné úrovni. Většina případů je řešena ad hoc: nejsou zavedeny standardy léčby ani odpovídající legislativa. Aby bylo možné kvalitu péče do budoucna garantovat, považujeme za nezbytné zakotvit v odpovídajících normách především včasnou diagnostiku, rovný a včasný přístup k léčbě a rozvoj sítě specializovaných center. Tyto cíle zmiňuje mj. *Národní strategie pro vzácná onemocnění* a doporučení rady EU o vzácných onemocněních a měl by z nich vycházet i *Národní plán pro vzácná onemocnění*.

K dosažení těchto cílů je podle našeho názoru zapotřebí učinit následující kroky:

- vymezení specifické kategorie vzácných onemocnění v české legislativě,
- standardizace léčebných postupů pro jednotlivé diagnózy v souladu s doporučenými evropskými standardy,
- legislativní zakotvení zvláštního režimu orphan drugs (léků na vzácná onemocnění),
- usnadnění přístupu pacientů k novým lékům a léčebným postupům,
- zakotvení statusu specializovaných léčebných center a rozvoj sítě těchto center (pro některé nemoci dosud neexistuje odpovídající pracoviště),
- posílení přeshraniční spolupráce při léčbě a výzkumu,
- rozvoj diagnostiky tak, aby co nejméně pacientů zůstávalo bez správné diagnózy,
- stanovení pevného časového harmonogramu uskutečňování jednotlivých cílů v rámci národního plánu, který bude naplňovat národní strategii vyhlášenou vládou v roce 2010,
- zohlednění specifík vzácných onemocnění v oblasti sociální politiky.

Národní plán pro vzácná onemocnění by měl obsahovat přesný postup, jak těchto cílů dosáhnout.

Toto společné prohlášení vzniklo v rámci přípravy založení a formulace cílů platformy na podporu činnosti sdružení pacientů se vzácnými onemocněními.

Podporu tomuto společnému prohlášení vyjádřilo 24 organizací pacientů se vzácným onemocněním.

Možnost připojit se k tomuto prohlášení však i nadále mají všechny další organizace, které souhlasí s jeho zněním a zastupují zájmy pacientů se vzácným onemocněním.

Stačí si na [www.vzacna-onemocneni.cz](http://www.vzacna-onemocneni.cz) stáhnout prohlášení, vytisknout je a podepsané zaslat na adresu ČAVO.

## Slovo paní doktorky Kubáčkové

Vážení přátelé, členové České asociace pro vzácná onemocnění! Dovolte mi, abych vám všem u příležitosti ustanovení vaší organizace poslala několik slov do jejího startu.

Nesmírně si vážím možnosti, které se mně dostalo, sdílet s vámi první okamžiky společného setkání a představování, sdílení opravdových příběhů, příběhů zklamání, bolesti, příběhů naděje i výhry. Je více než symbolické, že právě v tento velikonoční čas, čas utrpení a bolesti, naděje, vítězství a lásky přichází do života takováto občanská iniciativa, jejímž posláním je pozvednout vědomí o vzácných, opomíjených nemocích jedinců a celých rodin, kteří jako všichni ostatní jsou hodnotnými, právoplatnými členy naší společnosti a jako takovým by jim měla patřit stejná pozornost, léčba i péče. Pacientským organizacím v naší společnosti chybí patřičná síla a pozornost okolní společnosti, jak je to běžné v ostatním vyspělém světě. Právě péče o jedince s neobvyklými, vzácnými onemocněními je jednou z vizitek skutečné vyspělosti demokratické společnosti. Je důležité, aby váš hlas byl slyšen a vyslyšen. *Per aspera ad astra!*

MUDr. Kateřina Kubáčková



---

## Slovo pana profesora Macka

Jakožto zástupce České republiky ve výboru Evropské komise – European Union Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD.eu) – a současně z pozice Národního koordinátora projektu Orphanet ([www.orpha.net](http://www.orpha.net)) vítám vznik České asociace pro vzácná onemocnění.

Vznik této důležité občanské iniciativy dovršuje naše aktivity v oblasti vzácných onemocnění, které započaly v průběhu českého předsednictví Evropské unie ([www.eu2009.cz](http://www.eu2009.cz)) a byly spojeny s přijetím důležitého Doporučení Rady pro vzácná onemocnění. Následně pak byla v roce 2010 přijata příslušná Národní strategie (Usnesení vlády ze dne 14. června 2010 č. 466., o Národní strategii pro vzácná onemocnění na léta 2010–2020).

Jak evropské, tak i národní dokumenty doporučují vznik národních asociací patientských sdružení pro vzácná onemocnění, které pak mohou společně hájit zájmy všech svých členů.



Věřím, že nově vzniklá asociace se brzy zformuje v profesionální sdružení, které bude reprezentovat většinu již existujících patientských sdružení pro vzácná onemocnění v České republice. K tomu je nutné vytvořit atmosféru důvěry, spolupráce a hájení společného zájmu. Bude nezbytné spolupracovat jak na mezinárodní, tak i na domácí úrovni s partnerskými organizacemi a pochopit, že některé věci zabírají více času, než se v úvodním zápalu může zdát.

Je to tedy především o drobné, každodenní práci pro dobro všech – ostatně tak dobře známé z dosavadní činnosti základajících členů tohoto sdružení.

Věřím, že se asociace stane efektivním partnerem Meziresortní a mezioborové pracovní skupiny pro vzácná onemocnění při MZ ČR při nelehké tvorbě Národního akčního plánu, do něž je již nezbytné zahrnout financování lékařské a sociální péče o pacienty se vzácnými chorobami.

Přeji vám tedy hodně optimismu, moudrosti, síly a zdaru ve vaší záslužné činnosti!

*prof. MUDr. Milan Macek ml.*

**Milí přátelé,**

součástí naší práce v České asociaci pro vzácná onemocnění by mělo být také zvyšování povědomí o vzácných onemocněních, a to jak u odborné, tak u laické veřejnosti. Abychom mohli oslovovat jednotlivé autority, odborníky a laiky, chtěli bychom jim nabídnout skutečné příběhy konkrétních pacientů se vzácným onemocněním. Již mnohokrát se v minulosti ukázalo, že tyto příběhy mají velkou sílu, že dokážou otevřít dveře tam, kde jsou lidé již vůči všem sdělením a statistikám imunní.

Pošlete nám prosím svůj příběh, případně přiložte svou fotografii, nebo nás kontaktujte na níže uvedených kontaktech, a to i v případě, že jste již svůj příběh prezentovali na našem setkání 24. února v Thomayerově nemocnici. Považujte prosím za samozřejmé, že váš příběh bude prezentován jen pro účely související s posláním ČAVO a vždy s vaším předchozím souhlasem.

**Děkujeme!**

## **Zpravodaj ČAVO**

**Vydává Česká asociace pro vzácná onemocnění**

**Kudrnova 22/95, 150 06 Praha 5**

**telefon: 774 151 290**

**e-mail: [cavo@vzacna-onemocneni.cz](mailto:cavo@vzacna-onemocneni.cz)**