

RECOMANDAREA CONSILIULUI

din 8 iunie 2009

privind o acțiune în domeniul bolilor rare

(2009/C 151/02)

CONSILIUL UNIUNII EUROPENE,

având în vedere Tratatul de instituire a Comunității Europene, în special articolul 152 alineatul (4) al doilea paragraf,

având în vedere propunerea Comisiei,

având în vedere avizul Parlamentului European ⁽¹⁾,

având în vedere avizul Comitetului Economic și Social European ⁽²⁾,

întrucât:

- (1) Bolile rare reprezintă o amenințare pentru sănătatea cetățenilor UE în măsura în care ele sunt boli care pun în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică, având o prevalență redusă și un grad ridicat de complexitate. În ciuda rarității acestora, există atât de multe tipuri diferite de boli rare, încât milioane de oameni sunt afectați.
- (2) Principiile și valorile generale ale universalității, accesul la îngrijire medicală de calitate, la echitate și la solidaritate, astfel cum au fost aprobate în Concluziile Consiliului din 2 iunie 2006 privind valorile și principiile comune în cadrul sistemelor de sănătate ale UE sunt de o importanță extraordinară pentru pacienții cu boli rare.
- (3) Programul de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003 ⁽³⁾. În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din UE. O definiție mai precisă bazată pe o evaluare științifică actualizată, ținându-se seama atât de prevalență, cât și de incidență, va fi dezvoltată utilizând resursele celui de al doilea program comunitar în domeniul sănătății ⁽⁴⁾.

- (4) Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind medicamentele orfane ⁽⁵⁾ prevede că un medicament este desemnat drept „medicament orfan” atunci când este destinat diagnosticării, prevenirii sau tratamentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii.

- (5) Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând între 6 % și 8 % din populație în cursul vieții. Cu alte cuvinte, deși bolile rare sunt caracterizate de prevalența scăzută pentru fiecare dintre acestea, numărul total de persoane afectate de boli rare în UE se situează între 27 și 36 de milioane de persoane. Majoritatea acestora suferă de boli mai puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin. Acești pacienți sunt în mod special izolați și vulnerabili.

- (6) Din cauza prevalenței slabe, a specificității lor și a numărului total ridicat de persoane afectate, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi speciale și combinate în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socioeconomic al persoanelor afectate.

- (7) Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de al șaselea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare ⁽⁶⁾ și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul celui de al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare ⁽⁷⁾, deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.

- (8) Comisia, în Cartea sa albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia UE în materie de sănătate, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare.

⁽¹⁾ Rezoluția legislativă din 23 aprilie 2009 (nepublicată încă în Jurnalul Oficial).

⁽²⁾ Avizul din 25 februarie 2009 (nepublicat încă în Jurnalul Oficial).

⁽³⁾ Decizia nr. 1295/1999/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999-2003). (JO L 155, 22.6.1999, p. 1). Decizie abrogată prin Decizia nr. 1786/2002/CE (JO L 271, 9.10.2002, p. 1).

⁽⁴⁾ Decizia nr. 1350/2007/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 23 octombrie 2007 de instituire a celui de al doilea program de acțiune comunitară în domeniul sănătății (2008-2013) (JO L 301, 20.11.2007, p. 3).

⁽⁵⁾ JO L 18, 22.1.2000, p. 1.

⁽⁶⁾ Decizia nr. 1513/2002/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 27 iunie 2002 privind cel de al șaselea program-cadru al Comunității Europene pentru activități de cercetare, de dezvoltare tehnologică și demonstrative, de contribuție la crearea Spațiului European de Cercetare și la inovare (2002-2006) (JO L 232, 29.8.2002, p. 1).

⁽⁷⁾ Decizia nr. 1982/2006/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 18 decembrie 2006 privind cel de al șaptelea program-cadru al Comunității Europene pentru activități de cercetare, de dezvoltare tehnologică și demonstrative (2007-2013) (JO L 412, 30.12.2006, p. 1).

- (9) Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența dintre inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare și cooperarea dintre centrele de cercetare, acțiunile naționale pertinente în domeniul bolilor rare ar putea fi integrate în planuri sau strategii de combatere a bolilor rare.
- (10) În conformitate cu baza de date Orphanet, din miile de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o identificare clinică, numai 250 dintre acestea au un cod în clasificarea internațională a bolilor (ICD) existentă (a zecea versiune). Este necesară efectuarea unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul sistemelor naționale de sănătate.
- (11) Organizația Mondială a Sănătății (OMS) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, pentru ca cea de a unsprezecea versiune a acestei clasificări să fie adoptată în cadrul Adunării Mondiale a Sănătății din 2014. OMS a desemnat Grupul operativ (Task Force) al Uniunii Europene în materie de boli rare ca grup consultativ pe teme specifice (Topic Advisory Group) privind bolile rare, pentru a contribui la acest proces de revizuire formulând propuneri în ceea ce privește codificarea și clasificarea bolilor rare.
- (12) Punerea în aplicare a unei identificări comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene la acest grup consultativ pe teme specifice și ar facilita cooperarea la nivel comunitar în domeniul bolilor rare.
- (13) În iulie 2004, a fost înființat un grup la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală cu scopul de a reuni experți din toate statele membre pentru a analiza aspecte practice ale colaborării dintre sistemele naționale de sănătate din UE. Unul dintre grupurile de lucru ale acestui grup la nivel înalt se concentrează asupra rețelelor europene de referință (ERN) pentru bolile rare. Au fost dezvoltate câteva criterii și principii pentru ERN, inclusiv în ceea ce privește rolul acestora în abordarea chestiunii bolilor rare. ERN ar putea să servească, de asemenea, drept centre de cercetare și de cunoștințe, tratând pacienți din alte state membre și garantând disponibilitatea unităților de tratament ulterior, dacă este cazul.
- (14) Valoarea adăugată comunitară a ERN este extrem de importantă în special pentru bolile rare datorită frecvenței reduse a acestor afecțiuni, care implică, într-o țară luată în mod separat, un număr limitat de pacienți și lipsa expertizei. Reunirea expertizei la nivel european este, prin urmare, primordială pentru a asigura un acces egal la informații exacte, la un diagnostic pertinent și în timp util și la asistența medicală de înaltă calitate pentru pacienții care suferă de boli rare.
- (15) În decembrie 2006, un grup de experți din Grupul operativ al Uniunii Europene în materie de boli rare a publicat un raport intitulat „Contribuția la definirea politicilor: pentru o colaborare europeană privind serviciile de sănătate și asistență medicală în domeniul bolilor rare” în atenția Grupului la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistență medicală. Raportul grupului de experți subliniază, printre altele, importanța identificării centrelor de expertiză și rolurile pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. S-a convenit, de asemenea, că în principiu și în măsura în care este posibil ar trebui să existe mai degrabă o mobilitate a expertizei decât a pacienților. Unele măsuri solicitate în acest raport sunt incluse în prezenta recomandare.
- (16) Cooperarea și schimbul de cunoștințe între centrele de expertiză s-au dovedit a fi abordarea cea mai eficientă pentru a gestiona bolile rare în Europa.
- (17) Centrele de expertiză ar putea urma o abordare multidisciplinară a asistenței medicale pentru a gestiona condiții complexe și diverse aferente bolilor rare.
- (18) Având în vedere caracteristicile specifice ale bolilor rare – număr limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor relevante și a expertizei în domeniu – acestea pot fi caracterizate drept un domeniu unic cu o valoare adăugată foarte ridicată a acțiunii la nivel comunitar. Această valoare adăugată poate fi realizată, în special, prin reunirea expertizei naționale privind bolile rare, care este în prezent răspândită în diferite state membre.
- (19) Este de o importanță crucială asigurarea unei contribuții active a statelor membre la elaborarea unora dintre instrumentele comune prevăzute în comunicarea Comisiei privind bolile rare: O provocare pentru Europa din 11 noiembrie 2008, în special în ceea ce privește diagnosticele și asistența medicală și Orientările europene privind screeningul populației. Acest lucru ar putea fi valabil și pentru rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică a produselor medicamentoase orfane, care ar putea contribui la accelerarea negocierilor de preț la nivel național, reducând astfel timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.
- (20) OMS a definit responsabilizarea pacienților ca fiind „o condiție esențială pentru sănătate” și a încurajat realizarea „unui parteneriat proactiv și a unei strategii de auto-îngrijire a pacientului, de îmbunătățire a rezultatelor privind sănătatea și a calității vieții în rândul bolnavilor cronici” ⁽¹⁾. În acest sens, rolul grupurilor independente de pacienți este fundamental atât în ceea ce privește sprijinul direct acordat persoanelor care suferă de boală, cât și în ceea ce privește munca colectivă realizată pentru a îmbunătăți situația comunității de pacienți care suferă de o boală rară în ansamblu și pentru generațiile viitoare.
- (21) Statele membre ar trebui să implice pacienți și reprezentanți ai pacienților în procesul de elaborare de politici și să caute să promoveze activitățile grupurilor de pacienți.

⁽¹⁾ <http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf>

- (22) Dezvoltarea infrastructurilor de cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. Acest efort ar maximiza sinergia în special în cazul proiectelor elaborate în cadrul celui de al doilea program comunitar în domeniul sănătății (2008-2013), al celui de al șaptelea program-cadru de cercetare și dezvoltare și în cadrul programelor ulterioare acestora,

o recunoaștere adecvată a acestor boli în sistemele naționale de asistență medicală și de rambursare pe baza ICD și respectând, în același timp, procedurile naționale;

4. Să contribuie în mod activ la dezvoltarea inventarului dinamic și ușor accesibil al bolilor rare al Uniunii Europene, pe baza rețelei Orphanet și a altor rețele existente, după cum se precizează în comunicarea Comisiei privind bolile rare;

RECOMANDĂ STATELOR MEMBRE:

I. PLANURI ȘI STRATEGII ÎN DOMENIUL BOLILOR RARE

1. Să instituie și să pună în aplicare planuri și strategii de combatere a bolilor rare la nivel adecvat sau să exploreze măsurile potrivite pentru combaterea bolilor rare în cadrul altor strategii în materie de sănătate publică, vizând asigurarea accesului pacienților care suferă de boli rare la îngrijire medicală de calitate, inclusiv în ceea ce privește diagnosticele, tratamentele, posibilitatea de a învăța să conviețuiască cu boala și, dacă este posibil, produse medicamentoase orfane eficiente și în special:
 - (a) să elaboreze și să adopte cât mai curând posibil și de preferință cel târziu până la sfârșitul anului 2013 un plan sau o strategie care să vizeze orientarea și structurarea acțiunilor relevante în domeniul bolilor rare în cadrul sistemelor sociale și de sănătate;
 - (b) să adopte măsuri care să integreze inițiativele actuale și viitoare la nivel local, regional și național în planurile sau strategiile pentru o abordare cuprinzătoare;
 - (c) să definească o serie limitată de acțiuni prioritare în cadrul planurilor sau strategiilor, cu obiective și mecanisme de monitorizare;
 - (d) să ia act de elaborarea de orientări și de recomandări pentru definirea acțiunii naționale în domeniul bolilor rare de către autoritățile competente la nivel național, în cadrul Proiectului european de dezvoltare a planurilor naționale de combatere a bolilor rare (EUROPLAN) aflat în desfășurare și care a fost selecționat pentru a beneficia de finanțare în perioada 2008-2011 în cadrul Primului program comunitar în domeniul sănătății publice ⁽¹⁾.

II. DEFINIRE, CODIFICARE ȘI INVENTARIERE ADECVATE ALE BOLILOR RARE

2. Să utilizeze în scopul activităților privind politica generală la nivel comunitar o definiție comună a bolilor rare ca boli care afectează nu mai mult de 5 din 10 000 de persoane;
3. Să aibă ca obiectiv asigurarea faptului că bolile rare fac obiectul unei codificări și a unei trasabilități adecvate în toate sistemele de informații privind sănătatea, încurajând

5. Să ia în considerare sprijinirea la toate nivelurile corespunzătoare, inclusiv la nivel comunitar, pe de o parte a rețelelor de informare specifice privind bolile și, pe de altă parte, în scopuri epidemiologice, a registrelor și a bazelor de date, fiind în același timp conștiente de o guvernare independentă.

III. CERCETAREA CU PRIVIRE LA BOLILE RARE

6. Să identifice activitățile și resursele de cercetare actuale din cadrele naționale și comunitare pentru a defini situația cunoștințelor actuale în materie de boli rare, pentru a evalua situația generală a cercetării în domeniul bolilor rare și pentru a îmbunătăți coordonarea programelor comunitare, naționale și regionale pentru cercetare în domeniul bolilor rare;
7. Să identifice necesitățile și prioritățile pentru cercetarea fundamentală, clinică și translațională în domeniul bolilor rare, modalitățile de sprijinire a acestora și promovarea abordărilor de cooperare interdisciplinară care să fie adoptate în mod complementar prin intermediul programelor naționale și comunitare;
8. Să sprijine participarea cercetătorilor la nivel național la programe de cercetare privind bolile rare finanțate la toate nivelurile corespunzătoare, inclusiv la nivel comunitar;
9. Să includă în planurile sau strategiile lor dispoziții menite să sprijine cercetarea în domeniul bolilor rare;
10. Să faciliteze, împreună cu Comisia Europeană, dezvoltarea cooperării în privința cercetării cu țări terțe active în cercetarea în domeniul bolilor rare și la modul mai general în privința schimbului de informații și de expertiză.

IV. CENTRE DE EXPERTIZĂ ȘI REȚELE EUROPENE DE REFERINȚĂ PENTRU BOLILE RARE

11. Să identifice centre de expertiză corespunzătoare pe teritoriul lor național până la sfârșitul anului 2013 și să ia în considerare sprijinirea creării acestora;
12. Să încurajeze participarea centrelor de expertiză la rețelele europene de referință respectând competențele și normele naționale în ceea ce privește autorizarea sau recunoașterea acestora;

⁽¹⁾ Decizia nr. 1786/2002/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 23 septembrie 2002 de adoptare a programului comunitar de acțiune în domeniul sănătății publice (2002-2008) (JO L 271, 9.10.2002, p. 1).

13. Să organizeze filiere de asistență medicală pentru pacienții care suferă de boli rare prin instituirea unei cooperări cu experții în cauză și a unui schimb de cadre și de expertiză în țară sau cu alte țări, dacă este cazul;
14. Să sprijine utilizarea tehnologiilor informației și comunicațiilor, precum telemedicina, după caz, pentru a asigura accesul la distanță la asistența medicală specifică necesară;
15. Să includă în planurile și strategiile lor condiția necesară pentru difuzarea și mobilitatea expertizei și a cunoștințelor pentru a facilita tratamentul pacienților în proximitatea acestora;
16. Să încurajeze centrele de expertiză să se bazeze pe o abordare multidisciplinară a asistenței atunci când se confruntă cu boli rare.

V. REUNIREA EXPERTIZEI ÎN DOMENIUL BOLILOR RARE LA NIVEL EUROPEAN

17. Să reunească expertiza națională în domeniul bolilor rare și să sprijine regruparea acestora cu cea a altor țări europene pentru a sprijini:
 - (a) schimbul de cele mai bune practici cu privire la instrumentele de diagnosticare și la asistența medicală, precum și la educație și la asistența socială în domeniul bolilor rare;
 - (b) predare și formare adecvate pentru toate cadrele din domeniul sanitar, pentru a le sensibiliza în privința existenței acestor boli și a resurselor disponibile pentru asistența medicală acordată în cazul acestora;
 - (c) dezvoltarea formării medicale în domeniile relevante pentru diagnosticarea și gestionarea bolilor rare (de exemplu genetică, imunologie, neurologie, oncologie, pediatrie);
 - (d) dezvoltarea unor orientări la nivel european privind testele de diagnosticare și screeningul populației, respectând deciziile și competențele la nivel național;
 - (e) schimbul de rapoarte de evaluare ale statelor membre privind valoarea adăugată terapeutică sau clinică a medicamentelor orfane la nivel comunitar, acolo unde se reunesc cunoștințele și expertiza relevante pentru a reduce la minimum timpul de așteptare în ceea ce

privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.

VI. RESPONSABILIZAREA ORGANIZAȚIILOR DE PACIENȚI

18. Să se consulte cu pacienții și cu reprezentanții pacienților cu privire la politicile din domeniul bolilor rare și să faciliteze accesul pacienților la informații actualizate cu privire la bolile rare;
19. Să promoveze activitățile organizațiilor de pacienți, cum ar fi cele care vizează sensibilizarea, consolidarea capacităților și formarea, schimbul informațiilor și al celor mai bune practici, constituirea de rețele și extinderea serviciilor la pacienții foarte izolați.

VII. DURABILITATE

20. împreună cu Comisia, să vizeze, prin mecanisme de finanțare și de cooperare adecvate, garantarea durabilității pe termen lung a infrastructurilor dezvoltate în domeniul informării, al cercetării și al asistenței medicale pentru bolile rare,

INVITĂ COMISIA:

1. să elaboreze, până la sfârșitul anului 2013, pentru a permite prezentarea de propuneri în eventualele programe viitoare de acțiune comunitară în domeniul sănătății, un raport privind punerea în aplicare a prezentei recomandări, adresat Parlamentului European, Consiliului, Comitetului Economic și Social European și Comitetului Regiunilor, pe baza informațiilor furnizate de către statele membre, care ar trebui să analizeze eficiența măsurilor propuse și necesitatea unor acțiuni ulterioare pentru îmbunătățirea vieții pacienților afectați de boli rare și a familiilor acestora;
2. să informeze cu regularitate Consiliul cu privire la acțiunile desfășurate în urma comunicării Comisiei privind bolile rare.

Adoptată la Luxemburg, 8 iunie 2009.

Pentru Consiliu,
Președintele
Petr ŠIMERKA