

# ZAPROSZENIE

**prof. dr hab. Alicja Chybicka**

Posłanka na Sejm RP

Przewodnicząca Parlamentarnego Zespołu ds. Chorób Rzadkich

**dr hab. Bożena Karolewicz, prof. UMW**

Prezes Polskiego Towarzystwa Farmaceutycznego

**prof. dr hab. Marcin Czech**

Prezes Polskiego Towarzystwa Farmakoekonomicznego

uprzejmie zapraszają do udziału w zamkniętym webinarze pt.

**„Wyzwania w ocenie wartości i finansowaniu terapii chorób rzadkich w polskim systemie ochrony zdrowia. Przestanki, rekomendacje europejskie, praktyka.”\***

15 lipca 2024 r. (poniedziałek)

godz. 17:30

Link do webinaru – bez konieczności rejestracji:

**DOŁĄCZ »**

Intencją twórców programu jest przekazanie wiedzy na temat zgodnych z polityką unijną kierunków oceny wartości terapii chorób rzadkich oraz możliwego sposobu uwzględnienia ich specyfiki w polskich procedurach refundacyjnych.

**Więcej informacji:** Ewa Jankowska, 22 831 15 42 wew. 11,  
[e.jankowska@ptfarm.pl](mailto:e.jankowska@ptfarm.pl)

*\*Agenda webinaru znajduje się na drugiej stronie*



# AGENDA

## 1 Specyfika systemowa chorób rzadkich, rekomendacje unijne i praktyka krajów europejskich

Prof. dr hab. Marcin Czech

- Specyfika wyzwań związanych z chorobami rzadkimi w zakresie rozwiązań systemowych i oceny HTA – wprowadzenie.
- Potencjalne obszary współpracy. Rekomendacje Europejskiej Grupy Roboczej (ORPH-VAL) dotyczące oceny leków sierocych.
- Wnioski z raportu „Rare30. Foresight in rare diseases policy” dotyczące procesu refundacyjnego w krajach europejskich.
- Wybrane przykłady dobrych praktyk z wybranych krajów europejskich.

*Czas trwania: 30 minut*

## 2 Badania kliniczne w chorobach rzadkich

Prof. dr hab. Robert Śmigiel

- Aktualne podejścia do prowadzenia badań klinicznych w chorobach rzadkich.
- Wyzwania i możliwości w projektowaniu badań.
- Przykłady sukcesów i porażek w badaniach klinicznych leków sierocych.

*Czas trwania: 25 minut*

## 3 Dane rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE), a podejście do oceny leków na choroby rzadkie w procesie refundacyjnym w Polsce

Dr n. med. Michał Jachimowicz

- Rola i znaczenie danych rzeczywistej praktyki klinicznej (RWE) w ocenie technologii medycznych.
- Przykłady wykorzystania RWE w procesie refundacyjnym leków na choroby rzadkie w Polsce.
- Wyzwania i potencjalne korzyści z integracji RWE w procesie decyzyjnym.

*Czas trwania: 20 minut*

## 4 Aktualne wytyczne oceny technologii medycznych (HTA), a leki na choroby rzadkie

Dr hab. Maciej Niewada

- Przegląd aktualnych wytycznych HTA dotyczących leków na choroby rzadkie – doświadczenia innych agencji HTA.
- Jakie zmiany w wytycznych są potrzebne, aby lepiej uwzględnić specyfikę chorób rzadkich.
- Przyszłe kierunki rozwoju HTA w kontekście leków sierocych.

*Czas trwania: 25 minut*