

Det Europæiske Økonomiske og Sociale Udvalgs udtalelse om forslag til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme

KOM(2008) 726 endelig — 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

Rådet for Den Europæiske Union besluttede den 28. november 2008 under henvisning til EF-traktatens artikel 262 at anmode om Det Europæiske Økonomiske og Sociale Udvalgs udtalelse om:

»Forslag til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme«

Det forberedende arbejde henvistes til Den Faglige Sektion for Beskæftigelse, Sociale og Arbejdsmarkeds-mæssige Spørgsmål og Borgerrettigheder, som udpegede Ágnes CSER til ordfører. Sektionen vedtog sin udtalelse den 4. februar 2009.

Det Europæiske Økonomiske og Sociale Udvalg vedtog på sin 451. plenarforsamling den 25. - 26. februar 2009, mødet den 25. februar 2009, følgende udtalelse med 162 stemmer for, 4 imod og 8 hverken for eller imod.

1. Konklusioner og henstillinger

1.1 EØSU glæder sig over Rådets forslag til henstilling og godkender den koordinerede europæiske indsats, som er indledt på området sjældne sygdomme, og som identificerer og klassificerer disse sygdomme.

1.2 EØSU går ind for udpegelsen af nationale og regionale ekspertisecentre, som beskæftiger sig med sjældne sygdomme samt fremme af centrenes deltagelse i det europæiske referencenetværk.

1.3 EØSU godkender den støtte, der gives til den koordinerede forskning, der lige nu foregår på området for sjældne sygdomme og den opbakning, den nyder. EØSU godkender ligeledes fremme af koordineringsprojekter, der har til formål at anvende de få ressourcer så optimalt som muligt og at intensivere det internationale samarbejde.

1.4 For så vidt angår dette at samle ekspertisen inden for sjældne sygdomme på europæisk plan anbefaler EØSU, at man også tager højde for de immaterielle rettigheder, og at man udsteder de fornødne garantier.

1.5 EØSU godkender udarbejdelsen af nationale planer, men vurderer, at 2011 er for tidligt til, at man kan forberede disse planer med den nødvendige præcision.

1.6 EØSU glæder sig over, at man inden 2011 skal have fundet frem til de nationale og regionale centre, vel vidende at det afhænger af udarbejdelsen af passende nationale planer.

1.7 EØSU anbefaler iværksættelsen af en koordinerings- og informationsstrøm på europæisk plan samt udarbejdelsen af en fælles teknisk og elektronisk terminologi. Udvalget anbefaler

ligeledes, at man forbereder nogle praktiske spilleregler for en dialog mellem de forskellige faglige kulturer, der sammenfatter sektorens særlige forhold.

1.8 EØSU anbefaler udviklingen af et særligt kommunikations- og signalsystem, der skal have til formål at opstille et referencenetværk og en »mobil tjeneste«, så alle berørte parter får adgang til den nødvendige information.

1.9 EØSU tilslutter sig, at man også tildeler den socialvidenskabelige forskning en rolle med hensyn til at definere, hvilke behov der findes på området for sjældne sygdomme.

1.10 EØSU anbefaler, at samtlige medlemsstater opretter deres egne centre for sjældne sygdomme, og lader dem spille en koordinationsrolle mellem på den ene side forskningsinstitutterne, plejesektoren og sundhedssektoren og på den anden side de offentlige myndigheder.

1.11 EØSU anbefaler, at de nationale strategier i forhold til sjældne sygdomme bliver en integreret del af de nationale programmer for offentlig sundhed og sundhedsudvikling.

1.12 EØSU anbefaler, at man i stedet for at finansiere projekter udvikler en finansiering på langt sigt af hensyn til en effektiv og mere rentabel anvendelse af ressourcerne samt patienternes reelle udøvelse af deres rettigheder.

1.13 EØSU anbefaler, at man undersøger, hvorvidt patient-sammenslutninger, faglige organisationer, civilsamlingsorganisationer og arbejdsmarkedets parter kan deltage, og at man analyserer og evaluerer, om de eksisterende referencecentre i medlemsstaterne kan bruges, samtidig med at man varetager patienternes interesser og rettigheder.

1.14 EØSU anbefaler, at man foretager en mere grundig analyse af sundhedseksperternes engagement, samtidig med at de faglige organisationer, civilsamfundets organisationer og arbejdsmarkedets parter inddrages med det formål at kunne tilbyde de fornødne garantier.

1.15 For at mindske ulighederne på sundhedsområdet anbefaler EØSU at undersøge mulighederne for en proportionel anvendelse af midlerne, da henstillingen sigter på at give alle patienter med alvorlige sygdomme adgang til pleje.

1.16 EØSU støtter oprettelsen af et rådgivende udvalg for EU om sjældne sygdomme, og anbefaler, at man ud over repræsentanter fra medlemsstaterne, sundhedsproduktsektoren, patientforeninger og eksperter også indbefatter arbejdsmarkedets parter og andre civilsamfundsorganisationer, da man ellers ikke vil kunne udarbejde nationale strategier, hvilket er en af forudsætningerne for at kunne gennemføre henstillingen.

1.17 EØSU anbefaler, at tiltagene vedrørende den europæiske dag for sjældne sygdomme underbygges af en international sundhedspolitik i form af en international dag for sjældne sygdomme.

1.18 EØSU støtter udarbejdelsen af en rapport om gennemførelsen af henstillingen fem år efter dens vedtagelse, velvidende at man må sørge for at foretage de nødvendige tilpasninger i løbet af gennemførelsen, samtidig med at der tages højde for patienternes rettigheder. EØSU ønsker at deltage i den løbende evaluering af denne gennemførelse.

2. Generelle bemærkninger

2.1 Baggrund

2.1.1 De sjældne sygdomme - herunder også de genetiske sygdomme - indgår i et europæisk handlingsprogram for perioden 1. januar 1999 til 31. december 2003 [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)] i henhold til hvilket en sjælden sygdom defineres som en sygdom, der ikke rammer mere end 5 ud af 10 000 personer i EU. Det er samme definition, der ligger til grund for Europa-Parlamentets og Rådets forordning (EF) nr. 141/2000 af 16. december 1999 vedrørende lægemidler til sjældne sygdomme.

2.1.2 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.

2.1.3 Kommissionens arbejdsgruppe om referencenetværket for sjældne sygdomme, har til opgave at definere de grundlæggende principper, behandlinger og kriterier, som de europæiske referencecentre skal leve op til. Disse spørgsmål dækkes ligeledes af det 6. og 7. europæiske rammeprogram for forskning og udvikling.

2.1.4 Verdenssundhedsorganisationen (WHO) forbereder til 2014 den 11. udgave af Den internationale sygdomsklassifikation, der også omfatter sjældne sygdomme. WHO har bedt EU's taskforce for sjældne sygdomme om at bidrage til kodificeringen og klassificeringen af disse sygdomme som rådgivende gruppe.

2.1.5 Indførelse af en fælles definition af sjældne sygdomme i alle medlemsstater ville i høj grad styrke EU's bidrag i samarbejdet mellem EU og WHO og ville sætte EU i stand til at spille en vigtigere rolle uden for sine grænser ved at bidrage til løsningen af sundhedsproblemerne i verden.

2.1.6 Blandt de store prioriteter i den europæiske sundhedsstrategi, som blev vedtaget i 2007, hører, at patienter med en sjælden sygdom skal have garanti for at få stillet en diagnose, kunne komme i behandling og få informationer af høj kvalitet.

3. Særlige bemærkninger

3.1 Definition og forekomst af sjældne sygdomme:

3.1.1 Sjældne sygdomme kræver en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats for at forebygge en høj dødelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale.

3.1.2 Informationerne om disse sygdommes forekomst viser, at der findes mellem 5 000 og 8 000 sjældne sygdomme, som rammer omkring 6 % af EU's samlede befolkning, hvilket betyder, at mellem 27 og 36 mio. borgere allerede er eller vil blive ramt af en sjælden sygdom i løbet af livet.

3.1.3 De fleste sjældne sygdomme er meget sjældne og rammer højst 1 ud af 100 000 personer. De patienter, der er ramt af en meget sjælden sygdom, og deres familier er særligt udsatte og sårbare.

3.1.4 Disse sygdomme spænder meget vidt med hensyn til, hvornår de første symptomer viser sig: halvdelen af de sjældne sygdomme viser sig ved fødslen eller i barndommen, hvorimod den anden halvdel viser sig i voksenalderen. De fleste sjældne sygdomme er genetiske sygdomme, men de kan også skyldes eksponering for kræftfremkaldende stoffer under graviditeten eller senere, ofte i forbindelse med en genetisk disposition. Andre er sjældne former for eller komplikationer i forbindelse med almindelige sygdomme.

3.2 De sjældne sygdommes manglende anerkendelse og synlighed:

3.2.1 De sjældne sygdomme adskiller sig også meget efter, hvor alvorlige de er, og hvorledes de kommer til udtryk. Patienter, der er ramt af en sjælden sygdom, har en betragteligt lavere forventet levealder. Nogle af disse sygdomme er komplekse, degenerative og medfører kroniske skader, mens andre ikke hindrer en almindelig livsstil, for så vidt som diagnosen bliver stillet i tide, og den rette behandling sætter ind. Ofte fører sygdommen flere handicap med sig, hvilket fører til flere funktionelle problemer. Disse handicap styrker følelsen af at være isoleret, og kan blive en kilde til diskrimination og forringelse af de sociale, faglige og uddannelsesmæssige muligheder.

3.3 Medlemsstaterne har ingen politikker vedrørende sjældne sygdomme:

3.3.1 De sjældne sygdomme bidrager i høj grad til sygelighed og dødelighed, men de nævnes ikke i sundhedsinformations-systemerne, fordi der ikke findes noget passende kodificerings- eller klassificeringssystem. Fraværet af sundhedspolitikker for disse sygdomme og den manglende ekspertise medfører forsinkelser i diagnosticeringen og problemer med at få adgang til behandling. Der er store forskelle mellem medlemsstaterne imellem for så vidt angår screening for disse sygdomme og behandlingstilbud til patienterne. Borgerne i de forskellige medlemsstater og/eller forskellige regioner i en og samme medlemsstat har ikke lige adgang til specialiserede behandlingsformer eller lægemidler til sjældne sygdomme.

3.3.2 Der er stor forskel på, hvor mange midler de forskellige medlemsstater afsætter til forskning, screening eller behandling af sjældne sygdomme, og spredningen af midlerne går ud over effektiviteten, hvilket betyder, at mange patienter kommer for sent i behandling eller måske slet ikke bliver behandlet.

3.3.3 Screening og behandling af sygdommene kræver en særlig forberedelse. På grund af manglende ressourcer er der store forskelle, og mange patienter lider som følge af en forkert eller mangelfuld diagnose.

3.3.4 På grund af særtrækkene ved sjældne sygdomme – et begrænset antal patienter og knaphed på viden og ekspertise –

har en indsats på internationalt niveau en meget stor merværdi. Der findes sandsynligvis ingen andre områder inden for offentlig sundhed, hvor et samarbejde mellem de 27 forskellige nationale tilgange kunne være så effektivt og nyttigt som på området for sjældne sygdomme. Dette er et velkendt faktum blandt såvel europæiske som nationale politiske beslutningstagere og alle berørte parter. Hvis man sammenlagde de begrænsede midler, der er til rådighed, kunne man opnå bedre resultater. Der er forskel på, hvordan medlemsstaterne indsamler data – indsamlingsform og tidsplan – og om der er indberetningspligt. Indberetningspligten kan finde anvendelse for hele befolkningen, eller der kan være tale om en sporadisk indsamling af data. Indførelsen af ensartede data og informationer er af afgørende betydning for udarbejdelsen og gennemførelsen af såvel forebyggende som mere rentable sundhedspolitikker, men også for forskningen i medlemsstaterne og EU. Det er lige så vigtigt, at de berørte personer har adgang til de relevante data og oplysninger.

3.3.5 Det er især vigtigt at forbedre livskvaliteten for patienter med en alvorlig sygdom og deres familie og sørge for, at disse personer bliver integreret i samfundet og arbejdslivet, da deres liv er en evindelig kamp mod forskellighed samt fysiske og psykiske udfordringer.

3.3.6 Der findes i EU's medlemsstater mange ngo'er eller initiativer i civilsamfundet, som arbejder for oplysning af patienter, der er ramt af en sjælden sygdom, udbredelse af viden og klinisk viden, bedre adgang til medicinsk behandling, billigere og bedre lægemidler, med andre ord, som arbejder for disse patienters socioøkonomiske integration. Disse civilsamfundsinitiativer lider under manglende ressourcer og modtager ingen koordineret eller harmoniseret støtte fra regeringerne eller et koordineret netværk, hvilket konstant går ud over patientretighederne. Der er ikke etableret systematisk samarbejde mellem patienter, deres familier, civilsamfundsorganisationer, specialister og arbejdsmarkedets parter. Man kan konstatere store forskelle og en ophobning af problemer med hensyn til behandlingsmuligheder og adgang hertil.

3.3.7 Screening og behandling af sjældne sygdomme er ekstremt dyrt. Ved anvendelse af ny teknologi og behandling af sjældne sygdomme, der indebærer særlige høje udgifter, er det nødvendigt, at hver enkelt medlemsstat fastsætter og anvender den højeste tærskel.

3.3.8 Kommissionen offentliggjorde i 2008 en meddelelse om sjældne sygdomme og gennemførte i forbindelse med udarbejdelsen en bred offentlig høring, som afsluttedes i februar måned samme år.

3.3.9 Bidragene i forbindelse med høringen bekræftede behovet for at træffe foranstaltninger på fællesskabsplan. Forslag til Rådets henstilling vedrører hovedsageligt tre områder:

- Identificering og kodificering af sjældne sygdomme samt oprettelsen af et europæisk kodificerings- og klassificeringssystem over sjældne sygdomme, der kan bidrage til anerkendelsen af hver enkelt sygdom. Kommissionen samarbejder med WHO i forbindelse med udarbejdelsen af den nye version, eftersom det på verdensplan er i EU, at de forskellige former for sjældne sygdomme har størst chance for at blive kortlagt.
- En definition af de grundlæggende principper og retningslinjer på området for udarbejdelse af nationale handlingsplaner. Incitament og støtte til medlemsstaterne i udformningen af de nationale sundhedspolitikker, der vedrører sjældne sygdomme, og som sigter mod at garantere patienterne lige adgang til forebyggelse, screening, behandling og pleje samt generel adgang til disse tjenester.
- I henhold til betingelserne i Rådets henstilling, som udkastet til meddelelse vedrører:
 - skal medlemsstaterne udarbejde egne nationale planer i forhold til sjældne sygdomme,
 - skal de ligeledes indføre de nødvendige mekanismer til definition, kodificering og klassificering af sjældne sygdomme,
 - skal man fremme forskningen inden for sjældne sygdomme også gennem grænseoverskridende samarbejde og udnytte EU's samarbejds potentiale på forskningsområdet maksimalt,
 - skal man finde frem til ekspertisecentrene, og deres deltagelse i det europæiske referencenetværk skal fremmes,
 - er det vigtigt at man i medlemsstaterne får eksperter til at udarbejde koncise data om sjældne sygdomme,
 - skal der gennemføres foranstaltninger med henblik på at sikre patienters og patientforeningers deltagelse,
 - skal man styrke samarbejdet på alle områder, hvor tiltag på europæisk plan kan tænkes at tilføre en merværdi til den indsats, der skal sikre en udformning af store fælles, politiske retningslinjer med gensidig anerkendelse i Europa. Det kan dreje sig om specifikke foranstaltninger inden for forskning, referencecentre, adgang til information, incitament til udvikling af lægemidler til sjældne sygdomme, screening osv. alt sammen bestående af en fælles minimumsstrategi, der tager sigte på sjældne sygdomme (f.eks. pilotprogrammer, F&U,

opfølgning af gennemførelsen af forordning (EF) nr. 141/2000 om lægemidler til sjældne sygdomme).

3.3.10 Meddelelsen sigter på udarbejdelse af en fælles europæisk strategi med henblik på anerkendelse, forebyggelse, screening og en effektiv behandling af sjældne sygdomme og vellykket forskning på området. Meddelelsen har også til formål at styrke samarbejdet mellem medlemsstaterne og støtte aktiviteterne i de europæiske informationsnetværk og patientforeninger. Når de enkelte fællesskabspolitikker eller – aktiviteter gennemføres, skal man sikre en høj grad af beskyttelse af menneskers sundhed. En sådan indsats vil være med til at opfylde den generelle målsætning om en forbedring af den sundhedsmæssige situation og flere sunde leveår, som er en nøgleindikator i Lissabonstrategien. For at muliggøre dette er man imidlertid nødt til at styrke sammenhængen mellem de forskellige programmer og fællesskabsinitiativer, såsom EU's programmer for offentlig sundhed, rammeprogrammerne for F&U, strategi for lægemidler til sjældne sygdomme, direktivet om grænseoverskridende sundhedsydelse og andre nuværende eller fremtidige aktiviteter i EU eller medlemsstaterne.

3.3.11 Rådets forslag til henstilling vurderer, at det er nødvendigt, at medlemsstaterne inden udgangen af 2011 udarbejder globale og integrerede nationale strategier inden for sjældne sygdomme, og at de inddrager patienter og patientforeninger i de enkelte etaper i udformningen af politikkerne og beslutningsprocessen. Deres aktiviteter skal hele tiden have aktiv opbakning især økonomisk.

3.3.12 Selvom EØSU støtter udarbejdelsen af globale og integrerede nationale strategier, finder udvalget det alligevel nødvendigt at overveje ændringer i tidsplanen, hvis man skal sikre, at den globale strategi varetager patienternes interesser. I den henseende bør man i medlemsstaterne oprette centre, der er specialiserede i sjældne sygdomme, og som varetager opgaver som metodologi, dataindsamling, akkreditering og koordinering.

3.3.13 Informationsstrømmen i EU, forskning og oprettelse og udnævnelse af referencecentre forudsætter, at man får defineret og fastlagt en teknisk terminologi og får udarbejdet fælles og ensartede diagnose- og behandlingsmetoder. En anerkendelse af centrene vil ikke kun have betydning for patienterne, men også for de ansatte inden for sundhedsvæsenet og for tjenesteydere i sektoren. Derfor vil det være nyttigt at forberede en særlig ordning for sektoren, nogle praktiske spilleregler for en dialog mellem de forskellige faglige kulturer om de sjældne sygdomme, screening og behandling.

3.3.14 Udviklingen af et europæisk referencenetværk, dets identifikation og oprettelsen af en »mobil tjeneste« forudsætter en særlig indsats på kommunikationsområdet og oprettelsen af et signaleringssystem, så den enkelte reelt får adgang til informationen.

3.3.15 Eftersom oprettelsen af denne nye form for forsknings- og tjenesteydelsesstruktur sandsynligvis lægger op til nogle immaterielle tiltag, er det vigtigt at træffe de nødvendige foranstaltninger med henblik på juridisk beskyttelse på området.

3.3.16 EØSU bifalder afholdelsen af den første europæiske dag for sjældne sygdomme den 29. februar 2008 og støtter initiativet om at indføre en international dag for sjældne sygdomme. Et sådant initiativ ville gøre det muligt at indføre en internationale bevægelse, der kunne bidrage væsentligt til mere effektiv forskning og behandling. EØSU mener, det er fuldstændig afgørende at sikre en ordentlig kommunikation, at fremme den tværkulturelle dialog og især fjerne sprogbarrierer og rette op på de mangelfulde tekniske vilkår, så de berørte (patienterne, deres pårørende, tjenesteudbydere på sundhedsområdet, civilsamfundsorganisationerne og arbejdsmarkedets parter) kan få adgang til tilstrækkelig og korrekt information).

3.3.17 Udvalget har i flere tidligere udtalelser henvist til den vigtige rolle, civilsamfundet og arbejdsmarkedets parter spiller i opretholdelsen af de fælles værdier og i udmøntningen af dem, således at der opstår en reel merværdi. Derfor finder udvalget det vigtigt, at aktørerne i det organiserede civilsamfund og arbejdsmarkedets parter kommer til at spille en passende rolle i gennemførelsen af meddelelsens målsætninger vedrørende sjældne sygdomme. Da det er samfundet og arbejdsmarkedets parter, der tilvejebringer de nødvendige ressourcer på sundhedsområdet, bør de også indtage en strategisk rolle i fordelingen af dem.

Bruxelles, den 25. februar 2009.

3.3.18 For at mindske ulighederne på sundhedsområdet anbefaler EØSU at undersøge mulighederne for en proportionel anvendelse af midlerne - på grund af de ekstraordinære udgifter - da henstillingen sigter på at give patienter med alle former for alvorlige sygdomme adgang til behandling. De til rådighed værende midler varierer fra en medlemsstat til en anden, og der er meget stor forskel mellem det antal mennesker, der burde være i behandling og dem, der rent faktisk er det.

3.3.19 EØSU støtter den koordinerede forskning og udnævnelsen af referencecentre, da dette kan udgøre en ekstraordinær mulighed for EU til at bidrage til en løsning af verdens sundhedsproblemer. Denne mulighed skal ses i forlængelse af den målsætning, der blev formuleret i hvidbogen »Sammen om sundhed: en strategi for EU 2008-2013«, dvs. at få EU til at spille en mere effektiv international rolle.

3.3.20 Oprettelsen af et rådgivende udvalg om sjældne sygdomme på EU-plan udgør et vigtigt skridt fremad på vejen mod gennemførelsen af målsætningerne. Ud over medlemsstaternes repræsentanter, eksperterne, patientforeningerne og erhvervslivet anbefaler EØSU, at man på permanent vis også inddrager repræsentanter fra civilsamfundet i det rådgivende udvalgs arbejde. Uden deres samarbejde vil det faktisk ikke kunne lade sig gøre at udarbejde den nationale strategi, som er en af forudsætningerne for henstillingens gennemførelse.

Mario SEPI

Formand

for Det Europæiske Økonomiske og Sociale Udvalg
