

## Stanovisko Evropského hospodářského a sociálního výboru k návrhu doporučení Rady o evropské akci v oblasti vzácných onemocnění

KOM(2008) 726 v konečném znění – 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

Dne 28. listopadu 2008 se Rada Evropské unie, v souladu s článkem 262 Smlouvy o založení Evropského společenství, rozhodla konzultovat Evropský hospodářský a sociální výbor ve věci

„návrhu doporučení Rady o evropské akci v oblasti vzácných onemocnění“

Specializovaná sekce Zaměstnanost, sociální věci, občanství, kterou Výbor pověřil přípravou podkladů na toto téma, přijala stanovisko dne 4. února 2009. Zpravodajkou byla paní CSER.

Na 451. plenárním zasedání, které se konalo ve dnech 25. a 26. února 2009 (jednání dne 25. února 2009), přijal Evropský hospodářský a sociální výbor následující stanovisko 162 hlasy pro, 4 hlasy byly proti a 8 členů se zdrželo hlasování.

### 1. Závěry a doporučení

1.1 EHSV vítá návrh doporučení Rady a souhlasí s koordinovanou evropskou akcí v oblasti vzácných onemocnění, která identifikuje, definuje a klasifikuje vzácná onemocnění.

1.2 EHSV podporuje zřízení odborných center pro vzácná onemocnění na národní a regionální úrovni i podněcování a propagaci zapojení těchto odborných center do evropských referenčních sítí.

1.3 EHSV schvaluje podporu i stimulaci koordinovaných výzkumů, které v současnosti v oblasti vzácných onemocnění probíhají, stejně jako podporu koordinovaných projektů zaměřených na optimální využívání omezených zdrojů, které jsou k dispozici, i posilování mezinárodní spolupráce.

1.4 Vzhledem k tomu, že se jedná o sdílení vědeckých poznatků o vzácných onemocněních na evropské úrovni, EHSV doporučuje, aby se náležitě zohlednila práva duševního vlastnictví a aby pro ně byly navrženy vhodné záruky.

1.5 EHSV podporuje vypracování národních plánů, má však za to, že do roku 2011 nebude možné připravit tyto plány dostatečně důkladně.

1.6 EHSV vítá zřízení národních a regionálních center do roku 2011, jež však závisí na odpovídajícím vypracování národních plánů.

1.7 EHSV doporučuje, aby se na evropské úrovni zavedl koordinační a informační tok a aby se vypracovala společná

a jednotná technická terminologie; doporučuje zároveň přípravu oborové příručky pro dialog mezi odborníky z různých zemí.

1.8 EHSV doporučuje, aby byl za účelem provozování referenční sítě a „mobilní služby“ zřízen speciální komunikační a signalizační systém, který by všem zainteresovaným subjektům umožnil přístup k odpovídajícím informacím.

1.9 EHSV souhlasí s tím, aby se dostal ke slovu i sociální výzkum, a to pokud jde o potřeby, které v oblasti vzácných onemocnění vyvstávají.

1.10 EHSV doporučuje, aby všechny členské státy zřídily svá vlastní centra pro vzácná onemocnění; tato centra by mohla zajišťovat koordinaci jednak mezi výzkumnými a léčebnými zařízeními, jednak mezi zdravotnickými službami a správními orgány členských států.

1.11 EHSV doporučuje, aby se centra pro vzácná onemocnění zřízená v členských státech zabývala úkoly souvisejícími se shromažďováním údajů, akreditací, metodologií a koordinací.

1.12 EHSV doporučuje, aby se národní strategie v oblasti vzácných onemocnění staly nedílnou součástí národních programů veřejného zdraví a podpory zdraví.

1.13 EHSV doporučuje, aby se v zájmu uplatňování práv pacientů a efektivnějšího a hospodárnějšího využívání prostředků místo financování projektů zavedlo dlouhodobé financování.

1.14 EHSV doporučuje, aby bylo přezkoumáno zapojení organizací pacientů, odborných organizací, organizací občanské společnosti a sociálních partnerů a aby se analyzovala a zhodnotila využitelnost referenčních center existujících v ostatních členských státech, to vše s ohledem na zájmy a práva pacientů.

1.15 EHSV doporučuje důkladnější analýzu mobility zdravotnických pracovníků se zapojením organizací pacientů, odborných organizací, organizací občanské společnosti a sociálních partnerů, aby tak bylo možné nabídnout odpovídající záruky.

1.16 Za účelem omezení nerovností v oblasti veřejného zdraví EHSV doporučuje, aby se prozkoumaly podmínky, které by umožnily přiměřené využívání zdrojů; cílem doporučení je totiž přístup všech pacientů postižených vážným onemocněním ke zdravotní péči.

1.17 EHSV podporuje zřízení poradního výboru EU pro vzácná onemocnění (EUACRD) a doporučuje, aby se do něj kromě představitelů členských států, průmyslových subjektů, sdružení zastupujících pacienty a odborníků zapojili i sociální partneři a další organizace občanské společnosti; bez nich totiž není možné vypracovat žádné národní strategie, které jsou přitom jednou z podmínek provádění doporučení.

1.18 EHSV doporučuje, aby mezinárodní politika v oblasti zdraví podpořila hnutí za evropský den vzácných onemocnění, a to ve formě celosvětového dne vzácných onemocnění.

1.19 EHSV souhlasí s tím, aby byla nejpozději do pěti let od přijetí doporučení vypracována zpráva o provádění tohoto doporučení, avšak během provádění je třeba s ohledem na práva pacientů zajistit potřebné korekce. EHSV by se rád zapojil do průběžného hodnocení tohoto provádění.

## 2. Obecné připomínky

### 2.1 Dosavadní vývoj

2.1.1 Na období od 1. ledna 1999 do 31. prosince 2003 byl přijat akční program Společenství pro vzácná onemocnění včetně onemocnění genetických (rozhodnutí Evropského parlamentu a Rady č. 1295/1999/ES ze dne 29. dubna 1999, kterým se přijímá akční program Společenství pro vzácná onemocnění v rámci opatření v oblasti veřejného zdraví (1999–2003)). Tento program stanovil, že postihne-li onemocnění ne více než 5 z 10 000 osob v Evropské unii, jde o onemocnění vzácné. Z této definice vychází i nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 ze dne 16. prosince 1999 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění.

2.1.2 Vzhledem k nízké prevalenci a zvláštnosti vzácných onemocnění je třeba zaujmout v této oblasti globální přístup, jenž by byl založen na obzvláštním a společném úsilí a jímž by bylo možné předcházet vysoké nemocnosti nebo odvrátitelné předčasné úmrtnosti a zvýšit kvalitu života postižených osob a jejich sociálně-ekonomické možnosti.

2.1.3 Pracovní skupina pro referenční síť pro vzácná onemocnění, kterou vytvořila Evropská komise, má za úkol: definovat základní principy, léčbu a kritéria, jež budou muset evropská referenční centra splňovat. Těmto otázkám se věnuje i 6. a 7. rámcový program Společenství pro výzkum a vývoj.

2.1.4 Světová zdravotnická organizace (WHO) se chystá přijmout v roce 2014 jedenáctou verzi Mezinárodní klasifikace nemocí, do níž již budou zahrnuta i vzácná onemocnění. WHO požádala pracovní tým Evropské unie pro vzácná onemocnění jako poradní skupinu, aby připravila kodifikaci a klasifikaci vzácných onemocnění.

2.1.5 Zavedení jednotné definice vzácných onemocnění ve všech členských státech by výrazně zvýšilo přínos Evropské unie pro spolupráci WHO a EU i úlohu EU mimo její hranice při řešení celosvětových problémů v oblasti veřejného zdraví.

2.1.6 V roce 2007 byla přijata evropská zdravotní strategie pro pacienty se vzácnými onemocněními, která si jako zvláštní priority vytyčila kvalitní diagnostiku, léčbu a informovanost.

## 3. Konkrétní připomínky

### 3.1 Definice a prevalence vzácných onemocnění

3.1.1 Vzácná onemocnění vyžadují globální přístup, jenž by byl založen na obzvláštním a společném úsilí o předcházení vysoké nemocnosti nebo odvrátitelné předčasné úmrtnosti a o zvýšení kvality života postižených osob a jejich sociálně-ekonomických možností.

3.1.2 Podle odhadů dnes existuje 5 000 až 8 000 různých vzácných onemocnění a tato onemocnění postihují v průběhu života 6 % až 8 % veškerého obyvatelstva EU, což znamená, že v Evropské unii je postiženo či bude postiženo některým vzácným onemocněním 29–36 milionů osob.

3.1.3 K výskytu většiny vzácných onemocnění dochází velmi zřídka – postihuje nanejvýše 1 osobu ze 100 000. Pacienti postižení velmi vzácným onemocněním a jejich rodiny trpí obzvláště velkou izolací a jsou velmi zranitelní.

3.1.4 Vzácná onemocnění představují velké odchylky i pokud jde o věk, kdy se objeví první příznaky – polovina vzácných onemocnění se vyskytne při narození či v dětství, zatímco druhá polovina v dospělosti. Většina vzácných onemocnění jsou dědičná onemocnění, mohou však být způsobena i vlivem životního prostředí během těhotenství či v průběhu dalšího života, často v kombinaci s genetickou predispozicí. U některých z nich se jedná o vzácné formy či vzácné komplikace běžných onemocnění.

### 3.2 Nedostatečné uznání a viditelnost vzácných onemocnění

3.2.1 Vzácná onemocnění se ve velké míře liší i pokud jde o jejich závažnost a projevy. Délka života pacientů postižených vzácným onemocněním je výrazně omezená. Některá tato onemocnění jsou komplexní, degenerativní a způsobují trvalá poškození, zatímco jiná jsou slučitelná s vedením normálního života – pokud jsou diagnostikována včas a jsou odpovídajícím způsobem ošetřována a/nebo léčena. Často se vyskytuje více postižení současně, což způsobuje mnoho funkčních důsledků. Tato postižení stupňují pocit izolace, mohou být důvodem pro diskriminaci a omezovat možnosti vzdělávání a uplatnění v povolání a ve společnosti.

### 3.3 Absence politik zaměřených na vzácná onemocnění v členských státech

3.3.1 Vzácná onemocnění velkou měrou přispívají k nemoci a úmrtnosti, v zdravotnických informačních systémech je však nenajdeme, protože chybí odpovídající systémy pro jejich kodifikaci a klasifikaci. Důsledkem absence zvláštní politiky v oblasti zdraví zaměřené na tato onemocnění a nedostatečných odborných znalostí bývá pozdní diagnostika a obtížný přístup k péči. Mezi členskými státy jsou velké rozdíly v diagnostice těchto onemocnění, stejně jako v jejich léčbě a rehabilitaci pacientů. Občané různých členských států a/nebo různých regionů téhož členského státu nemají rovnocenný přístup k odborné péči a léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění.

3.3.2 V jednotlivých členských státech existují veliké rozdíly mezi zdroji, které jsou k dispozici na výzkum, diagnostiku a léčbu vzácných onemocnění. Rozdrobenost těchto prostředků navíc oslabuje jejich efektivnost, a v důsledku toho se mnoha pacientům dostane péče pozdě nebo vůbec ne.

3.3.3 Diagnostika a léčba zvláštních onemocnění vyžaduje zvláštní přípravu, ale z důvodu nedostatku zdrojů dochází k významným odchylkám, a tak mnoho pacientů trpí důsledky chybné či neúplné diagnózy.

3.3.4 Specifika vzácných onemocnění – omezený počet pacientů a nedostatečné znalosti a odborné poznatky v této oblasti

– vyžadují mezinárodní spolupráci, která přináší přidanou hodnotu. V žádné jiné oblasti veřejného zdraví pravděpodobně nemůže být spolupráce mezi 27 různými národními přístupy natolik účinná a užitečná jako v oblasti vzácných onemocnění. Tuto skutečnost uznávají vnitrostátní i evropské političtí představitelé i zainteresované strany. Společné využívání omezených prostředků, které jsou k dispozici, může umožnit dosažení lepších výsledků. V jednotlivých členských státech existují odlišné postupy pro shromažďování údajů (odlišný typ, odlišné načasování) i odlišné oznamovací povinnosti. Oznamovací povinnost se může vztahovat na celou populaci, nebo může být předepsáno sporadické shromažďování údajů. Jednotné zveřejňování údajů a poskytování informací má mimořádný význam pro vypracování i uplatňování preventivní a zároveň i hospodárnější zdravotní politiky, stejně jako pro výzkum na úrovni členských států i EU. Podobně důležitý je přístup dotčených osob k odpovídajícím údajům a informacím.

3.3.5 Je nanejvýše důležité zlepšit kvalitu života pacientů se vzácným onemocněním a jejich rodinných příslušníků a zajistit jejich integraci do společnosti a na trh práce; jejich život je totiž neustálý boj s odlišnostmi a fyzickými i psychickými překážkami.

3.3.6 V členských státech EU funguje velký počet nevládních organizací či iniciativ občanské společnosti, jež usilují o informovanost pacientů se vzácnými onemocněními, o rozšiřování stávajících vědeckých a klinických poznatků, o zlepšení přístupu k dostupné a adekvátní lékařské péči a léčivým přípravkům a nakonec i o socioekonomickou integraci pacientů. Tyto občanské iniciativy se potýkají s nedostatkem zdrojů, je jim odepřena koordinovaná a harmonizovaná podpora od vlád a nemají koordinovanou síť, čímž jsou permanentně porušována práva pacientů. Mezi pacienty, jejich rodinami, organizacemi občanské společnosti, odborníky a sociálními partnery doposud nevznikla žádná systematická spolupráce. Pokud jde o péči a přístup k ní, existuje velká nerovnováha a kumulují se obtížné situace.

3.3.7 Diagnostika a léčba vzácných onemocnění jsou mimořádně nákladné. V případě využití nejmodernějších technologií a léčby vzácných onemocnění, které vyžadují významné specifické náklady, je nutné, aby každý členský stát stanovil a využíval co nejvyšší práh financování.

3.3.8 Evropská komise zveřejnila v roce 2008 sdělení o vzácných onemocněních a v rámci jeho vypracování provedla rozsáhlou veřejnou konzultaci, která byla uzavřena v únoru 2008.

3.3.9 Příspěvky získané během této veřejné konzultace potvrdily nutnost přijmout opatření na úrovni Společenství. Návrh doporučení Rady se tak soustředí na tři oblasti:

- identifikace a kodifikace vzácných onemocnění a vytvoření evropského systému kodifikace a klasifikace vzácných onemocnění, který by přispěl k uznání každého onemocnění. Při vypracovávání nové verze Komise spolupracuje s WHO, poněvadž ve světovém měřítku je to právě území EU, kde je největší šance na to, že budou vzácná onemocnění identifikována;
- zaručení základních principů a obecných zásad v této oblasti za účelem vypracování národních akčních plánů; stimulace a podpora členských států při vytváření národních zdravotních politik pro vzácná onemocnění, které by byly zaměřeny na to, aby se pacientům se vzácnými onemocněními zaručil rovný přístup k prevenci, diagnostice, léčbě a rehabilitaci a obecně přístup k těmto službám;
- podle doporučení Rady, na něž se vztahuje návrh sdělení:
  - by měly členské státy vypracovat své národní plány pro vzácná onemocnění;
  - měly by taktéž zřídit mechanismy nezbytné k definování, kodifikaci a klasifikaci vzácných onemocnění;
  - je třeba povzbudit výzkum vzácných onemocnění, a to i prostřednictvím přeshraniční spolupráce, a maximálně využívat možnosti výzkumné spolupráce v Evropské unii;
  - je třeba definovat odborná centra a podpořit jejich účast v evropských referenčních sítích;
  - v členských státech je třeba shromáždit odborné poznatky o vzácných onemocněních;
  - je nutno provádět opatření s cílem zajistit zapojení pacientů a organizací pacientů;
  - je nezbytné posílit spolupráci ve všech oblastech, kde může činnost na úrovni Společenství lépe zhodnotit úsilí o zaručení vypracování společných politických obecných zásad a jejich vzájemného uznávání v evropském měřítku. Mohlo by se jednat o zvláštní opatření v oblasti výzkumu, referenčních center, přístupu k informacím či o opatření stimuluji vývoj léčivých přípravků pro vzácná onemocnění nebo scre-

ening apod., která by představovala prvky minimální společné strategie zaměřené na vzácná onemocnění (např. pilotní programy, výzkumné a vývojové programy nebo sledování provádění nařízení (ES) č. 141/2000 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění).

3.3.10 Cílem sdělení je podpořit vypracování společné evropské globální strategie zasazující se o efektivní uznávání, prevenci, diagnostiku a léčbu vzácných onemocnění i výzkum na tomto poli. Zároveň usiluje o posílení spolupráce mezi členskými státy a o podporu evropských informačních sítí a činnosti organizací pacientů. Během definování a provádění každé politiky či činnosti na úrovni Společenství je třeba zaručit vysokou ochranu lidského zdraví. Všechny tyto snahy budou znamenat přínos k dosažení obecného cíle spočívajícího ve zlepšení situace ve zdravotnictví a zvýšení počtu let v dobrém zdraví, jenž je hlavním ukazatelem Lisabonské strategie. K tomu však bude nevyhnutelně třeba posílit koherenci mezi různými programy a iniciativami Společenství, jako jsou programy veřejného zdraví EU, rámcové programy pro výzkum a vývoj, strategie pro léčivé přípravky pro vzácná onemocnění, směrnice o přeshraniční zdravotní péči a další existující či budoucí aktivity EU nebo jejích členských států.

3.3.11 V návrhu doporučení Rady se považuje za nutné, aby členské státy vypracovaly v oblasti vzácných onemocnění do konce roku 2011 národní ucelené a integrované strategie a aby zapojily pacienty a organizace zastupující pacienty do všech fází procesu přípravy politik a rozhodování. Jejich činnosti by měly být aktivně prosazovány a podporovány, a to i finančně.

3.3.12 EHSV schvaluje vypracování národních ucelených a integrovaných strategií, považuje však za nezbytné, aby se uvažovalo o změně lhůty, pokud chceme, aby tato ucelená strategie zohlednila zájmy pacientů. Za tímto účelem by bylo třeba vytvořit na úrovni členských států centra specializovaná na vzácná onemocnění, která by plnila úkoly související s metodologií, shromažďováním údajů, akreditací a koordinací.

3.3.13 Informační tok na úrovni Evropské unie, výzkum i zřízení a určení referenčních center vyžadují definování a přijetí jednotné technické terminologie i společných a jednotných diagnostických a terapeutických protokolů. Jejich uznávání by nebylo pouze v zájmu pacientů, ale i v zájmu pracovníků ve zdravotnictví a poskytovatelů služeb v tomto odvětví. Z tohoto důvodu by bylo užitečné vypracovat oborovou příručku, praktický návod pro dialog mezi odborníky z různých zemí na téma vzácných onemocnění, jejich diagnostiky a léčby.

3.3.14 Vytvoření a identifikace evropské referenční sítě a poskytování „mobilní služby“ vyžadují zvláštní úsilí v oblasti komunikace a zřízení signalizačního systému, který by všem umožnil skutečný přístup k informacím.

3.3.15 Vzhledem k tomu, že v souvislosti s novými strukturami v oblasti výzkumu a služeb pravděpodobně vyvstane otázka práv duševního vlastnictví, je nutné přijmout opatření nezbytná k právní ochraně těchto práv.

3.3.16 EHSV vítá, že se dne 29. února 2008 konal první Evropský den vzácných onemocnění, a podporuje iniciativu na zavedení světového dne vzácných onemocnění, protože mezinárodní hnutí by mohlo ve velké míře napomoci zvýšení efektivity výzkumu i léčby. Podle EHSV je naprosto nezbytné zajistit adekvátní komunikaci, propagovat mezikulturní dialog a zejména odstraňovat jazykové bariéry a nedostatky v technických podmínkách tak, aby měly dotčené osoby (pacienti, jejich blízcí, poskytovatelé zdravotnických služeb, organizace občanské společnosti i sociální partneři) přístup k dostatečným a správným informacím.

3.3.17 Výbor v několika svých dřívějších stanoviscích upozornil na rozhodující roli občanské společnosti a sociálních partnerů při zachování společných hodnot a jejich přínos pro skutečnou přidanou hodnotu. Z tohoto důvodu považuje za důležité to, aby mohly subjekty organizované občanské společnosti a sociální partneři hrát adekvátní úlohu při dosahování cílů sdělení o vzácných onemocněních. Vzhledem k tomu, že právě společnost a sociální partneři produkují zdroje nutné v oblasti zdraví, měli by mít možnost rozhodovat zásadním způsobem o jejich rozdělování.

3.3.18 Za účelem omezení nerovností v oblasti veřejného zdraví EHSV doporučuje, aby se – z důvodu mimořádné nákladnosti – prozkoumaly podmínky, které by umožnily přiměřené využívání zdrojů; cílem doporučení je totiž přístup všech pacientů postižených vážným onemocněním ke zdravotní péči. V jednotlivých členských státech je k dispozici různé množství zdrojů, proto dochází k významným odchylkám i mezi počtem pacientů, kteří by měli mít možnost léčby, a počtem pacientů, kterým se jí skutečně dostane.

3.3.19 EHSV podporuje koordinovaný výzkum a zřízení a určení referenčních center, protože to může představovat výjimečnou příležitost k tomu, aby Evropská unie přispěla k řešení světových problémů v oblasti zdraví. Tato možnost je v souladu s cílem formulovaným v bílé knize „Společně pro zdraví“, jímž je to, aby Evropská unie hrála významnější mezinárodní úlohu.

3.3.20 Zřízení stálého poradního výboru EUACRD představuje důležitý krok směrem k postupnému naplňování těchto cílů. EHSV doporučuje, aby se do činnosti poradního výboru kromě představitelů členských států, odborníků, sdružení zastupujících pacienty a průmyslových subjektů zapojili i zástupci občanské společnosti a sociální partneři. Bez jejich spolupráce totiž nebude možné vypracovat národní strategii, která je přitom jednou z podmínek provádění doporučení.

V Bruselu dne 25. února 2009.

předseda  
Evropského hospodářského a sociálního výboru  
Mario SEPI

---