

Paryż, 12 września 2024

## Europejskie partnerstwo otwiera nową erę w badaniach nad chorobami rzadkimi

The European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA) rozpoczyna działalność we wrześniu tego roku z szacowanym budżetem 380 milionów euro i celem poprawy życia 30 milionów pacjentów cierpiących na choroby rzadkie w Europie i poza nią.

- Nowe partnerstwo, wspierane przez Unię Europejską oraz państwa członkowskie w ramach programu [Horyzont Europa](#) jest prowadzone przez Narodowy Instytut Zdrowia i Badań Medycznych – [INSERM](#) (Francja). Integruje ono ponad 170 organizacji z sektora publicznego i prywatnego w celu rozwoju badań nad profilaktyką, diagnostyką i leczeniem chorób rzadkich.
- Współfinansując partnerstwo Unia Europejska planuje przekazać około 150 milionów euro poprzez program Horyzont Europa, natomiast pozostałe środki będą pochodzić od państw członkowskich, krajów stowarzyszonych z Horyzontem Europa oraz wkładów pieniężnych i rzeczowych ze strony partnerów publicznych i prywatnych.
- Sojusz przejmuje zadania programu [EJPRD](#) aby zjednoczyć wiedzę, zasoby i usługi, zwiększyć skalę badań klinicznych i pobudzić innowacje, czyniąc Europę światowym liderem w tej dziedzinie.
- 28 października 2024 r. ERDERA zorganizuje wydarzenie inauguracyjne, na którym zaprezentuje swoją mapę drogową na kolejną dekadę.

Obecnie około 7000 chorób rzadkich dotyka ponad 300 milionów ludzi na całym świecie, jednak większość z tych nich nadal nie można wyleczyć. Pacjenci muszą długo czekać na diagnozę – średnio 4 lata w przypadku chorób poznanych, ale 50% pacjentów nigdy nie otrzymuje ostatecznej diagnozy molekularnej. Ponadto 52% pacjentów i opiekunów zgłasza, że ich stan poważnie wpływa na jakość życia codziennego.

Aby zaradzić takim poważnym problemom, został powołany European Rare Diseases Research Alliance (ERDERA) opierający się na osiągnięciach wcześniejszych projektów finansowanych przez UE takich jak [SOLVE-RD](#), [ERICA](#) i [European Joint Programme for Rare Diseases](#) (EJP RD), poprzedniego partnerstwa, które funkcjonowało przez ostatnie 5 lat.

ERDERA będzie kontynuować rozwój rzetelnej i kompleksowej bazy danych, wiedzy oraz innowacyjnych usług badawczych w dziedzinie zaawansowanych terapii, finansować nowe projekty badawcze, oferować szkolenia i przyspieszać przekładanie wyników badań na konkretne rozwiązania dla pacjentów. Będzie również dbać o zgodność z międzynarodowymi i krajowymi strategiami badań nad chorobami rzadkimi.

Iliana **Ivanova**, Komisarz ds. Innowacji, Badań, Kultury, Edukacji i Młodzieży, powiedziała:

*„Miliony Europejczyków cierpią na którąś z chorób rzadkich, jednak wciąż brakuje nam wystarczającej wiedzy na temat ich stanu, jak również środków zapobiegawczych, diagnostycznych i terapeutycznych. To właśnie wspólna polityka na poziomie UE i skonsolidowane zasoby mogą zrobić ogromną różnicę. Nowe partnerstwo ERDERA wykorzysta unikalny potencjał programu Horyzont Europa do zmiany życia ludzi na lepsze. Życzę powodzenia w tej ważnej pracy.”*

## **Transformacja badań nad chorobami rzadkimi i opieki zdrowotnej w Europie poprzez potrójną misję**

Szacując całkowity budżet na 380 milionów euro do 2031 roku, ERDERA ma na celu wywarcie dużego wpływu na choroby rzadkie, wspierając badania pacjentów w celu opracowania nowych metod leczenia i ścieżek diagnostycznych, a także wykorzystując potencjał danych zdrowotnych i badawczych, sztucznej inteligencji (AI) i technologii cyfrowych. Partnerstwo odegra kluczową rolę w kształtowaniu europejskiej przestrzeni badawczej w dziedzinie chorób rzadkich. W tym celu ERDERA będzie promować koordynację i integrację krajowych i regionalnych strategii badawczych, wspierać partnerstwa publiczno-prywatne, współpracę międzynarodową oraz skracać drogę przechodzenie od wiedzy do realnych rozwiązań dla pacjentów. Docelowo sojusz ten uczyni Europę światowym liderem w badaniach nad chorobami rzadkimi i innowacjach, wzmacniając konkurencyjność UE i tworząc miejsca pracy.

**Daria Julkowska**, koordynator naukowy ERDERA, wyjaśniła: „Mamy potrójną misję: Po pierwsze, zjednoczyć w jednym miejscu szeroki zakres wysokojakościowych usług, zasobów i interdyscyplinarnej wiedzy, aby wspierać badania nad chorobami rzadkimi, po drugie, zwiększyć zakres badań klinicznych, umożliwiając każdemu pacjentowi cierpiącemu na chorobę rzadką odnalezienie i zapisanie się do odpowiedniego badania klinicznego i wreszcie, pobudzić innowacje i konkurencyjność UE poprzez inwestycje, ale także poprzez dostosowanie regionalnych, krajowych i europejskich strategii badawczych oraz wspieranie współpracy między wszystkimi zainteresowanymi stronami na globalną skalę.”

## **Wieloaspektowe podejście do chorób rzadkich**

Interdyscyplinarny zespół składający się z ponad 1400 profesjonalistów zaangażowanych w ERDERA wniesie swoją wiedzę w dziedzinie badań przedklinicznych, klinicznych i translacyjnych; rozwoju leków i innowacji diagnostycznych; biostatystyki; danych i nauk regulacyjnych; finansowania badań; nauk społecznych i humanistycznych; zaangażowania pacjentów oraz edukacji. Partnerstwo jest zbudowane wokół czterech kluczowych filarów:

- **Finansowanie** - ERDERA będzie zapewniać wsparcie finansowe dla międzynarodowych projektów badawczych, badań klinicznych oraz inicjatyw dotyczących wymiany wiedzy i nawiązywania sieci kontaktów.
- **Sieć Badań Klinicznych** – Obejmuje wszystkie wewnętrzne działania badawcze ERDERA, poprawiając diagnostykę i gotowość do badań klinicznych, pomagając ocenić wpływ chorób rzadkich oraz wspierając rozwój zaawansowanych terapii. Sieć będzie również opierać się na wiedzy klinicznej 24 Europejskich Sieci Referencyjnych [European Reference Networks](#) (ERNs) ustanowionych w 2017 roku dzięki Dyrektywie w sprawie praw pacjentów w transgranicznej opiece zdrowotnej.
- **Usługi Wsparcia** – Obejmują *Data Services Hub*, który ułatwi pozyskiwanie, integrację, analizę i udostępnianie danych na skalę światową, *Expertise Services Hub*, który będzie



oferował pomoc w aspekcie specyficznych badań translacyjnych i klinicznych oraz *Acceleration Hub* który będzie współpracował z partnerami z branży przemysłowej w celu rozwijania najbardziej obiecujących projektów i technologii badawczych. Dodatkowo ERDERA będzie utrzymywać stabilny program *Edukacyjny i Szkoleniowy*.

- **Dostosowanie Międzynarodowe** - Dzięki istniejącym i nowo ustanowionym Krajowym Grupom Roboczym, partnerstwo będzie dbało o dostosowanie krajowych i międzynarodowych strategii badań nad chorobami rzadkimi, szczególnie w krajach, które są opóźnione w opracowywaniu i wdrażaniu planów krajowych. ERDERA będzie również gospodarzem Sekretariatu [International Rare Disease Research Consortium \(IRDiRC\)](#), jedynego w świecie konsorcjum współzałożonego przez Komisję Europejską i Narodowe Instytuty Zdrowia USA (US National Institutes of Health ) w 2011 roku.

Wśród ponad 170 organizacji z 37 krajów znajdują się wiodące instytuty badawcze, organizacje pacjentów, europejskie infrastruktury badawcze, firmy farmaceutyczne i technologiczne, agencje finansujące, publiczne i prywatne fundacje charytatywne, instytucje regulacyjne, organy opieki zdrowotnej, szpitale, uniwersytety oraz stowarzyszenia medyczne.

**Instytut Genetyki Człowieka PAN zaangażowany jest w prace projektu ERDERA w ramach pakietu roboczego „Dostępność danych diagnostycznych” („Diagnostic data availability”), będącego częścią strumienia roboczego Clinical Research Network.**

## Wydarzenie inauguracyjne zgłębiające działalność ERDERA

Aby przedstawić swoje ambicje w szerszym kontekście strategii badań nad chorobami rzadkimi w UE, ERDERA zorganizuje wydarzenie inauguracyjne w dniach 28-29 października, podczas którego głos zabiorą przedstawiciele Komisji Europejskiej, francuskiego Ministerstwa Zdrowia i Badań, zespół zarządzający ERDERA oraz organizacje pacjentów. Sesja otwierająca, zaplanowana na 28 października w godzinach 14:00-15:30 (CET), będzie otwarta dla przedstawicieli prasy, którzy będą mogli dołączyć online. Więcej informacji zostanie udostępnionych bliżej daty wydarzenia.

### Przydatne linki:

[ERDERA Website](#)

[EJP RD Website](#)

[LinkedIn](#)

[Instagram](#)

[Facebook](#)

[X](#)

### Kontakt prasowy i udzielanie wywiadów

Gisela Pairó – [gpairo@teamitresearch.com](mailto:gpairo@teamitresearch.com)

