

Tento rok sme si kvôli zriedkavým chorobám ľahli #zriedkavelezanie



Posledný februárový deň je medzinárodným dňom zriedkavých chorôb. Zriedkavé choroby sú chronické, závažné a život ohrozujúce ochorenia, ktoré postihujú nie viac ako 5 na 10 000 obyvateľov.

Dennodenne zasahujú do života viac ako 30 miliónov ľudí v Európe. Na Slovensku sa odhaduje 300 000 pacientov so zriedkavými chorobami. Pacienti, ktorí nimi trpia, mávajú obmedzený prístup k liečbe, zdravotnej starostlivosti a špecializovaným sociálnym službám. Príbuzní sú často jediní, ktorí sa vytrvalo starajú o svoje milované deti a súrodencov.

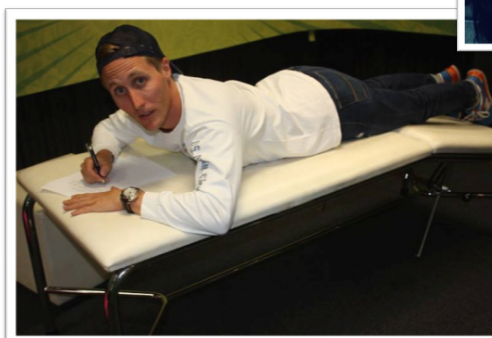
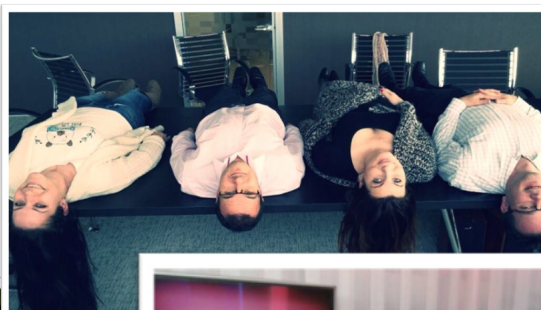
Pacientske organizácie sú pre nich dôležitým partnerom a zdrojom informácií. „Deň za dňom, ruka v ruke“ s pacientmi a ich rodinami riešia problémy, zvyšujú povedomie a spolupracujú s odborníkmi. Práve rodinám pacientov je venovaný tohtoročný slogan Dňa zriedkavých chorôb, ktorý znie: **Žijem so zriedkavou chorobou. Deň za dňom, ruka v ruke.**

Dňa 28. februára zasiahla svet

vlna solidarity s pacientmi so zriedkavými chorobami. A Slovensko bolo vďaka Slovenskej aliancii zriedkavých chorôb po štvrtýkrát jeho aktívnou súčasťou. Tento rok sme na zvýšenie povedomia o zriedkavých chorobách pripravili zaujímavú aktivitu **Celonárodné ležanie zo solidarity**, ktorú odštartovali v piatok 27. 2. 2015 Marcel s Juniorom v rannej show Fun rádia. Ležanie bez možnosti pohybu je veľakrát prejavom závažných chorôb a zároveň

vo svojej bezmocnosti pripomína stav pacienta a jeho blízkych, ktorí sú často bezradní a nevedia sa pohnúť z miesta. **Kampaň a odborné aktivity sprevádzal aj benefičný koncert v historickej radnici mesta Košice.**

Zriedkavo si ľahli aj zamestnanci Sanofí



Sajfa zriedkavo leží pri moderovaní vo Fun rádiu



Aliancia ZCH zriedkavo leží v „Rozhovorech cez polnoc na“ TA3

Kto chcel sa pridať, kto chce stále sa môže pridať a podporiť ľudí so zriedkavými chorobami.

Ako? Ľahnite si na znak solidarity a vyskúšajte si, koľko vydržíte ležať bez pohnutia. Fotografiu z vášho ležania zdieľajte na sociálnych sieťach a označte ju **#zriedkavelezanie alebo zaslite na lezanie@sazch.sk**. Tak ju budeme môcť šíriť spolu s dokumentáciou ďalších podporovateľov. Naši podporovatelia nielen ležali ale tiež priamo pomohli ľuďom so zriedkavými chorobami a to príspevkom na **transparentný účet Aliancie zriedkavých chorôb SK37 0900 0000 0050 6414 3521**. Zvyšovaním povedomia o zriedkavých chorobách sa dokážu zvyšovať možnosti diagnostiky, liečby a starostlivosti pacientov so zriedkavými chorobami.

Text a foto: Sazch

Benefičný koncert pri príležitosti Medzinárodného dňa zriedkavých chorôb

Text: Mgr. Katarína Schiff, Mgr. Iveta Kožková
Predseda AKUSSaC, o.z.

V prvý marcový deň sme sa za naše Občianske združenie AKUSSaC (Spoločnosť pre alkaptonúriu Slovensko a Česko) zúčastnili na zaujímavom benefičnom koncerte organizovanom pre nás pacientov so zriedkavou chorobou.

Pod záštitou primátora mesta Košice a predsedu zdravotníckeho výboru NR SR MUDr. Richara Rašiho sa konal vo veľkej sále historickej budovy mestskej radnice v Košiciach. Programom sprevádzala herečka Gabika Dzuríková. Gabika je dlhoročnou podporovateľkou DebRA Slovakia a tak sa dostala k celej náročnej problematike zriedkavých chorôb

bami. Deti veľmi emotívne reagovali najmä na vystúpenie Mira Jaroša, niekdajšej hviezdy z relácie o hľadaní speváckych talentov. Trvalo chvíľku kým mu dovolili odísť. Aj to len vďaka tomu, že ho vystriedal ujo Ľubo, známy rozprávkár. Deti si tak mali možnosť zatancovať, zaspievať rozprávku o tom ako dedko ťahal repku. Večerná časť už patrila do-

sposobom chcela pripomenúť Medzinárodný deň zriedkavých chorôb, pripadajúci na 28. február. Zriedkavé choroby totiž vôbec nie sú také zriedkavé, ako by sa mohlo zdať. Na niektoré už medicína našla lieky, iné ešte len čakajú na svoje objavenie. Aj to chcel benefičný koncert pripomenúť. Len v Európe zriedkavými chorobami trpí takmer 30 miliónov ľudí a na Slovensku sa toto číslo blíži k 300-tisícom.

Výťažok z podujatia bude použitý práve pre pacientov

jedno zvláštne špecifikum – najvyšší počet alkaptonurikov žije práve u nás; evidujeme vyše 200 pacientov. V AKUSSaC nám záleží na pomoci pacientom, rovnako ako na edukácii laickej aj odbornej verejnosti, čo bolo aj našou motiváciou prečo prísť



Katarína Schiff a NOCADEN, symbolicky: „Pomôžte im vyliečiť chorobu čiernych kostí.“



Miro Jaroš spieva pre „Ne“poslušné detičky

kde okrem epidermolysis bullosa a alkaptonúrie patrí ďalších 6 -8000 tisíc chorôb s nízkou frekvenciou výskytu. Koncert avizovala aj v Teleráne. Vystúpili na ňom speváčka Katarína Knechtová, skupina Nocadeň. Najprv však deti zabavil Miro Jaroš spolu s ujom Ľubom. Takýmto spôsobom sa Košičania príjemne zabavili a ešte aj podporili dospelých a deti so zriedkavými choro-

speľým divákom. Postarali sa o ňu spontánna kapela Nocadeň ako aj Katka Knechtová. Nechýbali ani pesničky z turné spolu s Cigánskymi diabľami. Vo vstupnej hale mali návštevníci možnosť dozvedieť sa čo to o zriedkavých chorobách. Ich pozornosť púťali tváre hercov z bábkového divadla v Banskej Bystrici, s modrými perami. Upozorňovali takto na ďalšiu zo zriedkavých chorôb, pľúcnu artériovú hypertenziu. Deti sa mohli nechať pomalovať na tvár. A aj spolu s rodičmi si mohli zahrať bocciu. Nápad usporiadať benefičný koncert vznikol na pôde Slovenskej aliancie zriedkavých chorôb, ktorá si aj takýmto

so zriedkavými chorobami, ktoré sú vo väčšine prípadov genetické. Zatiaľ sa väčšina z týchto chorôb nedá vyliečiť. Tak je to aj v prípade alkaptonúrie (genetické metabolické ochorenie). Práve v súvislosti s týmto ochorením Slovensko zaznamenáva

osobne podporiť benefičný koncert a aktivity SAZCH.



Katarína Schiff, primátor Košíc Richard Raši a Beáta Ramljaková



Gabika Dzuríková zriedkavo leží priamo na koncerte

Boccia ako sprievodná akcia OMD v SR počas Benefičného koncertu v Košiciach na pomoc dospelým a deťom so zriedkavou chorobou

Text: Mgr. Ondrej Bašták Ďurán, Organizácia muskulárnych dystrofiikov v SR

Súčasťou benefičného koncertu boli aj sprievodné akcie, medzi ktoré patrila aj prezentácia športu pre ťažko telesne postihnutých – boccia, ktorú pri stánku Organizácie muskulárnych dystrofiikov v SR (OMD v SR), www.omdvrs.sk, viedol Ondrej Bašták Ďurán z firmy BASHTO, www.parahry.sk, spolu s kolegom zo športového klubu ZOM Prešov, www.zompresov.sk, Mariánom Klimčom, aktívnym hráčom boccie, a ďalšími kolegami.

V stánku OMD v SR návštevníci koncertu mohli nájsť rôzne informačné materiály o **muskulárnej dystrofii** a iných neuromuskulárnych ochoreniach a zakúpiť si tovar. Výťažok z predaja bude použitý na aktivity združenia. Šport boccia je vhodný aj pre zdravotne znevýhodnených. Radosť prináša všetkým generáciám, od detí až po seniorov.

Práve **detští diváci** Benefičného koncertu sa do boccie vrhli s veľkým nadšením a potešením. Pridali sa škôlkari (snáď aj predškôlkari), a školáci. Vo vstupnej hale sme vylepili provizórne **tréningové ihrisko** o rozmeroch asi 5x5m, kde si deti mohli **zahádzať boccia loptami** – buď voľne rukou, alebo použitím **boccia rampy**. Najväčšiu pozornosť deti venovali práve púšťaniu si loptičiek po boccia rampe (pozri video) – ide o

válovček, ktorý si môžu hráči natočiť do požadovaného smeru aj sklonu, tak aby trafili svoju loptu na cieľ, teda o akési „delo“, ktorým hráči strieľajú loptičky na ihrisko. Pri boccia rampe stáli deti v rade, každé s plnými rukami boccia lôpt a predbiehali sa kto tie svoje skôr pustí. Deti si zahrali aj **zápas v pároch**, kde hádzali lopty rukou. Víťazi dostali drobné odmeny. Na stole vedľa sa niektoré z detí pustili do **mini boccie** – stolovej verzie boccie, ktorá sa hrá s minirampami, po ktorých si deti kotúľali mini boccia lopty. V niektorých momentoch bolo na ihrisku toľko detí, že bolo ťažké sledovať ich pohyb a o samotnej hre sa hovoriť nedá – jednoducho si **hádzali loptičky ako prišlo**. Bolo však jasne vidieť, že hra s loptičkami ich veľmi zaujala a že sa dobre bavila. Boccia lopty sú prí-

jmné na dotyk, sú z kože, mäkké, akurát do ruky, dajú sa voľne hádzať, kotúľajú sa po podlahe, sú farebne rozlíšené.

lôpt, ktoré sa snažia dostať čo najbližšie k bielej cieľovej loptičke. **Klasická boccia je** určená pre ťažko telesne postihnutých hráčov a od



Mini boccia

Aj táto skúsenosť s bocciou pre deti ukazuje, že hra má v sebe potenciál byť **atraktívnou pre hráčov v detstvom veku**.

Čo je to boccia?

Boccia je loptová hra založená na princípe hádzania lôpt na cieľ. Hráči majú 6 červených a 6 modrých

roku 1984 je zaradená medzi paralympijské disciplíny. **Integrovaná boccia** je určená pre všetkých ako zdravotne hendikepovaných, či už telesne, alebo mentálne – tak aj zdravých a vďaka svojim kvalitám – napr. nekkladie veľké nároky na fyzický výkon – **je dobrým integračným prvkom**, pretože ju na rovnakej úrovni dokážu hrať spolu zdraví hráči s hendikepovanými.

Boccia je vhodná aj pre ľudí so zriedkavými chorobami, medzi ktoré patria mnohé, ktoré pacientov invalidizujú natoľko, že iné formy športu sú pre nich nedostupné.



Ako Európa podporuje zriedkavé choroby?

Prehľad európskych aktivít v prospech zriedkavých chorôb

Text: PharmDr. Tatiana Foltánová, Phd.

Európska komisia koordinovane podporuje skvalitnenie organizácie a dostupnosti k prevencii, diagnostike a liečbe pacientov so zriedkavými chorobami v celej Európskej únii a teda aj na Slovensku. Touto cestou sa snaží zabezpečiť rovnocenný prístup zdravotnej starostlivosti pre všetkých pacientov, nezávisle od frekvencie výskytu choroby. Čo všetko sa udialo v Európe za posledných 15 rokov v prospech zriedkavých chorôb?

1. Podpora skorej diagnostiky

Európska komisia (EK) podporovala projekt ORPHANET a SPOLOČNÉ AKCIE (JOIN ACTIONS), cez programy v oblasti zdravia. Výsledkom je vznik ORPHANET databázy, ktorá v súčasnosti charakterizuje 6000 zriedkavých chorôb a prispela k zvýšeniu počtu online internetových zdrojov o zriedkavých chorobách. ORPHANET je nástrojom obrovského významu pre klinikov, zdravotníkov a pacientov, ktorí pátrajú po svojej diagnóze. Je kľúčovým krokom k ďalším výskumným a terapeutickým možnostiam.

EK zriadila Európske referenčné siete (ERN). ERN podporia spoluprácu medzi členskými štátmi v oblasti diagnostiky a liečebných možností, tak aby zabezpečili vysoko špecializovanú zdravotnú starostlivosť pre zriedkavé choroby. Výsledkom bude, že pacienti budú mať rýchlejšie dostupnú odbornú starostlivosť aj za hranicami svojho štátu. Zabezpečila tiež zriadenie národných kontaktných bodov, kde môžu pacienti získať viac informácií o tom ako získať potrebnú starost-

livosť, kdekoľvek v EÚ. Národným kontaktným bodom pre cezhraničnú zdravotnú starostlivosť je **Úrad pre dohľad nad zdravotnou starostlivosťou**.

Podpora Európskeho výskumu s cieľom získať potrebné informácie o zriedkavých chorobách, a možnostiach ich liečby

S ohľadom na spoločný výskum, EK bude pokračovať vo finančnej podpore európskeho výskumu, ktorý vznikol v predchádzajúcich výskumných programoch. Horizont 2020 pracovný program pre Zdravie 2015 zahŕňa 62 miliónov euro pre rozvoj nových liečebných metód na zriedkavé choroby. EK tiež spolufinancuje ERA NET, v rámci projektu E-RARE-3, ktorý podporuje spoluprácu medzi vedcami a odborníkmi v jednotlivých európskych krajinách. Zriedkavé choroby sú príliš veľkou výzvou pre jeden štát, či jednu oblasť. To je dôvodom prečo EK spolu s európskymi a medzinárodnými partnermi iniciovala vznik **Medzinárodného výskumného konzorcia pre zriedkavé choroby (IRDiRC)**. Je to najväčšie výskumné konzorcium s cie-

ľom priniesť v roku 2020 až 200 nových liečiv a diagnostických postupov pre zriedkavé choroby.

IRDiRC má v súčasnosti 40 členských organizácií, zo 4 kontinentov, ktoré spoločne pracujú na nových liečebných možnostiach. Členovia sa skladajú z platcov, ktorí sa zaviazali preinvestovať v rámci výskumných projektov minimálne 10 miliónov dolárov počas 5 rokov. Medzinárodní partneri zahŕňajú organizácie z Austrálie, Kanady, Číny, Južnej Kórey, Gruzínska a USA.

Podpora farmaceutických firiem

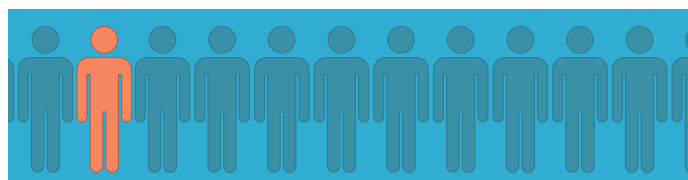
Pacienti so zriedkavými chorobami by mali mať rovnaký prístup k liečbe ako iní pacienti. Vzhľadom k tomu a tiež za účelom podpory výskumu liekov na zriedkavé choroby, v roku 2000 EÚ predstavila novú legislatívu s cieľom naštartovať výskum liekov na zriedkavé choroby. **Európska smernica o liekoch na zriedkavé choroby (EC/141/2000)** zriadila procedúru dezinácie liekov na zriedkavé choroby a iniciatívy pre výskum, marketing a vývoj liekov na zriedkavé choroby. Dnes farmaceutický priemysel vďaka orphan dezinácii profituje z redukcie poplatkov, 10 ročnej patentovej ochrany a odbornej asistencie. Vďaka týmto aktivitám bolo registrovaných 112 liekov na zriedkavé choroby a 1132 liečiv je vo vývoji.

Zriadenie spoločnej platformy pre vznik registrov na zriedkavé choroby

Spoločné výskumné centrum v spolupráci s EK a Agentúrou pre zdravie a bezpečnosť potravín zriadili platformu pre registre zriedkavých chorôb. Platforma má zabezpečiť centrálny prístup k informáciám o zriedkavých chorobách, zvýšiť dostupnosť registrov ako aj zabezpečiť vzájomnú interoperabilitu jednotlivých registrov. Ďalším dôležitým cieľom je zabezpečiť porovnateľnosť a spoľahlivosť v rámci harmonizácie registrov. Cieľom je zabezpečiť integráciu informácií pre epidemiologický výskum v oblasti zriedkavých chorôb, zabezpečenie kvalitných a zmysluplných klinických štúdií s jasne definovanými outcomami. Všetky tieto aktivity smerujú k zvýšeniu úrovne zdravotnej starostlivosti o pacientov so zriedkavými chorobami.

Pomoc patientskym organizáciám

V rámci zdravotníckeho programu, Európska komisia zabezpečila operačný grant pre **Európsku organizáciu pre zriedkavé choroby (EURORDIS)**. EURORDIS je jednotným hlasom 614 patientskych organizácií, združujúcich pacientov so zriedkavými chorobami v 58 krajinách, je jednotným hlasom 30 miliónov ľudí so zriedkavými cho-



robami v Európe. Financovanie EURORDIS má za cieľ zvýšiť kvalitu života ľudí so zriedkavými chorobami a to najmä vďaka zastúpeniu pacientov na európskej úrovni, v prospech podpory výskumu a vývoja nových liekov, zvyšovania povedomia, spájania odborníkov a ďalších aktivít za účelom zníženia negatívneho dopadu zriedkavých chorôb na životy pacientov a ich rodín.

Pomoc a podpora členských štátov

V roku 2008 EK vypracovala Správu o zriedkavých chorobách, ktorú nasledovalo odporúčanie členským štátom (2009). Obe mali za cieľ zvýšiť povedomie o zriedkavých chorobách a podporiť európsku spoluprácu a koordináciu v oblasti zriedkavých chorôb. Odporúčanie vyzvalo členské štáty, aby do roku 2013 prijali národné plány alebo stratégie pre zriedkavé choroby a zabezpečili tak jednotný prístup k zdravotnej starostlivosti pre všetkých pacientov. Technicky tento program zabezpečil projekt EUROPLAN. V súčasnosti 20 členských štátov prijalo národné plány a mnohé sú blízko tohto finálneho kroku.

Zabezpečenie kvalitnej odbornej pomoci

Od roku 2009, EK naslúcha radám a odporúčaniam odborníkov v oblasti zriedkavých chorôb. Tieto expertné skupiny tvoria zástupcovia patientskych organizácií a odborných spoločností.

V rámci druhého programu spoločnej akcie v oblasti zdravia (Zdravotný program 2008-2013) bolo podporených viac ako 30 projektov v oblasti zriedkavých chorôb. Vďaka tejto aktivite sa zvýšila úroveň poznania v oblasti zriedkavých chorôb pre odborníkov ako aj pacientov. Tretí program zdravia (2014-2020) bude ďalej pokračovať v podpore projektov v oblasti zriedkavých chorôb.

Uvedenie filmu Teória všetkého podporilo Deň zriedkavých chorôb 2015

Text: Organizácia muskulárnych dystrofikov v SR

Premiéra filmu životopisného príbehu jedného z najvýznamnejších astrofyzikov súčasnosti, Stephena Hawkinga prispela k rozšíreniu povedomia o zriedkavých chorobách.

Okrem jeho geniality a významným prínosom v oblasti teoretickej fyziky, kozmológie a kvantovej gravitácie je o Stephenovi Hawkingovi známe, že trpí jedným zo zriedkavých ochorení – amyotrofickou laterálnou sklerózou (ALS). Toto ochorenie mu prvýkrát diagnostikovali v 21 rokoch, počas štúdia na Univerzite v Cambridge. Lekári mu vtedy určili prognózu 2 rokov života. V januári tohto roku sa dožil 73 rokov. Napriek jeho chorobe sa stále aktívne venuje štúdiu

fyziky, písaniu a verejnému životu.

Pri príležitosti uvedenia filmu Teória všetkého sa spoločnosť Barracuda Movie rozhodla podporiť **Deň zriedkavých chorôb 2015** na Slovensku, ktorý pripadá na 28. február. Príbeh Stephena Hawkinga je inšpiráciou pre všetkých. Stephen nie je zďaleka jediným človekom so zriedkavou chorobou, ktorý má výnimočné schopnosti. Aj na Slovensku žijú mimoriadni ľudia s podobným ochorením.



Aj Vaše povedomie o zriedkavých chorobách im pomáha prekonať každodenné úskalia prameniace z nízkej frekvencie výskytu ich choroby.



Minorit 1/2015

vyšiel v apríli 2015
ISSN 1339-5440
MK SR č. EV4911/14
IČO 42 258 073

Vydáva:
Slovenská aliancia
zriedkavých chorôb
Kollárova 11,
902 01 Pezínok

kontakty:

Ing. Beáta Ramljaková
e-mail: ramljakova@sazch.sk

PharmDr. Tatiana Foltánová, Ph.D.
e-mail: foltanova@sazch.sk

www.zriedkave-choroby.sk
www.sazch.sk

Farmaceutický priemysel sa spojil v boji proti zriedkavým chorobám

Text: Anna Michalková / Sesame

Platforma Orphan združujúca výrobcov liekov na zriedkavé choroby a Asociácia inovatívneho farmaceutického priemyslu (AIFP) uzavreli Memorandum o spolupráci v oblasti zriedkavých chorôb. Výrobcovia tak zjednotili svoju pozíciu a veria, že v spolupráci so Slovenskou alianciou zriedkavých chorôb (SAZCH) a ďalšími odborníkmi budú môcť pokračovať v diskusii o Národnej stratégii rozvoja zdravotnej starostlivosti o pacientov so zriedkavými chorobami, jej reálnom naplnení a implementácii v praxi.

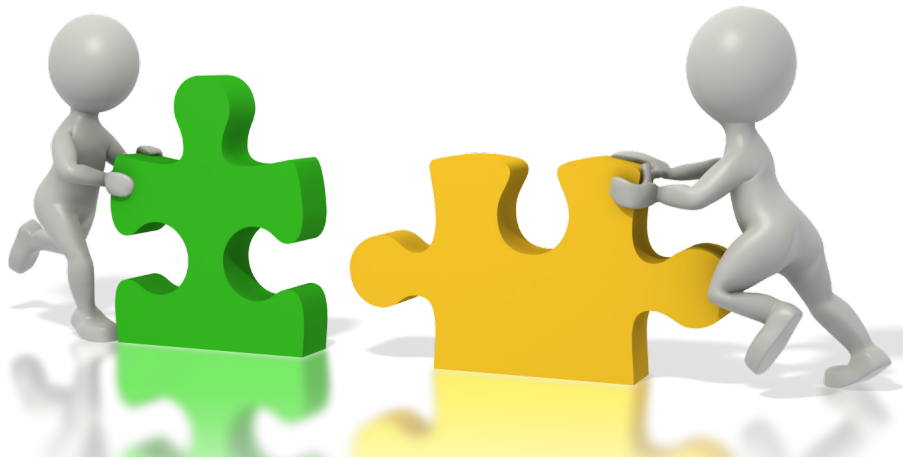


Foto: internet

Podľa výrobcov by cieľom mal byť zjednodušený prístup k liečbe pre pacientov ako aj zjednodušenie administratívneho procesu pri schvaľovaní liečby. Vplyv týchto zmien na rozpočet by pritom ostal rovnaký, keďže podľa dát EÚ tvorí objem nákladov na zriedkavé choroby stabilne len 3-4% z celkových nákladov na lieky.

Na Slovensku žije približne 300-tisíc pacientov trpiacich zriedkavou chorobou. Je to približne toľko ľudí, koľko je obyvateľov Košíc a okolitých obcí. Samotná diagnostika ochorení je komplexná. Keďže známych ochorení je viac ako 6 000 a ich symptómy sú v mnohých prípadoch veľmi podobné bežným ochoreniam, dochádza často k neskorému určeniu diagnózy. Keď napokon dôjde k určeniu správnej diagnózy, majú pacienti ďalší problém: prístup k novým, inovatívnym liekom. Pomôcť by mohlo stanovenie indikácie „zriedkavá choroba“, zoznamu týchto chorôb a liekov, ktoré sa používajú na ich liečbu.

Výrobcovia považujú za dôležité aj nastavenie kritérií cenovej efektívnosti pre vstup nových liekov na slovenský trh, ktorý je momentálne stanovený veľmi nízko oproti reálnym cenám liekov na zriedkavých chorôb. Je to tak preto, že tieto lieky sú určené iba na obmedzený počet pacientov a výrobcovia musia investovať veľké náklady do výskumu liekov. Vstup nových liekov na zriedkavé ochorenia na slovenský trh je preto zložitý. Počet nových liekov pritom nie je vysoký a aj napriek pokračujúcemu výskumu na väčšinu zriedkavých chorôb neexistuje v súčasnej dobe adekvátna liečba. Tam, kde liečba existuje, ide vo väčšine prípadov o jedinú vhodnú liečebnú možnosť s prihliadnutím na zdravotný stav pacienta.

Výsledkom je, že systém úhrad liekov na zriedkavé choroby sa často neriadi štandardnou kategorizáciou, ale prostredníctvom výnimiek spojených s jedinečnosťou liekov. Žiadosti o výnimky však proces schva-

ľovania liekov predlžujú a čím dlhšie proces schvaľovania liečby trvá, tým viac je pacient v ohrození. Zriedkavé choroby sú vo väčšine prípadoch závažne ochorenia, ktorých následkom je často chronická invalidita a v mnohých prípadoch aj smrť. V záujme zlepšenia situácie sú preto potrebné systémové opatrenia. Medzi tie by podľa výrobcov mohli patriť zníženie dĺžky schvaľovania liečby, zníženie administratívny pre lekárov a zavedenie referenčných centier do praxe tak, aby systém bol funkčnejší.

Hlavným cieľom výrobcov v rámci vzájomnej spolupráce je zlepšiť dostupnosť liečby pre pacientov so zriedkavými chorobami. Budú preto iniciovať diskusie s odbornou verejnosťou s úmyslom spoločne navrhnuť opatrenia, ktoré povedú k zjednodušeniu procesu schvaľovania liečby pre zriedkavé ochorenia, skráteniu doby schvaľovania liečby a zároveň umožnia pacientom jednoduchý prístup k účinnej liečbe.

Platforma Orphan je slovenská asociácia výrobcov liekov na zriedkavé choroby, ktorej cieľom je prinášať nové liečebné možnosti a postupy pre pacientov trpiacich zriedkavými chorobami. Medzi hlavné priority Platformy patrí zvyšovanie povedomia o zriedkavých chorobách a posilnenie postavenia orphan liekov v zdravotníckom systéme, spolupráca s patientskymi organizáciami, podpora a spolupráca s centrami expertíz a zlepšenie diagnostiky a dostupnosti liečby zriedkavých chorôb cestou systémových opatrení.

Asociácia inovatívneho farmaceutického priemyslu (AIFP) vznikla v novembri 2013 ako nástupníčka asociácia po zániku Slovenskej asociácie farmaceutických spoločností orientovaných na výskum a vývoj (SAFS). Členské spoločnosti AIFP sa zaviazali pristúpiť k Etickému kódexu Európskej federácie farmaceutických odvetví a asociácií (EFPIA), ktorý sa tak stal základným spojovacím článkom AIFP. AIFP, ktorá je jediným nositeľom EFPIA na Slovensku, momentálne združuje 26 farmaceutických spoločností.

 Platforma Orphan
Slovenská asociácia výrobcov liekov na zriedkavé choroby

 AIFP^{SK}
ASOCIÁCIA INOVATÍVNEHO FARMACEUTICKEHO PRIEMYSLU