

DOPORUČENÍ RADY**ze dne 8. června 2009****o akci v oblasti vzácných onemocnění**

(2009/C 151/02)

RADA EVROPSKÉ UNIE,

s ohledem na Smlouvu o založení Evropského společenství, a zejména na čl. 152 odst. 4 druhý pododstavec této smlouvy,

s ohledem na návrh Komise,

s ohledem na stanovisko Evropského parlamentu ⁽¹⁾,

s ohledem na stanovisko Evropského hospodářského a sociálního výboru ⁽²⁾,

vzhledem k těmto důvodům:

- (1) Vzácná onemocnění ohrožují zdraví občanů Evropské unie, jde-li o velmi složitá onemocnění s nízkou prevalencí, která ohrožují život nebo jsou chronicky invalidizující. Ač jsou jednotlivá onemocnění vzácná, existuje jich mnoho různých typů, takže celkově jsou jimi postiženy miliony lidí.
- (2) Zásady a základní hodnoty, jimiž jsou všeobecnost, přístup ke kvalitní péči, rovnost a solidarita, potvrzené v závěrech Rady o společných hodnotách a zásadách ve zdravotních systémech EU ze dne 2. června 2006, mají pro pacienty se vzácnými onemocněními mimořádný význam.
- (3) Na období od 1. ledna 1999 do 31. prosince 2003 ⁽³⁾ byl přijat akční program Společenství pro vzácná onemocnění, včetně onemocnění genetické povahy. Uvedený program definoval vzácné onemocnění jako onemocnění, které nepostihuje více než 5 z 10 000 osob v Unii, jde o onemocnění vzácné. Podrobnější definice založená na aktualizovaném vědeckém přezkumu, která zohledňuje rozšíření i výskyt těchto onemocnění, bude vypracována s využitím zdrojů druhého programu Společenství v oblasti zdraví ⁽⁴⁾.

- (4) Podle nařízení Evropského parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 ze dne 16. prosince 1999 o léčivých přípravcích pro vzácná onemocnění ⁽⁵⁾ se léčivý přípravek stanoví jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“, jestliže je určen pro diagnostiku, prevenci nebo léčbu život ohrožujícího nebo chronicky invalidizujícího onemocnění, které nepostihuje v okamžiku podání žádosti více než 5 z 10 000 osob ve Společenství.

- (5) Podle současných odhadů dnes existuje 5 000 až 8 000 různých vzácných onemocnění, která postihují v průběhu života 6 % až 8 % obyvatelstva. Jinými slovy, ačkoli jsou vzácná onemocnění charakterizována svým nízkým rozšířením, celkový počet osob postižených vzácnými onemocněními v Unii se pohybuje mezi 27 a 36 miliony. Většina z nich trpí méně obvyklými onemocněními, která postihují jednu osobu ze 100 000 nebo méně. Zvláště tito pacienti trpí izolací a jsou velmi zranitelní.

- (6) Vzhledem k nízkému rozšíření a zvláštnosti vzácných onemocnění i k vysokému počtu postižených osob je třeba zaujmout globální přístup, jenž by byl založen na mimořádném a společném úsilí o předcházení vysoké nemocnosti nebo odvrátitelné předčasné úmrtnosti a o zvýšení kvality života postižených osob a jejich společenského a hospodářského uplatnění.

- (7) Vzácná onemocnění byla jednou z priorit šestého rámcového programu Společenství pro výzkum a rozvoj ⁽⁶⁾ a jsou i nadále jednou z akčních priorit sedmého rámcového programu pro výzkum a rozvoj ⁽⁷⁾, jelikož je nutné, aby se na vývoji nových diagnostických metod a způsobů léčby vzácných onemocnění i na provádění jejich epidemiologického výzkumu podílelo více zemí, a zvýšil se tak počet pacientů pro jednotlivé studie.

- (8) V bílé knize „Společně pro zdraví: strategický přístup pro EU na období 2008–2013“ ze dne 23. října 2007, který rozvíjí zdravotní strategii Unie, Komise označila vzácná onemocnění za akční prioritu.

⁽¹⁾ Stanovisko ze dne 23. dubna 2009 (dosud nezveřejněné v Úředním věstníku).

⁽²⁾ Stanovisko ze dne 25. února 2009 (dosud nezveřejněné v Úředním věstníku).

⁽³⁾ 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 až 2003) (Úř. věst. L 155, 22.6.1999, s. 1). Rozhodnutí zrušené rozhodnutím č. 1786/2002/ES (Úř. věst. L 271, 9.10.2002, s. 1).

⁽⁴⁾ Rozhodnutí Evropského parlamentu a Rady č. 1350/2007/ES ze dne 23. října 2007, kterým se zavádí druhý akční program Společenství v oblasti zdraví (2008–2013) (Úř. věst. L 301, 20.11.2007, s. 3).

⁽⁵⁾ Úř. věst. L 18, 22.1.2000, s. 1.

⁽⁶⁾ Rozhodnutí Evropského parlamentu a Rady č. 1513/2002/ES ze dne 27. června 2002 o šestém rámcovém programu Evropského společenství pro výzkum, technický rozvoj a demonstrace přispívajícím k vytvoření Evropského výzkumného prostoru a k inovacím (2002–2006) (Úř. věst. L 232, 29.8.2002, s. 1).

⁽⁷⁾ Rozhodnutí Evropského Parlamentu a Rady č. 1982/2006/ES ze dne 18. prosince 2006 o sedmém rámcovém programu Evropského společenství pro výzkum, technologický rozvoj a demonstrace (2007 až 2013) (Úř. věst. L 412, 30.12.2006, s. 1).

- (9) K tomu, aby se zlepšila koordinace a soudržnost celostátních, regionálních a místních iniciativ, které se zabývají vzácnými onemocněními, a spolupráce mezi výzkumnými centry, mohla by být související vnitrostátní opatření v oblasti vzácných onemocnění začleněna do plánů či strategií pro vzácná onemocnění.
- (10) Podle databáze Orphanet má pouze 250 z tisíců známých vzácných onemocnění, která lze klinicky identifikovat, přidělen kód ve stávající Mezinárodní klasifikaci nemocí (ICD) (verze č. 10). Je třeba, aby byla všechna vzácná onemocnění vhodně klasifikována a kodifikována, a získala tak potřebnou viditelnost a uznání ve vnitrostátních zdravotních systémech.
- (11) Světová zdravotnická organizace (WHO) zahájila v roce 2007 proces revize desáté verze Mezinárodní klasifikace nemocí, aby bylo možné přijmout na Světovém zdravotnickém shromáždění v roce 2014 novou, jedenáctou verzi této klasifikace. WHO jmenovala předsedu pracovního týmu Evropské unie pro vzácná onemocnění předsedou tematické poradní skupiny pro vzácná onemocnění, aby poskytováním návrhů na kodifikaci a klasifikaci vzácných onemocnění přispěl k tomuto reviznímu procesu.
- (12) Uplatňování jednotné identifikace vzácných onemocnění ve všech členských státech by výrazně posílilo přínos Unie této tematické poradní skupině a usnadnilo by spolupráci v oblasti vzácných onemocnění na úrovni Společenství.
- (13) V červenci roku 2004 byla zřízena skupina Komise na vysoké úrovni pro zdravotnické služby a lékařskou péči, ve které se sešli odborníci ze všech členských států, aby se zabývali praktickými aspekty spolupráce mezi vnitrostátními zdravotními systémy v Unii. Jedna z pracovních skupin této skupiny na vysoké úrovni se soustředí na evropské referenční síť pro vzácná onemocnění. Byla stanovena určitá kritéria a zásady pro tyto síť, včetně jejich úlohy při boji s vzácnými onemocněními. Evropské referenční síť by rovněž mohly sloužit jako výzkumná a znalostní centra, v nichž by byli léčeni pacienti z jiných členských států, a v případě potřeby zajistit, aby byla k dispozici zařízení pro následnou léčbu.
- (14) Přidaná hodnota evropských referenčních sítí na úrovni Společenství je obzvláště vysoká u vzácných onemocnění, protože se tato onemocnění vyskytují ojediněle, z čehož vyplývá omezený počet pacientů i nedostatek odborných znalostí v rámci jediné země. Shromažďování odborných znalostí na evropské úrovni má proto prvořadý význam, má-li být pacientům se vzácným onemocněním zajištěn přístup k přesným informacím, vhodné a časné diagnóze a k vysoce kvalitní péči.
- (15) V prosinci roku 2006 předložila odborná skupina z pracovního týmu Evropské unie pro vzácná onemocnění skupině na vysoké úrovni pro zdravotnické služby a lékařskou péči zprávu s názvem „Přínos k tvorbě politiky: Za evropskou spolupráci v rámci zdravotnických služeb a lékařské péče v oblasti vzácných onemocnění“. Tato zpráva odborné skupiny mimo jiné zdůrazňuje, jak je důležité určit odborná centra a vymezit jejich úlohy. Rovněž bylo dohodnuto, že by v zásadě a pokud možno pacienti neměli cestovat za odbornými znalostmi, ale že by tomu mělo být naopak. Některá opatření, k jejichž přijetí zpráva vyzývá, jsou zahrnuta do tohoto doporučení.
- (16) Ukázalo se, že spolupráce a sdílení poznatků mezi odbornými centry je neúčinnějším přístupem k boji proti vzácným onemocněním v Evropě.
- (17) Odborná centra by mohla k péči zaujmout mezioborový přístup, aby bylo možné zabývat se složitými a různorodými stavy vyplývajícími ze vzácných onemocnění.
- (18) Zvláštní znaky vzácných onemocnění – omezený počet pacientů a nedostatek patřičných poznatků a odborných znalostí – z nich činí jedinečnou oblast s velmi vysokou přidanou hodnotou akce na úrovni Společenství. Této přidané hodnoty lze dosáhnout zejména shromážděním vnitrostátních odborných znalostí o vzácných onemocněních, které jsou jinak rozptýleny v členských státech.
- (19) Je nanejvýš důležité zajistit, aby se členské státy aktivně podílely na tvorbě některých společných nástrojů, které jsou uvedeny ve sdělení Komise ze dne 11. listopadu 2008 o vzácných onemocněních: Výzvy pro Evropu, zejména ohledně diagnostických metod, lékařské péče a evropských obecných zásad pro populační screening. Totéž by mohlo platit pro zprávy o posouzení přidané terapeutické hodnoty léčivých přípravků pro vzácná onemocnění, což by mohlo přispět k urychlení vyjednávání o cenách na vnitrostátní úrovni, a tudíž i ke zkrácení prodlev v přístupu pacientů se vzácnými onemocněními k léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění.
- (20) Světová zdravotnická organizace označila posílení postavení pacientů za „základní předpoklad zdraví“ a podpořila „proaktivní partnerství a strategii péče pacientů o sebe sama s cílem zlepšit výsledky v oblasti zdraví a kvalitu života osob s chronickým onemocněním“⁽¹⁾. V tomto smyslu má velký význam úloha nezávislých skupin pacientů, a to jak z hlediska přímé podpory osob s onemocněním, tak z hlediska kolektivní práce, kterou tyto skupiny vykonávají, aby zlepšily podmínky pro celou obec pacientů s vzácným onemocněním i pro další generace.
- (21) Členské státy by se měly zaměřit na to, aby byli pacienti a jejich zástupci zahrnuti do politického procesu, a měly by usilovat o podporu aktivit skupin pacientů.

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

- (22) K rozvoji výzkumných infrastruktur a infrastruktur zdravotnických služeb v oblasti vzácných onemocnění jsou třeba dlouhodobé projekty, a tudíž i odpovídající finanční úsilí, aby se zaručila jejich dlouhodobá udržitelnost. Toto úsilí by zejména maximalizovalo součinnost s projekty v rámci druhého programu Společenství v oblasti zdraví, sedmého rámcového programu pro výzkum a rozvoj a následných programů,

DOPORUČUJE ČLENSKÝM STÁTŮM, ABY:

I. PLÁNY A STRATEGIE V OBLASTI VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

1. vytvořily a prováděly plány nebo strategie pro vzácná onemocnění na vhodné úrovni nebo prozkoumaly vhodné opatření pro vzácná onemocnění v jiných veřejných zdravotních strategiích, s cílem usilovat o to, aby pacienti trpící vzácnými onemocněními měli přístup ke kvalitní péči, včetně diagnóz, léčby, rehabilitace pro ty, kteří nemocí celoživotně trpí, a pokud možno i k účinným léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění, a zejména:

- a) co nejdříve, nejlépe do konce roku 2013, vypracovaly a přijaly plán nebo strategii, které by usměrňovaly všechny příslušné akce v oblasti vzácných onemocnění a formovaly jejich strukturu v rámci svých zdravotních a sociálních systémů;
- b) přijaly opatření pro komplexní přístup, kterým by současné a budoucí iniciativy na místní, regionální a celostátní úrovni zapojily do svých plánů a strategií;
- c) v rámci svých plánů nebo strategií určily omezený počet prioritních akcí s cíli a navazujícími mechanismy;
- d) vzaly na vědomí vypracování obecných zásad a doporučení, na jejichž základě by příslušné orgány na vnitrostátní úrovni v rámci probíhajícího Evropského projektu pro rozvoj národních plánů pro vzácná onemocnění (EUROPLAN), jenž byl zvolen pro financování v období let 2008–2011 v rámci prvního akčního programu Společenství v oblasti veřejného zdraví⁽¹⁾, připravily vnitrostátní akci v oblasti vzácných onemocnění;

II. ADEKVÁTNÍ DEFINICE, KODIFIKACE A SOUPIS VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

2. používaly pro účely politiky na úrovni Společenství jednotnou definici vzácného onemocnění jako onemocnění, které nepostihuje více než 5 z 10 000 osob;
3. snažily se zajistit, aby byla vzácná onemocnění ve všech zdravotních informačních systémech opatřena odpovídajícím kódem a zpětně sledovatelná, a podporovaly tak

náležité uznání onemocnění ve vnitrostátních systémech zdravotní péče a systémech úhrad, založených na Mezinárodní klasifikaci nemocí (ICD) a zároveň respektujících vnitrostátní postupy;

4. aktivně přispívaly k rozvoji snadno přístupného a dynamického soupisu vzácných onemocnění v Unii založeném na síti Orphanet a jiných existujících sítích, jak je uvádí Komise ve sdělení o vzácných onemocněních;

5. zvážily na všech příslušných úrovních, včetně úrovně Společenství, podporu sítí obsahujících specifické informace o jednotlivých onemocněních a zároveň registrů a databází pro epidemiologické účely, se zohledněním nezávislosti jejich řízení;

III. VÝZKUM VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍ

6. vymezily probíhající výzkum a výzkumné zdroje ve vnitrostátním rámci i v rámci Společenství, aby bylo možné určit současný stav vývoje, posoudit výzkumné prostředí v oblasti vzácných onemocnění a zlepšit koordinaci vnitrostátních a regionálních programů i programů Společenství pro výzkum vzácných onemocnění;
7. upřesnily potřeby a priority základního, klinického, translačního a sociálního výzkumu v oblasti vzácných onemocnění a způsoby, jak je řešit, a aby podporovaly mezioborové kooperativní přístupy, které by byly doplňkově řešeny prostřednictvím vnitrostátních programů a programů Společenství;
8. podporovaly účast vnitrostátních výzkumných pracovníků ve výzkumných projektech týkajících se vzácných onemocnění, které jsou financovány na všech příslušných úrovních, včetně úrovně Společenství;
9. do svých plánů či strategií zahrnuly ustanovení, která podpoří výzkum v oblasti vzácných onemocnění;
10. spolu s Komisí a obecněji s ohledem na výměnu informací a sdílení odborných znalostí usnadnily rozvoj spolupráce v oblasti výzkumu s třetími zeměmi, které se aktivně podílejí na výzkumu vzácných onemocnění;

IV. ODBORNÁ CENTRA A EVROPSKÉ REFERENČNÍ SÍTĚ PRO VZÁCNÁ ONEMOCNĚNÍ

11. do konce roku 2013 identifikovaly vhodná odborná centra na celém svém území a zvážily podporu jejich zřizování;
12. podpořily účast odborných center v evropských referenčních sítích, při respektování pravomocí členských států a pravidel členských států ohledně jejich oprávnění a uznávání;

⁽¹⁾ Rozhodnutí Evropského parlamentu a Rady č. 1786/2002/ES ze dne 23. září 2002, kterým se přijímá akční program Společenství v oblasti veřejného zdraví (2003–2008) (Úř. věst. L 271, 9.10.2002, s. 1).

13. zavedly postupy zdravotní péče o pacienty trpící vzácným onemocněním, a to navázáním spolupráce s příslušnými odborníky a výměnou odborníků a odborných znalostí v dané zemi nebo v případě potřeby ze zahraničí;
14. podpořily používání informačních a komunikačních technologií, jako je telemedicína, tam, kde je nutné zajistit přístup k potřebné specifické zdravotní péči na dálku;
15. do svých plánů a strategií zahrnuly nezbytné podmínky pro šíření a mobilitu odborných znalostí a vědomostí, čímž by se usnadnila léčba pacientů v blízkosti jejich bydliště;
16. podněcovaly odborná centra, aby v případě léčení vzácných onemocnění využívaly mezioborového přístupu k péči;

V. SHROMAŽĎOVÁNÍ ODBORNÝCH ZNALOSTÍ O VZÁCNÝCH ONEMOCNĚNÍCH NA EVROPSKÉ ÚROVNI

17. shromažďovaly vnitrostátní odborné znalosti týkající se vzácných onemocnění a podporovaly jejich propojení se znalostmi jejich evropských protějšků, a podpořily tak:
 - a) sdílení osvědčených postupů týkajících se diagnostických metod a lékařské péče, jakož i vzdělávání a sociální péče v oblasti vzácných onemocnění;
 - b) náležité vzdělávání a odbornou přípravu pro všechny zdravotníky, aby byli seznámeni s existencí těchto onemocnění a dostupných prostředků k jejich léčení;
 - c) rozvoj lékařské odborné průpravy v oborech souvisejících s diagnostikou a léčbou vzácných onemocnění, jako jsou genetika, imunologie, neurologie, onkologie nebo pediatrie;
 - d) vypracování evropských pokynů pro diagnostické testy a populační skrínink, při respektování rozhodnutí a pravomocí členských států;
 - e) sdílení zpráv členských států o posouzeních, které se zabývají přidanou terapeutickou nebo klinickou hodnotou léčivých přípravků pro vzácná onemocnění na úrovni Společenství, kde jsou shromažďovány příslušné vědomosti a odborné znalosti, s cílem co nejvíce zkrátit prodlevy v přístupu pacientů se vzácnými

onemocněními k léčivým přípravkům pro vzácná onemocnění;

VI. POSÍLENÍ ÚLOHY SVĚPOMOCNÝCH ORGANIZACÍ PACIENTŮ

18. konzultovaly pacienty a jejich zástupce ohledně politik v oblasti vzácných onemocnění a usnadnily pacientům přístup k aktualizovaným informacím o vzácných onemocněních;
19. podporovaly činnosti organizací pacientů, například zvyšování informovanosti, budování kapacit a odbornou přípravu, výměnu informací a osvědčených postupů, tvorbu sítí a navazování kontaktů s vysoce izolovanými pacienty;

VII. UDRŽITELNOST

20. usilovaly spolu s Komisí o zajištění, prostřednictvím náležitého financování a mechanismů spolupráce, dlouhodobé udržitelnosti infrastruktur, které jsou rozvíjeny v oblasti informací, výzkumu a zdravotní péče pro vzácná onemocnění.

VYZÝVÁ KOMISI, ABY:

1. do konce roku 2013 vypracovala na základě informací poskytnutých členskými státy a s cílem zařadit návrhy do budoucích možných akčních programů Společenství v oblasti zdraví zprávu o provádění tohoto doporučení určenou Evropskému parlamentu, Radě, Evropskému hospodářskému a sociálnímu výboru a Výboru regionů, ve které by se mělo zvážit, do jaké míry jsou navrhovaná opatření účinná, či zda je nutné provést další opatření, kterými by se zlepšil život pacientů postižených vzácnými onemocněními i jejich blízkých;
2. pravidelně informovala Radu o opatřeních, která navazují na sdělení Komise o vzácných onemocněních.

V Lucemburku dne 8. června 2009.

Za Radu
předseda
Petr ŠIMERKA