

NATIONAL MIRROR GROUP - PORTUGAL

EUROPEAN JOINT PROGRAMME
ON RARE DISEASES (EJP RD)

Sandra Alves

Departamento de Genética Humana

Instituto Nacional de Saúde Dr. Ricardo Jorge



European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD)

em números

1339

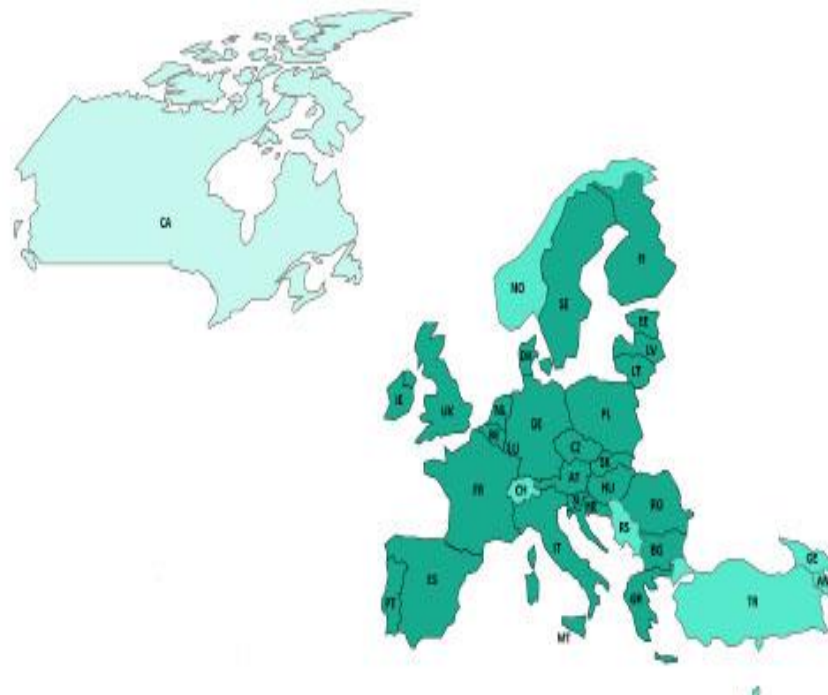
pessoas

35 Países
Participantes

Todas as 24 redes
europeias de
referência (ERNs)

Orçamento : 101 M€

Contribuição UE: 55 M€
(70% de taxa de
reembolso)



85%

Comunidade das
doenças raras na Europa
(diretamente ou indiretamente)
envolvida

91 beneficiários

- 31 agências de financiamento/ministérios - **FCT**
- 12 institutos de investigação - **INSA**
- 27 universidades/hospitais universitários
- 10 hospitais
- EURORDIS
- 5 fundações (FTELE, AFM, FFRD, FGB, BSF)
- 5 infraestruturas europeias (BBMRI, EATRIS, ECRIN, ELIXIR, INFRAFRONTIER) + EORTC
- + 50 Linked Third Parties



Coordenado pelo:



ESTRUTURA DO EJP RD

Coordenado pelo



Coordenação e Gestão

Estratégia

Sustentabilidade

Aspectos Éticos, Legais, Regulatórios
e de Propriedade Intelectual

Comunicação

4 Pilares



FINANCIAMENTO

FCT



ACESSO
COORDENADO A
DADOS
&
SERVIÇOS

INSA



CAPACITAÇÃO
&
EMPODERAMENTO

ACELERAÇÃO DA
TRANSLAÇÃO DOS
RESULTADOS DA
INVESTIGAÇÃO
&
DESENVOLVIMENTO
DE TERAPÊUTICAS



Funded by the
European Union
GA n°825575

EJP RD – um único ponto de entrada com soluções para todos

INVESTIGADORES



Financiamento
Serviços de apoio à investigação
Formação
Acesso a recursos e ferramentas
Acesso a redes de colaboração & especialistas

MÉDICOS



Serviços de suporte aos estudos clínicos
Apoio à criação de registos
Acesso a recursos e ferramentas que permitam acelerar o diagnóstico
Formação
Acesso a redes de colaboração & especialistas
Financiamento

DOENTES



Acesso a especialistas em Doenças Raras
Networking
Formação
Acesso a recursos e ferramentas
Acesso a redes de colaboração & especialistas
Financiamento

DECISORES POLÍTICOS & ENTIDADES FINANCIADORAS



Estratégia & Financiamento conjuntos
Otimização do investimento em investigação
Acesso a apoios para a comunidade de DR nacional
Acesso a redes de colaboração & especialistas

COLABORADORES INTERNACIONAIS



Acesso a redes de colaboração alargadas & especialistas
Múltiplas oportunidades de colaboração
Alinhamento das atividades desenvolvidas em DR a nível global
Acesso a recursos e ferramentas

www.ejprarediseases.org

Sumário de 30 meses de atividade

Pilar 4: ACELERAÇÃO DA TRANSLAÇÃO DOS RESULTADOS DA INVESTIGAÇÃO & DESENVOLVIMENTO DE TERAPÊUTICAS

- *Innovation Management Toolbox*
- Tutoria de 19 projetos
- 3 projetos de demonstração + 2 projetos de inovação

Pilar 3: CAPACITAÇÃO & EMPODERAMENTO

- 7 cursos presenciais e 9 online
- 500 participantes
- 15 workshops das redes europeias de referência (ERN) financiados
- 33 bolsas (ERN) atribuídas
- Primeiro curso online criado



Pilar 1: FINANCIAMENTO

- 2 JTCs – 55M€ – 40 projetos
- 18 eventos de networking
- 3 desafios de investigação (parcerias público-privadas)
- **78% dos projetos envolvendo associações de doentes**

Pilar 2: ACESSO COORDENADO A DADOS & SERVIÇOS

- Desenvolvimento dos conteúdos da plataforma virtual
- **EJP RD resource finder** – ligação de vários recursos importantes na área das doenças raras

Your needs?: "There is an app for that!"

EJP RD Resource Finder

New tool to search for currently available resources related to Rare Diseases

Simple interface to easily discover IRDiRC recognized and EJP RD funded resources & tools

IRDiRC EJP

PATIENT REGISTRIES AND COHORTS

BIOBANKS

ANIMAL MODELS AND CELL LINES

ARCHIVE/SHARE EXPERIMENTAL AND PHENOTYPIC HUMAN DATA

ANALYSE EXPERIMENTAL AND PHENOTYPIC HUMAN DATA

RD CLINICAL EXPERTS

FIND DATA & SERVICES



STANDARDS

IRDiRC RECOGNIZED GUIDELINES

TOOLS FOR RESEARCH

KNOWLEDGE BASES

TOOLS & SERVICES FOR TRANSLATIONAL AND CLINICAL RESEARCH & KNOWLEDGE HUB

<http://resourcemap.eurardiseases.org/index.html#>



Funded by the

EJPRD helpdesk

<https://www.ejprarediseases.org/our-actions-and-services/central-helpdesk/>



WHAT IS EJP RD? OUR ACTIONS AND SERVICES

Your name

Your email

Subject

- Support for translation of research results
- Clinical study support
- Ethics and Regulatory support for EJP RD partners
- Other

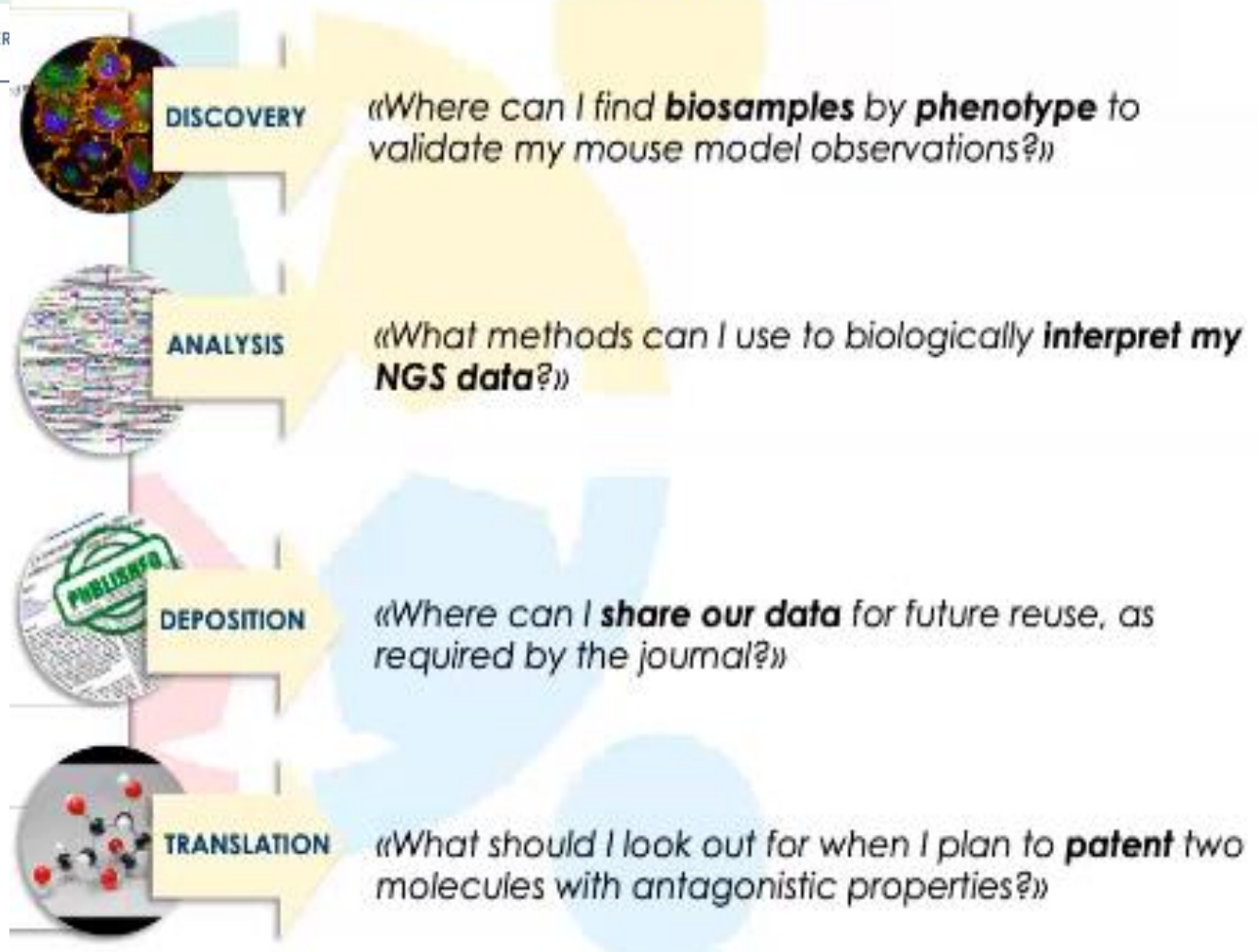
Category

- About EJP RD
- Funding schemes
- Platform of data and resources
- Training and empowerment

Your message (optional)

By checking this box, I recognise the conditions described in the Privacy Policy (required)

Send



National Mirror Group Português



Objetivos dos NMGs

🌍 O papel dos NMG é assegurar a nível nacional a divulgação do EJP-RD por todos os *stakeholders* em doenças raras para facilitar o **alinhamento entre as atividades nacionais e as atividades do EJP RD.**

Ou seja,

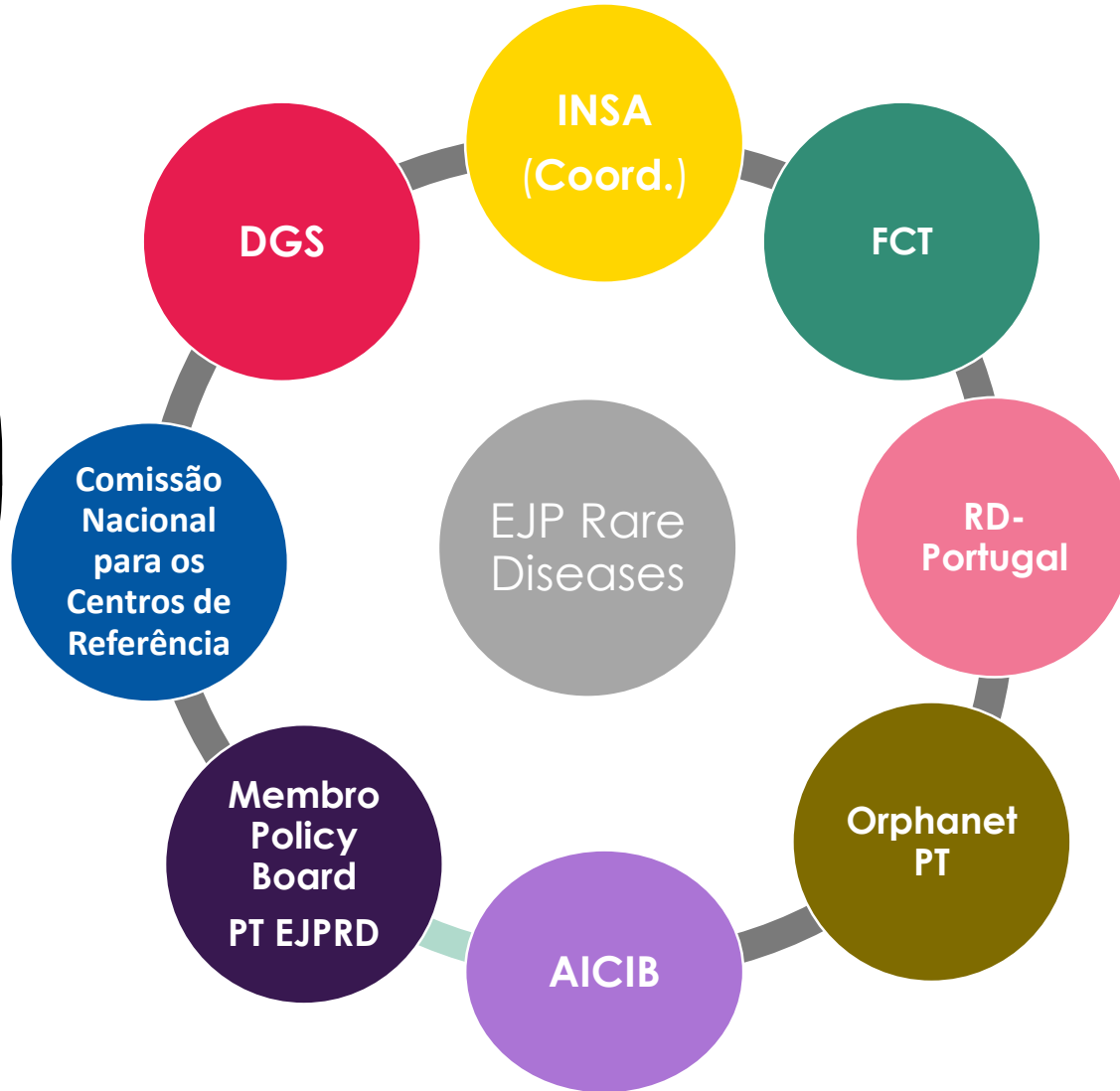
- 🌍 Divulgar as melhores práticas/opportunidades e aumentar a escala da sua utilização.
- 🌍 Aumentar a participação nacional nas oportunidades de financiamento lançadas no âmbito deste programa
- 🌍 Garantir que os interesses nacionais sejam integrados no trabalho do EJP RD

Constituição do NMG Português



Estratégia Integrada para as Doenças Raras (até 2020)

Nova Estratégia Integrada para as Doenças Raras



- 🌈 Instituto Nacional de Saúde Doutor Ricardo Jorge - INSA (Ministério da Saúde) - Coordenação
- 🌈 Fundação para a Ciência e Tecnologia - FCT (Ministério da Ciência, Tecnologia e Ensino Superior)
- 🌈 Direção Geral da Saúde - DGS (Ministério da Saúde)
- 🌈 Comissão Nacional para os Centros de Referência - NCRC (Ministério da Saúde)
- 🌈 RD-Portugal (Associação de Doentes)
- 🌈 Orphanet Portugal (DGS, Ministério da Saúde)
- 🌈 Agência de Investigação Clínica e Inovação Biomédica - AICIB
- 🌈 Representante do MCTES /FCT no Policy Board do EJP RD



PT NMG – Principais Linhas de Ação

- ❁ Divulgação dos concursos e outras oportunidades de financiamento lançadas no âmbito do pilar 1 do EJPRD de forma a **aumentar a participação de investigadores, clínicos e associações de doentes nacionais.**
- ❁ Divulgação da **plataforma virtual** em construção do âmbito do pilar 2 do EJPRD.
- ❁ Divulgação das **ações de formação** e dos cursos desenvolvidas no âmbito do pilar 3 do EJP-RD.
- ❁ Divulgação do apoio disponibilizado pelo pilar 4 - **facilitar aos investigadores portugueses a translação dos resultados dos seus projetos de investigação pré-clínica para ensaios clínicos.**

PT NMG – Principais Linhas de Ação

- Participação na discussão da **nova Estratégia/Plano Nacional para as Doenças Raras.**
- Dar contributos para a **nova Parceria Europeia na Área das Doenças Raras,** atualmente em discussão.
- Consciencialização e sensibilização da Sociedade Civil e Decisores Políticos para as Doenças Raras.**

PT NMG – Atividades desenvolvidas

- Criação em 2020

- 5 reuniões conjuntas

- **Co-organização do Dia das Doenças Raras em Portugal**

 - O encontro contou com a participação de vários *stakeholders* da área das doenças raras nomeadamente: doentes, investigadores, médicos de centros de referência, representantes da Estratégia integrada portuguesa para as doenças raras e autoridades nacionais do Ministério da Saúde. Foi feita uma apresentação específica do EJP RD e o evento teve uma participação significativa do público.

- Elaboração de um **folheto** para fazer a disseminação do EJP RD e das atividades do NMG que foi distribuído no âmbito do Dia das Doenças Raras.

- Criação do **logotipo**

PT NMG – Próximas Atividades

- 🌟 **Dezembro 2021:** webinar acerca do EJP RD na qual vão ser apresentados os 4 pilares e as principais oportunidades existentes em cada um deles.
- 🌟 **2022:** webinar com a presença dos coordenadores dos pilares do EJP RD e de investigadores, clínicos e doentes portugueses que já tenham beneficiado com o EJP RD.
- 🌟 Divulgação da **Newsletter do EJP RD** através da lista de contactos de email da AICIB.

PT NMG – Considerações finais

- ❁ Leva tempo a envolver as diferentes partes interessadas
- ❁ Apesar de todas as restrições devido à pandemia de COVID-19 foi possível efetuar reuniões periódicas e realizar algumas atividades
- ❁ Colaboração facilitada entre diferentes instituições/entidades, centros de referência, associações de doentes e investigadores.

Obrigada

 www.ejprarediseases.org

 coordination@ejprarediseases.org

 helpdesk@ejprarediseases.org