

EL

EL

EL



ΕΠΙΤΡΟΠΗ ΤΩΝ ΕΥΡΩΠΑΪΚΩΝ ΚΟΙΝΟΤΗΤΩΝ

Βρυξέλλες, 11.11.2008
COM(2008) 679 τελικό

**ΑΝΑΚΟΙΝΩΣΗ ΤΗΣ ΕΠΙΤΡΟΠΗΣ ΠΡΟΣ ΤΟ ΕΥΡΩΠΑΪΚΟ ΚΟΙΝΟΒΟΥΛΙΟ, ΤΟ
ΣΥΜΒΟΥΛΙΟ, ΤΗΝ ΕΥΡΩΠΑΪΚΗ ΟΙΚΟΝΟΜΙΚΗ ΚΑΙ ΚΟΙΝΩΝΙΚΗ ΕΠΙΤΡΟΠΗ
ΚΑΙ ΤΗΝ ΕΠΙΤΡΟΠΗ ΤΩΝ ΠΕΡΙΦΕΡΕΙΩΝ**

σχετικά με τις σπάνιες νόσους: οι ευρωπαϊκές προκλήσεις

{SEC(2008)2713}
{SEC(2008)2712}

ΑΝΑΚΟΙΝΩΣΗ ΤΗΣ ΕΠΙΤΡΟΠΗΣ ΠΡΟΣ ΤΟ ΕΥΡΩΠΑΪΚΟ ΚΟΙΝΟΒΟΥΛΙΟ, ΤΟ ΣΥΜΒΟΥΛΙΟ, ΤΗΝ ΕΥΡΩΠΑΪΚΗ ΟΙΚΟΝΟΜΙΚΗ ΚΑΙ ΚΟΙΝΩΝΙΚΗ ΕΠΙΤΡΟΠΗ ΚΑΙ ΤΗΝ ΕΠΙΤΡΟΠΗ ΤΩΝ ΠΕΡΙΦΕΡΕΙΩΝ

σχετικά με τις σπάνιες νόσους: οι ευρωπαϊκές προκλήσεις

1. ΕΙΣΑΓΩΓΗ

Οι σπάνιες νόσοι είναι νόσοι με ιδιαίτερα χαμηλό επιπολασμό· η Ευρωπαϊκή Ένωση θεωρεί ότι μία νόσος είναι σπάνια όταν προσβάλλει όχι περισσότερα από 5 στα 10 000 άτομα στην Ευρωπαϊκή Ένωση. Αυτό σημαίνει, ωστόσο, ότι, όπως εκτιμάται, μεταξύ 5 000 και 8 000 διαφορετικές σπάνιες νόσοι έχουν προσβάλει ή θα προσβάλουν 29 εκατ. άτομα στην Ευρωπαϊκή Ένωση.

Λόγω της ιδιομορφίας τους - περιορισμένος αριθμός ασθενών και έλλειψη σχετικής γνώσης και εμπειρογνωμοσύνης - οι σπάνιες νόσοι συνιστούν έναν ιδιαίτερο τομέα εξαιρετικά υψηλής ευρωπαϊκής προστιθέμενης αξίας. Η ευρωπαϊκή συνεργασία μπορεί να διασφαλίσει την ανταλλαγή των ελάχιστων γνώσεων και το συνδυασμό των πόρων όσον το δυνατόν πιο αποτελεσματικά, με σκοπό την αποτελεσματική αντιμετώπιση των σπάνιων νόσων στο σύνολο της ΕΕ.

Η Επιτροπή έχει ήδη λάβει συγκεκριμένα μέτρα σε πολλούς τομείς για την αντιμετώπιση των θεμάτων που σχετίζονται με τις σπάνιες νόσους. Αξιοποιώντας τα επιτεύγματα αυτά, η παρούσα ανακοίνωση σχετικά με τις προκλήσεις που αντιμετωπίζει η Ευρώπη στον τομέα των σπάνιων νόσων επιδιώκει να αποτελέσει ένα έγγραφο ολοκληρωμένης προσέγγισης, το οποίο δίνει σαφή προσανατολισμό σχετικά με τις παρούσες και τις μελλοντικές δραστηριότητες της Κοινότητας στον τομέα των σπάνιων νόσων με σκοπό να βελτιωθεί περαιτέρω η πρόσβαση και η ισότητα όσον αφορά την πρόληψη, τη διάγνωση και τη θεραπεία των ασθενών που πάσχουν από σπάνιες ασθένειες σε όλη την Ευρωπαϊκή Ένωση.

2. ΤΟ ΖΗΤΗΜΑ

Στην πλειονότητά τους οι σπάνιες νόσοι είναι γενετικής φύσεως, ενώ συμπεριλαμβάνουν, μεταξύ άλλων, σπάνιες μορφές καρκίνου, αυτοάνοσα νοσήματα, συγγενείς δυσπλασίες, τοξικές και λοιμώδεις νόσους. Η έρευνα για τις σπάνιες νόσους έχει αποδειχθεί πολύ χρήσιμη για την καλύτερη κατανόηση των μηχανισμών κοινών παθήσεων, όπως η παχυσαρκία και ο διαβήτης, δεδομένου ότι συχνά αποτελούν ένα μοντέλο δυσλειτουργίας μιας και μόνο βιολογικής οδού. Ωστόσο, η έρευνα για τις σπάνιες νόσους είναι όχι μόνον ελλιπής αλλά και κατακερματισμένη στα διάφορα εργαστήρια της ΕΕ.

Η έλλειψη συγκεκριμένων πολιτικών υγείας για τις σπάνιες νόσους και η έλλειψη εμπειρογνωμοσύνης μεταφράζονται σε καθυστερημένη διάγνωση και δύσκολη πρόσβαση στην περίθαλψη. Αυτό συνεπάγεται επιπλέον σωματικές, ψυχολογικές και διανοητικές βλάβες, ανεπαρκή ή ακόμα και επιβλαβή θεραπεία και έλλειψη εμπιστοσύνης στο σύστημα υγείας, παρά το γεγονός ότι ορισμένες σπάνιες νόσοι επιτρέπουν στον ασθενή να ζήσει μια κανονική ζωή εάν διαγνωστούν έγκαιρα και αντιμετωπιστούν κατάλληλα. Η εσφαλμένη διάγνωση ή η μη διάγνωση είναι τα κύρια εμπόδια για τη βελτίωση της ποιότητας της ζωής χιλιάδων ασθενών που πάσχουν από σπάνιες νόσους.

Οι εθνικές υγειονομικές υπηρεσίες για τη διάγνωση, τη θεραπεία και την αποκατάσταση των ασθενών που πάσχουν από σπάνιες νόσους διαφέρουν σημαντικά ανάλογα με τη διαθεσιμότητα και την ποιότητά τους. Ανάλογα με το κράτος μέλος και/ή την περιοχή στην οποία ζουν, οι πολίτες της ΕΕ έχουν άνιση πρόσβαση σε υπηρεσίες εμπειρογνομόνων και σε διαθέσιμες επιλογές θεραπείες. Λίγα κράτη μέλη έχουν αντιμετωπίσει επιτυχώς ορισμένα ζητήματα που συνδέονται με τις σπάνιες νόσους, ενώ άλλα δεν έχουν ακόμα εξετάσει πιθανές λύσεις.

Υπό την ευθύνη της Επιτροπής και του ΕΜΕΑ (Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων) εφαρμόζεται ήδη πολιτική στον τομέα των ορφανών φαρμάκων. Τα φάρμακα αυτά αποκαλούνται «ορφανά», διότι η φαρμακευτική βιομηχανία έχει ελάχιστο ενδιαφέρον, σε κανονικές συνθήκες της αγοράς, για την ανάπτυξη και την εμπορία προϊόντων που προορίζονται σε μικρό αριθμό ασθενών που πάσχουν από πολύ σπάνιες παθήσεις. Ο κανονισμός για τα ορφανά φάρμακα (κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 141/2000 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 16ης Δεκεμβρίου 1999, για τα ορφανά φάρμακα¹) απέβλεπε στη θέσπιση των κριτηρίων βάσει των οποίων τα φάρμακα χαρακτηρίζονται ορφανά στην ΕΕ και περιγράφει τα κίνητρα (π.χ. δεκαετή εμπορική αποκλειστικότητα, συνδρομή στην κατάρτιση πρωτοκόλλου, πρόσβαση στην κεντρική διαδικασία για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας) για την ενθάρρυνση της έρευνας, την ανάπτυξης και της εμπορίας φαρμάκων για την ίαση, την πρόληψη ή τη διάγνωση σπάνιων νόσων. Η πολιτική της ΕΕ για τα ορφανά φάρμακα είναι επιτυχημένη. Ωστόσο, τα κράτη μέλη δεν διασφαλίζουν ακόμα πλήρη πρόσβαση σε κάθε εγκεκριμένο ορφανό φάρμακο.

3. ΣΤΟΧΟΙ

Σύμφωνα με το άρθρο 152 της Συνθήκης, ο ρόλος της Κοινότητας στον τομέα της υγείας συνίσταται στην ενθάρρυνση της συνεργασίας μεταξύ των κρατών μελών και, εν ανάγκη, στη στήριξη της δράσης τους. Λόγω της ιδιομορφίας τους – περιορισμένος αριθμός ασθενών και έλλειψη σχετικής γνώσης και εμπειρογνομοσύνης – οι σπάνιες νόσοι συνιστούν ένα μοναδικό τομέα ιδιαίτερα υψηλής ευρωπαϊκής προστιθέμενης αξίας. Σκοπός της παρούσας ανακοίνωσης είναι η χάραξη μιας γενικής κοινοτικής στρατηγικής για τη στήριξη των κρατών μελών προκειμένου να διασφαλίσουν την αποτελεσματική και αποδοτική αναγνώριση, πρόληψη, διάγνωση, αγωγή, θεραπεία και έρευνα για τις σπάνιες νόσους στην Ευρώπη.

Αυτό με σειρά του θα συμβάλει στην επίτευξη του γενικότερου στόχου: τη βελτίωση των δεικτών υγείας και, κατά συνέπεια, την αύξηση των ετών υγιούς ζωής, έναν από τους κύριους δείκτες της Στρατηγικής της Λισαβόνας². Για το σκοπό αυτό, η παρούσα ανακοίνωση θα προσανατολίσει τις επιχειρησιακές δράσεις σε τρεις κύριους τομείς εργασίας.

3.1. Βελτίωση της αναγνώρισης και της προβολής των σπάνιων νόσων

Καθοριστικός παράγοντας για τη βελτίωση των γενικών στρατηγικών για τις σπάνιες νόσους είναι να διασφαλιστεί η αναγνώρισή τους, ώστε να είναι δυνατό να δοθεί κατάλληλη συνέχεια μέσω όλων των άλλων συναφών ενεργειών. Για τη βελτίωση

¹ Κανονισμός (ΕΚ) αριθ. 141/2000 του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου, της 16ης Δεκεμβρίου 1999, για τα ορφανά φάρμακα

² Βλ. http://ec.europa.eu/health/ph_information/indicators/lifeyears_en.htm

της διάγνωσης και της θεραπείας των σπάνιων νόσων, η κατάλληλη ταυτοποίηση πρέπει να συνοδεύεται από επακριβή ενημέρωση που θα παρέχεται και θα διαδίδεται με μορφή ευρετηρίων και καταλόγων προσαρμοσμένων στις ανάγκες των επαγγελματιών του κλάδου και των ασθενών. Με τον τρόπο αυτό θα αντιμετωπιστούν ορισμένοι από τους βασικούς λόγους για τους οποίους το θέμα των σπάνιων νόσων δεν λαμβάνει τη δέουσα προσοχή. Η Επιτροπή, επομένως, αποσκοπεί να θεσπίσει ένα ολοκληρωμένο σύστημα κωδικοποίησης και ταξινόμησης σε ευρωπαϊκό επίπεδο, το οποίο θα αποτελέσει το πλαίσιο για την καλύτερη ανταλλαγή γνώσεων και πληροφοριών για τις σπάνιες νόσους ως επιστημονικό θέμα και θέμα δημόσιας υγείας σε ολόκληρη την ΕΕ.

3.2. Υποστήριξη των πολιτικών για τις σπάνιες νόσους στα κράτη μέλη

Η αποτελεσματική και αποδοτική δράση για τις σπάνιες νόσους εξαρτάται από μια συνεκτική γενική στρατηγική στον εν λόγω τομέα, η οποία θα κινητοποιήσει τους λιγοστούς και διασκορπισμένους πόρους με ολοκληρωμένο και καλά αναγνωρισμένο τρόπο και θα ενσωματωθεί σε μια κοινή ευρωπαϊκή προσπάθεια. Αυτή η κοινή ευρωπαϊκή προσπάθεια εξαρτάται επίσης από μια κοινή προσέγγιση των προσπαθειών που καταβάλλονται στον τομέα των σπάνιων νόσων σε ολόκληρη την ΕΕ, ούτως ώστε να διαμορφωθεί μια ενιαία βάση συνεργασίας και να διευκολυνθεί η βελτίωση της πρόσβασης των ασθενών στην περίθαλψη και την ενημέρωση.

Επομένως, η Επιτροπή προτείνει τα κράτη μέλη να βασιστούν σε μια κοινή προσέγγιση του τρόπου αντιμετώπισης των σπάνιων νόσων με βάση την υφιστάμενη βέλτιστη πρακτική, μέσω της έκδοσης σύστασης του Συμβουλίου. Στην πρόταση της Επιτροπής για σύσταση του Συμβουλίου που συνοδεύει την παρούσα ανακοίνωση συνιστάται στα κράτη μέλη να θεσπίσουν στρατηγικές που θα έχουν ως άξονα τα εξής σημεία:

- κατάρτιση διατομεακών εθνικών σχεδίων δράσης για τις σπάνιες νόσους·
- επαρκείς μηχανισμούς για τον ορισμό, την κωδικοποίηση και την καταγραφή των σπάνιων νόσων καθώς και για την εκπόνηση κατευθυντήριων γραμμών ορθής πρακτικής, με σκοπό τη διαμόρφωση ενός πλαισίου για την αναγνώριση των σπάνιων νόσων και την ανταλλαγή γνώσεων και εμπειρογνωμοσύνης·
- προαγωγή της έρευνας για τις σπάνιες νόσους, συμπεριλαμβανομένης της διατομεακής συνεργασίας για τη μεγιστοποίηση του δυναμικού των επιστημονικών πόρων σε ολόκληρη την ΕΕ·
- διασφάλιση της πρόσβασης σε υγειονομική περίθαλψη υψηλής ποιότητας, ιδιαίτερα μέσω του καθορισμού εθνικών και περιφερειακών κέντρων εμπειρογνωμοσύνης και προαγωγή της συμμετοχής τους στα ευρωπαϊκά δίκτυα αναφοράς·
- θέσπιση μηχανισμών για τη συγκέντρωση της εθνικής εμπειρογνωμοσύνης για τις σπάνιες νόσους και την ομαδοποίησή της με την αντίστοιχη εμπειρογνωμοσύνη άλλων ευρωπαϊκών κρατών·
- δράση για τη διασφάλιση της ενδυνάμωσης και της συμμετοχής των ασθενών και των οργάνωσεων εκπροσώπησής τους·
- και συμπερίληψη στις εν λόγω δράσεις κατάλληλων διατάξεων που να διασφαλίζουν τη μελλοντική βιωσιμότητά τους.

3.3. Ανάπτυξη της συνεργασίας, του συντονισμού και της ρύθμισης για τις σπάνιες νόσους σε ευρωπαϊκό επίπεδο

Η κοινοτική δράση θα βοηθήσει τα κράτη μέλη να καταστούν αποτελεσματικά στη συγκέντρωση και την οργάνωση των λιγοστών πόρων που διαθέτουν στον τομέα των σπάνιων νόσων, ενώ μπορεί να βοηθήσει και τους ασθενείς και τους επαγγελματίες από τα διάφορα κράτη μέλη να συνεργαστούν για να ανταλλάξουν και να συντονίσουν την εμπειρογνωμοσύνη και τις πληροφορίες τους. Σκοπός της Κοινότητας πρέπει να είναι ο καλύτερος συντονισμός των πολιτικών και των πρωτοβουλιών σε ευρωπαϊκό επίπεδο και η ενδυνάμωση της συνεργασίας μεταξύ των προγραμμάτων της ΕΕ, ούτως ώστε να αξιοποιήσει στο μέγιστο τους πόρους που υπάρχουν σε κοινοτικό επίπεδο σχετικά με τις σπάνιες νόσους.

4. ΕΠΙΧΕΙΡΗΣΙΑΚΕΣ ΔΡΑΣΕΙΣ ΓΙΑ ΤΗ ΒΕΛΤΙΩΣΗ ΤΗΣ ΑΝΑΓΝΩΡΙΣΗΣ ΚΑΙ ΤΗΣ ΠΡΟΒΟΛΗΣ ΤΩΝ ΣΠΑΝΙΩΝ ΝΟΣΩΝ

4.1. Ορισμός των σπάνιων νόσων

Σύμφωνα με τον ισχύοντα ορισμό των σπάνιων νόσων στην ΕΕ, ο οποίος εγκρίθηκε από το κοινοτικό πρόγραμμα δράσης για τις σπάνιες νόσους για την περίοδο 1999-2003, σπάνιες είναι οι νόσοι που εμφανίζουν επιπολασμό όχι μεγαλύτερο από 5 ανά 10 000 άτομα στην Ευρωπαϊκή Ένωση. Ο ίδιος ορισμός περιλαμβάνεται στον κανονισμό (ΕΚ) αριθ. 141/2000 και, συνεπώς, χρησιμοποιήθηκε από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή για τον καθορισμό των ορφανών φαρμάκων. Η ΕΕ θα διατηρήσει τον ισχύοντα ορισμό. Ακριβέστερος ορισμός που να λαμβάνει υπόψη τόσο τον επιπολασμό όσο και την επίπτωση θα εκπονηθεί με τη χρήση των πόρων του προγράμματος υγείας και θα λαμβάνει υπόψη τη διεθνή διάσταση του προβλήματος.

4.2. Ταξινόμηση και κωδικοποίηση των σπάνιων νόσων

Το διεθνές σημείο αναφοράς για την ταξινόμηση των νόσων και των παθήσεων είναι η Διεθνής Ταξινόμηση των Νόσων (ICD), η οποία συντονίζεται από την Παγκόσμια Οργάνωση Υγείας (ΠΟΥ³). Η Επιτροπή θα κατευθύνει τις εργασίες σχετικά με τις σπάνιες νόσους στο πλαίσιο της διαδικασίας επανεξέτασης της υφιστάμενης ICD (Διεθνής Ταξινόμηση των Νόσων) για να διασφαλίσει την καλύτερη κωδικοποίηση και ταξινόμηση των σπάνιων νόσων. Για το σκοπό αυτό, η Επιτροπή θα συγκροτήσει ομάδα εργασίας για την ταξινόμηση και την κωδικοποίηση των σπάνιων νόσων⁴. Η ομάδα εργασίας μπορεί να οριστεί ως συμβουλευτική ομάδα εργασίας από την ΠΟΥ στο πλαίσιο της τρέχουσας διαδικασίας αναθεώρησης της ICD.

4.3. Διάδοση των γνώσεων και των πληροφοριών για τις σπάνιες νόσους

Καθοριστικό στοιχείο για τη βελτίωση της διάγνωσης και της θεραπείας στον τομέα των σπάνιων νόσων είναι η παροχή και διάδοση επακριβών πληροφοριών με μορφή που να προσαρμόζεται στις ανάγκες των επαγγελματιών και των ασθενών. Η κατάρτιση ενός δυναμικού ευρετηρίου της ΕΕ για τις σπάνιες νόσους θα συμβάλει στην αντιμετώπιση ορισμένων από τους βασικούς λόγους για τους οποίους δεν δίνεται η δέουσα προσοχή στο θέμα των σπάνιων νόσων, συμπεριλαμβανομένης της άγνοιας γύρω από το ποιες νόσοι είναι σπάνιες. Η Επιτροπή θα διασφαλίσει ότι η ενημέρωση αυτή θα εξακολουθήσει να διατίθεται σε ευρωπαϊκό επίπεδο,

³ Βλ. <http://www.who.int/classifications/icd/en/>.

⁴ Βλ. <http://www.who.int/classifications/icd/en/index.html>

αξιοποιώντας ιδιαίτερα τη βάση δεδομένων Orphanet⁵, η οποία υποστηρίζεται από κοινοτικά προγράμματα.

4.4. Δίκτυα ενημέρωσης για τις νόσους

Οι προτεραιότητες για δράση όσον αφορά τα υφιστάμενα (ή μελλοντικά) συγκεκριμένα δίκτυα ενημέρωσης για τις νόσους είναι:

- να εξασφαλιστεί η ανταλλαγή πληροφοριών μέσω των υφιστάμενων ευρωπαϊκών δικτύων ενημέρωσης·
- να προωθηθεί η καλύτερη ταξινόμηση συγκεκριμένων νόσων·
- να αναπτυχθούν στρατηγικές και μηχανισμοί για την ανταλλαγή πληροφοριών μεταξύ των ενδιαφερόμενων μερών·
- να αναπτυχθούν συγκρίσιμα επιδημιολογικά στοιχεία σε επίπεδο ΕΕ·
- και να υποστηριχθεί η ανταλλαγή ορθών πρακτικών και η ανάπτυξη μέτρων για ομάδες ασθενών.

5. ΕΠΙΧΕΙΡΗΣΙΑΚΕΣ ΔΡΑΣΕΙΣ ΓΙΑ ΤΗΝ ΑΝΑΠΤΥΞΗ ΤΗΣ ΕΥΡΩΠΑΪΚΗΣ ΣΥΝΕΡΓΑΣΙΑΣ ΚΑΙ ΤΗ ΒΕΛΤΙΩΣΗ ΤΗΣ ΠΡΟΣΒΑΣΗΣ ΣΕ ΥΓΕΙΟΝΟΜΙΚΗ ΠΕΡΙΘΑΛΨΗ ΥΨΗΛΗΣ ΠΟΙΟΤΗΤΑΣ ΓΙΑ ΤΙΣ ΣΠΑΝΙΕΣ ΝΟΣΟΥΣ

5.1. Βελτίωση της καθολικής πρόσβασης σε υγειονομική περίθαλψη υψηλής ποιότητας για τις σπάνιες νόσους, ιδιαίτερα μέσω της ανάπτυξης εθνικών/περιφερειακών κέντρων εμπειρογνωμοσύνης και του καθορισμού δικτύου αναφοράς της ΕΕ

Τα κράτη μέλη έχουν αναλάβει μια κοινή δέσμευση για τη διασφάλιση καθολικής πρόσβασης σε υγειονομική περίθαλψη υψηλής ποιότητας με βάση την ισοτιμία και την αλληλεγγύη⁶. Όμως, στην περίπτωση σπάνιων νόσων, η εμπειρογνωμοσύνη είναι ελάχιστη. Ορισμένα κέντρα εμπειρογνωμοσύνης (τα οποία αποκαλούνται επίσης κέντρα αναφοράς ή αριστείας σε κάποια κράτη μέλη) έχουν αναπτύξει εμπειρογνωμοσύνη που χρησιμοποιείται ευρύτατα από άλλους επαγγελματίες από⁷ τη χώρα τους ή ακόμα και διεθνώς, και η οποία μπορεί να βοηθήσει να εξασφαλιστεί η πρόσβαση στην κατάλληλη υγειονομική περίθαλψη των ασθενών που πάσχουν από σπάνιες νόσους. Η έκθεση του 2006 της ειδικής ομάδας της ΕΕ για τις σπάνιες νόσους προς την ομάδα υψηλού επιπέδου με τίτλο «*Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of RD*» (Συμβολή στη διαμόρφωση πολιτικής: για μια ευρωπαϊκή συνεργασία όσον αφορά τις υπηρεσίες υγείας και την ιατρική περίθαλψη στον τομέα των σπάνιων νόσων⁸) συνιστά στα κράτη μέλη να καθορίσουν τα κέντρα εμπειρογνωμοσύνης τους και να τους προσφέρουν οικονομική υποστήριξη.

⁵ Βλ. <http://www.orpha.net/>.

⁶ Συμπεράσματα του Συμβουλίου για τις κοινές αξίες και αρχές στα συστήματα υγείας της Ευρωπαϊκής Ένωσης, ΕΕ 2006/С 146/01

⁷ Βλ. την έκθεση της ειδικής ομάδας για τις σπάνιες νόσους με τίτλο «Overview of current Centres of Reference on rare diseases in the EU» (Επισκόπηση των σημερινών κέντρων αναφοράς για τις σπάνιες νόσους στην ΕΕ (2005)), http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm

⁸ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm.

Η ομάδα υψηλού επιπέδου για τις υπηρεσίες υγείας και την ιατρική περίθαλψη ασχολείται με την έννοια των ευρωπαϊκών δικτύων αναφοράς από το 2004⁹. Με βάση τις εργασίες της ομάδας υψηλού επιπέδου, το άρθρο 15 της πρότασης της οδηγίας του Ευρωπαϊκού Κοινοβουλίου και του Συμβουλίου για την εφαρμογή των δικαιωμάτων των ασθενών στη διασυνοριακή υγειονομική περίθαλψη (COM(2008)414) προβλέπει τη διευκόλυνση από τα κράτη μέλη της ανάπτυξης ευρωπαϊκών δικτύων αναφοράς (ERN). Τα ERN για τις σπάνιες νόσους θα έχουν στρατηγικό ρόλο στη βελτίωση της παροχής ποιοτικής περίθαλψης σε όλους τους ασθενείς στην Ευρωπαϊκή Ένωση σύμφωνα με τα αιτήματα των οργανώσεων ασθενών¹⁰.

5.2. Πρόσβαση σε εξειδικευμένες κοινωνικές υπηρεσίες

Τα κέντρα εμπειρογνωμοσύνης μπορούν επίσης να διαδραματίσουν ουσιαστικό ρόλο στην ανάπτυξη ή τη διευκόλυνση εξειδικευμένων κοινωνικών υπηρεσιών που θα βελτιώσουν την ποιότητα της ζωής των ατόμων που πάσχουν από σπάνιες νόσους. Τηλεφωνικές γραμμές υποστήριξης, υπηρεσίες ανάπαυλας από τη φροντίδα και προγράμματα θεραπευτικής αναψυχής έχουν λάβει στήριξη¹¹ και πρέπει να εξακολουθήσουν να λειτουργούν για να επιτύχουν τους στόχους τους: ευαισθητοποίηση, ανταλλαγή βέλτιστων πρακτικών και προτύπων, ομαδοποίηση πόρων με τη χρήση του προγράμματος υγείας και των σχεδίων δράσης για την αναπηρία.

5.3. Πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα

Υπάρχουν συγκεκριμένες δυσκολίες όσον αφορά την πρόσβαση στα ορφανά φάρμακα μέσω της λήψης αποφάσεων για την τιμολόγηση και την επιστροφή των δαπανών που συνδέονται με τη σπανιότητα της νόσου. Για να σημειωθεί πρόοδος πρέπει να αυξηθεί η συνεργασία σε ευρωπαϊκό επίπεδο για την επιστημονική αξιολόγηση της (προστιθέμενης) θεραπευτικής αξίας των ορφανών φαρμάκων.

Η Επιτροπή θα συστήσει ομάδα εργασίας για την ανταλλαγή γνώσεων μεταξύ των κρατών μελών και των ευρωπαϊκών αρχών για την επιστημονική αξιολόγηση της κλινικής προστιθέμενης αξίας για τα ορφανά φάρμακα. Οι συνεργασίες αυτές θα μπορούσαν να οδηγήσουν σε μη δεσμευτικές κοινές εκθέσεις αξιολόγησης της κλινικής προστιθέμενης αξίας με βελτιωμένη ενημέρωση που να διευκολύνει τις εθνικές αποφάσεις περί τιμολόγησης και επιστροφής δαπανών, με την επιφύλαξη των αντίστοιχων αρμοδιοτήτων των αρχών¹².

Επιπλέον, πρέπει να εξεταστεί η δυνατότητα συμμετοχής του EMEA και των υφιστάμενων διεθνών δικτύων για την αξιολόγηση της τεχνολογίας της υγείας όπως το Health Assessment International (HTAi)¹³, το Ευρωπαϊκό Δίκτυο για την

⁹ Βλ. την έκθεση της ομάδας υψηλού επιπέδου για τις υπηρεσίες υγείας και την ιατρική περίθαλψη για τα ευρωπαϊκά δίκτυα αναφοράς http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm

¹⁰ Βλ. την έκθεση του ευρωπαϊκού εργαστηρίου για τα κέντρα εμπειρογνωμοσύνης και τα δίκτυα αναφοράς για τις σπάνιες νόσους, Πράγμα, Ιούλιος 2007· http://www.eurordis.org/IMG/pdf/EU_workshop_report_3.pdf

¹¹ παρόμοια με αυτή που καθορίστηκε χάρη στο σχέδιο RAPSODY που χρηματοδοτείται από την ΕΕ

¹² http://ec.europa.eu/health/ph_projects/2005/action1/action1_2005_19_en.htm
Όπως καθορίζεται στο έγγραφο «Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens» (βελτίωση της πρόσβασης στα ορφανά φάρμακα για όλους τους πάσχοντες πολίτες της ΕΕ), το οποίο εγκρίθηκε από το φαρμακευτικό φόρουμ υψηλού επιπέδου.

¹³ <http://www.htai.org/>

Αξιολόγηση της Τεχνολογίας της Υγείας (EUnetHTA)¹⁴ ή η Medicines Evaluation Committee (MEDEV)¹⁵.

5.4. Προγράμματα παρηγορητικής χρήσης

Είναι απαραίτητη η βελτίωση του συστήματος χορήγησης φαρμάκων στους ασθενείς που πάσχουν από σπάνιες νόσους (του αποκαλούμενου συστήματος παρηγορητικής χρήσης), πριν από την έγκριση και/ή την επιστροφή δαπανών για τα νέα φάρμακα.

Με βάση την ισχύουσα φαρμακευτική νομοθεσία, ο EMEA μπορεί να εκδίδει γνώμες σχετικά με την παρηγορητική χρήση φαρμάκων ώστε να εξασφαλιστεί μια κοινή προσέγγιση σε όλη την Κοινότητα.

Η Επιτροπή θα καλέσει τον EMEA να αναθεωρήσει την υφιστάμενη κατευθυντήρια γραμμή του με σκοπό να εξασφαλιστεί η πρόσβαση των ασθενών στην περίθαλψη.

5.5. Ιατροτεχνολογικά προϊόντα

Ο κανονισμός για τα ορφανά φάρμακα δεν καλύπτει το πεδίο των ιατροτεχνολογικών βοηθημάτων. Το περιορισμένο μέγεθος της αγοράς και η περιορισμένη δυνητική απόδοση της επένδυσης αποτελεί αντικίνητρο. Η Επιτροπή θα αξιολογήσει κατά πόσον είναι αναγκαία η λήψη μέτρων για την αντιμετώπιση της κατάστασης αυτής, πιθανώς στο πλαίσιο της επικείμενης αναθεώρησης των οδηγιών για τα ιατροτεχνολογικά προϊόντα.

5.6. Κίνητρα για την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων

Οι φαρμακευτικές εταιρείες επενδύουν σημαντικά ποσά για μεγάλη χρονική περίοδο για να ανακαλύψουν, να αναπτύξουν και να διαθέσουν στην αγορά θεραπείες για σπάνιες νόσους. Οι επενδύσεις τους πρέπει να είναι αποδοτικές. Ωστόσο, το ιδανικό είναι να μπορούν επίσης να επανεπενδύσουν τα κέρδη από τις επενδύσεις τους στην ανακάλυψη νέων θεραπειών. Με περισσότερα από 45 εγκεκριμένα φάρμακα στην ΕΕ - ορισμένα για τις ίδιες παθήσεις - υπάρχουν ακόμα πολλές παθήσεις για τις οποίες δεν υπάρχει θεραπεία. Η αναζήτηση επιπλέον κινήτρων σε εθνικό ή ευρωπαϊκό επίπεδο για την ενίσχυση της έρευνας για τις σπάνιες νόσους και την ανάπτυξη ορφανών φαρμάκων και την ευαισθητοποίηση των κρατών μελών για τα φάρμακα αυτά πρέπει να ενθαρρυνθεί σύμφωνα με το άρθρο 9 του κανονισμού (ΕΚ) αριθ. 141/2000.

5.7. Ηλεκτρονική υγεία (e-Health)

Η ηλεκτρονική υγεία μπορεί να συμβάλει ποικιλοτρόπως στον τομέα αυτό, ιδιαίτερα με εξής μέσα:

- οι ηλεκτρονικές online υπηρεσίες που έχουν αναπτυχθεί από το Orphanet και άλλα σχέδια χρηματοδοτούμενα από την ΕΕ αποτελούν σαφή ένδειξη του κατά πόσο η τεχνολογία της πληροφορίας και της επικοινωνίας (ΤΠΕ) μπορεί να φέρει σε επαφή τους ασθενείς μεταξύ τους και να συμβάλει στη δημιουργία κοινοτήτων ασθενών, στην ανταλλαγή βάσεων δεδομένων μέσω ομάδων έρευνας, στη συλλογή στοιχείων για κλινική έρευνα, στην καταχώριση των ασθενών που προτίθενται να συμμετάσχουν σε κλινική έρευνα και στην παρουσίαση περιπτώσεων σε εμπειρογνώμονες με σκοπό τη βελτίωση της διάγνωσης και της θεραπείας.

¹⁴

<http://www.eunethta.net>

¹⁵

<http://www.esip.org/publications/pb51.pdf>

- η τηλειατρική, η από απόσταση παροχή υπηρεσιών υγείας μέσω της ΤΠΕ, αποτελεί ακόμα ένα χρήσιμο εργαλείο. Μπορεί, π.χ., να επιτρέψει τη σύνδεση ειδικών με υψηλό βαθμό ειδίκευσης στις σπάνιες νόσους με απλές κλινικές ή ιατρεία, ούτως ώστε να παρέχουν μια δεύτερη γνώμη από κέντρα αριστείας¹⁶.
- η έρευνα που χρηματοδοτείται από το 7ο πρόγραμμα πλαίσιο¹⁷ στον τομέα της μοντελοποίησης με τη βοήθεια υπολογιστή των φυσιολογικών και παθολογικών διαδικασιών αποτελεί μια ελπιδοφόρα προσέγγιση για την καλύτερη κατανόηση των παραγόντων που επηρεάζουν τις σπάνιες νόσους, για την πρόβλεψη των αποτελεσμάτων και, ενδεχομένως, την εξεύρεση νέων λύσεων θεραπείας.

5.8. Διαδικασία ανίχνευσης

Ο προσυμπτωματικός έλεγχος των νεογνών για φαινυλοκετονουρία και συγγενή υποθυροειδισμό αποτελεί συνήθη πρακτική την Ευρώπη και έχει αποδειχθεί εξαιρετικά αποτελεσματικός για την πρόληψη αναπηριών στα πάσχοντα παιδιά. Με την εξέλιξη της τεχνολογίας, είναι σήμερα δυνατό να πραγματοποιηθούν πολλές εξετάσεις, συμπεριλαμβανομένων όσων διενεργούνται από ρομπότ, με πολύ χαμηλό κόστος για ένα ευρύ φάσμα σπάνιων νόσων, ιδιαίτερα μεταβολικών διαταραχών και εν γένει γενετικών παθήσεων. Συνιστάται να ενθαρρυνθεί η συνεργασία στον τομέα αυτό για να παραχθούν αποδεικτικά στοιχεία στα οποία να βασίζονται οι αποφάσεις που λαμβάνονται σε επίπεδο κρατών μελών. Η Επιτροπή θα διενεργήσει σε ευρωπαϊκό επίπεδο αξιολόγηση των σημερινών στρατηγικών για τον προσυμπτωματικό πληθυσμιακό έλεγχο (συμπεριλαμβανομένου του νεογνικού προσυμπτωματικού ελέγχου) όσον αφορά τις σπάνιες νόσους και πιθανές νέες νόσους, προκειμένου να δοθούν στα κράτη μέλη στοιχεία (που αφορούν και δεοντολογικές πτυχές) στα οποία να μπορούν να βασίσουν τις πολιτικές τους αποφάσεις. Η Επιτροπή θεωρεί τη στήριξη αυτή ως δράση προτεραιότητας.

5.9. Διαχείριση της ποιότητας των διαγνωστικών εργαστηρίων

Πολλές σπάνιες νόσοι μπορούν τώρα να ανιχνευθούν μέσω βιολογικών δοκιμών που συχνά είναι γενετικές δοκιμές. Οι δοκιμές αυτές αποτελούν σημαντικά στοιχεία της σωστής διαχείρισης των ασθενών, καθώς επιτρέπουν την πρόωπη διάγνωση, ορισμένες φορές τον ανιχνευτικό έλεγχο των μελών των οικογενειών των ασθενών ή τον προγεννητικό έλεγχο. Δεδομένου του μεγάλου αριθμού εξετάσεων και της ανάγκης για σχεδιασμό και επικύρωση ενός συγκεκριμένου συνόλου διαγνωστικών δοκιμασιών για κάθε μία, καμία χώρα δεν μπορεί να είναι αυτάρκης όσον αφορά την παροχή εξετάσεων και την αποτελεσματική εξωτερική αξιολόγηση της ποιότητας των παρεχόμενων εξετάσεων. Είναι αναγκαίο να καταστεί δυνατή και να διευκολυνθεί η ανταλλαγή εμπειρογνωμοσύνης μέσω σαφώς δηλωμένων, διαφανών προτύπων και διαδικασιών που να έχουν συμφωνηθεί σε επίπεδο ΕΕ.

Αυτό θα μπορούσε να επιτευχθεί με τη δημιουργία ευρωπαϊκών δικτύων αναφοράς των ειδικών διαγνωστικών εργαστηρίων (π.χ. EuroGenTest)¹⁸. Τα εργαστήρια αυτά θα ενθαρρύνονται να συμμετέχουν σε δοκιμές ικανότητας με ιδιαίτερη προσοχή

¹⁶ Σχέδιο ανακοίνωσης για την τηλειατρική υπέρ των ασθενών, των συστημάτων υγείας και της κοινωνίας
¹⁷ http://ec.europa.eu/information_society/activities/health/research/fp7vph/index_en.htm
¹⁸ Βλ. <http://www.eurogentest.org/>.

στην αναφορά των αποτελεσμάτων και στην παροχή υπηρεσιών γενετικής συμβουλευτικής πριν από και μετά τη διεξαγωγή των δοκιμών¹⁹.

5.10. Πρωτογενής πρόληψη

Είναι πολύ λίγες οι σπάνιες νόσοι για τις οποίες είναι δυνατή η πρωτογενής πρόληψη. Εντούτοις, πρέπει να λαμβάνονται μέτρα πρωτογενούς πρόληψης για τις σπάνιες νόσους όπου αυτό είναι δυνατόν (π.χ. πρόληψη των βλαβών του νευρικού σωλήνα με λήψη συμπληρωμάτων φολλικού οξέος). Η δράση στον τομέα αυτό πρέπει να αποτελέσει αντικείμενο συζήτησης σε ευρωπαϊκό επίπεδο με την καθοδήγηση της Επιτροπής με σκοπό να καθοριστεί για ποιες σπάνιες νόσους μπορεί να ληφθούν επιτυχημένα μέτρα πρωτογενούς πρόληψης.

5.11. Μητρώα και βάσεις δεδομένων

Τα μητρώα και οι βάσεις δεδομένων αποτελούν βασικά εργαλεία για την αύξηση των γνώσεων σχετικά με τις σπάνιες νόσους και την ανάπτυξη κλινικής έρευνας. Είναι ο μόνος τρόπος συγκέντρωσης στοιχείων για την επίτευξη ενός ικανοποιητικού μεγέθους δείγματος για επιδημιολογικές και/ή κλινικές έρευνες. Θα εξεταστεί η δυνατότητα συνεργατικών προσπαθειών για την καθιέρωση της συλλογής δεδομένων και της τήρησής τους, υπό την προϋπόθεση ότι οι πόροι αυτοί είναι ανοιχτοί και προσπελάσιμοι. Βασικό θέμα θα είναι επίσης να διασφαλιστεί η μακροχρόνια βιωσιμότητα των συστημάτων αυτών, και όχι η χρηματοδότησή τους στο πλαίσιο της χρηματοδότησης εγγενώς επισφαλών σχεδίων. Η ιδέα αυτή αναπτύχθηκε επίσης στο έγγραφο «Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens» (βελτίωση της πρόσβασης στα ορφανά φάρμακα για όλους τους πάσχοντες πολίτες της ΕΕ), το οποίο εγκρίθηκε από το φαρμακευτικό φόρουμ υψηλού επιπέδου.

5.12. Έρευνα και Ανάπτυξη

Για την πλειονότητα των σοβαρών σπάνιων ασθενειών που είναι δυνητικά ιάσιμες δεν υπάρχει επί του παρόντος συγκεκριμένη θεραπεία. Την ανάπτυξη θεραπειών παρακωλύουν τρεις ανασταλτικοί παράγοντες: η έλλειψη κατανόησης των υποκείμενων παθοφυσιολογικών μηχανισμών, η ελλιπής υποστήριξη των πρώιμων σταδίων της κλινικής ανάπτυξης και η έλλειψη συμφέροντος/αντίληψης του κόστους από τη φαρμακευτική βιομηχανία. Όντως, το υψηλό κόστος της ανάπτυξης φαρμάκων, σε συνδυασμό με την εκτιμώμενη χαμηλή απόδοση της επένδυσης (λόγω του πολύ μικρού αριθμού των ασθενών), έχει αποθαρρύνει τη φαρμακευτική βιομηχανία από την ανάπτυξη φαρμάκων για σπάνιες νόσους, παρά τις τεράστιες ιατρικές ανάγκες.

Πρέπει να θεσπιστεί διαδικασία έγκαιρου διαλόγου γύρω από τα φάρμακα που βρίσκονται στο στάδιο της ανάπτυξης μεταξύ των εταιρειών και των αρχών που χρηματοδοτούν τα φάρμακα²⁰. Αυτό θα παράσχει στις εταιρείες-χορηγούς μεγαλύτερη ασφάλεια σχετικά με τα πιθανά μελλοντικά κέρδη, ενώ θα παράσχει στις

¹⁹ Παροχή βοήθειας στα άτομα που βρίσκονται αντιμέτωπα με τη διάγνωση της γενετικής νόσου για να κατανοήσουν τόσο τα πραγματολογικά στοιχεία της νόσου, αλλά και τις επιπτώσεις που θα έχει στη ζωή τους, ούτως ώστε να μπορούν να λάβουν αποφάσεις για το μέλλον.

²⁰ Όπως καθορίζεται στο έγγραφο «Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens» (βελτίωση της πρόσβασης στα ορφανά φάρμακα για όλους τους πάσχοντες πολίτες της ΕΕ), το οποίο εγκρίθηκε από το φαρμακευτικό φόρουμ υψηλού επιπέδου.

αρχές περισσότερες γνώσεις και εμπιστοσύνη στην αξία των φαρμάκων τα οποία θα κληθούν να αξιολογήσουν και να χρηματοδοτήσουν.

Τα ερευνητικά σχέδια για τις σπάνιες νόσους λαμβάνουν υποστήριξη εδώ και περισσότερο από δύο δεκαετίες μέσω των προγραμμάτων-πλαισίων της Ευρωπαϊκής Κοινότητας για την έρευνα, την τεχνολογική ανάπτυξη και τις δραστηριότητες επίδειξης. Στο τρέχον πρόγραμμα-πλαίσιο, το ΠΠ7²¹, το θέμα «Υγεία» του ειδικού προγράμματος «Συνεργασία», έχει σχεδιαστεί για την υποστήριξη της πολυεθνικής συνεργατικής έρευνας με διάφορες μορφές. Το θέμα «Υγεία» στον τομέα των σπάνιων νόσων εστιάζει σε πανευρωπαϊκές μελέτες στους τομείς της φυσικής ιστορίας, της παθοφυσιολογίας και της ανάπτυξης προληπτικών, διαγνωστικών και θεραπευτικών παρεμβάσεων.

Η συμβουλευτική επιτροπή της ΕΕ για τις σπάνιες νόσους (EUACRD, βλ. σημείο 7) και η επιτροπή για τα ορφανά φάρμακα (COMP) του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων (EMA) θα απευθύνει στην Επιτροπή ετήσια κοινή σύσταση επί συγκεκριμένων σημείων για τις προσκλήσεις υποβολής προτάσεων κατά την υλοποίηση των προγραμμάτων πλαισίων.

Τα σχέδια συντονισμού που αποσκοπούν στη βέλτιστη χρήση των περιορισμένων πόρων που διατίθενται στην έρευνα για τις σπάνιες νόσους πρέπει να ενθαρρυνθούν. Για παράδειγμα, το σχέδιο ERANet που υποστηρίζεται από το ΠΠ6 της ΕΕ (E-Rare)²², το οποίο συντονίζει επί του παρόντος τις πολιτικές για τη χρηματοδότηση της έρευνας για τις σπάνιες νόσους επτά κρατών, συμβάλλει στην αντιμετώπιση του κατακερματισμού των ερευνητικών προσπαθειών. Οι προσεγγίσεις αυτές πρέπει να τύχουν της δέουσας προσοχής.

6. ΔΙΕΘΝΗΣ ΣΥΝΕΡΓΑΣΙΑ

Η πολιτική της Επιτροπής για τις σπάνιες νόσους πρέπει να στοχεύει στην ανάπτυξη της συνεργασίας στον τομέα των σπάνιων νόσων σε διεθνές επίπεδο με όλες τις ενδιαφερόμενες χώρες και σε στενή συνεργασία με την Παγκόσμια Οργάνωση Υγείας. Η διεθνής συνεργασία αποτελεί ήδη αναπόσπαστο μέρος των προγραμμάτων πλαισίων για την έρευνα.

7. ΔΙΑΚΥΒΕΡΝΗΣΗ ΚΑΙ ΠΑΡΑΚΟΛΟΥΘΗΣΗ

Η Επιτροπή πρέπει να επικουρείται από τη συμβουλευτική επιτροπή της ΕΕ για τις σπάνιες νόσους (EUACRD) κατά την παροχή συμβουλών σχετικά με την υλοποίηση της παρούσας ανακοίνωσης. Η εν λόγω επιτροπή θα προεδρεύεται από την Ευρωπαϊκή Επιτροπή και θα επικουρείται από μια επιστημονική γραμματεία, η οποία θα υποστηρίζεται από το πρόγραμμα υγείας. Η επιτροπή θα αντικαταστήσει τη σημερινή ειδική ομάδα της ΕΕ για τις σπάνιες νόσους.

Θα ενθαρρυνθεί επίσης η διοργάνωση της ευρωπαϊκής ημέρας για τις σπάνιες νόσους (29 Φεβρουαρίου, μια σπάνια ημέρα) καθώς και ευρωπαϊκών συνεδρίων για την ευαισθητοποίηση των επαγγελματιών και του ευρύτερου κοινού.

Η Επιτροπή θα εκπονήσει έκθεση σχετικά με την εφαρμογή της παρούσας ανακοίνωσης - την οποία θα υποβάλει στο Ευρωπαϊκό Κοινοβούλιο, στο Συμβούλιο,

²¹ Βλ. http://cordis.europa.eu/fp7/home_en.html.

²² Βλ. <http://www.e-rare.eu/cgi-bin/index.php>.

στην Ευρωπαϊκή Οικονομική και Κοινωνική Επιτροπή και στην Επιτροπή των Περιφερειών με βάση τις πληροφορίες που παρέχουν τα κράτη μέλη, το αργότερο πέντε έτη μετά την ημερομηνία έκδοσης της παρούσας ανακοίνωσης. Η εν λόγω έκθεση θα αποσταλεί παράλληλα με την έκθεση εφαρμογής που θα εκπονηθεί σχετικά με τη σύσταση του Συμβουλίου για τις σπάνιες νόσους.

8. ΣΥΜΠΕΡΑΣΜΑ

Αν και κάθε σπάνια νόσος επηρεάζει μόνον ένα σχετικά μικρό αριθμό ασθενών και οικογενειών, οι νόσοι αυτές, στο σύνολό τους, αποτελούν σοβαρό πρόβλημα υγείας για την ΕΕ. Επιπλέον, η ανάγκη για συγκέντρωση της εμπειρογνωμοσύνης και για αποτελεσματική χρήση των περιορισμένων διαθέσιμων πόρων σημαίνει ότι οι σπάνιες νόσοι αποτελούν έναν τομέα στον οποίο η ευρωπαϊκή συνεργασία μπορεί να προσθέσει ιδιαίτερη αξία στις ενέργειες των κρατών μελών. Η Επιτροπή έχει ήδη λάβει μεμονωμένες πρωτοβουλίες στο παρελθόν, όπως το πρόγραμμα για τις σπάνιες νόσους, ο κανονισμός για τα ορφανά φάρμακα και η προσοχή που δίνεται στις σπάνιες νόσους στα προγράμματα πλαίσια για την έρευνα, την τεχνολογική ανάπτυξη και τις δραστηριότητες επίδειξης. Αλλά χρειάζονται περισσότερες προσπάθειες για να διασφαλιστεί ότι οι επιμέρους αυτές εργασίες θα συνεχιστούν και να ενσωματωθούν σε μια συνεκτική γενική στρατηγική για τις σπάνιες νόσους, τόσο σε κοινοτικό επίπεδο όσο και στο εσωτερικό των κρατών μελών, ώστε να μεγιστοποιηθεί το δυναμικό για γενική συνεργασία.

Με την ανακοίνωση αυτή και τη συνοδευτική πρόταση για σύσταση του Συμβουλίου, η Επιτροπή αποσκοπεί να θεσπίσει αυτή τη γενική στρατηγική για τις σπάνιες νόσους. Αυτό δίνει τη δυνατότητα να μεγιστοποιηθεί το περιθώριο για συνεργασία και αμοιβαία υποστήριξη σε αυτό το απαιτητικό τομέα στο σύνολο της Ευρώπης. Παρέχει στήριξη στα κράτη μέλη για τη χάραξη των δικών τους εθνικών και περιφερειακών στρατηγικών για τις σπάνιες νόσους. Με τον τρόπο αυτό παρέχει επίσης στους ασθενείς και στις οικογένειές τους που έχουν προσβληθεί από σπάνιες νόσους ένα απτό όφελος που προκύπτει από την ευρωπαϊκή ολοκλήρωση για την καθημερινότητά τους.