

Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózata (ERN RARE-LIVER)

A betegellátást segítő Klinikai Betegadat Kezelő Rendszer (Clinical Patient Management System, CPMS)

Balogh Boglárka dr.^{1,3}, István Tornai dr.^{1,3}, Pfliegler György dr.^{2,3}, Gustav Buescher dr.^{4,5}, Papp Mária dr.^{1,3}

Debreceni Egyetem ÁOK, Belgyógyászati Intézet, ¹Gastroenterológiai Tanszék, ²Ritka Betegségek Szakértői Központ, Debrecen, ³Debreceni Egyetem, Klinikai Központ, Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózata Társult Centrum, Debrecen, ⁴University Medical Center Hamburg-Eppendorf, I. Department of Medicine, Hamburg, Németország, ⁵ERN RARE-LIVER Project Management, Hamburg, ERN.RareLiver@uke.de
Correspondence: papp.maria@med.unideb.hu

Mi is a Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózata (ERN RARE-LIVER) és hogyan lehet az orvosok és betegek segítségére?

A ritka betegségek hatékonyabb és gazdaságosabb ellátására az Európai Unió (EU) 2017-ben referenciahálózatokat (European Reference Networks; ERNs; magyarul rövidítve: ERH-k) hozott létre. Az egyes szakterületek önálló referenciahálózatokat alkotnak (pl.: anyagcserebetegségek – MetabERN; ritka neuromuszkuláris kórképek – ERN EURO-RND stb). Ezek egyike a ritka májbetegségekkel foglalkozó ERN RARE-LIVER, amelynek célja európai szinten összehangolni a ritka májbetegségekkel foglalkozó orvosok és más egészségügyi szakemberek, valamint betegszervezetek munkáját. Az ERN RARE-LIVER projekt menedzsmentje Németországban, a Hamburgi Egyetemen van, koordinátora pedig *prof. dr. Ansgar Lohse*. Az ERN RARE-LIVER-hálózat jelenleg 28 centrummal működik együtt (1. ábra), de ez a szám folyamatosan növekszik. Magyarországról a Debreceni Egyetem Klinikai Központ a tagja a hálózatnak (társult tagság 2019 márciusa óta).

Az ERN RARE-LIVER célja, hogy a ritka májbetegségben szenvedő gyermekek és felnőttek részére egyenlőbb hozzáférést biztosítson a mielőbbi pontos diagnózishoz és a legjobb egészségügyi ellátáshoz, másrészt pedig, hogy Európa szerte javítsa az ellátás színvonalát (2. ábra). Ezen célokat az ellátást végző egészségügyi szakemberek összefogásának elősegítése és a betegekkel, valamint a betegszervezetekkel való együttműködés útján éri el. A betegellátás minőségét fejlesztő regisztereket indítottak (pl. R-LIVER Registry) és koordinálják a különféle klinikai szakmai útmutatók kidol-

gozását. Releváns és magas színvonalú információkat szolgáltatnak a betegek számára, valamint támogatják a kutatási erőfeszítéseket és innovatív informatikai megoldásokat alkalmaznak.

1. ábra: Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózat (ERN RARE-LIVER) Centrumai



2. ábra: Az Európai Referenciahálózatok (ERN) céljai. A ERN egy olyan projekt, amelyet az Európai Unió hozott létre a betegek egyenlőbb ellátásának biztosítása érdekében Európában, szakértői konzultációk, tudáselőállítás és a tudásterjesztés hálózatainak létrehozásával (Forrás: Az Európai Referenciahálózat kiadványa)



Az ERN RARE-LIVER 12 különféle ritka májbetegség ellátását fedi le, 3 fő pillérre osztva:

1. autoimmun májbetegségek,
2. metabolikus májbetegségek, biliáris atrézia & kapcsolódó kórképek és
3. strukturális májbetegségek, amelyet az 1. táblázat foglal össze.

Az ERN RARE-LIVER iránt érdeklődő egészségügyi intézmények további információkat találnak az alábbi weboldalakon: <https://www.rare-liver.eu/>, https://ec.europa.eu/health/ern_hu.

Mi is a Klinikai Betegadat Kezelő Rendszer (Clinical Patient Management System, CPMS) és hogyan lehet az orvosok és betegek segítségére?

A CPMS egy olyan innovatív informatikai platform, amely megfelelő felületet biztosít a virtuális konzíliumok lebonyolításához. A sikeres kommunikációt szolgálja azáltal, hogy megkönnyíti a különböző székhelyű és szakterületű szakorvosok elérését a ritka májbetegségben szenvedő betegeket kezelő szakorvosok számára, valamint lehetőséget ad a releváns adatok és eredmények megosztására a telemedicina eszközeinek integrálása által. Az EU minden referenciahálózat számára elérhetővé tette a CPMS használatát. A CPMS-rendszeren keresztül bonyolított távkonzultációk segítségével a szakértői konszenzus rendkívül nagy segítséget jelenthet a klinikai gyakorlatban. Indokolt esetben akár sürgősségi konzultációra is lehetőség van. Az online multidiszciplináris megbeszéléseken megvitathatók azok a klinikai esetek, ahol diagnosztikai vagy terápiás nehézségek merülnek fel. A nehezen kezelhető autoimmun hepatitises beteg egy jó példája lehet a terápiás dilemmának. Amennyiben a standardkezelés nem használ, a beteg másod- vagy harmadvonalbeli kezelésre szorul, ebben azonban nagy eltérések mutatkoznak. Hiányoznak a jó minőségű bizonyítékok, ugyanakkor az egyes ERN RARE-LIVER-centrumokban jelentős tapasztalat gyűlt össze a másod- és harmadvonalbeli kezelések hatékonyságát illetően, amely így megosztható. A CPMS lehetővé teszi a betegek releváns klinikai adatainak megosztását, illetve olyan orvosi diagnosztikai képek feltöltését is, mint például a szövettan, komputertomog-

ráfia (CT), mágneses rezonancia-kolangio-pankreatográfia (MRCP) vagy endoszkópos felvételek.

Az ERN RARE-LIVER teljes jogú tagjai mellett vendégfelhasználóként a társult tagok számára is lehetséges a CPMS-rendszer használata. Továbbá az ERN RARE-LIVER-en kívülálló szakembereknek és egészségügyi szolgáltatóknak is lehetősége van arra, hogy szakértői bizottság

1. táblázat: Az ERN RARE-LIVER által lefedett betegségek és azok ICD/ORPHA kódjai

Ritka májbetegség	ICD/ORPHA Kódok
Autoimmun májbetegségek	
Primer biliáris cholangitis	186/K74.3
Autoimmun hepatitis	2137/K75.4
Primer szklerotizáló cholangitis	171/K83
IgG4-betegség	447764/K83
Metabolikus májbetegségek, biliáris atrézia & kapcsolódó kórképek	
Genetikus kolesztatikus májbetegség	E80.5, E80.6, E80.7, K76.8
Biliáris atrézia	30391/Q44.2
Choledochus ciszta	Q44.4
Alfa-1-antitripszin-betegség	60/E88
Wilson-kór	E830
Strukturális májbetegségek	
Cisztás májbetegség	2924/Q44.6
Vaszkuláris májbetegség	K76.5/182
Intrahepatikus cholangiocarcinoma	99978/C22.1
Ritka májtumorok	C22.1, C22.2, C22.3/99978, 529852, 263413, 401920, 449, 100085

ERN: Európai Referenciahálózat; Ig: immunoglobulin

2. A táblázat: Betegtájékoztató (A) és hozzájáruló nyilatkozat (B) a Ritka Betegségek Európai Referenciáhálózata (ERN-ek) keretében a betegellátást és ritka betegségek nyilvántartásainak létrehozását segítő adatmegosztáshoz.



MIK AZ EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK, ÉS HOGYAN LEHETNEK A SEGÍTSÉGEMRE?

- Az európai referenciáhálózatok (European Reference Networks, ERN-ek) Európa-szerte ritka betegségekkel foglalkozó egészségügyi szakembereket tömörítő hálózatok, amelyek a határon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről szóló, 2011/24/EK irányelv alapján jöttek létre.
- Az ERN-ek célja, hogy az egészségügyi szakemberek együttműködésének elősegítése útján támogatást nyújtsanak a ritka betegségekkel, vagy egyéb különleges szakértelmet igénylő terápiás eljárást szükségessé tevő állapotban lévő betegeknek.
- Az Ön hozzájárulásával, és a nemzeti és európai adatvédelmi jogszabályokkal összhangban az Ön betegségével kapcsolatos adatok is továbbításra kerülhetnek a túlóldalon megnevezett ERN-(ek)hez, ezzel lehetővé téve, hogy az ERN-en belül tevékeny szakemberek segítséget nyújtsanak az Önt kezelő orvosnak a diagnózis és a szükséges kezelés megállapításában.
- Ahhoz, hogy az ERN megfelelő tanácsadással szolgálhasson a kezelésével kapcsolatban, az ebben a kórházban Önről összegyűjtött adatokat más – esetleg más európai országokban működő – kórházak egészségügyi szakembereivel is meg kell osztanunk. Az orvosától többet is megtudhat arról, hogy mely országok tartoznak a betegségéhez kapcsolódó ERN-(ek)hez.
- Az ellátásáról továbbra is az Önt eddig kezelő egészségügyi szakemberek gondoskodnak majd.
- Az Önnel kapcsolatos adatok az Ön hozzájárulása nélkül nem kerülnek megosztásra, és az orvosai akkor is legjobb tudásuk és képességük szerint folytatják a kezelését, ha Ön esetleg úgy dönt, hogy nem járul hozzá adatai megosztásához.



MIK A JOGAIM?

- Jogában áll hozzájárulását adni, illetve azt megtagadni adatai ERN-(ek)en belüli megosztásához.
- Hozzájárulását később bármikor visszavonhatja. Az orvosától megtudhatja, hogy – amennyiben arra igényt tart – adatai hogyan távolíthatók el a nyilvántartásokból. Előfordulhat, hogy az Ön kezeléséhez már felhasznált információk eltávolítására nincs lehetőség.
- Joga van további tájékoztatást kapni arról, hogy milyen célokra használják fel az adatait, és hogy ki férhet hozzá azokhoz. Az orvosától megtudhatja, hogy kitől kaphat segítséget, ha további tájékoztatást szeretne.
- Joga van betekinteni az Önről tárolt adatokba, és az esetleges hibák helyesbítését kérni. Joga van az adatai zárolásához vagy törléséhez.
- Az adataiért az Ön adatait gyűjtő kórház felel. Adataival kapcsolatos kérelmeit 30 napon belül kell intézniük.
- Az ő kötelességük annak biztosítása, hogy adatai biztonságosan kerüljenek feldolgozásra, illetve az Ön értesítése az adatbiztonság esetleges megsértése esetén.
- Ha bármilyen aggodalma merül fel adatai feldolgozásának módjával kapcsolatban, ezt jelezheti kezelőorvosának vagy országa megfelelő adatvédelmi hatóságának.
- Az adatai ERN-(ek)ben való tárolásának szükségességét kórháza 15 évenként felülvizsgálja.

A BETEG HOZZÁJÁRULÓ NYILATKOZATA

a RITKA BETEGSÉGEK EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATAI keretében a BETEGELLÁTÁST és a RITKA BETEGSÉGEK NYILVÁNTARTÁSAINAK LÉTREHOZÁSÁT segítő ADATMEGOSZTÁSHOZ

A MEGOSZTOTT BETEGADATOK AZONOSÍTÁSRA ALKALMATLANOK

- Ha Ön és az orvosai egyetértenek abban, hogy hasznos lehet egy vagy több ERN támogatását kérni, az alábbi hozzájárulási nyilatkozat lehetőséget biztosíthat a kórháznak az Önről tárolt adatok megosztására, ezzel hozzájárulva ahhoz, hogy az ERN-(ek) egészségügyi szakemberei megvitathassák a kezelését.
- A megosztott adatok az Ön nevét és címét nem tartalmazzák.
- Az ilyen adatok között diagnosztikai felvételek, laboreredmények, és biológiai mintavételi adatok szerepelhetnek. Ide tartozhatnak még az Önt esetleg korábban kezelő orvosok jelentései és levelei.
- Az ERN-(ek)kel történő kapcsolatfelvétel esetén az adatai egy biztonságos elektronikus információs rendszeren keresztül kerülnek megosztásra, amelyet ERN Kórházi Betegadat-kezelő Rendszernek (Clinical Patient Management System) hívnak.



MI A HELYZET A RITKA BETEGSÉGEKET TARTALMAZÓ ADATBÁZISOKKAL/NYILVÁNTARTÁSOKKAL?

- A ritka betegségekkel kapcsolatos ismeretek jövőbeli továbbfejlesztése szempontjából az ERN-ek nagyban függenek a kutatáshoz és ismeretfejlesztéshez szükséges információkat tartalmazó adatbázisoktól.
- Az adatbázisok, vagy más néven nyilvántartások, kizárólag azonosításra alkalmas adatokat tartalmaznak. A neve, születési ideje vagy lakcíme NEM szerepel az adatok között, azok csak a betegségével kapcsolatos információkat tartalmazzák.
- Ha szeretné elősegíteni az adatbázisok fejlesztését, Ön is hozzájárulását adhatja adatai ilyen adatbázisokba való felvételéhez. Ha úgy dönt, hogy ehhez nem járul hozzá, ez nem befolyásolja a további kezelését.



MI A HELYZET A RITKA BETEGSÉGEKRE IRÁNYULÓ KUTATÁSSAL?

- Arról is tájékoztathat minket, hogy szeretné-e, hogy felvegyük Önnel a kapcsolatot olyan kutatási projektekkel kapcsolatban, amelyek esetleg hasznosíthatják az Ön adatait.
- Ha egyetért adatai kutatási célú megosztásával, külön hozzájárulását kérjük majd az egyes kutatási projektekhez.
- Adatai kutatási célú felhasználására kizárólag az Ön által megnevezett projekthez adott külön hozzájárulást követően kerül sor.



3. táblázat Klinikai adatokat összefoglaló adatlap

Egyszerűsített adatlap – Autoimmun májbetegség

Életkor:

Nem: Férfi Nő

Jóváhagyott diagnózis:

Kérdéses diagnózis:

Májbiopszia: Dátuma:

Eredménye:

Kémia:

GOT (U/l): Egyéb értékek:

GPT (U/l):

AP (U/l):

Autoantitestek:

Alkalmazott terápia:

A panellel kapcsolatos kérdések:

elé tárjanak bonyolult eseteket. A legegyszerűbb módja ennek, ha azt az adott ország ERN-centrumán keresztül tesszük. Az ERN RARE-LIVER-hálózat CPMS ügyfélszolgálatát a németországi Hamburg-Eppendorf Egyetemi Orvosi Központba telepítették (CPMS.rareliver@uke.de), a hatékony segítségnyújtás érdekében mind informatikus szakértők mind hepatológusok részt vesznek a munkában. Ezen felül az EU és a CPMS szoftvergyártója biztosítja a CPMS folyamatos frissítését, a hozzáférési folyamat egyszerűsítése, a munkafolyamatok javítása és az adott ERN igényeinek kielégítése érdekében.

Hogyan történik a CPMS-konzultáció?

A CPMS-konzultáció teljes mértékben összhangban történik a nemzeti és az európai adatvédelmi jogszabályokkal. A beteg szóbeli és írásbeli tájékoztatása (2. A táblázat), valamint a hozzájárulási nyilatkozat (2. B táblázat) aláírását követően meg kell osztani a kezelőorvos által gyűjtött betegséggel kapcsolatos klinikai és laboratóriumi adatokat (adatlap kitöltése angolul, 3. táblázat), valamint a szövettani és képalkotó vizsgálatok eredményeit más európai országokban működő kórházak egészség-

4. táblázat: A Klinikai Betegadat Kezelő Rendszerhez (Clinical Patient Management System, CPMS) egyéni felhasználói fiók készítésének módja

Klinikai Betegadat Kezelő Rendszer (CPMS) Felhasználói Fiók Létrehozása:



Fontos felhasználói részletek: Név, ERN (RARE-LIVER),
Ország, Egészségügyi Szolgáltató neve / Intézet / Szervezet,
Telefonszám (minden egyes bejelentkezéshez új jelszó kerül
kiküldésre)

1. Bemutató videó:

<https://webgate.ec.europa.eu/ern/imgs/CPMS%20Getting%20Started.mp4>

**2. EU-login létrehozása:**

<https://webgate.ec.europa.eu/cas/eim/external/register.cgi>

**3. SAAS jóváhagyás:**

<https://webgate.ec.europa.eu/saas>

**4. Belépés a CPMS-be**

<https://cpms.ern-net.eu/login/>



Kérjük, ellenőrizze, hogy a Google Chrome legfrissebb verzióját használja, hogy a CPMS összes funkciójához hozzáférjen!

ERN Member Meeting, Hamburg, January 31st & February 1st 2019

5. táblázat: A Klinikai Betegadat Kezelő Rendszerben (Clinical Patient Management System, CPMS) szakértői panel összehívásának módja

A CPMS használata: Konzultációs panel létrehozása



European
Reference
Networks

1. Jelentkezzen be a CPMS-be (Email + jelszó)
2. Vigyen fel egy beteget! Csak azokat a szekciókat használja, amelyek leginkább jellemzik a beteget (vagy töltsse fel a beteg saját, anonimizált adatlapját!)
3. Hívja meg a panelba az adott „Betegségcsoport”-ban részt vevő összes szakértőt, és fogadja el a meghívást a nevükben! Ellenkező esetben, amikor továbblép az „Adatok kitöltése” fülre, az állapotuk automatikusan az „Elutasítva” státuszra módosul.
4. A panelvezető értekezletet kezdeményez, és meghívja a szakértőket a megbeszélésre

Panel Selection

Available Invited Co-ordinator Assistance			
Invited Panel Members			
Name	Role	Status	When
Lenka Cervenecova		Invited	Invited: 24/Jan/2019
Ekoehard STURM	Pediatric Hepatology	Accepted	Invited: 24/Jan/2019
Marcel Sebode	Hepatologist	Refuse	Invited: 24/Jan/2019

5. Ha olyan szakértőre van szüksége, aki másik ERN-nek a tagja, vagy olyan centrum részvételét kéri a panelba, ami nem rendelkezik ERN tagsággal, értesítse a CPMS koordinátort (CPMS.RareLiver@uke.de)!
6. Értékelés: Vegyen részt az értekezleten, készítse el az értekezlet összefoglalóját, összegezze az eredményeket a testületi tagok (írásbeli vagy szóbeli) hozzászólásai alapján. A megbeszélés után állítsa az értekezlet állapotát „Kész”-re.
7. Zárja le az eredményeket (A testületi tagok megtekinthetik, és menthetik a saját rekordjaik közé); a beteg személyes adatai nem láthatók
8. Amennyiben nem zárja le az eredményeket, valamennyi testületi tag automatikusan e-mailes értesítőket kap (naponta!), hogy a nyitott panelben teendője van.

Ha ERN tagsággal nem rendelkező centrum kíván beteget bevonni a CPMS-be, akkor vendégfelhasználói-fiókot kell igényelnie vagy föl kell vennie a kapcsolatot a CPMS-koordinátorral:
CPMS.RareLiver@uke.de

ERN Member Meeting, Hamburg, January 31st & February 1st 2019

ügyi szakembereivel egy biztonságos elektronikus rendszeren keresztül (<https://cpms.ern-net.eu/login>), anonim módon. A rendszer által támogatott fájlformátum a képalkotó diagnosztikai felvételek esetén a .dicom. A szövettani képek esetén az egyszerű, fix kép helyett a teljes szövettani metszet szkennelt formája előnyben részesített, mivel az szükség szerint nagyítható. A CPMS-rendszerhez egyéni felhasználói fiók készítése szükséges, amelynek lépéseit a 4. táblázat foglalja össze. Ez a platform mintegy centralizálja a konzultációt, lehetővé teszi a szakértői panel összehívását és lehetőséget ad arra, hogy az egészségügyi szakemberek virtuálisan együttműködve betekintést nyerjenek a különböző esetekbe és megvitassák észrevételeiket, szakmai javaslataikat, amelyeket aztán a kezelőorvos alkalmazni tud a kivizsgálás és a kezelés során. A szakértői panel összehívásának lépéseit az 5. táblázat foglalja össze. Az ERN RARE-LIVER-hálózaton belül a betegek biológiai mintáiból akár speciális laboratóriumi vizsgálatok elvégzésre is van lehetőség, ha az adott módszer a beteget kivizsgáló centrumban nem elérhető. A diagnózis és a kezelés elősegítése céljából megosztásra kerülő adatok mellett, ha a beteg szeretné elősegíteni a kutatáshoz szükséges adatbázisok fejlesztését, hozzájárulását adhatja anonim adatai ilyen adatbázisokba való felvételéhez. Továbbá lehetősége van, hogy különböző kutatási projektekhez csatlakozzon, amelyek hasznosíthatják az anonim betegadatokat. Amennyiben egyetért adatai kutatási célú megosztásával, külön hozzájárulását kéri majd az egyes projektekhez (2. B táblázat). A ritka májbetegségekkel kapcsolatos ismeretek jövőbeli továbbfejlesztése szempontjából ugyanis az ERN-ek nagyban függenek a kutatáshoz és ismeretfejlesztéshez szükséges információkat tartalmazó adatbázisoktól és

kutatási projektektől. Ha a beteg úgy dönt, hogy ehhez nem járul hozzá, ez nem befolyásolja a kivizsgálásával és a kezelésével kapcsolatos szakmai konzultációt.

Debreceni centrumunk céljai

Magyarországon a Debreceni Egyetem, Klinikai Központ az egyetlen ERN Ritka Májbetegség centrum. Célul tűztük ki a ritka májbetegségben szenvedő betegek gyorsabb és pontosabb diagnózisának felállítását és ellátásuk országos szintű javítását és egységesítését. Ehhez keresünk partner hepatológiai centrumokat, akik szívesen részt vesznek ezen célok megvalósításában. A CPMS-rendszer használatával a beteg helyett tudásanyag utazik annak érdekében, hogy a beteg a saját betegellátó közegében gyógyulhasson a saját kezelőorvosának segítségével. A ritka májbetegségben szenvedő betegek így földrajzi helyüktől függetlenül is a legjobb egészségügyi ellátásban tudnak részesülni. A helyileg alkalmazott szakértői ismeretek nemcsak közvetlenül a betegek érdekeit szolgálják, hanem elősegítik a tudásanyag terjedését a helyi egészségügyi szakemberek körében, és a szakértői centrumokat is segítik azzal, hogy hozzáférést biztosítsanak számukra a betegek adataihoz és betegségeik lefolyásához, amelyekhez egyébként lehetetlen lenne hozzáférniük. Ezáltal pedig a ritka májbetegségek klinikai kórlefordításával és kezelésével kapcsolatosan egyfajta „összeadott tudás” kialakulását teszi lehetővé.

Papp Mária dr. a Magyar Tudományos Akadémia Bolyai János Kutatási Ösztöndíjasa (BO/00232/17/5) volt és az Emberi Erőforrások Minisztériuma Új nemzeti Kiválóság Programjának (ÚNKP-19-4 – Bolyai+) támogatásában részesült.

Kapcsolat

Dr. Papp Mária

ERN RARE-LIVER magyarországi koordinátor
papp.maria@med.unideb.hu

Dr. Tornai István

ERN RARE-LIVER magyarországi helyettes koordinátora
itornai@med.unideb.hu

Dr. Balogh Boglárka

CPMS koordinátor
balogh.boglarka@med.unideb.hu

Dr. Pfliegler György

BoMS magyarországi képviselő
g.pfliegler@gmail.com



European
Reference
Networks

Co-funded by the European Union

