



Sjældne Diagnoser



Velkommen til workshop 5

Medicin og anden behandling af sjældne sygdomme

Chair: Formand Birthe Holm, Sjældne Diagnoser
Rapporteur: Professor Karen Brøndum

Relevante afsnit i EU henstillingen og i den nationale strategi

EU-henstillingen og EUROPLAN´s guidelines:

- **Støtte til udvikling af lægemidler til sjældne sygdomme**
- **Adgang til behandling**
- **“Compassionate use” og “Off label use”**
- **Farmakologisk kontrol**

Den nationale strategi:

- **Kapitel 14.2 - EU-støtte til udvikling af lægemidler**

Blandt strategiens anbefalinger på dette område er :

- At der vedr. lægemidler sikres, at der er (fortsat) adgang til nødvendige Orphan Medicinal Products (OMP) i Danmark

Herud over en række anbefalinger omkring behandling mv. Samt om mulighederne for forskning, udvikling og initiativer, men ikke eksplicit i forhold til udvikling og ibrugtagen af nye lægemidler.

Program og oplægsholdere:

Medicin og anden behandling af sjældne sygdomme

Chair: Formand Birthe Holm, Sjældne Diagnoser

Rapporteur: Professor Karen Brøndum

- **Direktør Peter Høngaard Andersen, Innovationsfonden: Afprøvning af medicin på sjældne-området: Hvad er udfordringerne?**
- **Overlæge Jens Ersbøll, Sundhedsstyrelsen: Godkendelse og ibrugtagen af ny medicin– blackbox eller krystalskrin**
- **Andre oplæg:**
 - Adgang til ny behandling, v. Formand Steen Werner Hansen, KRIS
 - Ibrugtagen af lægemidler v. overlæge, dr.med. Allan Meldgaard Lund
 - At deltage i afprøvning af nye lægemidler – pligt eller mulighed? V. Jannie Schymann, Alfa 1-foreningen

Debat og udarbejdelse af konkrete forslag