

FI

FI

FI



EUROOPAN YHTEISÖJEN KOMISSIO

Bryssel 11.11.2008
KOM(2008) 726 lopullinen

Ehdotus:

NEUVOSTON SUOSITUS

Euroopan toimista harvinaisten sairauksien alalla

{SEK(2008)2713}
{SEK(2008)2712}

Ehdotus:

NEUVOSTON SUOSITUS

Euroopan toimista harvinaisten sairauksien alalla

EUROOPAN UNIONIN NEUVOSTO, joka

ottaa huomioon Euroopan yhteisön perustamissopimuksen ja erityisesti sen 152 artiklan 4 kohdan toisen alakohdan,

ottaa huomioon komission ehdotuksen¹,

ottaa huomioon Euroopan parlamentin lausunnon²,

ottaa huomioon Euroopan talous- ja sosiaalikomitean lausunnon³,

ottaa huomioon alueiden komitean lausunnon⁴

sekä katsoo seuraavaa:

- (1) Harvinaiset sairaudet ovat hengenvaarallisia tai pysyvän invaliditeetin aiheuttavia sairauksia, joiden esiintyvyys on alhainen ja jotka ovat erittäin monisyisiä, ja aiheuttavat näin ollen uhkan Euroopan kansalaisten terveydelle.
- (2) Harvinaisia sairauksia, myös perinnöllisiä sairauksia, koskeva yhteisön toimintaohjelma hyväksyttiin 1 päivänä tammikuuta 1999 alkavaksi ja 31 päivänä joulukuuta 2003 päättyväksi kaudeksi.⁵ Harvinaiseksi sairaudeksi määriteltiin ohjelmassa sairaus, jota esiintyy enintään viisi tapausta 10 000:ta henkilöä kohden Euroopan unionissa.
- (3) Harvinaislääkkeistä 16 päivänä joulukuuta 1999 annetussa Euroopan parlamentin ja neuvoston asetuksessa (EY) N:o 141/2000 säädetään, että lääke määritellään harvinaislääkkeeksi, jos lääke on tarkoitettu sellaisen hengenvaarallisen sairaudentilan tai pysyvän invaliditeetin aiheuttavan sairaudentilan diagnosointiin, ehkäisyyn tai hoitoon, jota esiintyy enintään viidellä potilaalla kymmentä tuhatta henkilöä kohti yhteisössä hakemuksen jättämisaikana.

¹ EUVL C , , s. .

² EUVL C , , s. .

³ EUVL C , , s. .

⁴ EUVL C , , s. .

⁵ Euroopan parlamentin ja neuvoston päätös N:o 1295/1999/EY, tehty 29 päivänä huhtikuuta 1999, harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman hyväksymisestä osana kansanterveyden alalla toteutettavia toimia (1999–2003).

- (4) Harvinaisten sairauksien määräksi arvioidaan nykyään 5 000–8 000, ja niitä sairastaa 6–8 prosenttia väestöstä jossain elämänsä vaiheessa. Tällaiset sairaudet koskettavat toisin sanoin 27–36:ta miljoonaa ihmistä Euroopan unionissa. Heistä useimmat sairastavat harvemmin esiintyviä sairauksia, joita esiintyy enintään yhdellä ihmisellä 100 000:sta.
- (5) Alhaisen esiintyvyytensä ja erityisluonteensa vuoksi harvinaiset sairaudet edellyttävät yhteisiin erityistoimiin perustuvaa kokonaisvaltaista toimintamallia, jotta voitaisiin ehkäistä huomattavaa sairastuvuutta tai vältettävissä olevaa ennen aikaista kuolleisuutta ja parantaa sairastuneiden henkilöiden elämänlaatua ja sosioekonomisia mahdollisuuksia.
- (6) Harvinaiset sairaudet olivat yksi Euroopan yhteisön kuudennen tutkimuksen, teknologian kehittämisen ja esittelyn puiteohjelman (2002–2006) painopisteistä, ja ne ovat toiminnan painopisteenä edelleen uudessa seitsemännessä tutkimuksen, teknologian kehittämisen ja demonstroinnin puiteohjelmassa (2007–2013)⁶, sillä uuden diagnostiikan ja uusien hoitojen kehittäminen harvinaisille sairauksille ja näitä sairautentiloja koskevan epidemiologisen tutkimuksen tekeminen edellyttävät usean maan käsittävää toimintamallia, jotta kuhunkin tutkimukseen saadaan enemmän potilaita.
- (7) Komissio määritteli 23 päivänä lokakuuta 2007 antamassaan valkoisessa kirjassa ”Yhdessä terveyden hyväksi: EU:n strateginen toimintamalli vuosiksi 2008–2013”, joka koskee EU:n terveysstrategian⁷ kehittämistä, harvinaiset sairaudet toiminnan yhdeksi painopisteeksi.
- (8) Jotta voidaan parantaa harvinaisia sairauksia koskevien kansallisten, alueellisten ja paikallisten aloitteiden koordinoitua ja yhtenäisyyttä, kaikki harvinaisten sairauksien alalla toteutettavat kansalliset toimet olisi siirrettävä osaksi harvinaisia sairauksia koskevia kansallisia suunnitelmia.
- (9) Orphanet-tietokannan mukaan niistä tunnetuista 5 863:sta harvinaisesta sairaudesta, joiden osalta kliininen tunnistus on mahdollista, ainoastaan 250 harvinaisella sairaudella on koodi nykyisessä kansainvälisessä tautiluokituksessa (sen 10. versiossa). Kaikkien harvinaisten sairauksien asianmukainen luokittelu ja koodaus on tarpeen, jotta ne saisivat kansallisissa terveydenhuoltojärjestelmissä asianmukaista näkyvyyttä ja ne tunnistettaisiin.
- (10) Maailman terveysjärjestö, jäljempänä ’WHO’, käynnisti vuonna 2007 menettelyn kansainvälisen tautiluokituksen 10. version tarkistamiseksi, jotta luokituksen uusi 11. versio voitaisiin hyväksyä maailman terveyskokouksessa vuonna 2014. WHO nimitti harvinaisia tauteja käsittelevän Euroopan unionin työryhmän harvinaisia tauteja käsitteleväksi neuvoa-antavaksi ryhmäksi, jotta se antaisi panoksensa tähän tarkistustyöhön esittämällä harvinaisten sairauksien koodausta ja luokittelua koskevia ehdotuksia.
- (11) Jos kaikki jäsenvaltiot ottaisivat käyttöön yhteisen harvinaisten sairauksien määrittelyn, voitaisiin merkittävästi vahvistaa Euroopan unionin panosta tässä

⁶ Ks. <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2006:412:0001:0041:FI:PDF>.

⁷ Ks. http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_en.htm.

neuvoa-antavassa ryhmässä ja helpottaa yhteisön tason yhteistyötä harvinaisten sairauksien alalla.

- (12) Heinäkuussa 2004 perustettiin terveystalvuluja ja sairaanhoitoa käsittelevä korkean tason ryhmä⁸ kokoamaan yhteen asiantuntijoita kaikista jäsenvaltioista tavoitteena työstää EU-maiden kansallisten terveydenhuoltojärjestelmien yhteistyön käytännön näkökohtia. Yksi tämän korkean tason ryhmän työryhmistä keskittyy harvinaisia sairauksia käsitteleviin eurooppalaisiin osaamisverkostoihin.⁹ On kehitetty joitakin periaatteita esimerkiksi näiden verkostojen roolista harvinaisten sairauksien torjunnassa sekä kriteereitä, jotka kyseisten keskusten pitäisi täyttää. Eurooppalaisten osaamisverkostojen olisi lisäksi toimittava tutkimus- ja tietokeskuksina, jotka hoitavat toisista jäsenvaltioista tulevia potilaita ja varmistavat tarvittaessa myöhemmin tarvittavan hoidon saatavuuden.
- (13) Eurooppalaisista osaamisverkostoista syntyvä yhteisön lisäarvo on erityisen korkea harvinaisten sairauksien kohdalla näiden sairautentilojen harvinaisuuden vuoksi – harvinaisuus tarkoittaa sitä, että yksittäisessä maassa ei ole paljon potilaita eikä myöskään alan asiantuntemusta. Asiantuntemuksen kokoaminen Euroopan tasolla on näin ollen ensiarvoisen tärkeää, jotta voidaan varmistaa harvinaisia sairauksia sairastaville yhtäläinen mahdollisuus saada korkealuokkaista hoitoa.
- (14) Harvinaisia sairauksia käsittelevän Euroopan unionin työryhmän asiantuntijaryhmä antoi joulukuussa 2006 terveystalvuluja ja sairaanhoitoa käsittelevälle EY:n korkean tason ryhmälle raportin *Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases*¹⁰, joka käsitteli politiikan muotoilua ja eurooppalaista yhteistyötä terveystalvulujen ja sairaanhoidon osalta harvinaisten sairauksien alalla. Asiantuntijaryhmän raportissa todettiin muun muassa, että on tärkeää määrittää osaamiskeskukset valtakunnallisella ja alueellisella tasolla, ja esitettiin tehtävät, jotka näiden keskusten olisi täytettävä. Jotkin raportissa esitetyistä toimenpiteistä sisältyvät tähän suositukseen.
- (15) Kansallisten ja alueellisten osaamiskeskusten välinen yhteistyö ja tiedonvaihto osoittautui tehokkaimmaksi tavaksi käsitellä harvinaisia sairauksia Euroopassa.
- (16) Kansallisissa ja alueellisissa osaamiskeskuksissa olisi omaksuttava hoidon osalta monitieteinen toimintamalli, jossa yhdistettäisiin lääketieteelliset ja sosiaaliset näkökohdat, jotta voitaisiin paneutua harvinaisten sairauksien muodostamiin monimutkaisiin ja -muotoisiin sairautentiloihin.
- (17) Harvinaisten sairauksien tunnusomaiset piirteet – eli potilaiden vähäinen määrä ja tarvittavan tiedon ja asiantuntemuksen niukkuus – tekevät niistä ainutlaatuisen alan, jolla yhteisön tason toiminnan lisäarvo on erittäin suuri. Tämä lisäarvo voidaan saavuttaa erityisesti siten, että kootaan yhteen jäsenvaltioissa hajallaan oleva harvinaisia sairauksia koskeva kansallinen asiantuntemus.

⁸ Komissio antoi korkean tason pohdintaprosessin jatkotoimena tiedonannon potilaiden liikkuvuudesta ja terveydenhuollon kehityssuunnitelmista Euroopan unionissa – KOM(2004) 301, 20.4.2004 – ja perusti mekanismin tiedonannossa esitetyn työn viemiseksi eteenpäin.

⁹ Ks. http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm.

¹⁰ Ks. http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/contribution_policy.pdf.

- (18) On ensiarvoisen tärkeää varmistaa jäsenvaltioiden aktiivinen panos joidenkin harvinaisia sairauksia käsittelevässä komission tiedonannossa esitettyjen yhteisten välineiden laadintaan – tämä koskee erityisesti diagnostiikkaa ja sairaanhoitoa käsitteleviä eurooppalaisia viitelausekertoja sekä väestön seulontaa koskevia eurooppalaisia ohjeita. Tämän olisi koskettava myös harvinaislääkkeiden terapeutista lisäarvoa käsitteleviä arviointiraportteja, joilla saatetaan osaltaan nopeuttaa hintaneuvotteluja kansallisella tasolla ja saada harvinaislääkkeet näin nopeammin potilaiden ulottuville.
- (19) WHO on määritellyt potilaiden vaikutusvallan vahvistamisen terveyden edellytykseksi ja puhunut aktiivisen kumppanuuden ja potilaan itsehoitostrategian puolesta keinoina parantaa kroonisesti sairaiden terveydentilaa ja elämänlaatua.¹¹ Potilasjärjestöjen tehtävä on tässä mielessä olennaisen tärkeä, sillä ne antavat sairauden kanssa eläville suoraa tukea ja tekevät toisaalta yhdessä työtä koko harvinaisia sairauksia sairastavien yhteisön ja tulevien sukupolvien olosuhteiden parantamiseksi.
- (20) Potilaiden ja potilaiden edustajien olisi siksi oltava mukana kaikissa politiikan ja päätösten teon vaiheissa. Heidän toimintaansa olisi aktiivisesti edistettävä ja tuettava, myös taloudellisesti, kaikissa jäsenvaltioissa.
- (21) Tutkimus- ja terveydenhuoltoinfrastruktuurien kehittäminen harvinaisten sairauksien alalla edellyttää pitkäkestoisia hankkeita ja näin ollen asianmukaista rahoitusta niiden kestävyys turvaamiseksi pitkällä aikavälillä. Tällaisella toiminnalla maksimoitaisiin synergia yhteisön terveysohjelman (2008–2013) ja yhteisön seitsemännen tutkimuksen, teknologian kehittämisen ja demonstroinnin puiteohjelman (2007–2013) ja niitä seuraavien ohjelmien puitteissa kehitettyjen hankkeiden kanssa,

SUOSITTAA, ETTÄ JÄSENVALTIOT

1. vahvistavat harvinaisia sairauksia koskevat kansalliset suunnitelmat, jotta varmistetaan yleisesti kaikkien harvinaisia sairauksia sairastavien potilaiden mahdollisuus saada korkealuokkaista hoitoa – diagnostiikka, hoitomuodot ja harvinaislääkkeet mukaan luettuina – kyseisen jäsenvaltion alueella oikeudenmukaisuuden ja yhteisvastuullisuuden pohjalta kaikkialla EU:ssa ja erityisesti
 - (1) laativat ja hyväksyvät vuoden 2011 loppuun mennessä kattavan ja yhdenmukaisen strategian, jolla pyritään ohjaamaan ja organisoimaan kaikki harvinaisten sairauksien alaan kuuluvat merkitykselliset toimet harvinaisia sairauksia koskeviksi kansalliseksi suunnitelmaksi;
 - (2) toteuttavat toimia sen varmistamiseksi, että kaikki nykyiset ja tulevat aloitteet alueellisella ja valtakunnallisella tasolla nivotaan osaksi niiden kansallista suunnitelmaa;
 - (3) määrittävät harvinaisia sairauksia koskevassa kansallisessa suunnitelmassaan rajallisen määrän ensisijaisia toimia, joille asetetaan konkreettiset tavoitteet, selkeät määräajat ja hallintorakenteet ja joista on esitettävä säännölliset raportit;

¹¹ Ks. <http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf>.

- (4) tukevat ohjeiden ja suositusten kehittämistä, jotta asianomaiset viranomaiset kehittäisivät kansallisella tasolla harvinaisia sairauksia koskevaa kansallista toimintaa käynnissä olevan – kansanterveysalan ohjelman puitteissa ajanjaksoksi 2007–2010 rahoitettavaksi valitun – harvinaisia sairauksia koskevien kansallisten suunnitelmien kehittämistä käsittelevän eurooppalaisen hankkeen (Europlan) puitteissa;
- (5) sisällyttävät kansalliseen suunnitelmaansa järjestelyjä, joilla on tarkoitus varmistaa kaikkien harvinaisia sairauksia sairastavien yhtäläiset mahdollisuudet saada korkealuokkaista hoitoa – diagnostiikka, hoitomuodot ja harvinaislääkkeet mukaan luettuina – kyseisen jäsenvaltion alueella, jotta varmistetaan kaikkialla Euroopan unionissa yhtäläinen laadukkaan hoidon saanti oikeudenmukaisuuden ja yhteisvastuullisuuden pohjalta.

2. Harvinaisten sairauksien asianmukainen määrittely, koodaus ja luettelointi

- (1) ottavat käyttöön Euroopan unionin yhteisen määritelmän harvinaisille sairauksille eli katsovat harvinaisiksi sairaudet, joita sairastaa enintään 5 ihmistä 10 000:ta ihmistä kohden;
- (2) varmistavat, että harvinaiset sairaudet on asianmukaisesti koodattu ja että ne ovat jäljitettävissä kaikissa terveystietojärjestelmissä, millä edistetään sairauden asianmukaista tunnistamista kansallisessa terveydenhuoltojärjestelmässä ja korvausjärjestelmissä;
- (3) edistävät aktiivisesti tiedonannossa mainitun harvinaisia sairauksia koskevan Euroopan unionin dynaamisen luettelon laatimista;
- (4) tukevat valtakunnallisesti tai alueellisesti sairauskohtaisia tietoverkkoja, rekistereitä ja tietokantoja.

3. Harvinaisia sairauksia koskeva tutkimus

- (1) kartoittavat käynnissä olevia tutkimushankkeita ja nykyisiä tutkimuksen resursseja, jotta voidaan selvittää tutkimuksen tämänhetkinen tilanne harvinaisten sairauksien alalla;
- (2) kartoittavat perus-, kliinisen ja translaatiotutkimuksen tarpeita ja painopisteitä harvinaisten sairauksien alalla sekä sosiaalisen tutkimuksen painopisteitä;
- (3) edistävät kansallisten tutkijoiden ja laboratorioiden osallistumista yhteisön tasolla rahoitettuihin harvinaisia sairauksia käsitteleviin tutkimushankkeisiin;
- (4) sisällyttävät harvinaisia sairauksia koskevaan kansalliseen suunnitelmaansa järjestelyjä, joilla pyritään edistämään tutkimusta harvinaisten sairauksien alalla (kansanterveys- ja sosiaalinen tutkimus mukaan luettuina) erityisesti, jotta voidaan kehittää sellaisia välineitä kuin monialaisia infrastruktuureja ja sairauskohtaisia hankkeita.

4. Harvinaisten sairauksien osaamiskeskukset ja eurooppalaiset osaamisverkostot

- (1) määrittävät vuoden 2011 loppuun mennessä kansalliset tai alueelliset osaamiskeskukset alueellaan ja edistävät osaamiskeskusten perustamista sinne, missä niitä ei ole, sisällyttämällä harvinaisia sairauksia koskevaan kansalliseen suunnitelmaansa järjestelyjä kansallisten tai alueellisten osaamiskeskusten perustamiseksi;
- (2) edistävät kansallisten tai alueellisten osaamiskeskusten osallistumista eurooppalaisiin osaamisverkostoihin ja järjestävät riittävästi pitkäaikaista julkista rahoitusta, jotta varmistetaan niiden olevan kestävällä pohjalla ja näin ollen hoidon jatkuvuus potilaiden kannalta;
- (3) järjestävät potilaille terveydenhoidon väyliä käynnistämällä yhteistyötä kaikkien tarvittavien, omassa maassa tai mahdollisesti ulkomailla toimivien asiantuntijoiden kanssa; rajatylittävää terveydenhuoltoa – myös potilaiden, terveydenhuoltoalan ammattilaisten sekä palvelujen tarjoajien ja tarjonnan liikkuvuutta – olisi tarvittaessa edistettävä tieto- ja viestintätekniikan avulla, jotta kaikki ihmiset saavat tarvitsemaansa erikoishoitoa;
- (4) varmistavat, että kansalliset tai alueelliset osaamiskeskukset ottavat hoidossa käyttöön monitieteisen lähestymistavan käsitellessään harvinaisten sairauksien kaltaisia monimutkaisia ja -muotoisia sairautentiloja; kannustavat keskuksia integroimaan yhteen lääketieteelliset ja sosiaaliset näkökohdat;
- (5) varmistavat, että kansalliset tai alueelliset osaamiskeskukset noudattavat harvinaisia sairauksia käsittelevien eurooppalaisten osaamisverkostojen määrittelemiä normeja ottaen asianmukaisesti huomioon potilaiden ja alan ammattilaisten tarpeet ja odotukset.

5. Harvinaisia sairauksia koskevan asiantuntemuksen kokoaminen Euroopan tasolla

- (1) varmistavat, että on olemassa mekanismit harvinaisia sairauksia koskevan kansallisen asiantuntemuksen keräämiseksi ja sen kokoamiseksi yhteen muiden Euroopan maiden asiantuntemuksen kanssa, jotta tuetaan seuraavien kehittämistä:
 - (a) yhteiset tutkimussuunnitelmat ja suositukset, kuten diagnoosivälineitä, sairaanhoitoa, koulutusta ja sosiaalipalveluja käsittelevät eurooppalaiset viiteläusunnnot;
 - (b) väestön seulontaa ja diagnostisia testejä koskevat eurooppalaiset ohjeet;
 - (c) harvinaislääkkeiden terapeuttisesta lisäarvosta jäsenvaltioissa laadittujen arviointiraporttien jakaminen EU-tasolla, jotta minimoidaan viivästyksset potilaiden harvinaiseen sairauteensa tarvitsemien harvinaislääkkeiden saannissa.

6. Potilasjärjestöjen vaikutusvallan vahvistaminen

- (1) toteuttavat toimia sen varmistamiseksi, että potilaita ja potilaiden edustajia kuullaan asianmukaisesti kaikissa politiikan ja päätösten teon vaiheissa harvinaisten sairauksien alalla – myös silloin, kun on kyse osaamiskeskusten

ja eurooppalaisten osaamisverkostojen perustamisesta ja johtamisesta ja kansallisten suunnitelmien laatimisesta;

- (2) tukevat potilasjärjestöjen toimia, esimerkkeinä tietoisuuden lisääminen, valmiuksien parantaminen ja koulutus, tietojen ja parhaiden toimintatapojen vaihto, verkostoituminen sekä pahasti eristyneiden potilaiden tavoittaminen;
- (3) sisällyttävät harvinaisia sairauksia koskevaan kansalliseen suunnitelmaansa potilasjärjestöjen tukemista ja kuulemista koskevia järjestelyjä, kuten 1 ja 2 kohdassa tarkoitetaan.

7. Kestävä perusta

- (1) varmistavat asianmukaisten rahoitusmekanismien kautta, että tutkimusinfrastruktuurit – kuten biopankit, tietokannat ja rekisterit – ja terveydenhuollon infrastruktuurit, kuten osaamiskeskukset, ja harvinaisia sairauksia koskevat eurooppalaiset verkostot ovat pitkällä aikavälillä kestäväällä pohjalla;
- (2) pyrkivät yhteistyössä muiden jäsenvaltioiden kanssa huolehtimaan siitä, että kaikille jäsenvaltioille sekä mahdollisimman monille harvinaisille sairauksille yhteiset Euroopan laajuiset tutkimusinfrastruktuurit ovat kestäväällä pohjalla;
- (3) sisällyttävät harvinaisia sairauksia koskevaan kansalliseen suunnitelmaansa kohdan, jossa käsitellään tarvetta huolehtia harvinaisia sairauksia koskevien toimien rahoituksen kestävydestä.

KEHOTTA A KOMISSIOTA

1. laatimaan tästä suosituksesta neuvostolle, Euroopan parlamentille, Euroopan talous- ja sosiaalikomitealle sekä alueiden komitealle osoitetun täytäntöönpanoraportin jäsenvaltioiden toimittamien tietojen pohjalta viimeistään viidennen tämän suosituksen antamispäivää seuranneen vuoden lopussa sen selvittämiseksi, missä määrin ehdotetut toimenpiteet toimivat tehokkaasti, ja lisätoimien tarkastelemiseksi;
2. tiedottamaan neuvostolle säännöllisesti harvinaisia sairauksia käsittelevän komission tiedonannon seurannasta.

Tehty Brysselissä

*Neuvoston puolesta
Puheenjohtaja*