

**REČ ZA  
ŽIVOT**



# **IV REGIONALNA KONFERENCIJA O RETKIM BOLESTIMA**



**28.11.2023.**

## **TEMA: GENETIČKE TERAPIJE U RETKIM BOLESTIMA**

HOTEL SHERATON, UL. POLGAR ANDRAŠA 1  
(ulaz sa bulevara Evrope) HIBRIDNA KONFERENCIJA



## ■ SADRŽAJ

- 02 REČ UREDNIKA**  
Uvodna reč
- 04 DOGODIĆE SE**  
IV Regionalna konferencija  
o retkim bolestima
- 8 REČ UDRUŽENJA**  
NORBS-ov priručnik  
za pomoć i podršku  
osobama sa retkim bolestima
- 9** Pravno savetovalište Društva tumača  
i prevodilaca na znakovni jezik
- 10 REČ DRŽAVE**  
Počeo je sa radom  
palijativni centar sa 50 ležajeva
- 12 REČ PACIJENTA**  
Zarina priča
- 16 REČ STRUKE**  
Ztalmy ganaxolone
- 18 DOGODILO SE**  
World Orphan Drug  
Congress Europe 2023.
- 20 DOGODILO SE**  
Rare Advocacy Summit

# UVODNA REČ

Poštovani,

Predstavljamo Vam novo izdanje časopisa Reč za život. Ovaj broj časopisa je objavljen i online i u štampanom izdanju i posvećen je IV Regionalnoj konferenciji o retkim bolestima sa temom **Genetičke terapije u retkim bolestima**. IV Regionalna konferencija o retkim bolestima ima za cilj da istraži kako se nove tehnologije i genetičke terapije primenjuju, koristeći konkretne primere iz prakse i kako bi to moglo da promeni i poboljša praksu lečenja svih retkih bolesti u budućnosti.

U rubrici Reč države biće reči o palijativnom centru koji je počeo sa radom u bivšoj Kovid bolnici na Mišeluku u Novom Sadu, namenjen najranjivijim kategorijama bolesnika, odnosno pacijentima obolelim od neizlečivih bolesti.

Rubrika Reč pacijenta donosi priču o malenoj Zari koja boluje od sindroma kratkog creva, a koja je prvo dete u Srbiji koje prima Revestive-teduglutid hormone.

U rubrici Reč udruženja prenosimo informaciju o priručniku koji je priredio NORBS-Nacionalna organizacija za retke bolesti Srbije, a koji je osmišljen kao vodič o retkim bolestima i upoznavanje sa različitim zakonima i pravilnicima koji su od značaja za obolele od retkih bolesti i njihove porodice ili negovatelje.

U ovom broju časopisa donosimo vam dve priče iz prve ruke:

Na Rare Advocacy Summit-u, najvećem svetskom samitu zastupnika pacijenata u oblasti retkih bolesti koji je održan u San Dijegu, od 18-21 septembra, u organizaciji Global Genes-a, u panelu posvećenom jačanju kapaciteta zajednica obolelih od retkih bolesti istaknuto je i učešće Bojane Mirosavljević, predsednice Udruženja "Život", koja je na ovom događaju predstavila Zojin zakon.

Takođe, na World Orphan Drug Congress Europe 2023, održanom u Barseloni od 30.10.-02.11.2023., Bojana Mirosavljević je bila učesnik na panelu kompanije ICON sa temom: Rešavanje zabrinutosti pacijenata tokom genetičke terapije retkih bolesti i razvoja genetske medicine.

Takođe, prenosimo veoma važnu informaciju od Društva tumača i prevodilaca za znakovni jezik o početku rada usluga pravnog savetovanja sa ciljem pružanja korisnih informacija osobama sa invaliditetom kao i članovima njihovih domaćinstava kao mogućnost konsultovanja sa stručnim pravnim licem.



BOJANA

MIROSAVLJEVIĆ

S poštovanjem,

*Mirosavljević Bojana*

Predsednik Udruženja građana  
za borbu protiv retkih bolesti kod  
dece - „Život“ i Koordinator Baze  
retkih bolesti za Balkan



# IV REGIONALNA KONFERENCIJA O RETKIM BOLESTIMA

## GENETIČKE TERAPIJE U RETKIM BOLESTIMA

● **28.11.2023.**

Hotel Sheraton, Novi Sad

Genetičke terapije revolucionarno menjaju lečenje retkih bolesti, dajući nadu pacijentima koji ranije nisu imali terapijske opcije.

Zato IV Regionalna konferencija o retkim bolestima ima za cilj da istraži kako se nove tehnologije i genetičke terapije primenjuju, koristeći konkretne primere iz prakse i kako bi to moglo da promeni i poboljša praksu lečenja svih retkih bolesti u budućnosti.

Postoji oko 8.000 identifikovanih retkih bolesti, ali samo 5% ima odobrene tretmane. Genetička terapija je posebno važna za pacijente sa retkim bolestima, jer više od 80 procenata retkih bolesti ima poznati monogeni (jednogenski) uzrok. Tradicionalni lekovi često deluju tako što ublažavaju simptome, ali ne leče bolest. Kada se leči hronično stanje, to može značiti čestu primenu leka ili lekova. Nasuprot tome, **genetička terapija ima potencijal da ispravi osnovne**

**genetske defekte, nudeći lek umesto lečenja simptoma. Uspešna genetička terapija može zahtevati samo jednu dozu za doživotno poboljšanje, umesto da zahteva doživotno lečenje.**

Svesni smo da sa novim mogućnostima dolaze i novi izazovi, kao što su bezbednost, dugoročna efikasnost, održivost, cene i obezbeđivanje pristupa i primene novih terapija.

Nadamo se da zajedničkim radom, edukacijom i aktivnom diskusijom možemo doći do najboljeg rešenja za što efikasniju primenu genetičkih terapija kod obolelih od retkih bolesti.

*Udruženje građana za borbu protiv retkih bolesti kod dece "Život"*





# PROGRAM

## IV REGIONALNA KONFERENCIJA O RETKIM BOLESTIMA

TEMA: GENETIČKE TERAPIJE U RETKIM BOLESTIMA

28.11.2023.

09:00 – 9:30 Registracija učesnika, kafa dobrodošlice

9:30 – 10:00 Pozdravne reči:

- **Bojana Miroslavljević**, Udruženje "Život", Baza retkih bolesti
- **Jelena Janković**, Ministarstvo zdravlja Republike Srbije
- **Prof. dr. Sanja Radojević Škodrić**, Republički fond za zdravstveno osiguranje Srbije
- **gđa Tamara Vučić**, Prva dama Srbije

### Uvod – Zakonske regulative

10:00 – 10:15 • **Predstavljanje izmena Pravilnika o načinu kontrole lekova koje je inicirao C4IR a koji donosi određene olakšice za uvoz, registraciju i primenu genske terapije u Srbiji**  
**Jelena Bojović i Dr Branislava Gemović**, Centar za četvrtu industrijsku revoluciju, Beograd

10:15 – 10:30 • **Digitalizacija: dragoceni partner u borbi sa retkim bolestima**  
**Dr Nevena Veljković**, Heliant doo & naučni savetnik - Institut za nuklearne nauke Vinča, Univerzitet u Beogradu, Institut od nacionalnog značaja za Republiku Srbiju

10:30 - 10:45 • **Uloga Agencije za lekove i medicinska sredstva Srbije u dostupnosti genetičke terapije u Srbiji**  
**Jadranka Mirković**, Agencija za lekove i medicinska sredstva (ALIMS)

10:45 - 11:00 • **Etika i perspektiva pacijenata u genetičkim terapijama**  
**Goran Vasović**, Etički odbor

11:00 - 11:15 • **Pristup genetičkim terapijama za retke bolesti u zemaljma EU u odnosu na zemlje koje nisu članice EU**  
**Elisabetta Zanon**, Director, EU Public Affairs & Advocacy, Alliance for Regenerative Medicine

11:15- 11:30 • **Pristup genetičkoj terapiji - kada je genetička terapija najbolji izbor za pacijenta?**  
**Doc. dr Predrag Rodić**, Univerzitetska dečja klinika Beograd

11:30 - 11:45 Pauza za kafu

### Pregled

11:45 – 12:00 • **Genetičke terapije: od tehnologije do kliničkih studija**  
**Dr Maja Stojiljković**, naučni savetnik, Institut za molekularnu biologiju i genetičko inženjerstvo, Univerzitet u Beogradu

12:00 – 12:15 • **Genetičke dizajnirane terapije - primer SMA**  
**Dr Miloš Brkušanin**, naučni saradnik, Univerzitet u Beogradu – Biološki fakultet

12:15 - 12:30 • **Orphan oznake dodeljene genskoj terapiji u Evropi: analiza i evolucija u poslednje dve decenije**  
**Melania Cruciani**, Orphanet, Clinical Trials and Orphan Drugs Database Manager, Francuska

12:30 - 12:45 • **Intrapataminalna genska terapija za AADC deficit – pristup i rezultati**  
**Prof. Dr Thomas Opladen**, Odsek za pedijatrijsku neurologiju i metaboličku medicinu, Univerzitetska bolnica Hajdelberg, Nemačka

12:45 - 13:00 • **Cross-border tretman: tri godine iskustva iz stvarnog života**  
**Prof. Dr Sci Mladen Bušić prim.dr med**, Univerzitetska bolnica "Sv. Duh" Zagreb, Hrvatska

13:00 - 13:15 • **Od genotipa do fenotipa i lečenja slepila**  
**Vanredni prof. dr Mirjana Bjeloš dr med**, Univerzitetska bolnica "Sv. Duh" Zagreb, Hrvatska

13:15 - 13:30 • **Most između biomedicinskih istraživanja o naprednim tretmanima i njihove primene na pacijentima: akademski centar**  
**Prof. Dr. Mojca Benčina**, Center of excellence for the Technologies of Gene and Cell Therapy from the National Institute of Chemistry, Slovenija

13:30 - 14:30 Ručak

14:30 – 14:45 • **Pristup genskoj terapiji pacijentima: prva iskustva jedne kompanije**  
**Thomas Bols**, PTC Therapeutics, Head of Government Affairs and Patient Engagement, EMEA

14:45 – 15:00 • **Uloga zastupnika pacijenata u podršci genskoj terapiji**  
**Vivian Fernandez**, RegenexBio, Executive Director, Patient Directory, USA

15:00 - 15:15 • **Osnaživanje pacijenata: genska terapija i angažovanje pacijenata u retkim bolestima**  
**Kendall Davis**, ICON- Patient Advocacy Strategy, direktor

15:15 - 15:30 • **Šta grupe pacijenata mogu da urade da pripreme svoje zajednice za gensku terapiju**  
**Philipp Von Gallwitz**, ADMEDICUM

**Panel diskusija: Genetičke terapije iz različitih perspektiva**  
**Moderator: Ivana Badnjarević**

16:00 – 17:00 • **Izazovi u dostupnosti genetičke terapije**  
**Davor Duboka**, PTC Therapeutics, Associate Director, Patient Advocacy

• **Zoran Aćimović**, CRA Academy

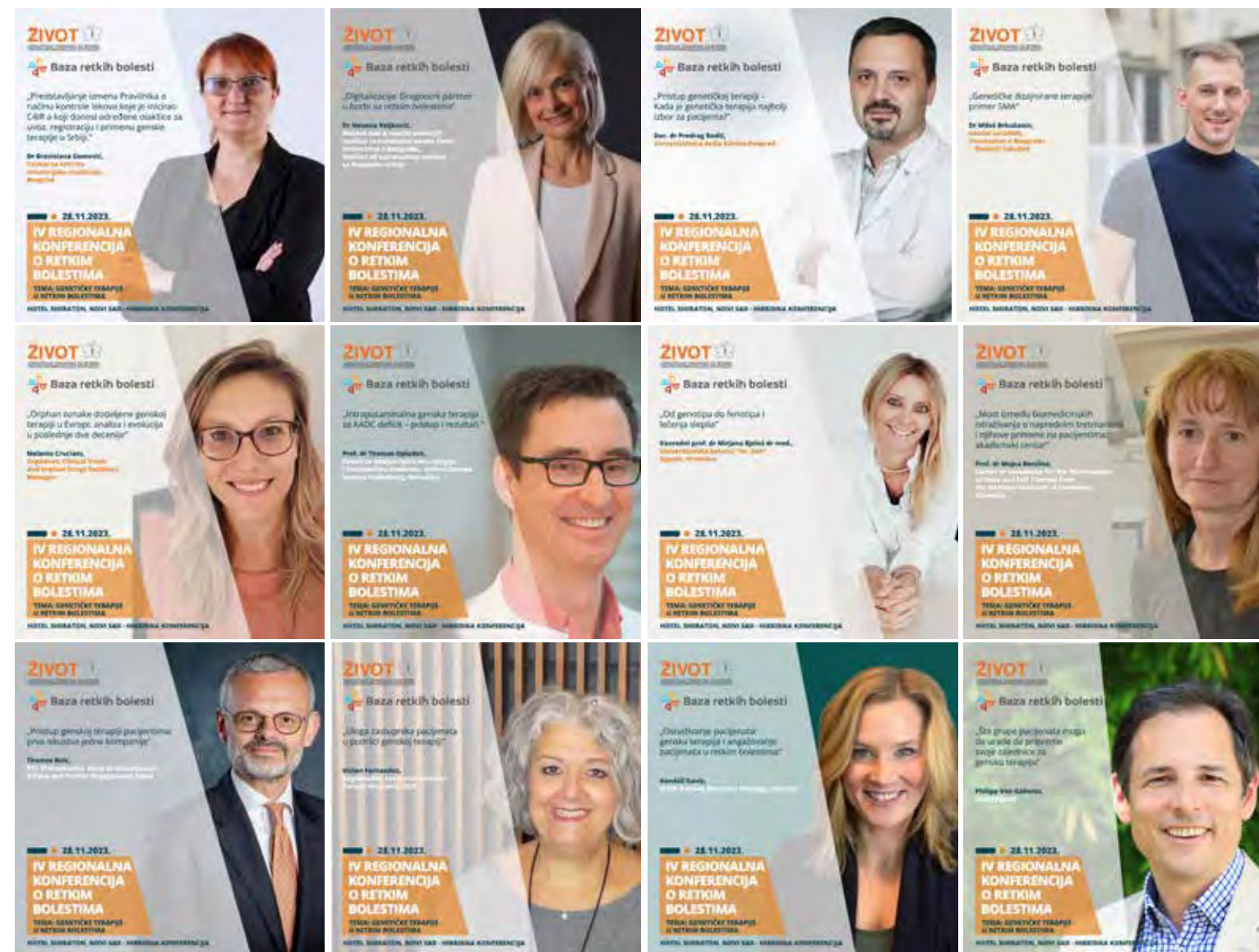
• **Perspektiva SMA pacijenata Olivera Jovović**, NORBS Nacionalna organizacija za retke bolesti

• **Perspektiva pacijenata sa buloznom epidermolizom Sandra Pavlović**, Debra Srbija

• **Iskustvo roditelja Sonja Todorović**, mama dečaka Lava obolelog od SMA

17:00 – 17:15 Q&A

**Zaključci i zatvaranje**









U BIVŠOJ KOVID BOLNICI NA MIŠELUKU  
U NOVOM SADU POČEO JE SA RADOM

## PALIJATIVNI CENTAR SA 50 LEŽAJEVA

**U** prostoru bivše Kovid bolnice na Mišeluku u Novom Sadu počelo je palijativno zbrinjavanje bolesnika. Kako se navodi u saopštenju Pokrajinske vlade iz avgusta 2023., u okviru palijativnog zbrinjavanja pacijenata adekvatno će se pružati medicinska usluga najranjivijim kategorijama bolesnika, odnosno pacijentima obolelim od neizlečivih bolesti, dok će se istovremeno pružati neophodna podrška njihovim porodicama, a sve u skladu sa najnovijim svetskim standardima.

U tu svrhu je obezbeđeno 50 kreveta za bolesnike, uz obezbeđene dodatne kapacitete za aktivno uključivanje članova porodice u proces lečenja prema preporukama najsavremenijih vodiča za palijativno zbrinjavanje.

Zahvaljujući adekvatnom palijativnom zbrinjavanju pacijenata, Vojvodina po prvi put ima jedan takav vid zdravstvene zaštite, koji će standarde lečenja podiže na potpuno novi nivo.

U rad je pušten i odsek za mentalno zdravlje.

Odsek za mentalno zdravlje obezbeđuje viši nivo kvaliteta zaštite mentalnog zdravlja sa kojim se savremena svetska populacija suočava, kroz pružanje usluga i promociju iz domena mentalnog zdravlja i prevenciju mentalnih poremećaja. Na ovaj način se pružaju usluge pacijentima koji zbog svog zdravstvenog stanja zahtevaju psihološku dijagnostiku, opservaciju, grupnu i individualnu psihoterapiju, radnu terapiju, kao i psihosocijalnu podršku u vidu intervencija u kriznim situacijama.



Izvor: Pokrajinska vlada



Foto: TANJUG VLADA AP VOJVODINE ANDREJ PAP

**i**

### Ovo je prva usluga takve vrste u Vojvodini.

Prema definiciji SZO, palijativno zbrinjavanje nije poseban vid lečenja, nego je postupak kojim se povećava kvalitet života pacijenata i njihovih porodica, pružanjem pored zdravstvenih usluga koje su neophodne i odgovarajućih uslova za saradnju pacijent, porodica, zdravstveno osoblje.



## ZARINA PRIČA

Zara Urukalo je dugo čekana i željena devojčica jer smo, kao i svaki bračni par hteli da se ostvarimo u ulozi roditelja. Na žalost borili smo se sa sterilitetom dugih 8 godina. Sve te godine bile su veoma stresne i bolne, ali danas imamo najlepšu devojčicu na svetu!

**T**og 14. avgusta 2019. godine nisam osetila pokretanje ploda. Znala sam da to nije dobro i na sugestiju doktora otišla sam u Betaniju na pregled. Celu noć sam bila u neizvesnosti jer se čekao konzilijum lekara kako bi se odlučilo šta dalje. Situacija je bila teška i neizvesna.

Zara se rodila sutradan u 32-oj nedelji hitnim carskim rezom zbog intestinalnog volvulusa creva. U prevodu, tanko crevo se nije razvijalo kako bi trebalo. Apgar score 3/4. 45cm i 1890gr. Istog dana je hospitalizovana u Dečijoj bolnici u Novom Sadu i hitno je operisana. Rečeno nam je da su šanse da preživi 2%. Kakva užasna rečenica za roditelje koji su željno iščekivali svoje čedo. Naš život se preokrenuo u jednom danu. Odstranjen joj je deo tankog creva. Sada naše dete ima oko 20cm tankog creva a trebalo bi da ima oko 150cm.

Tuga, očaj, bes, beznađe, nada, ljubav, strah... sve nam se mešalo tih dana dok smo je svakodnevno obilazili na hirurškoj intenzivi. Iščekivanje da nam doktori kažu nešto više, nešto pozitivno, utehu da će sve biti u redu. Najemotivniji momenat je bio kad smo je uzeli u ruke i kad smo mogli da je zagrimo, da oseti da je naša voljena i željena ćerka i da ne postoji ništa što ne možemo zajedno da prebrodimo! Svaki dan smo je obilazili a u isto vreme se plašili svakog susreta sa nekim od doktora koji bi mogao doneti neku lošu vest.

Tih dana mi smo morali da savladamo termine i značenje svega što nosi naziv - retka bolest sindrom kratkog creva. Tanko crevo-jejunum

ileum, apsorpcija vitamina i minerala, sve je to bilo novo za nas ali nismo padali u očaj. Borili smo se da savladamo sve i da prihvatimo činjenično stanje. Život naše ćerke, najlepše, željene i voljene, kao i kvalitet njenog života su neizvesni.

Teški su dani bili pred nama, puni uspona i padova. Kada sam ja bila loše suprug je bio taj koji je davao snagu i volju da istrajemo u našoj borbi. Dijagnoze su bile loše. Od toga da će jesti samo pasiranu hranu do toga da će se hraniti parenteralno ceo život. Nismo znali u tom trenutku šta je to ali je zvučalo beznadežno. Naravno, kao i svaki očajan roditelj, odgovore smo tražili na internetu.

Agonija kreće nakon našeg otpusta iz bolnice jer nismo znali šta je zaista sindrom kratkog creva. Išli smo na kontrole na svaka 3 dana. U našoj kući bila je kovid izolacija i pre pojave kovida. To je značilo da nam niko nije dolazio jer smo se bojali infekcije virusom ili bakterijom, a mi u kući smo prali i dezinfikovali sve što je bilo u dodiru sa Zarom. Nosili smo maske kad smo u njenoj blizini jer smo se bojali kako će njeno krhko telo da se izbori ako dobije neku infekciju. Sindrom kratkog creva je retka i teška bolest sa mogućnošću fatalnog ishoda. Ukoliko dobije dijareju ili temperaturu, Zara bi mogla da dehidrirati. Bojali smo se svega, sunca, hladnoće...

Ishrana je najvažnija kod ove retke bolesti. U prvih godinu dana Zara je pila adaptirano specijalno mleko. Posle smo polako uveli čvrstu hranu ali smo pazili šta jede, koliko jede, kada jede i to radimo i dan danas.



Zara je od treće godine na terapiji Revestive-teduglutid hormon. Dr Mirjana Stojšić iz Dečije bolnice u Novom Sadu je njen gastroenterolog i ona je veliki borac za decu sa sindromom kratkog creva kao i za IBD pacijente. Uz pomoć Dr Stojšić, Zara je prvo dete u Srbiji koje prima ovaj lek. Mi smo joj neizmerno zahvalni. Ovaj hormon pomaže rast creva i crevnih resica.

Zara sada ima 13 kg i napreduje u kilaži i visini. Vreme će pokazati da li će u nekom momentu stagnirati, a shodno tome će dr Stojšić praviti plan terapije. Mi smo na sve spremni i borićemo se za našu princezu.

Sudbina se poigrala sa nama pa Zara ima i cerebralnu paralizu sa kojom se uspešno borimo. Mi smo trojac koji ne odustaje od borbe. Danas Zara ima 4 godine i cilj nam je da bude samostalna i da sama ide u školu sa svojim vršnjacima. Istrajaćemo u našem cilju.

**Mirjana i Bogdan Urukalo**



Iz lične arhive



# ZTALMY GANAXOLONE



**Z**talmi je lek koji se koristi za lečenje epileptičkih napada kod dece od 2 do 17 godina koja imaju stanje poznato kao poremećaj nedostatka ciklin-zavisne kinaze 5 (CDKL5). Ovi pacijenti mogu nastaviti da uzimaju Ztalmi kada postanu odrasli.

Lek se koristi u kombinaciji sa drugim antiepileptičkim lekovima.

Poremećaj nedostatka CDKL5 je redak, a Ztalmi je 13. novembra 2019. godine označen kao „orphan lek“ (lek koji se koristi za retke bolesti). Dodatne informacije o oznaci orphan mogu se naći na veb stranici EMA.

## Ztalmi sadrži aktivnu supstancu ganaksolon.

### Kako se Ztalmi koristi?

Lek se može nabaviti samo na recept, a lečenje treba da započne i nadgleda lekar koji ima iskustva u lečenju pacijenata sa epilepsijom.

Ztalmi je dostupan kao sirup i obično se daje tri puta dnevno. Doza se određuje na osnovu težine pacijenta.

Za više informacija o upotrebi leka Ztalmi, pogledajte uputstvo za upotrebu ili se obratite svom lekaru ili farmaceutu.

### Kako Ztalmi funkcioniše?

Aktivna supstanca u Ztalmiju, ganaksolon, oponaša dejstvo supstance u telu koja se zove alopregnanolon. Uključuje takozvane GABA receptore, što smanjuje prekomernu električnu aktivnost u mozgu i tako smanjuje broj napada.

### Koje su prednosti leka Ztalmi dokazane u studijama?

Glavna studija je pokazala da Ztalmi smanjuje učestalost napada kod dece i adolescenata sa poremećajem nedostatka CDKL5 koji uzimaju najmanje još jedan lek za epilepsiju. Studija je obuhvatila ukupno 101 pacijenta sa poremećajem nedostatka CDKL5 i upoređivala je Ztalmi sa grupom koja je primala placebo (lažni tretman), a oba su davana kao dodatak postojećim lekovima za epilepsiju.

U proseku, mesečni broj većih napada je smanjen za 29% u grupi pacijenata lečenih Ztalmi, a za 6% u grupi lečenoj placebom.

### Koji su rizici povezani sa Ztalmi?

Za kompletnu listu neželjenih efekata i ograničenja za Ztalmi, pogledajte uputstvo za upotrebu.

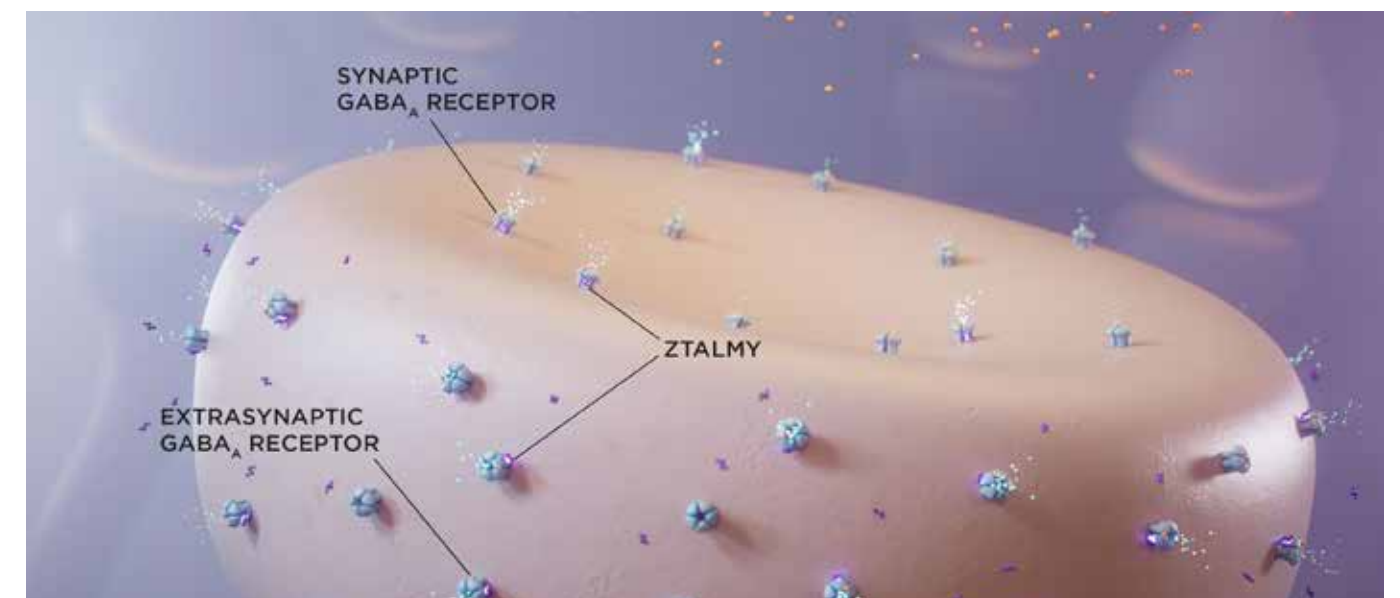
Najčešći neželjeni efekti leka Ztalmi (koji mogu uticati na više od 1 od 10 osoba) uključuju pospanost i groznicu.

Glavna studija je pokazala da je Ztalmi efikasan u smanjenju broja napada kod dece sa poremećajem nedostatka CDKL5. Neželjeni efekti se smatraju kontrolisanim. Evropska agencija za lekove je stoga odlučila da su koristi od Ztalmija veće od rizika i da može biti odobren za upotrebu u EU.

### Koje mere se preduzimaju da bi se osigurala bezbedna i efikasna upotreba Ztalmija?

Kao i za sve lekove, podaci o upotrebi Ztalmi se kontinuirano prate. Neželjeni efekti prijavljeni kod upotrebe Ztalmija se pažljivo procenjuju i preduzimaju se sve neophodne radnje za zaštitu pacijenata.

*tekst preuzet sa sajta Evropske agencije za lekove*





■ DOGODILO SE

BARCELONA, 30.10 - 2.11.2023.

## WORLD ORPHAN DRUG CONGRESS EUROPE 2023.



**S**vetski kongres o lekovima za retke bolesti je najveći i najpriznatiji skup ove vrste širom sveta. Održan je u Barseloni od 30.10.-02.11.2023. godine. Na kongresu je bilo prisutno više od 130 vodećih kompanija iz celog sveta, koje pružaju nove načine razmišljanja i nova partnerstva za pronalaženje rešenja. Razne teme su bile obuhvaćene na kongresu, od ćelijskih i genskih terapija, genetskog testiranja, pristupa tržištu, kreiranje politike i još mnogo toga.

I ovaj put vam donosimo priču iz prve ruke. Na World Orphan Drug Congress Europe 2023, Bojana Mirosavljević je bila učesnik na panelu kompanije ICON sa temom: Rešavanje zabrinutosti pacijenata tokom genetičke terapije za retke bolesti i razvoja genetske medicine. Umrežavanje je svakako u središtu ovakvog Svetskog kongresa o lekovima za retke bolesti. Ovakava manifestacija omogućava direktno povezivanje sa farmaceutskim stručnjacima kao i predstavnicima pacijenata. Puno poznatih lica iz sveta retkih bolesti doprinelo je kredibilitetu ove konferencije. Odlične panel diskusije, okrugli stolovi i prezentacije su doprineli drugačijem gledištu i pristupu razvoju lekova za retke bolesti.

Ostvaren je kontakt sa predstavnicima iz tzv. „zanemarenih“ zemalja kao što su Kenija, Ruanda, zemalja Bilskog istoka, koji su takođe aktivno učestvovali, što će sigurno rezultirati pomacima na polju retkih bolesti i u ovim zemljama. Osim zapaženog učešća u panelu, ovo je bila prilika za učvršćivanje dosadašnjih kontakata kao i za stvaranje novih. Još je jedan bio veoma zapažen panel o predlogu Evropske komisije za reviziju zakonske regulative Evropske Unije iz oblasti farmacije.



*Iz lične archive*



BARCELONA, 30.10 - 2.11.2023.

## GLOBAL GENES – RARE ADVOCACY SUMMIT



Iz lične arhive

U San Dijegu, od 18-21 septembra, u organizaciji Global Genes-a, održan je najveći svetski samit zastupnika pacijenata u oblasti retkih bolesti- Rare Advocacy Summit. Kao jedinstvena prilika da se okupe i angažuju zagovornici retkih bolesti i lidera na istom mestu, ovaj događaj je pružio nadu za više od 400 miliona ljudi pogođenih retkim bolestima širom sveta da pronađu i izgrade zajednice, dobiju pristup informacijama i resursima, povežu se sa istraživačima, kliničarima, industrijom, vladom i drugim zainteresovanim stranama.

Fokus na ovom događaju je bio na jednakosti u svakom smislu.

Multidimenzionalnost životnog iskustva obolelih od retkih bolesti, identitet i kulturne vrednosti, kako je njihovo iskustvo jedinstveno i šta za njih znači zdravstvena jednakost bilo je reči na panelu u kojem se svojim učešćem istakla Neena Nizar, osnivač Američke Jansen's fondacije.

Za dobru pripremu kliničkog istraživanja važno je puno stvari kao što su identifikacija i validacija biomarkera, određivanje odgovarajućih rezultata, regulatorne strategije. Učesnici ovog zanimljivog panela su bili Christina Saninocencio, osnivač LGS Fondacije, Kendall Davis, director of Advocacy strategy ICON plc, kao i Brian Pfister, Praxis Precision Medicines.

U panelu posvećenom jačanju kapaciteta zajednica obolelih od retkih bolesti istaknuto je i učešće Bojane Mirosavljević, predsednice Udruženja "Život", koja je predstavila Zojin zakon. Sa velikom pažnjom i interesovanjem prisutni su pokazali oduševljenje sveobuhvatnošću i sadržajem Zojinog zakona. Bojana je istakla neophodnost pristupa pacijenata kliničkim istraživanjima i van svoje matične zemlje, kao i kako olakšati dostupnost međunarodnih kliničkih istraživanja za retke bolesti.

Na ovom samitu ostvareni su novi kontakti sa svetskim stručnjacima iz oblasti retkih bolesti, kao i učvrstili postojeći kako bi se olakšao pristup terapijama i kliničkim istraživanjima pacijentima obolelim od retkih bolesti iz regiona.





[www.zivotorg.org](http://www.zivotorg.org)

[www.retkebolesti.com](http://www.retkebolesti.com)

## HVALA NA PODRŠCI ZA IV REGIONALNU KONFERENCIJU O RETKIM BOLESTIMA.

ZAHVALJUJUĆI VAŠEM DOPRINOSU, ZAJEDNIČKIM RADOM, EDUKACIJOM I AKTIVNOM DISKUSIJOM DELUJEMO U SMERU PRONALAŽENJA NAJBOLJEG REŠENJA ZA ŠTO EFIKASNIJU PRIMENU GENETIČKIH TERAPIJA KOD OBOLELIH OD RETKIH BOLESTI.

### Projekat podržali:



Република Србија  
Министарство за рад, запошљавање,  
борачка и социјална питања

**#SRBIJABEZBARIJERA**

Реализацију програма подржао је Сектор за заштиту особа  
са инвалидитетом Министарства за рад, запошљавање,  
борачка и социјална питања

### Projekat pomogli:



#### Impresum

CIP - Katalogizacija u publikaciji Biblioteka Matice Srpske Novi Sad 616-053.2  
REČ za život: prvi specijalizovani časopis o retkim bolestima / glavni i odgovorni urednik Bojana Miroslavljević.  
- 2015, br. 1 (nov.)- Novi Sad: Udruženje građana za borbu protiv retkih bolesti kod dece

"Život", 2015 - , - Ilustr.; 30 cm Dvomesечно. ISSN 2466-3093= Reč za život COBISS.SR-ID 300906247