

## Visión del evaluador en H2020

### Experiencia administrativa consorcio ERN

Madrid, 20 de octubre de 2017



**Hospital Universitario La Paz**  
Fundación para la Investigación Biomédica

 Comunidad de Madrid



**Comunidad de Madrid**  
**CONSEJERÍA DE SANIDAD**

**IdiPAZ**  
Instituto de Investigación  
Hospital Universitario La Paz

---

1

**Visión del evaluador**

2

**Experiencia administrativa coordinación ERN**

# Puntos de evaluación

---

- **Impacto**
- **Excelencia**
- **Implementación**
- Interdisciplinar
- Innovación
- Dimensión de género
- Diseminación

# Impacto

---

- En la **call** se especifican los impactos esperados
- Detallar **cómo se contribuirá** a cada uno de los impactos esperados
- Detallar las **medidas** que se tomarán para maximizarlos:
  - Difusión de resultados
  - Explotación y transferencia - *IPD*
- Efecto en la **sociedad** (calidad de vida, ahorro, etc. cuantificado)
- Crecimiento de **empresas** con las innovaciones y su capacidad para **replicarlo** en Europa

# Ejemplo de impacto

## Expected Impact:

Providing better and faster means of high quality and clinical utility for the correct diagnosis of undiagnosed rare diseases for which there is no or unsatisfactory diagnosis available.

- Contribute towards the IRDiRC objectives.
- Foster dissemination of scientific results and knowledge exchange between stakeholders.
- Develop knowledge management strategies, with the view of facilitating models of care and access to the data gathered.
- Providing better knowledge for improved family counselling as well as to improve follow-up for patients and research initiatives.
- Gather a big number of patients with similar phenotypes to facilitate match making, to avoid duplication and to unravel a considerable number of diagnoses.
- Pave the way to the development of new therapies and for a better treatment outcome in rare disease patients.

## Topic Description

### Specific Challenge:

Rare diseases are diseases which affect not more than 5 per 10 000 persons in the European Union. It is estimated that rare diseases encompass between 6 000 and 8 000 different entities which affect altogether more than 30 million people in the EU. However, patient populations for individual rare diseases are small and dispersed, which makes international collaboration crucial. Despite the recent advances in understanding the molecular pathogenesis of these diseases, today many rare diseases still lack means of molecular diagnosis. An accurate molecular diagnosis is an essential starting point for the understanding of mechanisms leading to diseases as well as for adequate patient management and family counselling and it paves the way for therapy development.

### Scope:

The aim of this research should be to apply genomics and/or other -omics and/or other high-throughput approaches for the molecular characterisation of rare diseases in view of developing molecular diagnoses for a large number of undiagnosed rare diseases. Undiagnosed rare diseases may range from a group of unnamed disorders with common characteristics to a phenotypically well described disease or group of diseases with an unknown molecular basis. Genetic variability due to geographical distribution and/or different ethnicity should be taken into account as well as genotype-phenotype correlation whenever applicable. In addition, age, sex and gender aspects should be included where appropriate. This large-scale proposal should promote common standards and terminologies for rare disease classification and support appropriate bioinformatics tools and incentives to facilitate data sharing. Existing resources should be used for depositing data generated by this proposal. Molecular and/or functional characterisation may be part of the proposal to confirm diagnosis. The proposal should enable and foster scientific exchange between stakeholders from countries and regions with different practices and strategies of rare disease diagnostics.

The selected proposal shall contribute to the objectives of, and follow the guidelines and policies of the International Rare Diseases Research Consortium IRDiRC ([www.irdirc.org](http://www.irdirc.org)).

The Commission considers that requesting a contribution from the EU of around EUR 15 million would allow this specific challenge to be addressed appropriately. Nonetheless, this does not preclude submission and selection of a proposal requesting other amounts.

### Expected Impact:

Providing better and faster means of high quality and clinical utility for the correct diagnosis of undiagnosed rare diseases for which there is no or unsatisfactory diagnosis available.

- Contribute towards the IRDiRC objectives.
- Foster dissemination of scientific results and knowledge exchange between stakeholders.
- Develop knowledge management strategies, with the view of facilitating models of care and access to the data gathered.
- Providing better knowledge for improved family counselling as well as to improve follow-up for patients and research initiatives.
- Gather a big number of patients with similar phenotypes to facilitate match making, to avoid duplication and to unravel a considerable number of diagnoses.
- Pave the way to the development of new therapies and for a better treatment outcome in rare disease patients.

### Cross-cutting Priorities:

#### Gender

#### International cooperation

# Excelencia

---

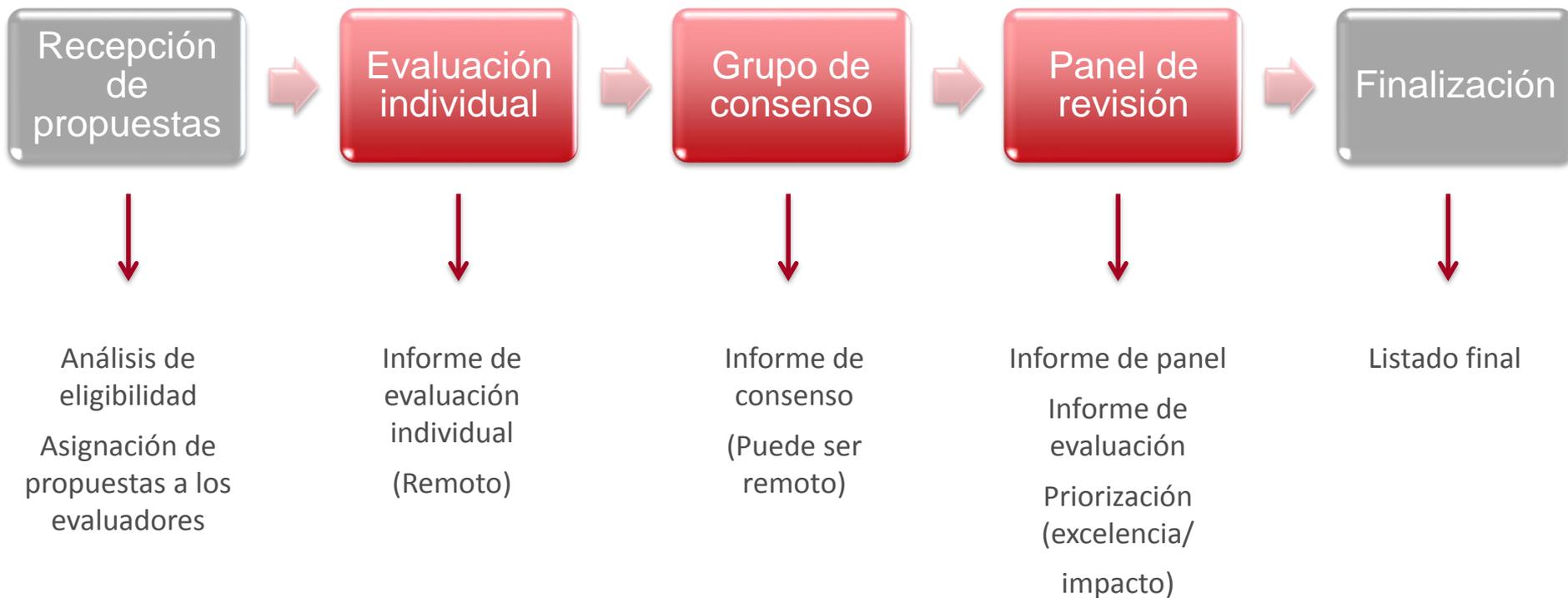
- **Claridad** en los objetivos del proyecto, alineados con la convocatoria
- Bien fundamentados:
  - Conocimiento del **estado del arte / competencia**
  - **Experiencia** del consorcio
- Solidez del **planteamiento**
- **Innovación**
  - Propuesta ambiciosa, avanzando en el estado del arte
  - Propuesta rompedora, pero creíble
- **Resultados previos** que den credibilidad
- **Análisis de riesgos** y cómo se van a paliar

# Implementación

---

- **Plan de trabajo**
  - Estructura de paquetes de trabajo y metodología
  - Coherencia de los recursos y las tareas
  - Entregables y sus plazos
- **Consortio**
  - Experiencia completa y multidisciplinar
  - **Subcontratación:** no tareas clave, justificadas y asegurando *best value for money*
- **Gestión**
  - Organización
  - Gestión de riesgos y de innovación

# Proceso evaluación



## Papel del evaluador

---

- Informe individual
- Se obvian las páginas que excedan el límite (no intentar utilizar los anexos para ampliar información que debe estar en la propuesta)
- Se da una puntuación JUSTIFICADA sobre los distintos aspectos de la propuesta
- No se proponen cambios o mejoras => no hay opción a corregir

### Lo que ayuda....

- Que la lectura sea “fácil”
- Claro y conciso
- Sin repetir información y sin intentar ampliar espacio en los anexos

# Evalúa

<http://ec.europa.eu/research/participants/portal/desktop/en/experts/index.html>

The screenshot shows the 'RESEARCH & INNOVATION Participant Portal' website. The header includes the European Commission logo and navigation links: HOME, FUNDING OPPORTUNITIES, HOW TO PARTICIPATE, EXPERTS (selected), and SUPPORT. A search bar and LOGIN/REGISTER buttons are also present. A maintenance notice states: 'Participant Portal will be unavailable today 19th of October, from 17:30 until 20:00(CET) due to maintenance. We apologise for any inconvenience this may cause.' The main content area features a 'News' sidebar with three articles, a central 'Experts' section with an 'H2020 ONLINE MANUAL' button, and a 'New experts' section. The 'New experts' section includes a 'Who can be an expert?' sub-section with a list of criteria and a 'REGISTER AS EXPERT' button highlighted with a red box. A 'What do expert assignments involve?' sub-section lists the roles of experts and mentions 'Business innovation coaches'. A footer note states: 'In order to access the expert registration form, you are first asked to login with a valid Participant Portal (EU Login) account. If you do not have it yet, it easy to create your Portal (EU Login) account.'

RESEARCH & INNOVATION  
Participant Portal

European Commission > Research & Innovation > Participant Portal > Experts

HOME FUNDING OPPORTUNITIES HOW TO PARTICIPATE EXPERTS SUPPORT Search LOGIN REGISTER

News

[15/06/2017] Expert evaluators needed: help us select high-potential innovators. [More...](#)

[07/06/2016] Call for experts to assist the European Defence Agency (EDA) with tasks in connection with the Preparatory Action on Defence Research. [More...](#)

[10/2014] The 3rd Health Programme and the Consumer Programme, managed by the Consumer, Health and Food Executive Agency (CHAFAEA), and the Research Fund for Coal and Steel (RFCS) are now using the European Commission's [experts database](#) to select experts for assignments including the evaluation of proposals and monitoring of projects. If you are already registered as an expert and wish to also indicate your interest in these programmes, please [update your profile](#) by ticking "RFCS (Research Fund for Coal and Steel)" and/or "Third Health Programme (managed by Chafea)" ('Programme Selection' section). [More...](#)

Participant Portal will be unavailable today 19th of October, from 17:30 until 20:00(CET) due to maintenance. We apologise for any inconvenience this may cause.

Experts [H2020 ONLINE MANUAL](#)

Join the database of independent experts. The European Commission appoints independent experts to assist with assignments that include the evaluation of proposals, monitoring of projects, and evaluation of programmes, and design of policy.

New experts

Who can be an expert?

You have a chance of being selected as an expert if you:

- have high-level of expertise in the relevant fields ([see calls for experts for details](#))
- can be available for occasional, short-term assignments

[REGISTER AS EXPERT](#)

What do expert assignments involve?

Experts, as peer reviewers, assist in the:

- **evaluation** of proposals
- **monitoring** of actions

In addition, experts assist in the :

- **preparation, implementation or evaluation of programmes and design of policies.**

**Business innovation coaches** support SMEs funded via the SME instrument. An expression of interest for experts willing to become Business Innovation Coach for the SME instrument is available on the [EASME website](#). Candidate coaches will also be asked to provide more detailed information on their competence and experience [here](#).

In order to access the expert registration form, you are first asked to login with a valid Participant Portal (EU Login) account. If you do not have it yet, it easy to [create your Portal \(EU Login\) account](#).

Registered experts

Quick Links

- [Experts standard briefing slides](#)

---

1

Visión del evaluador

2

Experiencia administrativa coordinación ERN

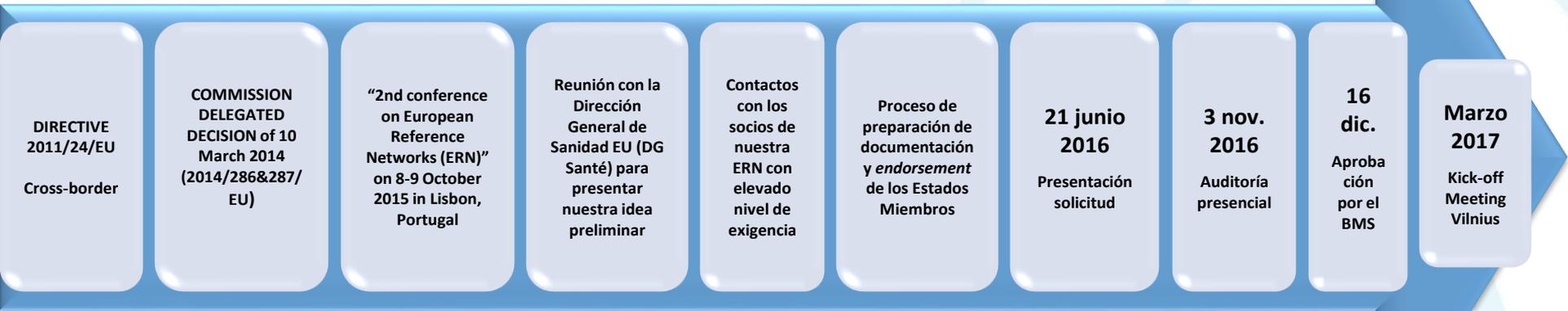
## ¿Qué son las European Reference Network – ERN)

- **Redes virtuales** de proveedores de asistencia sanitaria de toda Europa
- Su misión es trabajar en procedimientos altamente complejos y enfermedades raras que requieran **especialización y una concentración** de conocimientos y recursos
- A la hora de revisar el diagnóstico y el tratamiento de un paciente, los miembros de una RER mantienen **consultas, intercambian información y comparten conocimientos** con los demás miembros de su red,
- Mediante **consejos consultivos "virtuales"** que reúnen a **especialistas de diferentes disciplinas** gracias a una plataforma informática especial y herramientas de telemedicina

## ¿Qué son las European Reference Network – ERN?

- **colaboración más allá del tratamiento:**
  - elaborar orientaciones, formación y puesta en común de **conocimientos**
  - facilitar la realización de **estudios clínicos** a gran escala que permitan comprender mejor las enfermedades
  - desarrollar nuevos medicamentos y aparatos médicos mediante la **recogida de gran cantidad de datos**
  - crear **nuevos modelos de atención y soluciones** y herramientas de salud electrónica
  - **sentar las bases asistenciales que favorezcan iniciativas de investigación, desarrollo e innovación** en su campo

# Proceso



DIRECTIVE  
2011/24/EU  
Cross-border

COMMISSION  
DELEGATED  
DECISION of 10  
March 2014  
(2014/286&287/  
EU)

"2nd conference  
on European  
Reference  
Networks (ERN)"  
on 8-9 October  
2015 in Lisbon,  
Portugal

Reunión con la  
Dirección  
General de  
Sanidad EU (DG  
Santé) para  
presentar  
nuestra idea  
preliminar

Contactos  
con los  
socios de  
nuestra  
ERN con  
elevado  
nivel de  
exigencia

Proceso de  
preparación de  
documentación  
y *endorsement*  
de los Estados  
Miembros

21 junio  
2016  
Presentación  
solicitud

3 nov.  
2016  
Auditoría  
presencial

16  
dic.  
Aproba  
ción  
por el  
BMS

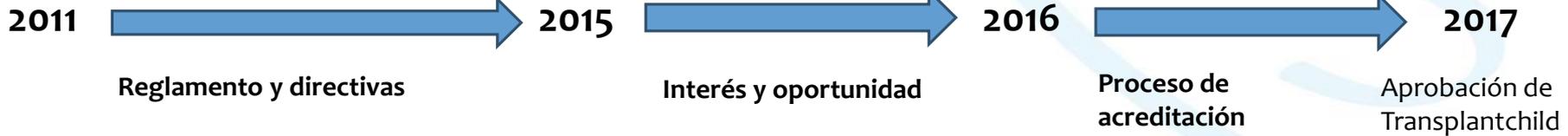
Marzo  
2017  
Kick-off  
Meeting  
Vilnius

Crterios de los  
centros y  
priorización de  
herramientas  
para el  
intercambio de  
experiencia en  
red

Desde la Paz ya se ha despertado el interés en establecer y liderar una ERN en Trasplante Pediátrico (fortaleza intrínseca al hospital). Se sigue la recomendación de la DG SANTE

Trámite en  
España a través  
de la Comunidad  
de Madrid (CSUR)  
y el Ministerio de  
Sanidad

Auditoría no presencial de otros  
dos centros: Necker y Karolinska



Reglamento y directivas

Interés y oportunidad

Proceso de  
acreditación

Aprobación de  
Transplantchild



## Nace TransplantChild

**16 de diciembre de 2016** fueron aprobadas por el Board of Member States  
24 ERNs

**ERN TransplantChild** es la **única red coordinada** desde un centro español



**European  
Reference  
Network**

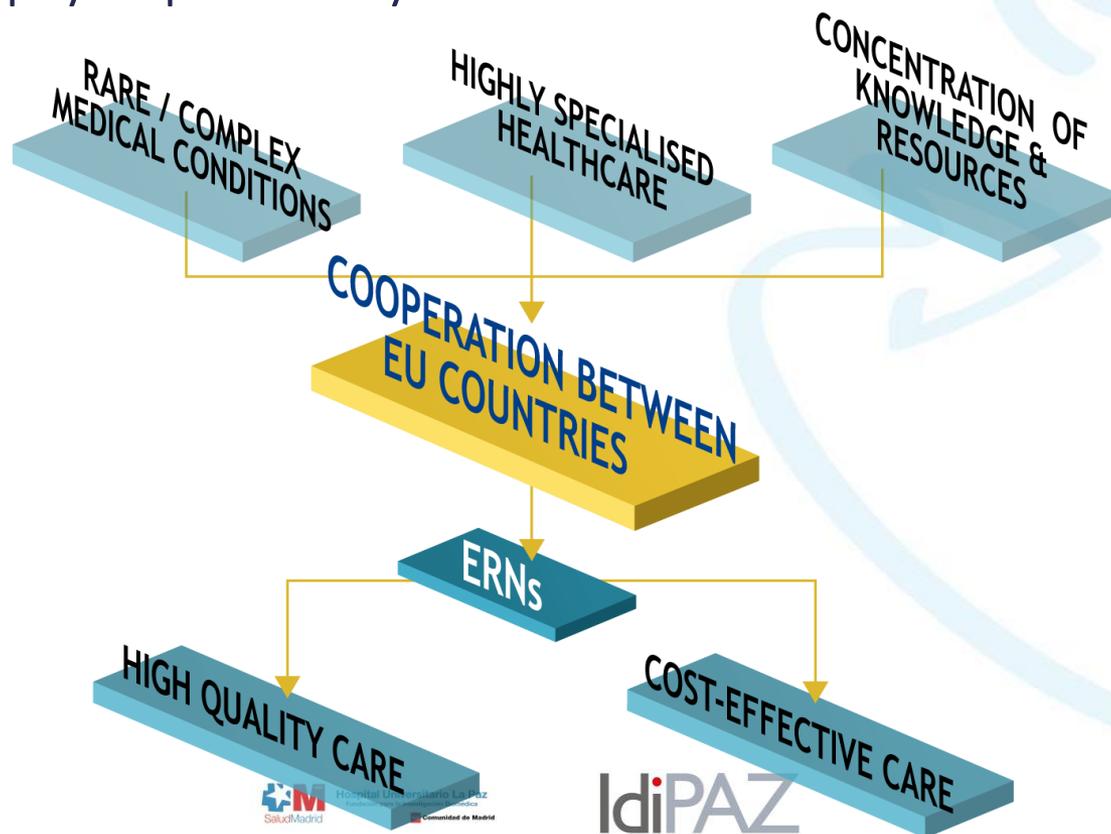
for rare or low prevalence  
complex diseases

⚙️ **Network**  
Transplantation  
in Children  
(ERN TRANSPLANT-CHILD)



## Aspectos innovadores

- Incluye el trasplante de **progenitores hematopoyéticos** (TPH) y **órgano sólido** (TOS) en niños, especialmente trasplantes combinados o multi-órgano, procedimientos altamente especializados
- Aborda el trasplante como una **condición crónica**, cuidando los aspectos psicosociales, el apoyo a pacientes y familiares



# Composición de TransplantChild

18 centros

Más de 600 tx

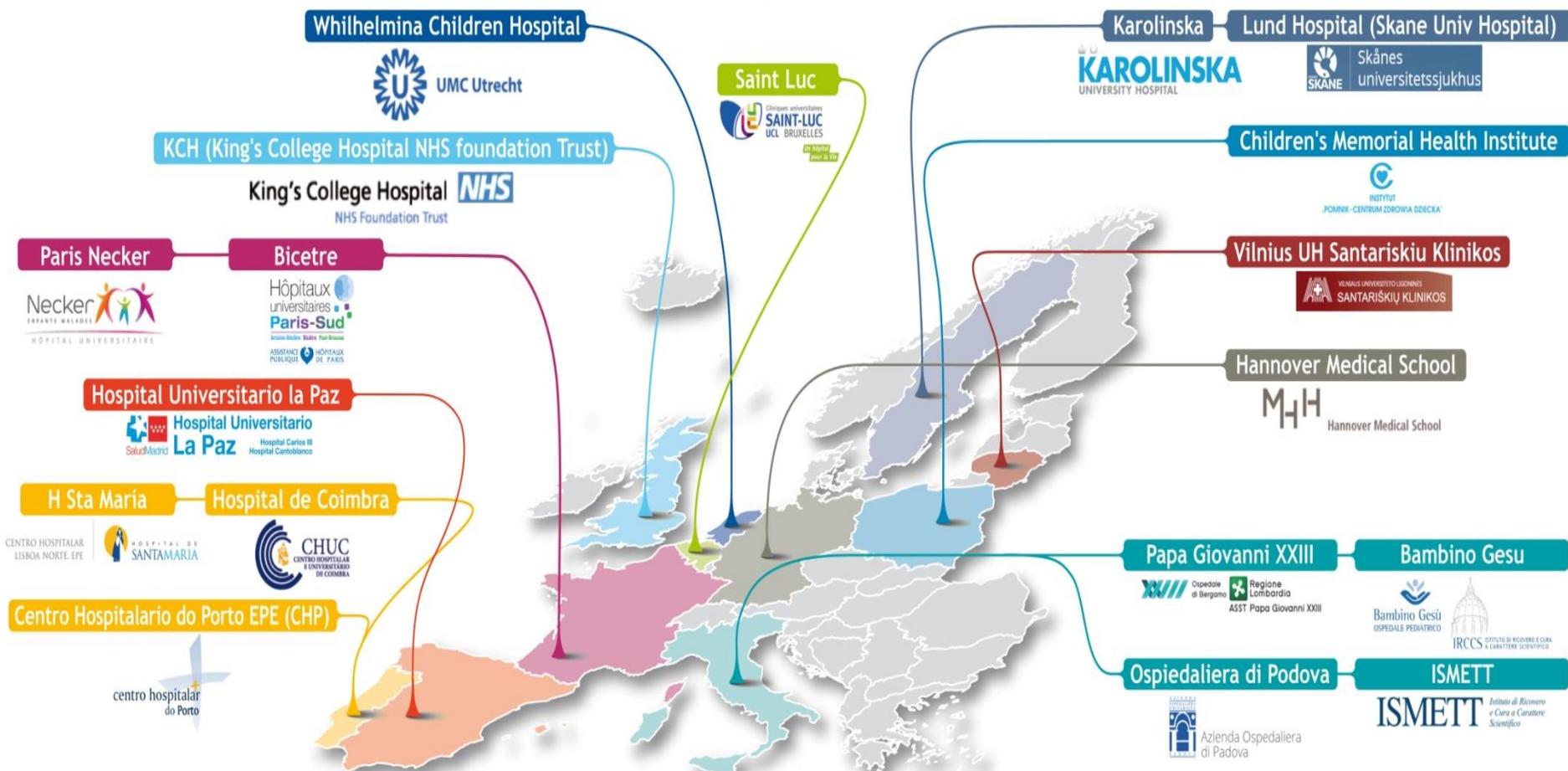
16 AAPP

Más de 50 profesionales

11 países europeos

6 WGs

*Current composition*



### Todos los centros participantes:

- Self Assessment Form (más de 100 puntos)
- Documentación de soporte a lo dicho en el SA
- Resumen en inglés de la documentación de soporte
- Application Form
- Endorsement de los Estados Miembros

**X 18**

### Documentación de la Red:

- Self Assessment Form (más de 100 puntos)
- Documentación de soporte a lo dicho en el SA
- Resumen en inglés de la documentación de soporte
- Application Form

### Documentos consensuados de la ERN

- Strategic Approach
- Términos de referencia del Consejo
- Procedimiento de funcionamiento de los Comités
- Procedimiento de funcionamiento de los grupos de trabajo
- Plan estratégico a 5 años
- Plan estratégico anual
- Plan de acción de los grupos de trabajo (7)
- Procedimiento para la admisión de nuevos miembros
- Plan de Comunicación
  
- Dosieres de equipamiento, instalaciones, personal, etc.

# ¿Qué hemos hecho desde el lanzamiento?



**7 Grupos de trabajo**  
**Coordinador del Executive Committee**  
Technical Director: European HCP

Abr.  
2017

Constitución WGs

Mar.  
2017

Kick-off meeting  
I Board Meeting  
Vilnius

Feb.  
2017

Presentaciones  
de cada HCP

6 jun  
2017

Constitución  
Comité de Pacientes

14  
jun  
2017

II Board Meeting

27-28  
oct  
2017

III Board  
Meeting Madrid

Asociaciones de pacientes:

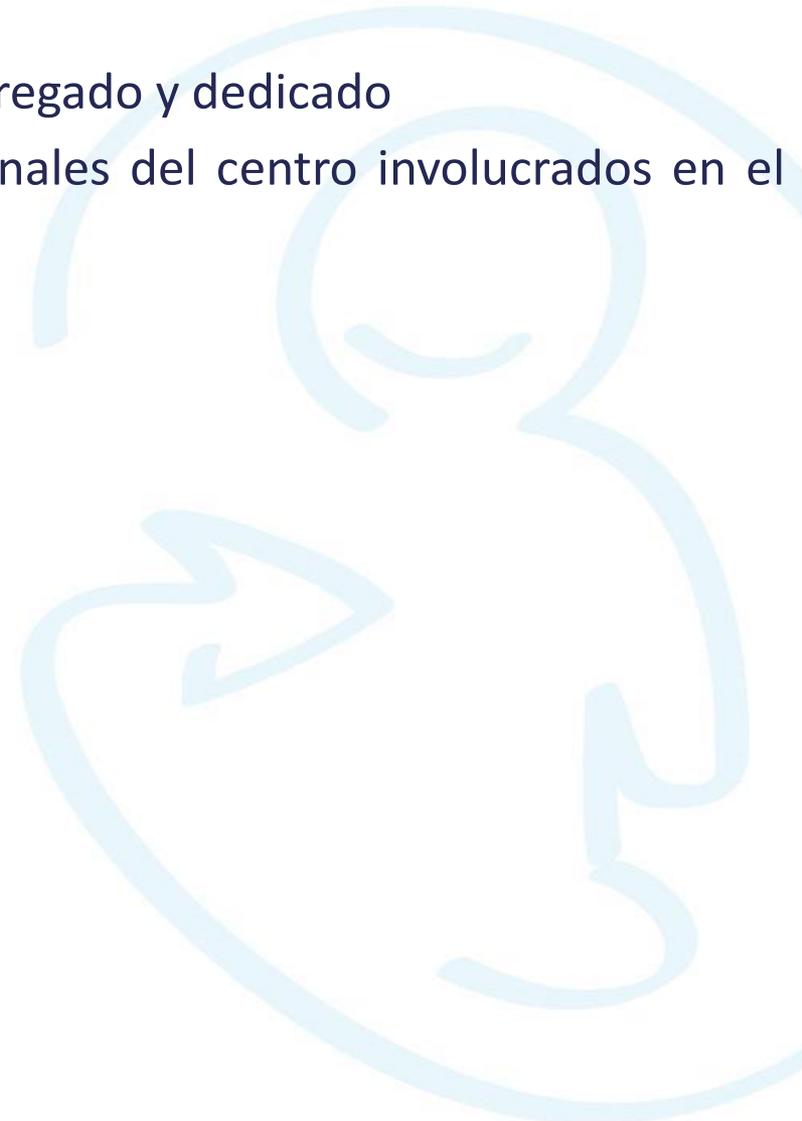
- 9 España
- 2 Portugal
- 1 Alemania
- 1 Suecia
- 1 Lituania
- 1 Holanda
- 1 Europea



## Resumen

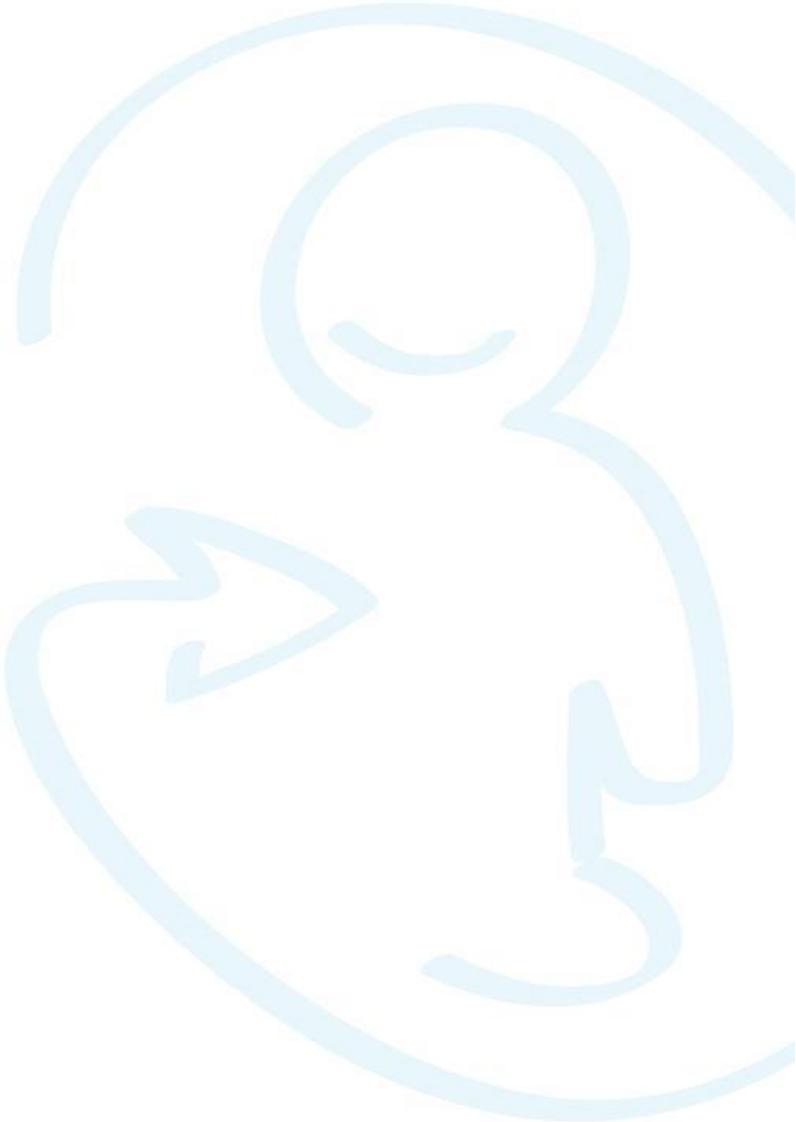
---

- Ha sido un trabajo enorme de un equipo entregado y dedicado
- Requiere el esfuerzo de todos los profesionales del centro involucrados en el trasplante y de la Dirección
- Experiencia única

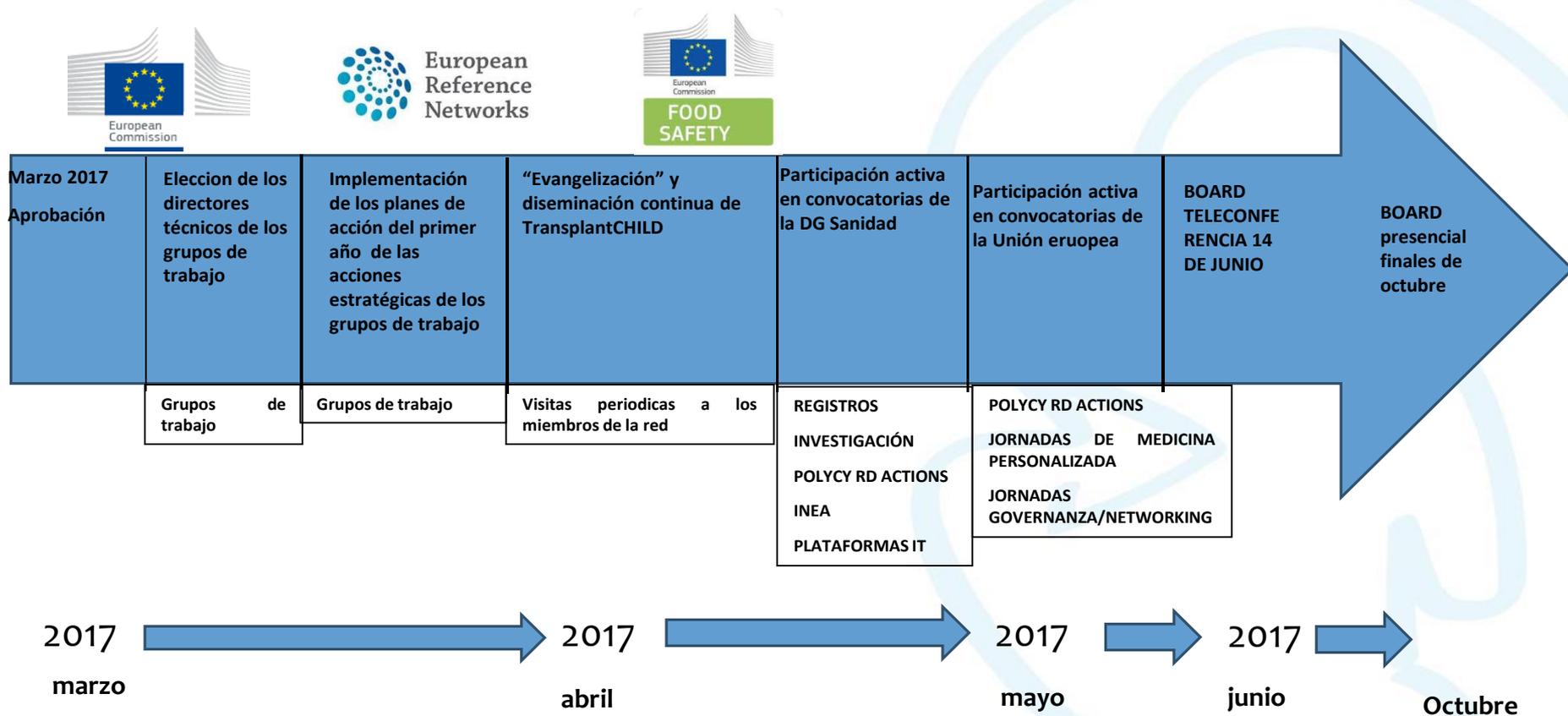


---

Gracias



# ¿Qué son las European Reference Network – ERN)



### ¿Cómo recibe las propuestas?

- Expresan su disponibilidad para las fechas de corte de las convocatorias
- Llegan varias propuestas para evaluar
- Tiempo no muy amplio para hacerlo (compromisos de la Unión Europea)



### ¿Qué espera leer?

- Que la lectura sea “fácil”
- Claro y conciso
- Sin repetir información y sin intentar ampliar espacio en los anexos

