

Dictamen del Comité Económico y Social Europeo sobre la «Propuesta de Recomendación del Consejo relativa a una acción europea en el ámbito de las enfermedades raras»

COM(2008) 726 final — 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

El 28 de noviembre de 2008, de conformidad con el artículo 262 del Tratado constitutivo de la Comunidad Europea, el Consejo decidió consultar al Comité Económico y Social Europeo sobre la

«Propuesta de Recomendación del Consejo relativa a una acción europea en el ámbito de las enfermedades raras»

La Sección Especializada de Empleo, Asuntos Sociales y Ciudadanía, encargada de preparar los trabajos del Comité en este asunto, aprobó su dictamen el 4 de febrero de 2009 (Ponente: Ágnes CSER).

En su 451º Pleno de los días 25 y 26 de febrero de 2009 (sesión del 25 de febrero de 2009), el Comité Económico y Social Europeo ha aprobado por 162 votos a favor, 4 en contra y 8 abstenciones el presente Dictamen.

1. Conclusiones y recomendaciones

1.1 El CESE acoge favorablemente la propuesta de Recomendación del Consejo y suscribe la acción europea coordinada que se realiza en el ámbito de las enfermedades raras y que identifica, define y clasifica estas enfermedades.

1.2 El CESE apoya la designación de centros especializados a escala nacional y regional encargados de las enfermedades raras, así como el estímulo y la promoción de su participación en las redes europeas de referencia.

1.3 El CESE suscribe el apoyo manifestado a las investigaciones coordinadas que actualmente se llevan a cabo en el ámbito de las enfermedades raras, así como la promoción de que son objeto; el CESE suscribe también la promoción de los proyectos de coordinación destinados a utilizar de manera óptima los modestos recursos disponibles, así como la intensificación de la cooperación internacional.

1.4 En lo que se refiere a poner en común los conocimientos a escala europea en el ámbito de las enfermedades raras, el CESE recomienda que los derechos de propiedad intelectual también se tengan debidamente en cuenta y se propongan garantías adecuadas.

1.5 El CESE suscribe la elaboración de planes nacionales, pero considera que 2011 es una fecha demasiado cercana para preparar estos planes con la precisión requerida.

1.6 El CESE se congratula de la identificación de los centros nacionales y regionales antes de 2011, en el entendimiento, no obstante, de que esto depende de la elaboración adecuada de los planes nacionales.

1.7 El CESE recomienda la instauración de flujos de coordinación e información al nivel europeo, así como la elaboración

de una terminología técnica común e informatizada; recomienda también que se prepare un prontuario práctico de diálogo entre las distintas culturas profesionales en el que se recojan las particularidades del sector.

1.8 El CESE recomienda el desarrollo de un sistema especial de comunicación y señalización, con el objetivo de hacer funcionar una red de referencia y un «servicio móvil», de tal modo que cada persona interesada tenga acceso a la oportuna información.

1.9 El CESE suscribe que se confiera también un papel a las investigaciones en ciencias sociales cuando se trate de definir las necesidades existentes en el ámbito de las enfermedades raras.

1.10 El CESE recomienda que el conjunto de los Estados miembros establezca sus propios centros para las enfermedades raras, centros que podrían desempeñar un papel de coordinación entre, por una parte, los institutos de investigación y de cuidados, los servicios sanitarios y, por otra, los poderes públicos.

1.11 El CESE recomienda que los centros de los Estados miembros para las enfermedades raras asuman tareas relativas a la recogida de datos, la acreditación y la metodología, así como la coordinación.

1.12 El CESE recomienda que las estrategias nacionales relativas a las enfermedades raras se conviertan en parte integrante de los programas nacionales de salud pública y desarrollo de la asistencia sanitaria.

1.13 El CESE recomienda que, en vez de financiar proyectos, se desarrolle una financiación a largo plazo, en aras de una utilización eficaz y más rentable de los recursos y del ejercicio efectivo de los derechos de los pacientes.

1.14 El CESE recomienda que se examine la participación de las asociaciones de pacientes, organizaciones profesionales, organizaciones de la sociedad civil e interlocutores sociales, y se analice y se evalúe el carácter utilizable de los centros de referencia existentes en otros Estados miembros, teniendo simultáneamente en cuenta los intereses y derechos de los pacientes.

1.15 El CESE recomienda analizar más a fondo el compromiso y las actividades de los profesionales en materia de salud asociando al mismo tiempo a las organizaciones profesionales, las organizaciones de la sociedad civil y los interlocutores sociales, con el objetivo de poder ofrecer las oportunas garantías.

1.16 Con el fin de reducir las desigualdades en materia de salud, el CESE recomienda que se examinen las condiciones que permiten una utilización proporcional de los recursos, dado que la recomendación contempla el acceso a los cuidados para todos los pacientes afectados por enfermedades graves.

1.17 El CESE apoya la creación de un Comité consultivo de la Unión Europea sobre enfermedades raras y recomienda que participen, además de los representantes de los Estados miembros, el sector industrial de la sanidad, las asociaciones que representan a los pacientes y expertos, los interlocutores sociales y otras organizaciones de la sociedad civil; de otro modo no podría elaborarse estrategias nacionales, lo cual es una de las condiciones de la aplicación de la Recomendación.

1.18 El CESE recomienda que el movimiento del Día europeo de las enfermedades raras goce del apoyo de la política internacional en materia de salud, con vistas a que se convierta en un Día mundial de las enfermedades raras.

1.19 El CESE suscribe la elaboración de un informe sobre la aplicación de la Recomendación al final del quinto año siguiente a la fecha de su adopción, en el entendimiento, no obstante, de que conviene garantizar que durante la aplicación se efectuarán las correcciones necesarias, teniendo en cuenta los derechos de los pacientes; el CESE desea participar en la evaluación continua de esta aplicación.

2. Observaciones generales

2.1 Contexto

2.1.1 Las enfermedades raras –incluidas las enfermedades genéticas– son objeto de un programa de acción comunitaria que abarca el período comprendido entre el 1 de enero de 1999 y el 31 de diciembre de 2003 [Decisión n° 1295/1999/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 29 de abril de 1999, por la que se aprueba un programa de acción comunitaria sobre las enfermedades poco comunes en el marco de la acción en el ámbito de la salud pública (1999-2003)], conforme al cual una enfermedad rara es una enfermedad cuya prevalencia no afecta a más de cinco personas de cada diez mil en la Unión. Sobre esta misma definición se basa el Reglamento (CE) n° 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos.

2.1.2 A causa de su baja prevalencia y de su especificidad, las enfermedades raras exigen un enfoque global, basado en esfuerzos especiales y combinados, a fin de prevenir la morbilidad significativa o la mortalidad prematura evitable y mejorar la calidad de vida y el potencial socioeconómico de las personas afectadas.

2.1.3 El Grupo de trabajo sobre las redes europeas de referencia para las enfermedades raras, creado por la Comisión Europea, tiene por misión definir los principios básicos, los tratamientos y los criterios a los cuales deberían responder los centros europeos de referencia. Estas cuestiones son objeto también del Sexto y Séptimo programas marco europeos para la investigación y el desarrollo.

2.1.4 La Organización Mundial de la Salud (OMS) prepara para 2014 la undécima versión de la Clasificación Internacional de Enfermedades, en la que también se incluyen las enfermedades raras. La OMS ha invitado al Grupo de Trabajo de la Unión Europea sobre Enfermedades Raras a contribuir, como grupo consultivo, a la codificación y clasificación de estas enfermedades.

2.1.5 La aplicación de una definición común de las enfermedades raras por el conjunto de los Estados miembros reforzaría sensiblemente la contribución de la Unión Europea en el marco de la cooperación entre la UE y la OMS, y permitiría a la UE desempeñar un papel más importante, más allá de sus fronteras, en la resolución de los problemas de salud mundiales.

2.1.6 La garantía, para los pacientes afectados por enfermedades raras, de poder acceder a un diagnóstico, un tratamiento e información de buena calidad cuenta entre las grandes prioridades de la estrategia de la UE en materia de salud, adoptada en 2007.

3. Observaciones particulares

3.1 Definición y prevalencia de las enfermedades raras:

3.1.1 Las enfermedades raras exigen un enfoque global, basado en esfuerzos especiales y combinados, a fin de prevenir la morbilidad significativa o la mortalidad prematura evitable y mejorar la calidad de vida y el potencial socioeconómico de las personas afectadas.

3.1.2 Los datos relativos a la prevalencia de estas enfermedades indican que existen entre cinco mil y ocho mil enfermedades raras diferentes que afectan a un 6 % de la población total de la UE, lo que significa que entre 27 y 36 millones de personas sufren o sufrirán de una enfermedad rara en algún momento de su vida.

3.1.3 La mayoría de las enfermedades raras son muy poco frecuentes y sólo afectan a una de cada 100 000 personas o menos. Los pacientes que sufren de enfermedades muy raras, así como sus familias, están particularmente aislados y son especialmente vulnerables.

3.1.4 Estas enfermedades presentan también una gran diversidad en cuanto a la edad en que aparecen los primeros síntomas: la mitad de las enfermedades raras aparece en el nacimiento o durante la infancia, mientras que la otra mitad aparece en edad adulta. La mayoría de las enfermedades raras son enfermedades genéticas, pero también pueden estar relacionadas con una exposición a agentes medioambientales durante el embarazo o más tarde, a menudo en asociación con una predisposición genética. Algunas de ellas son formas o complicaciones raras de enfermedades corrientes.

3.2 Ausencia de reconocimiento y de visibilidad de las enfermedades raras:

3.2.1 Las enfermedades raras se diferencian también considerablemente por su grado de gravedad y de expresión. La esperanza de vida de los pacientes afectados por enfermedades raras se reduce significativamente. Algunas de estas enfermedades son complejas, degenerativas e implican lesiones crónicas, mientras que otras son compatibles con un modo de vida normal: en la medida en que se diagnostiquen a tiempo y si se reconocen y se tratan de manera conveniente. A menudo coexisten varias discapacidades, lo que implica numerosas consecuencias funcionales. Tales discapacidades refuerzan el sentimiento de aislamiento, podrían constituir una fuente de discriminación y reducir toda posibilidad educativa, profesional y social.

3.3 Ausencia de políticas sobre enfermedades raras en los Estados miembros:

3.3.1 Las enfermedades raras contribuyen ampliamente a la morbilidad y a la mortalidad, pero están ausentes de los sistemas de información sobre la asistencia sanitaria, debido a la inexistencia de sistemas de codificación y clasificación adecuados. La ausencia de políticas específicas de asistencia sanitaria para estas enfermedades y la falta de conocimientos se traducen en retrasos de diagnóstico y dificultades para acceder a los cuidados. Entre los Estados miembros existen diferencias importantes en lo relativo a la detección de estas enfermedades, así como al tratamiento y la readaptación de los pacientes. Los ciudadanos de los distintos Estados miembros y/o de las distintas regiones de un mismo Estado no se benefician de una igualdad de acceso a los cuidados especializados y a los medicamentos huérfanos.

3.3.2 Los recursos asignados a la investigación, a la detección y al tratamiento de las enfermedades raras difieren sensiblemente de un Estado miembro a otro, y la desconcentración de los recursos tiene por efecto una eficacia reducida, lo que implica cuidados tardíos, e incluso una ausencia total de tratamiento para numerosos pacientes.

3.3.3 La detección y el tratamiento de las enfermedades requieren una preparación particular; debido a la falta de recursos, las disparidades son importantes, y numerosos pacientes sufren de las consecuencias de un diagnóstico erróneo, e incluso incompleto.

3.3.4 Las especificidades de las enfermedades raras –el número limitado de pacientes y la insuficiencia de los conocien-

tos y competencias sobre el asunto– requieren una cooperación internacional, portadora de valor añadido. No existe probablemente otro ámbito de salud pública en que la colaboración entre los 27 enfoques nacionales pueda ser tan eficaz y útil como en el de las enfermedades raras. Este hecho es reconocido por los responsables políticos, tanto nacionales como europeos, así como por todas las partes interesadas. La puesta en común de los recursos limitados disponibles permitiría obtener mejores resultados. Las prácticas en materia de recogida de datos –tipo de recogida y calendario– así como de obligación de notificación difieren según los Estados miembros. La obligación de notificación puede ser aplicable al conjunto de la población, en que sólo puede preverse una recogida esporádica de datos. La disponibilidad de datos e información uniformes reviste una importancia capital para la elaboración y la aplicación de políticas sanitarias que sean a la vez preventivas y más rentables, así como para la investigación al nivel de los Estados miembros y de la UE. El acceso de las personas afectadas a los datos e información idóneos es igualmente esencial.

3.3.5 Es especialmente importante mejorar la calidad de vida de los pacientes que sufren una enfermedad grave, así como la de su familia, y velar por su integración en la sociedad y el mundo profesional; su vida es en efecto una lucha permanente con la diferencia y las pruebas físicas y morales.

3.3.6 En los Estados miembros de la Unión Europea existen numerosas organizaciones no gubernamentales o iniciativas de la sociedad civil que trabajan para la información de los pacientes afectados por una enfermedad rara, la difusión de los conocimientos científicos y clínicos existentes, la mejora del acceso a tratamientos médicos y medicamentos asequibles y adecuados; en otros términos: para la integración socioeconómica de estos enfermos. Estas iniciativas de la sociedad civil sufren falta de recursos y no se benefician de un apoyo coordinado y armonizado de los gobiernos, ni de una red coordinada, lo que perjudica constantemente a los derechos de los pacientes. Ninguna cooperación sistemática se ha puesto en marcha entre los pacientes, su familia, las organizaciones de la sociedad civil, los especialistas y los interlocutores sociales. Se observan graves desequilibrios, así como un cúmulo de dificultades en materia de cuidados y acceso a estos últimos.

3.3.7 La detección y el tratamiento de las enfermedades raras son sumamente costosos. En los casos de recurso a las nuevas tecnologías y de tratamiento de enfermedades raras que requieran gastos específicos importantes, es indispensable que cada Estado miembro defina y aplique el límite más elevado.

3.3.8 La Comisión Europea publicó en 2008 una Comunicación referente a las enfermedades raras y procedió, en el marco de su elaboración, a una extensa consulta pública que se cerró en febrero del mismo año.

3.3.9 Las contribuciones recogidas en el marco de esa consulta confirmaron la necesidad de adoptar medidas al nivel comunitario. La propuesta de Recomendación del Consejo se articula principalmente en torno a tres ejes:

- la definición y la codificación de las enfermedades raras, así como la creación de un sistema europeo de codificación y clasificación de las enfermedades raras que contribuya al reconocimiento de cada enfermedad. En el marco de la elaboración de la nueva versión, la Comisión colabora con la OMS, ya que, a escala mundial, es en la Unión Europea donde los distintos tipos de enfermedades raras tienen más posibilidades de ser definidos;
- la definición de principios fundamentales y directrices en este ámbito con miras a la elaboración de planes de acción nacionales; animar y apoyar a los Estados miembros en la concepción de políticas sanitarias nacionales que tengan por objeto las enfermedades raras y se destinen a garantizar a las personas afectadas un acceso equitativo a la prevención, la detección, el tratamiento y la convalecencia y, de modo general, la accesibilidad de estos servicios;
- según los términos de la Recomendación del Consejo en la que se basa el proyecto de Comunicación:
 - los Estados miembros deben elaborar sus planes nacionales de enfermedades raras,
 - deben establecerse también los mecanismos necesarios para la definición de las enfermedades raras, su codificación y su clasificación,
 - conviene fomentar la investigación sobre las enfermedades raras, también mediante la colaboración transfronteriza, y explotar al máximo el potencial de cooperación de la Unión Europea en materia de investigación,
 - se deben identificar centros especializados y debe fomentarse su participación en las redes europeas de referencia,
 - es importante constituir en los Estados miembros datos sintéticos sobre las enfermedades raras establecidos por expertos,
 - deben adoptarse medidas destinadas a garantizar la participación de los enfermos y organizaciones que los representen,
 - conviene reforzar la cooperación en todos los ámbitos en que la acción al nivel comunitario pueda aportar un valor añadido a los esfuerzos destinados a garantizar la elaboración de grandes orientaciones políticas comunes y el reconocimiento mutuo de éstas a escala de Europa. Podrá tratarse de medidas específicas en los ámbitos de la investigación, centros de referencia, acceso a la información, medidas incitativas para el desarrollo de medicamentos huérfanos, acciones de detección, etc., otros tantos elementos constitutivos de una estrategia mínima común destinada a las enfermedades raras (por ejemplo,

programas piloto, investigación y desarrollo, seguimiento de la aplicación del Reglamento (CE) n° 141/2000 sobre medicamentos huérfanos).

3.3.10 La Comunicación tiene por objeto favorecer la elaboración de una estrategia completa común europea para el reconocimiento, la prevención, la detección y el tratamiento eficaces de las enfermedades raras y una investigación rentable en este ámbito. Tiene también por objetivo reforzar la cooperación entre los Estados miembros y apoyar las actividades de las redes de información europeas y las asociaciones de enfermos. En la definición y la aplicación de cada política o actividad comunitaria conviene garantizar un alto grado de protección de la salud humana. El conjunto de estos esfuerzos contribuirá a realizar el objetivo general de mejora de la situación sanitaria y aumento del número de años de vida en buena salud, indicador clave de la Estrategia de Lisboa. Para ello, no obstante, convendrá reforzar la coherencia entre los distintos programas e iniciativas comunitarios, como los programas de salud pública de la UE, los programas marco para la investigación y el desarrollo, la estrategia relativa a los medicamentos huérfanos, la Directiva relativa a la asistencia sanitaria transfronteriza y otras actividades existentes o futuras de la Unión o de sus Estados miembros.

3.3.11 La propuesta de Recomendación del Consejo considera necesario que los Estados miembros elaboren antes de finales de 2011 estrategias nacionales completas e integradas en el ámbito de las enfermedades raras y asocien a los enfermos y sus organizaciones representativas a cada etapa de los procesos de elaboración de las políticas y toma de decisiones. Sus actividades deben fomentarse y apoyarse de manera activa, en particular financieramente.

3.3.12 El CESE apoya la elaboración de estrategias nacionales completas e integradas, pero estima necesario prever una modificación del calendario si se quiere que la estrategia global tenga en cuenta los intereses de los pacientes. A tal efecto convendría crear en los Estados miembros centros especializados en las enfermedades raras que asuman tareas de metodología, recogida de datos, acreditación y coordinación.

3.3.13 El flujo de información al nivel de la Unión Europea, la investigación y el establecimiento y la designación de los centros de referencia requieren que se defina y adopte una terminología técnica y protocolos comunes y únicos de diagnósticos y terapéuticos. Su reconocimiento no iría sólo en beneficio de los pacientes, sino también en el de los profesionales sanitarios y los prestadores de servicios en este sector. Por esta razón, sería útil preparar un prontuario sectorial, un tratado práctico de diálogo entre las distintas culturas profesionales sobre el tema de las enfermedades raras, su detección y su tratamiento.

3.3.14 El desarrollo de la red europea de referencia, su definición y la puesta a disposición de un «servicio móvil» requieren esfuerzos de comunicación específicos y la instauración de un sistema de señalización, para que cada persona tenga realmente acceso a la información.

3.3.15 Dado que la puesta en marcha de esta nueva forma de estructuras de investigación y servicios dará probablemente a creaciones intelectuales, es esencial adoptar las medidas necesarias en materia de protección jurídica en este ámbito.

3.3.16 El CESE celebra la organización del primer Día europeo de las enfermedades raras, el 29 de febrero de 2008, y apoya la iniciativa destinada a instaurar un Día mundial de las enfermedades raras. Esta iniciativa permitiría poner en marcha un movimiento internacional que contribuya considerablemente a mejorar la eficacia de investigaciones y tratamientos. Es absolutamente esencial, a juicio del CESE, garantizar una comunicación adecuada, promover el diálogo intercultural y, en particular, suprimir las barreras lingüísticas y subsanar las insuficientes condiciones técnicas, para que los interesados (los pacientes, sus allegados, los prestadores de servicios sanitarios, las organizaciones de la sociedad civil y los interlocutores sociales) puedan acceder a una información suficiente y correcta.

3.3.17 En varios dictámenes anteriores el Comité ha llamado la atención sobre el papel esencial de la sociedad civil y los interlocutores sociales en la preservación de los valores comunes y en su aplicación, con el fin de lograr un verdadero valor añadido. Por ello, considera importante que los agentes de la sociedad civil organizada y los interlocutores sociales puedan desempeñar un papel adecuado en la consecución de los objetivos de la Comunicación relativa a las enfermedades raras. Dado que la sociedad y los interlocutores sociales son los que producen los recursos necesarios en materia de salud, deberían poder desempeñar un papel estratégico en su reparto.

3.3.18 Con el fin de reducir desigualdades en materia de salud, el CESE recomienda que se examine la posibilidad de una utilización armoniosa de los recursos –a causa de los gastos extraordinarios–, dado que la recomendación contempla el acceso a la asistencia sanitaria para los pacientes afectados por toda clase de enfermedades graves. De un Estado miembro a otro los recursos disponibles son variables y existen disparidades muy importantes entre el número de las personas que deberían poder beneficiarse de un tratamiento y las que se benefician realmente de él.

3.3.19 El CESE apoya la organización de investigaciones coordinadas y el establecimiento y la designación de centros de referencia, ya que ello puede constituir una ocasión excepcional para la Unión Europea de contribuir a resolver los problemas del mundo en materia de salud. Esta posibilidad se inscribe en la línea del objetivo formulado en el Libro Blanco titulado «Juntos por la salud: un planteamiento estratégico para la UE (2008-2013)», es decir, que la UE desempeñe un papel internacional más eficaz.

3.3.20 La creación del Comité consultivo de la Unión Europea sobre enfermedades raras representa un importante paso adelante por la vía de la consecución de los objetivos. Además de los representantes de los Estados miembros, los expertos, las organizaciones representativas de los pacientes y los protagonistas industriales, el CESE recomienda que los representantes de la sociedad civil y los interlocutores sociales participen también de manera permanente en los trabajos del Comité consultivo. En efecto, sin su colaboración no será posible elaborar la estrategia nacional, que constituye una de las condiciones de la aplicación de la Recomendación.

Bruselas, 25 de febrero de 2009.

El Presidente
del Comité Económico y Social Europeo
Mario SEPI
