



KOMMISSIONEN FOR DE EUROPÆISKE FÆLLESSKABER

Bruxelles, den 12.11.2008
KOM(2008) 726 endelig/2

2008/0218 (COD)

Corrigendum : annule et remplace la version précédente dans toutes les versions linguistiques
– insertion de la cote interinstitutionnelle

Forslag til

RÅDETS HENSTILLING

om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme

Forslag til

RÅDETS HENSTILLING

om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme

RÅDET FOR DEN EUROPÆISKE UNION,

som henviser til traktaten om oprettelse af Det Europæiske Fællesskab, særlig artikel 152, stk. 4, andet afsnit,

som henviser til forslag fra Kommissionen¹,

som henviser til udtalelse fra Europa-Parlamentet²,

som henviser til udtalelse fra Det Europæiske Økonomiske og Sociale Udvalg³,

som henviser til udtalelse fra Regionsudvalget⁴, og

som tager følgende i betragtning:

- (1) Sjældne sygdomme er en trussel mod europæiske borgeres sundhed, for det er livstruende eller kronisk invaliderende sygdomme med lav prævalens og af stor kompleksitet.
- (2) Der blev vedtaget et EF-handlingsprogram vedrørende sjældne sygdomme, herunder genetiske sygdomme, for perioden 1. januar 1999-31. december 2003⁵. I programmet defineres prævalensen for en sjælden sygdom som højst 5 ud af 10 000 personer i EU.
- (3) I henhold til Europa-Parlamentets og Rådets forordning (EF) nr. 141/2000 af 16. december 1999 udpeges et lægemiddel som et "lægemiddel til sjældne sygdomme", hvis det er beregnet til diagnosticering, forebyggelse eller behandling af en livstruende eller kronisk invaliderende lidelse, der berører højst 5 ud af 10 000 personer i Fællesskabet på det tidspunkt, hvor ansøgningen fremsættes.
- (4) Det skønnes, at der i dag findes mellem 5 000 og 8 000 forskellige sjældne sygdomme, som rammer 6-8 % af befolkningen i løbet af livet. Det vil med andre ord sige 27-36 millioner mennesker i EU. De fleste af dem lider af mindre hyppigt forekommende sygdomme, som rammer højst 1 ud af 100 000 personer.
- (5) Sjældne sygdomme kræver på grund af deres lave prævalens og særtræk en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats for at forebygge høj sygelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale.

¹ EUT C [...] af [...], s. [...].

² EUT C [...] af [...], s. [...].

³ EUT C [...] af [...], s. [...].

⁴ EUT C [...] af [...], s. [...].

⁵ Europa-Parlamentets og Rådets afgørelse nr. 1295/1999/EF af 29. april 1999 om vedtagelse af et EF-handlingsprogram vedrørende sjældne sygdomme som led i indsatsen inden for folkesundhed (1999-2003).

- (6) Sjældne sygdomme var et af de prioriterede områder under Fællesskabets sjette rammeprogram for forskning, teknologisk udvikling og demonstration (2002-2006), og det samme gør sig gældende i forbindelse med det syvende rammeprogram for forskning, teknologisk udvikling og demonstration (2007-2013)⁶, idet udvikling af nye diagnosticerings- og behandlingsmetoder for sjældne sygdomme og epidemiologisk forskning i disse lidelser kræver en tilgang, som omfatter flere lande, for at øge antallet af patienter i forbindelse med de enkelte undersøgelser.
- (7) I hvidbogen "Sammen om sundhed: en strategi for EU 2008-2013"⁷ af 23. oktober 2007 identificerede Kommissionen sjældne sygdomme som et prioriteret indsatsområde.
- (8) For at sikre en bedre koordinering og sammenhæng mellem nationale, regionale og lokale initiativer vedrørende sjældne sygdomme bør alle relevante nationale tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme integreres i nationale planer vedrørende sjældne sygdomme.
- (9) I henhold til Orphanet-databasen har kun 250 af de 5 863 kendte sjældne sygdomme, som kan identificeres klinisk, en kode i den eksisterende internationale sygdomsklassifikation (10. udgave). Det er påkrævet at foretage en passende klassificering og kodificering af alle sjældne sygdomme for at give dem den nødvendige synlighed og anerkendelse i de nationale sundhedssystemer.
- (10) I 2007 iværksatte Verdenssundhedsorganisationen (i det følgende benævnt "WHO") en revision af den 10. udgave af Den Internationale Sygdomsklassifikation med henblik på vedtagelse af den 11. udgave af denne klassifikation på Verdenssundhedsforsamlingen i 2014. WHO har udpeget EU's taskforce for sjældne sygdomme som særlig rådgivende gruppe vedrørende sjældne sygdomme med henblik på at bidrage til revisionsprocessen med forslag til kodificering og klassificering af sjældne sygdomme.
- (11) Indførelse af en fælles definition af sjældne sygdomme i alle medlemsstater ville i høj grad styrke EU's bidrag inden for denne særlige rådgivende gruppe og ville lette samarbejdet på fællesskabsniveau i forbindelse med sjældne sygdomme.
- (12) I juli 2004 blev der nedsat en gruppe på højt plan vedrørende sundhedstjenesteydelser og lægebehandling⁸ med det formål at samle eksperter fra alle medlemsstaterne, således at de kunne behandle de praktiske aspekter ved et samarbejde mellem nationale sundhedssystemer i EU. En af arbejdsgrupperne under denne gruppe på højt plan fokuserer på europæiske referencenetværk (ERN'er) for sjældne sygdomme⁹. Der er opstillet visse principper, bl.a. for deres rolle i forbindelse med bekæmpelse af sjældne sygdomme, og visse kriterier, som sådanne netværk bør opfylde. ERN'er bør også fungere som forsknings- og videnscentre, behandle patienter fra andre medlemsstater og sikre efterbehandlingsfaciliteter, hvis det er nødvendigt.
- (13) EF-merværdien ved europæiske referencenetværk er særlig stor i forbindelse med sjældne sygdomme på grund af disse lidelsers sjældne forekomst, som både indebærer,

⁶ <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2006:412:0001:0041:DA:PDF>.

⁷ Jf. http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_en.htm.

⁸ Til opfølgning af processen for overvejelser på højt plan vedtog Kommissionen den 20.4.2004 en meddelelse vedrørende patientmobilitet og udviklingen inden for sundhedspleje i EU - KOM(2004) 301 - og indførte en mekanisme til videreførelse af det arbejde, der er beskrevet i meddelelsen.

⁹ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm.

at der er et begrænset antal patienter og knaphed på ekspertise i de enkelte lande. Det er derfor helt afgørende at samle ekspertise på europæisk plan for at sikre lige adgang til behandling og pleje af høj kvalitet for patienter med sjældne sygdomme.

- (14) I december 2006 udarbejdede en ekspertgruppe under EU's taskforce for sjældne sygdomme en rapport med titlen "Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases"¹⁰ til gruppen på højt plan vedrørende sundhedstjenesteydelser og lægebehandling. I ekspertgruppens rapport hedder det bl.a., at det er vigtigt at identificere ekspertisecentre på nationalt og regionalt plan og fastlægge den rolle, som sådanne centre bør spille. Nogle af de tiltag, som der opfordres til i rapporten, indgår i denne henstilling.
- (15) Samarbejde og vidensdeling mellem nationale og regionale ekspertisecentre har vist sig at være den mest effektive tilgang til behandling af sjældne sygdomme i Europa.
- (16) Nationale og regionale ekspertisecentre bør følge en tværfaglig tilgang til behandling og pleje, som omfatter medicinske og sociale aspekter, for at tage højde for de komplekse og forskelligartede forhold, der er forbundet med sjældne sygdomme.
- (17) På grund af særtrækkene ved sjældne sygdomme – et begrænset antal patienter og knaphed på relevant viden og ekspertise – har en indsats på fællesskabsniveau en meget stor merværdi. Merværdien kan navnlig opnås ved at samle national ekspertviden om sjældne sygdomme fra de forskellige medlemsstater.
- (18) Det er yderst vigtigt at sikre, at medlemsstaterne bidrager aktivt til udarbejdelsen af visse af de fælles instrumenter, som er beskrevet i Kommissionens meddelelse om sjældne sygdomme, navnlig europæiske referenceudtalelser om diagnostik og medicinsk behandling samt europæiske retningslinjer for populationsscreening. Det bør også være tilfældet i forbindelse med vurderingsrapporterne om den behandlingsmæssige merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme, som kunne bidrage til at fremskynde prisforhandlingerne på nationalt niveau og dermed afkorte ventetiden, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme.
- (19) WHO har defineret styrkelse af patienters indflydelse som en "forudsætning for sundhed" og tilskyndet til "et proaktivt partnerskab og en strategi for at øge patienters deltagelse i egen behandling for at forbedre kronisk syges helbred og livskvalitet"¹¹. På den måde spiller patientgrupper både en afgørende rolle for direkte støtte til personer, som lever med sygdommen, og for det kollektive arbejde, de varetager for at forbedre forholdene for patienter med sjældne sygdomme som helhed og for kommende generationer.
- (20) Patienter og patientrepræsentanter bør derfor inddrages på alle stadier i den politiske beslutningsproces. Deres aktiviteter bør fremmes ved en aktiv indsats og støttes, også finansielt, i de enkelte medlemsstater.
- (21) Forsknings- og behandlingsinfrastrukturer for sjældne sygdomme kræver langvarige projekter og derfor en passende finansiell indsats for at sikre bæredygtighed på lang sigt. Denne indsats vil navnlig maksimere synergien med projekter under Fællesskabets program for sundhed (2008-2013), Fællesskabets syvende

¹⁰ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/contribution_policy.pdf.

¹¹ <http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf>.

rammeprogram for forskning, teknologisk udvikling og demonstration (2007-2013) og efterfølgerne til disse programmer,

HENSTILLER til medlemsstaterne:

1. at udarbejde nationale planer for sjældne sygdomme for at sikre patienter med sjældne sygdomme universel adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme inden for deres nationale område på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU, og navnlig at
 - (1) udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af 2011, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme
 - (2) tage skridt til at sikre, at alle nuværende og fremtidige initiativer på regionalt og nationalt plan integreres i de nationale planer
 - (3) definere et begrænset antal prioriterede tiltag inden for den nationale plan for sjældne sygdomme, med konkrete mål, tydelige frister, ledelsesstrukturer og regelmæssige rapporter
 - (4) støtte relevante myndigheder på nationalt plan, når de udvikler retningslinjer og henstillinger vedrørende tilrettelæggelse af nationale tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme inden for rammerne af det nuværende europæiske projekt for udvikling af nationale planer for sjældne sygdomme (European Project for Rare Diseases National Plans Development, EUROPLAN), der er udvalgt til finansiering i perioden 2007-2010 under folkesundhedsprogrammet
 - (5) indføre bestemmelser i de nationale planer, som skal sikre lige adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme, til alle patienter med sjældne sygdomme inden for deres nationale område med henblik på at sikre lige adgang til kvalitetspleje på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU,
2. at sørge for passende definition og kodificering af sjældne sygdomme og oprettelse af en fortegnelse, og navnlig at
 - (1) indføre en fælles EU-definition af sjældne sygdomme som sygdomme, der rammer højst 5 ud af 10 000 personer
 - (2) sikre, at sjældne sygdomme kodificeres korrekt og kan spores i alle sundhedsinformationssystemer, og bidrage til passende anerkendelse af sygdommen i de nationale sundheds- og godtgørelsessystemer
 - (3) bidrage aktivt til oprettelse af en dynamisk EU-fortegnelse over sjældne sygdomme, jf. meddelelsen
 - (4) støtte særlige sygdomsinformationsnetværk, registre og databaser på nationalt eller regionalt plan,
3. at sikre forskning i sjældne sygdomme, og navnlig at
 - (1) identificere igangværende forskningsprojekter og eksisterende forskningsressourcer for at fastlægge det aktuelle tekniske niveau på området sjældne sygdomme

- (2) identificere behov og prioriterede indsatsområder for grundlæggende, klinisk og translational forskning inden for sjældne sygdomme, samt prioriterede indsatsområder for socialforskning
 - (3) fremme nationale forskeres og laboratoriers deltagelse i forskningsprojekter vedrørende sjældne sygdomme, som finansieres på fællesskabsplan
 - (4) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme, som tager sigte på at fremme forskning, herunder folkesundheds- og socialforskning, i forbindelse med sjældne sygdomme, navnlig med henblik på at udvikle redskaber, som f.eks. tværgående infrastrukturer samt sygdomsspecifikke projekter,
4. at sørge for ekspertisecentre og europæiske referencenetværk for sjældne sygdomme, og navnlig at
- (1) identificere nationale eller regionale ekspertisecentre inden for deres nationale område inden udgangen af 2011 og fremme oprettelse af ekspertisecentre på steder, hvor de ikke findes, navnlig ved at indføre bestemmelser i den nationale plan for sjældne sygdomme om oprettelse af nationale eller regionale ekspertisecentre
 - (2) fremme nationale eller regionale ekspertisecentres deltagelse i europæiske referencenetværk og tilvejebringe passende, langsigtet offentlig finansiering for at sikre bæredygtighed og dermed fortløbende pleje for patienter
 - (3) organisere behandlingsmuligheder for patienter gennem samarbejde med relevante eksperter fra selve landet eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt; der bør ydes støtte til sundhedsydelse på tværs af grænser, herunder til patientmobilitet, ansatte inden for sundhedsvæsenet samt tjenesteydere og – ydelser, ved brug af informations- og kommunikationsteknologi, hvis det er nødvendigt for at sikre universel adgang til de særlige sundhedsydelse, der er behov for
 - (4) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre er baseret på en tværfaglig tilgang til pleje i forbindelse med komplekse og forskelligartede lidelser som sjældne sygdomme, og fremme integration af medicinske og sociale aspekter inden for centrene
 - (5) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre overholder de standarder, der er defineret af de europæiske referencenetværk for sjældne sygdomme, under korrekt hensyntagen til patienters og ansattes behov og forventninger,
5. at sørge for at samle ekspertise inden for sjældne sygdomme på europæisk plan, og navnlig at
- (1) sikre mekanismer, som kan samle national ekspertise inden for sjældne sygdomme og sørge for, at denne viden forenes med europæiske interesseparters ekspertise for at fremme
 - (a) fælles protokoller og henstillinger, som f.eks. europæiske referenceudtalelser om diagnostiske redskaber, medicinsk behandling, uddannelse og social omsorg
 - (b) europæiske retningslinjer for populationsscreening og diagnostiske test

- (c) udveksling af de enkelte medlemsstaters vurderingsrapporter om den behandlingsmæssige merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme på EU-niveau for at minimere den tid, der går, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme,
6. at styrke patientforeningers indflydelse, og navnlig at
- (1) tage skridt til at sikre, at patienter og patientrepræsentanter konsulteres behørigt på alle trin i den politiske beslutningsproces i forbindelse med sjældne sygdomme, herunder i forbindelse med oprettelse og ledelse af ekspertisecentre og europæiske referencenetværk og udarbejdelse af nationale planer
 - (2) støtte patientforeningers aktiviteter, f.eks. oplysningskampagner, kapacitetsopbygning og uddannelse, udveksling af informationer og eksempler på bedste praksis, opbygning af netværk, opsøgende arbejde i forbindelse med meget isolerede patienter
 - (3) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme om støtte til og høring af patientforeninger, jf. punkt 1 og 2,
7. at sørge for bæredygtighed, og navnlig at
- (1) sikre langsigtet bæredygtighed gennem passende finansieringsmekanismer for forskningsinfrastrukturer, f.eks. biobanker, databaser og registre, og for behandlingsinfrastrukturer, f.eks. ekspertisecentre, samt europæiske referencenetværk for sjældne sygdomme
 - (2) samarbejde med andre medlemsstater om at sikre bæredygtige forskningsinfrastrukturer i hele Europa, som er fælles for alle medlemsstaterne og fælles for det størst mulige antal sjældne sygdomme
 - (3) indføre bestemmelser i den nationale plan for sjældne sygdomme om behovet for at behandle spørgsmålet om finansiel bæredygtighed for aktiviteter i forbindelse med sjældne sygdomme, og

OPFORDRER Kommissionen til at

1. udarbejde en gennemførelsesrapport om denne henstilling til Rådet, Europa-Parlamentet, Det Europæiske Sociale og Økonomiske Udvalg og Regionsudvalget på grundlag af oplysninger fra medlemsstaterne senest inden udgangen af det femte år efter denne henstillings vedtagelsesdato, at vurdere, i hvilket omfang de i henstillingen omhandlede foranstaltninger er effektive, og at overveje, om der er behov for yderligere indsats, og
2. orientere Rådet regelmæssigt om opfølgningen af Kommissionens meddelelse om sjældne sygdomme.

Udfærdiget i Bruxelles, den

På Rådets vegne

Formand