NEUVOSTON SUOSITUS,

annettu 8 päivänä kesäkuuta 2009,

toimista harvinaisten sairauksien alalla

(2009/C 151/02)

EUROOPAN UNIONIN NEUVOSTO, joka

ottaa huomioon Euroopan yhteisön perustamissopimuksen ja erityisesti sen 152 artiklan 4 kohdan toisen alakohdan,

ottaa huomioon komission ehdotuksen,

ottaa huomioon Euroopan parlamentin lausunnon ([1]),

ottaa huomioon Euroopan talous- ja sosiaalikomitean lausunnon ([2]),

sekä katsoo seuraavaa:

(1) Harvinaiset sairaudet ovat uhka EU:n kansalaisten terveydelle siltä osin kuin ne ovat hengenvaarallisia tai pysyvän invaliditeetin aiheuttavia erittäin monisyisiä sairauksia, joiden esiintyvyys on alhainen. Harvinaisuudestaan huolimatta niitä on niin monta eri tyyppiä, että niitä sairastavat miljoonat ihmiset.

(2) Sellaiset yleismaailmalliset periaatteet ja yleiset arvot kuin mahdollisuus saada korkealuokkaista hoitoa, yhdenvertaisuus ja yhteisvastuu, jotka on vahvistettu Euroopan unionin terveysjärjestelmien yhteisistä arvoista ja periaatteista 2 päivänä kesäkuuta 2006 annetuissa neuvoston päätelmissä, ovat erittäin tärkeitä harvinaisia sairauksia sairastaville potilaille.

(3) Harvinaisia sairauksia, myös perinnöllisiä sairauksia, koskeva yhteisön toimintaohjelma hyväksyttiin 1 päivänä tammikuuta 1999 alkavaksi ja 31 päivänä joulukuuta 2003 päättyväksi kaudeksi ([3]). Harvinaiseksi sairaudeksi määriteltiin ohjelmassa sairaus, jota esiintyy enintään viidellä henkilöllä 10 000 henkilöä kohden EU:ssa. Ajantasaiseen tieteelliseen katsaukseen perustuva täsmällisempi määritelmä, jossa otetaan huomioon sekä esiintyvyys että ilmaantuvuus, aiotaan laatia toisen yhteisön terveysohjelman ([4]) resurssien avulla.

(4) Harvinaislääkkeistä 16 päivänä joulukuuta 1999 annetussa Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksessa (EY) N:o 141/2000 ([5]) säädetään, että lääke määritellään harvinaislääkkeeksi, jos lääke on tarkoitettu sellaisen hengenvaarallisen sairaudentilan tai pysyvän invaliditeetin aiheuttavan sairaudentilan diagnosointiin, ehkäisyyn tai hoitoon, jota esiintyy enintään viidellä potilaalla kymmentä tuhatta henkilöä kohti yhteisössä hakemuksen jättämisajankohtana.

(5) Erilaisia harvinaisia sairauksia arvioidaan nykyään olevan 5 000–8 000, ja niitä sairastaa 6–8 prosenttia väestöstä jossain elämänsä vaiheessa. Vaikka kaikille harvinaisille sairauksille on ominaista alhainen esiintyvyys, ne koskettavat siis 27–36 miljoonaa ihmistä Euroopan unionissa. Heistä useimmat sairastavat harvemmin esiintyviä sairauksia, joita esiintyy enintään yhdellä ihmisellä 100 000:sta. Nämä potilaat ovat huomattavan erillään toisistaan ja heikossa asemassa.

(6) Harvinaiset sairaudet edellyttävät alhaisen esiintyvyytensä, erityisluonteensa sekä niihin sairastuvien henkilöiden suuren kokonaismäärän vuoksi yhteisiin erityistoimiin perustuvaa kokonaisvaltaista toimintamallia, jotta huomattavaa sairastuvuutta tai vältettävissä olevaa ennenaikaista kuolleisuutta voitaisiin ehkäistä ja jotta sairastuneiden henkilöiden elämänlaatua ja sosioekonomisia mahdollisuuksia voitaisiin parantaa.

(7) Harvinaiset sairaudet olivat yksi Euroopan yhteisön kuudennen tutkimuksen ja kehittämisen puiteohjelman ([6]) painopisteistä, ja ne ovat toiminnan painopisteenä edelleen seitsemännessä tutkimuksen ja kehittämisen puiteohjelmassa ([7]), sillä uuden diagnostiikan ja uusien hoitojen kehittäminen harvinaisille sairauksille ja näitä sairaudentiloja koskevan epidemiologisen tutkimuksen tekeminen edellyttävät usean maan käsittävää toimintamallia, jotta kuhunkin tutkimukseen saadaan enemmän potilaita.

(8) Komissio määritteli harvinaiset sairaudet toiminnan yhdeksi painopisteeksi 23 päivänä lokakuuta 2007 antamassaan valkoisessa kirjassa "Yhdessä terveyden hyväksi: EU:n strateginen toimintamalli vuosiksi 2008–2013", joka koskee EU:n terveysstrategian kehittämistä.

([1]) Lainsäädäntöpäätöslauselma annettu 23. huhtikuuta 2009 (ei vielä julkaistu virallisessa lehdessä).

([2]) Lausunto annettu 25. helmikuuta 2009 (ei vielä julkaistu virallisessa lehdessä).

([3]) Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1295/1999/EY, tehty 29 päivänä huhtikuuta 1999, harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman hyväksymisestä osana kansanterveyden alalla toteutettavia toimia (1999–2003) (EYVL L 155, 22.6.1999, s. 1). Päätös kumottu päätöksellä N:o 1786/2002/EY (EYVL L 271, 9.10.2002, s. 1).

([4]) Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1350/2007/EY, tehty 23 päivänä lokakuuta 2007, toisesta terveysalan yhteisön toimintaohjelmasta (2008–2013) (EUVL L 301, 20.11.2007, s. 3).

([5]) EYVL L 18, 22.1.2000, s. 1.

([6]) Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1513/2002/EY, tehty 27 päivänä kesäkuuta 2002, eurooppalaisen tutkimusalueen toteuttamista ja innovointia tukevasta Euroopan yhteisön kuudennesta tutkimuksen, teknologian kehittämisen ja esittelyn puiteohjelmasta (2002–2006) (EYVL L 232, 29.8.2002, s. 1).

([7]) Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1982/2006/EY, tehty 18 päivänä joulukuuta 2006, Euroopan yhteisön seitsemännestä tutkimuksen, teknologian kehittämisen ja demonstroinnin puiteohjelmasta (2007–2013) (EUVL L 412, 30.12.2006, s. 1).

(9) Harvinaisia sairauksia koskevien kansallisten, alueellisten ja paikallisten aloitteiden koordinoinnin ja yhtenäisyyden sekä tutkimuskeskusten välisen yhteistyön parantamiseksi harvinaisten sairauksien alalla toteutettavat kansalliset toimet voitaisiin siirtää osaksi harvinaisia sairauksia koskevia suunnitelmia tai strategioita.

(10) Orphanet-tietokannan mukaan niistä tuhansista tunnetuista harvinaisista sairauksista, joiden osalta kliininen tunnistus on mahdollista, ainoastaan 250 harvinaisella sairaudella on koodi nykyisessä kansainvälisessä tautiluokituksessa (sen 10. versiossa). Kaikkien harvinaisten sairauksien asianmukainen luokittelu ja koodaus on tarpeen, jotta ne saisivat kansallisissa terveydenhuoltojärjestelmissä asianmukaista näkyvyyttä ja ne tunnistettaisiin.

(11) Maailman terveysjärjestö (WHO) käynnisti vuonna 2007 menettelyn kansainvälisen tautiluokituksen 10. version tarkistamiseksi, jotta luokituksen uusi 11. versio voitaisiin hyväksyä maailman terveyskokouksessa vuonna 2014. WHO on nimittänyt harvinaisia tauteja käsittelevän Euroopan unionin työryhmän puheenjohtajan harvinaisia tauteja käsittelevän neuvoa-antavan ryhmän puheenjohtajaksi, jotta tämä voisi antaa panoksensa kyseiseen tarkistustyöhön esittämällä harvinaisten sairauksien koodausta ja luokittelua koskevia ehdotuksia.

(12) Jos kaikki jäsenvaltiot ottaisivat käyttöön yhteisen harvinaisten sairauksien määritelmän, Euroopan unionin panosta tässä neuvoa-antavassa ryhmässä voitaisiin merkittävästi vahvistaa ja yhteisön tason yhteistyötä harvinaisten sairauksien alalla voitaisiin helpottaa.

(13) Heinäkuussa 2004 perustettiin terveyspalveluja ja sairaanhoitoa käsittelevä komission korkean tason ryhmä kokoamaan yhteen asiantuntijoita kaikista jäsenvaltioista tavoitteena työstää EU-maiden kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien yhteistyön käytännön näkökohtia. Yksi tämän korkean tason ryhmän työryhmistä keskittyy harvinaisia sairauksia käsitteleviin eurooppalaisiin osaamisverkostoihin. Näitä verkostoja varten on laadittu kriteerejä ja periaatteita, jotka koskevat esimerkiksi niiden roolia harvinaisten sairauksien torjunnassa. Eurooppalaiset osaamisverkostot voisivat lisäksi toimia tutkimus- ja tietokeskuksina, jotka hoitavat toisista jäsenvaltioista tulevia potilaita ja varmistavat tarvittaessa myöhemmin tarvittavan hoidon saatavuuden.

(14) Eurooppalaisista osaamisverkostoista syntyvä yhteisön tason lisäarvo on erityisen suuri harvinaisten sairauksien kohdalla näiden sairaudentilojen harvinaisuuden vuoksi – harvinaisuus tarkoittaa sitä, että yksittäisessä maassa ei ole paljon potilaita eikä myöskään laajaa alan asiantuntemusta. Asiantuntemuksen kokoaminen Euroopan tasolla on näin ollen ensiarvoisen tärkeää, jotta harvinaisia sairauksia sairastaville voidaan varmistaa yhtäläinen mahdollisuus saada ajantasaista tietoa, asianmukainen ja hyvissä ajoin tehty diagnoosi ja korkealuokkaista hoitoa.

(15) Harvinaisia sairauksia käsittelevän Euroopan unionin työryhmän asiantuntijaryhmä antoi joulukuussa 2006 terveyspalveluja ja sairaanhoitoa käsittelevälle EY:n korkean tason ryhmälle raportin ("Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases"), joka käsitteli politiikan muotoilua ja eurooppalaista yhteistyötä terveyspalvelujen ja sairaanhoidon osalta harvinaisten sairauksien alalla. Asiantuntijaryhmän raportissa todettiin muun muassa, että on tärkeää määrittää osaamiskeskukset ja tehtävät, jotka näiden keskusten olisi täytettävä. Lisäksi katsotaan, että periaatteessa ja mahdollisuuksien mukaan asiantuntemuksen olisi siirryttävä paikasta toiseen eikä itse potilaiden. Osa raportissa esitetyistä toimenpiteistä on otettu mukaan tähän suositukseen.

(16) Osaamiskeskusten välinen yhteistyö ja tiedonvaihto osoittautui hyvin tehokkaaksi tavaksi käsitellä harvinaisia sairauksia Euroopassa.

(17) Osaamiskeskuksissa voitaisiin omaksua hoidon osalta monitieteinen toimintamalli, jotta voitaisiin paneutua harvinaisten sairauksien muodostamiin monimutkaisiin ja -muotoisiin sairaudentiloihin.

(18) Harvinaisten sairauksien tunnusomaiset piirteet – eli potilaiden vähäinen määrä ja tarvittavan tiedon ja asiantuntemuksen harvinaisuus – tekevät niistä ainutlaatuisen alan, jolla yhteisön tason toiminnan lisäarvo on erittäin suuri. Tämä lisäarvo voidaan saavuttaa erityisesti siten, että jäsenvaltioissa hajallaan oleva harvinaisia sairauksia koskeva kansallinen asiantuntemus kootaan yhteen.

(19) On ensiarvoisen tärkeää varmistaa jäsenvaltioiden aktiivinen panos joidenkin harvinaisia sairauksia ja Euroopan haasteita käsittelevässä 11 päivänä marraskuuta 2008 annetussa komission tiedonannossa esitettyjen yhteisten välineiden laadintaan – tämä koskee erityisesti diagnostiikkaa ja sairaanhoitoa sekä väestön seulontaa koskevia eurooppalaisia ohjeita. Tämä voisi koskea myös harvinaislääkkeiden terapeuttista lisäarvoa käsitteleviä arviointiraportteja, joilla voitaisiin osaltaan nopeuttaa hintaneuvotteluja kansallisella tasolla ja saada harvinaislääkkeet näin nopeammin potilaiden ulottuville.

(20) WHO on määritellyt potilaiden vaikutusvallan vahvistamisen terveyden edellytykseksi ja puhunut aktiivisen kumppanuuden ja potilaan itsehoitostrategian puolesta keinoina parantaa kroonisesti sairaiden terveydentilaa ja elämänlaatua ([1]). Riippumattomien potilasjärjestöjen tehtävä on tässä mielessä olennaisen tärkeä, sillä ne antavat sairauden kanssa eläville suoraa tukea ja tekevät toisaalta yhdessä työtä koko harvinaisia sairauksia sairastavien yhteisön ja tulevien sukupolvien olosuhteiden parantamiseksi.

(21) Jäsenvaltioiden olisi pyrittävä ottamaan potilaat ja potilaiden edustajat mukaan poliittiseen päätöksentekoprosessiin ja edistämään potilasryhmien toimintaa.

([1]) http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf

(22) Tutkimus- ja terveydenhuoltoinfrastruktuurien kehittäminen harvinaisten sairauksien alalla edellyttää pitkäkestoisia hankkeita ja näin ollen asianmukaista rahoitusta niiden kestävyyden turvaamiseksi pitkällä aikavälillä. Tällaisella toiminnalla maksimoitaisiin synergia yhteisön toisen terveysohjelman ja seitsemännen tutkimuksen ja kehittämisen puiteohjelman ja niitä seuraavien ohjelmien puitteissa kehitettyjen hankkeiden kanssa,

SUOSITTELEE, ETTÄ JÄSENVALTIOT

I HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVAT SUUNNITELMAT JA STRATEGIAT

1. vahvistavat harvinaisia sairauksia koskevia suunnitelmia tai strategioita ja panevat ne täytäntöön asianmukaisella tasolla tai tarkastelevat harvinaisia sairauksia koskevia toimenpiteitä muiden kansanterveysalan strategioiden yhteydessä, jotta voitaisiin varmistaa harvinaisia sairauksia sairastavien potilaiden mahdollisuus saada korkealuokkaista hoitoa, mukaan lukien diagnostiikka, hoitomuodot, sairaiden kuntoutus ja mahdollisuuksien mukaan tehokkaat harvinaislääkkeet; ja erityisesti

   a) laativat ja hyväksyvät mahdollisimman pian, mieluiten vuoden 2013 loppuun mennessä suunnitelman tai strategian, jolla ohjataan ja organisoidaan keskeisiä harvinaisten sairauksien alaan kuuluvia toimia niiden terveydenhuolto- ja sosiaalijärjestelmissä;

   b) toteuttavat toimia, joilla nykyiset ja tulevat paikallisen, alueellisen ja valtakunnallisen tason aloitteet nivotaan osaksi niiden suunnitelmia tai strategioita kokonaisvaltaisen lähestymistavan aikaansaamiseksi;

   c) määrittävät suunnitelmissaan tai strategioissaan rajatun määrän ensisijaisia toimia, joille on laadittu tavoitteet ja seurantajärjestelyt;

   d) seuraavat ohjeiden ja suositusten kehittämistä, jotta asianomaiset viranomaiset kehittäisivät kansallisella tasolla harvinaisia sairauksia koskevaa kansallista toimintaa käynnissä olevan – yhteisön ensimmäisen kansanterveysalan toimintaohjelman puitteissa ajanjaksolla 2008–2011 rahoitettavaksi valitun – harvinaisia sairauksia koskevien kansallisten suunnitelmien kehittämistä käsittelevän eurooppalaisen hankkeen (Europlan) [1] puitteissa;

II HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN ASIANMUKAINEN MÄÄRITTELY, KOODAUS JA LUETTELOINTI

2. käyttävät yhteisön tasolla tehtävässä poliittisessa työssä yhteistä harvinaisen sairauden määritelmää, jonka mukaan harvinaisiksi katsotaan sairaudet, joita sairastaa enintään viisi ihmistä 10 000 ihmistä kohden;

3. pyrkivät varmistamaan, että harvinaiset sairaudet on asianmukaisesti koodattu ja että ne ovat jäljitettävissä kaikissa terveystietojärjestelmissä, millä edistetään sairauden asianmukaista tunnistamista kansallisessa terveydenhuoltojärjestelmässä ja korvausjärjestelmissä kansainvälisen tautiluokituksen pohjalta kansallisia menettelyjä noudattaen;

4. edistävät aktiivisesti pyrkimyksiä kehittää harvinaisia sairauksia käsittelevässä komission tiedonannossa mainittu harvinaisia sairauksia koskeva EU:n dynaaminen luettelo, joka on helposti saatavilla ja joka perustuu Orphanet-tietokantaan ja muihin olemassa oleviin tietoverkkoihin;

5. harkitsevat kaikilla asianmukaisilla tasoilla, mukaan lukien yhteisön taso, tuen antamista toisaalta sairauskohtaisille tietoverkoille ja toisaalta epidemiologisiin tarkoituksiin laadituille rekistereille ja tietokannoille tiedostaen kuitenkin niiden riippumattoman hallinnoinnin;

III HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVA TUTKIMUS

6. kartoittavat kansallisella tasolla ja yhteisön puitteissa käynnissä olevaa tutkimusta ja tutkimusresursseja tutkimuksen tämänhetkisen tilanteen selvittämiseksi, harvinaisten sairauksien tutkimuskentän arvioimiseksi sekä harvinaisia sairauksia koskevien yhteisön, kansallisten ja alueellisten ohjelmien koordinoinnin parantamiseksi;

7. kartoittavat perus-, kliinisen, translaatio- ja sosiaalisen tutkimuksen tarpeita ja painopisteitä harvinaisten sairauksien alalla ja keinoja näiden tutkimusalojen edistämiseksi sekä edistävät monitieteistä yhteistyötä, jota olisi tarkasteltava myös kansallisissa ja yhteisön ohjelmissa;

8. edistävät kansallisten tutkijoiden osallistumista harvinaisia sairauksia käsitteleviin tutkimushankkeisiin, joita rahoitetaan kaikilla asianmukaisilla tasoilla, mukaan lukien yhteisön taso;

9. sisällyttävät harvinaisia sairauksia koskeviin suunnitelmiinsa tai strategioihinsa järjestelyjä, joilla pyritään edistämään harvinaisten sairauksien tutkimusta;

10. helpottavat yhdessä Euroopan komission kanssa tutkimusyhteistyön kehittämistä aktiivista harvinaisten sairauksien tutkimusta tekevien kolmansien maiden kanssa ja yleisemmällä tasolla tiedonvaihtoa ja asiantuntemuksen jakamista silmällä pitäen.

IV HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN OSAAMISKESKUKSET JA EUROOPPALAISET OSAAMISVERKOSTOT

11. määrittävät vuoden 2013 loppuun mennessä asianmukaiset osaamiskeskukset alueellaan ja harkitsevat tuen antamista tällaisten keskusten perustamiselle;

12. edistävät osaamiskeskusten osallistumista eurooppalaisiin osaamisverkostoihin ottaen huomioon niiden valtuutusta ja hyväksymistä koskevan kansallisen toimivallan ja säännöt;

[1] Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1786/2002/EY, tehty 23 päivänä syyskuuta 2002, yhteisön kansanterveysalan toimintaohjelman (2003–2008) hyväksymisestä (EYVL L 271, 9.10.2002, s. 1.

13. järjestävät harvinaista sairautta sairastaville potilaille terveydenhoidon väyliä käynnistämällä yhteistyötä ja ammattilaistai kokemustenvaihtoa tarvittavien, omassa maassa tai mahdollisesti ulkomailla toimivien asiantuntijoiden kesken;

14. edistävät tieto- ja viestintätekniikan, esimerkiksi etähoidon käyttöä, jos se on tarpeen, jotta myös kaukana asuvat ihmiset saavat tarvitsemaansa erikoishoitoa;

15. sisällyttävät suunnitelmiinsa tai strategioihinsa tarvittavat asiantuntemuksen ja tietojen jakamista ja liikkumista koskevat ehdot helpottaakseen potilaiden hoitoa lähietäisyydellä;

16. kannustavat osaamiskeskuksia ottamaan monitieteisen lähestymistavan harvinaisten sairauksien hoidon lähtökohdaksi;

V **HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVAN ASIANTUNTEMUKSEN KOKOAMINEN EUROOPAN TASOLLA**

17. keräävät harvinaisia sairauksia koskevaa kansallista asiantuntemusta ja edistävät sen kokoamista yhteen muiden Euroopan maiden asiantuntemuksen kanssa tukeakseen

a) diagnoosivälineitä, sairaanhoitoa, koulutusta ja sosiaalipalveluja koskevien parhaiden käytäntöjen jakamista harvinaisten sairauksien alalla;

b) kaikkien terveysalan ammattilaisten asianmukaista koulutusta heidän tietojensa parantamiseksi näiden sairauksien olemassaolosta ja käytettävissä olevista hoitomahdollisuuksista;

c) lääketieteellisten koulutuksen kehitystä harvinaisten sairauksien diagnosoinnin ja hallinnan kannalta keskeisillä aloilla, mukaan lukien genetiikka, immunologia, neurologia, onkologia ja pediatria;

d) diagnostisia testejä ja väestön seulontaa koskevien eurooppalaisten ohjeiden kehittämistä ottaen huomioon kansalliset päätökset ja toimivallan;

e) harvinaislääkkeiden terapeuttisesta tai kliinisestä lisäarvosta jäsenvaltioissa laadittujen ja olennaisia tietoja ja asiantuntemusta sisältävien arviointiraporttien jakamista yhteisön tasolla viivästysten minimoimiseksi potilaiden harvinaiseen sairauteensa tarvitsemien harvinaislääkkeiden saannissa;

VI **POTILASJÄRJESTÖJEN VAIKUTUSVALLAN VAHVISTAMINEN**

18. kuulevat potilaita ja potilaiden edustajia harvinaisten sairauksien alalla harjoitettavasta politiikasta ja auttavat potilaita saamaan ajantasaista tietoa harvinaisista sairauksista;

19. edistävät potilasjärjestöjen toimia, joita ovat muun muassa tietoisuuden lisääminen, valmiuksien parantaminen ja koulutus, tietojen ja parhaiden toimintatapojen vaihto, verkostoituminen sekä kovin erillään olevien potilaiden tavoittaminen;

VII **KESTÄVÄ PERUSTA**

20. pyrkivät yhdessä komission kanssa varmistamaan asianmukaisilla rahoitus- ja yhteistyöjärjestelyillä, että harvinaisten sairauksien tiedotuksen, tutkimuksen ja terveydenhoidon infrastruktuurit ovat pitkällä aikavälillä kestävällä pohjalla;

KEHOTTAA KOMISSIOTA

1. laatimaan jäsenvaltioiden toimittamien tietojen pohjalta vuoden 2013 loppuun mennessä ja mahdollisia tulevia yhteisön terveysalan toimintaohjelmia koskevia ehdotuksia silmällä pitäen tämän suosituksen täytäntöönpanoa koskevan kertomuksen, joka osoitetaan neuvostolle, Euroopan talous- ja sosiaalikomitealle ja alueiden komitealle, ja jossa olisi tarkasteltava ehdotettujen toimenpiteiden tehokkuutta ja tarvittavia lisätoimia harvinaisia sairauksia sairastavien potilaiden ja heidän läheistensä elämän parantamiseksi;

2. tiedottamaan neuvostolle säännöllisesti harvinaisia sairauksia käsittelevän komission tiedonannon seurannasta.

Tehty Luxemburgissa 8 päivänä kesäkuuta 2009.

Neuvoston puolesta

Puheenjohtaja

Petr ŠIMERKA