

HU

HU

HU



AZ EURÓPAI KÖZÖSSÉGEK BIZOTTSÁGA

Brüsszel, 11.11.2008
COM(2008) 726 végleges

Javaslat:

TANÁCSI AJÁNLÁS

a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről

{SEC(2008)2713}

{SEC(2008)2712}

Javaslat:

TANÁCSI AJÁNLÁS

a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről

AZ EURÓPAI UNIÓ TANÁCSA,

tekintettel az Európai Közösséget létrehozó szerződésre, és különösen annak 152. cikke (4) bekezdésének második albekezdésére,

tekintettel a Bizottság javaslatára¹,

tekintettel az Európai Parlament véleményére²,

tekintettel az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményére³,

tekintettel a Régiók Bizottságának véleményére⁴,

mivel:

- (1) A ritka betegségek veszélyt jelentenek az európai polgárok egészségére, mivel esetükben olyan életveszélyes vagy maradandó károsodással járó betegségekről van szó, amelyek kis prevalenciával bírnak és nagyon összetettek.
- (2) Az 1999. január 1-jétől 2003. december 31-ig tartó időszakra elfogadtak egy közösségi cselekvési programot⁵ a ritka betegségekkel, ezen belül a genetikai betegségekkel kapcsolatban. A programban szereplő meghatározás szerint a ritka betegségek prevalenciája az Európai Unióban 10 000 embert tekintve legfeljebb öt.
- (3) A ritka betegségek gyógyszereiről szóló, 1999. december 16-i 141/2000/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet értelmében egy gyógyszer akkor tekintendő ritka betegség gyógyszerének, ha olyan életveszélyes, vagy súlyosan egészségkárosító betegség diagnosztizálására, megelőzésére vagy kezelésére szolgál, amely tízezerből legfeljebb öt embert érint a Közösségben a kérelem benyújtásakor.
- (4) Becslések szerint jelenleg 5000 és 8000 között mozog a különböző ritka betegségek száma, melyek az EU teljes lakosságának akár 6-8%-ánál is jelentkezhetnek életük során valamikor. Ez azt jelenti, hogy az Európai Unióban 27-36 millióra tehető az érintettek száma. Többségük egy viszonylag kis gyakorisággal előforduló (100 000 emberből legfeljebb 1-nél előforduló) betegségben szenved.
- (5) Az alacsony prevalencia és a betegségek speciális jellege miatt a ritka betegségek tekintetében átfogó megközelítésre van szükség; ennek olyan egyedi és egyesített erőfeszítésen kell alapulnia, amely lehetővé teszi a magas morbiditási ráta, illetve az

¹ HL C [...], [...], [...]. o.

² HL C [...], [...], [...]. o.

³ HL C [...], [...], [...]. o.

⁴ HL C [...], [...], [...]. o.

⁵ Az Európai Parlament és a Tanács 1295/1999/EK határozata (1999. április 29.) a ritka betegségekre irányuló közösségi cselekvési programnak a közegészségügyi fellépés (1999-2003) keretében történő elfogadásáról.

elkerülhető, idő előtti elhalálozás megelőzését, és javítja az érintett személyek életminőségét és társadalmi-gazdasági lehetőségeit.

- (6) A ritka betegségek a kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs tevékenységekre vonatkozó hatodik közösségi keretprogram (2002-2006) egyik kiemelt fontosságú területe volt, majd ezt követően a kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs tevékenységekre vonatkozó hetedik keretprogramnak (2007–2013)⁶ is, mivel a ritka betegségek diagnosztikája és kezelése terén megvalósítandó további fejlődés, valamint az ilyen rendellenességekkel kapcsolatos epidemiológiai kutatás előmozdítása érdekében több országra kiterjedő megközelítésre van szükség, hogy növekedjen az egyes tanulmányokba bevont betegek száma.
- (7) A Bizottságnak az EU egészségügyi stratégia fejlesztésére irányuló, "Együtt az egészségért: Stratégiai megközelítés az EU számára, 2008–2013"⁷címen, 2007. október 23-án kiadott fehér könyve⁷ cselekvési prioritásként határozta meg a ritka betegségeket.
- (8) A ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti, regionális és helyi kezdeményezések jobb koordinációja és fokozott egységessége érdekében a ritka betegségek területére vonatkozó nemzeti fellépéseket egy, a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervben kell összefogni.
- (9) Az Orphanet adatbázis tanúsága szerint az 5863 jelenleg ismert és klinikailag azonosítható ritka betegség közül csak 250 ritka betegségnek van kódja a betegségek nemzetközi osztályozásának (BNO-10) jelenleg érvényben levő, tizedik változata szerint. Valamennyi ritka betegséget megfelelően kell osztályozni és kódolni, hogy a nemzeti egészségügyi rendszerek is ismerjék és betegségként elismerjék őket.
- (10) Az Egészségügyi Világszervezet (a továbbiakban: WHO) 2007-ben kezdte el a betegségek nemzetközi osztályozása 10. változatának felülvizsgálatát, melynek célja, hogy az Egészségügyi Világszervezet 2014. évi közgyűlésén elfogadásra kerülhessen az osztályozás 11. változata. A WHO a ritka betegségekkel foglalkozó európai uniós munkacsoportot nevezte ki a ritka betegségek tárgykörében működő tanácsadó csoportnak, melynek feladata, hogy a ritka betegségek kódolására és osztályozására vonatkozó javaslatok megtételével járuljon hozzá a felülvizsgálati folyamathoz.
- (11) A ritka betegségek valamennyi tagállamban egységes meghatározásának bevezetése jelentős mértékben fokozná az Európai Unió hozzájárulását a tanácsadó csoport munkájához, és megkönnyítené a ritka betegségek területén megvalósuló közösségi szintű együttműködést.
- (12) 2004. júliusában létrejött egy, az egészségügyi szolgáltatásokkal és gyógyellátással foglalkozó magas szintű csoport⁸, melyben valamennyi tagállam szakértői részt vesznek, hogy kidolgozzák az Európai Unióban alkalmazott nemzeti egészségügyi rendszerek közötti együttműködés gyakorlati szempontjait. A magas szintű csoport egyik munkacsoportja a ritka betegségek európai referenciahálózatával foglalkozik⁹. Meghatároztak bizonyos alapelveket, többek között az is, hogy milyen szerepet töltsön be

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

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

⁸ A magas szintű kiértékelési folyamatra adott válaszul a Bizottság közleményt adott ki az Európai Unión belüli betegmobilitással és egészségügyi fejlesztésekkel kapcsolatban (COM(2004) 301, 2004.4.20.) és kialakított egy mechanizmust a közleményben meghatározott munka előmozdítására.

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

a munkacsoport a ritka betegségek kezelésében, valamint megállapítottak néhány olyan szempontot, melyeknek e központoknak meg kell felelniük. Az európai referenciahálózat kutató-, illetve tudásközpontként is szolgál majd, kezeli a más tagállamokból érkező betegeket és szükség esetén biztosítja, hogy a további kezelésre alkalmas intézmények rendelkezésre álljanak.

- (13) Az európai referenciahálózatok képviselte közösségi többletérték a ritka betegségek esetében kiemelt jelentőségű a betegségek ritka előfordulása miatt, ami egyrészt az egy tagállamban előforduló korlátozott számú beteget, másrészt korlátozott szakismeretet is jelenti. Az európai szintű szakismeret összegyűjtése ezért kiemelkedően fontos a ritka betegségben szenvedő betegeknek nyújtott magas színvonalú ellátás biztosításában.
- (14) 2006 decemberében az Európai Unió ritka betegségekkel foglalkozó munkacsoportjának egyik szakértői csoportja „Hozzájárulás a politikaformáláshoz: Európai együttműködésért az egészségügyi szolgáltatásokban és a gyógyellátásban a ritka betegségek területén”¹⁰ címmel jelentést nyújtott be az Európai Unió egészségügyi szolgáltatásokkal és gyógyellátással foglalkozó magas szintű csoportjának. A szakértői csoport jelentése kiemeli többek között a nemzeti és regionális szintű szakértői központok kijelölésének, valamint a központok által betöltendő szerep meghatározásának jelentőségét. A jelentésben szorgalmazott intézkedések közül néhány bekerült az ajánlásba.
- (15) A nemzeti és regionális szakértői központok közötti együttműködés és ismeretmegosztás bizonyult Európában a ritka betegségek leküzdésében a leghatékonyabb megközelítésnek.
- (16) A nemzeti és regionális szintű szakértői központoknak az ellátás terén multidiszciplináris megközelítést kell követniük, amely integrálja az egészségügyi és a társadalmi szempontokat a ritka betegségek által kiváltott összetett és sokoldalú zavarok megfelelő kezelése érdekében.
- (17) A ritka betegségek speciális jellege – korlátozott számú beteg, hiányos szakismeretet és szakértelem – olyan egyedi területté teszi őket, ahol az uniós szintű intézkedések igen jelentős többletértéket jelentenek. Ezt az értéktöbbletet elsősorban a ritka betegségekkel kapcsolatban az egyes tagállamokban felhalmozott nemzeti szaktudás összegyűjtésével lehet elérni.
- (18) Ezért rendkívül fontos annak biztosítása, hogy a tagállamok aktívan hozzájáruljanak a ritka betegségekről szóló bizottsági közleményben előírt egyes közös eszközök kidolgozásához, különösen a diagnosztikára és az orvosi ellátásra vonatkozó európai referenciavélemények és a lakossági szűrésre vonatkozó európai iránymutatások megalkotásához. Ez vonatkozik a ritka betegségek gyógyszereinek terápiás többletértékéről készült értékelési jelentésre is, amely hozzájárulhat a nemzeti szintű ártárgyalások felgyorsításához, minek következtében a betegek rövidebb késedelmi időt követően tudnának hozzájutni a ritka betegségek gyógyszereihez.
- (19) A WHO a betegek felelős döntési helyzetbe hozását az egészség előfeltételeként határozta meg, és a krónikus betegek egészségi állapotának és életminőségének javítására proaktív partnerségi, illetve öngyógyító stratégiák meghozatalát ösztönözte¹¹. Ennek értelmében a betegcsoportok szerepe döntő jelentőségű mind a

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

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

betegséggel élő egyes személyek közvetlen támogatásában, mind pedig azon kollektív munkát illetően, amelyet általában a ritka betegségekkel élők, vagy az ezen betegségekben szenvedő jövőbeli generációk feltételeinek javítása érdekében végeznek.

- (20) A betegeket és a betegképviselőket ezért a stratégiai és döntéshozatali eljárások minden szintjén be kell vonni. Tevékenységüket valamennyi tagállamban aktív hozzájárulással kell elősegíteni és támogatni, többek között pénzügyi eszközökkel is.
- (21) A kutatás és az egészségügyi infrastruktúra fejlesztésére a ritka betegségek területén hosszú távú projekteket kell létrehozni, ezért olyan megfelelő pénzügyi forrásokra van szükség, melyek hosszú távon biztosítják a projektek fenntarthatóságát. Ez a hozzájárulás jelentős mértékben növelné a közösségi egészségügyi program (2008–2013), a kutatási, technológiafejlesztési és demonstrációs tevékenységekre vonatkozó hetedik közösségi keretprogram (2007–2013), valamint az ezen programokat követő programok keretében megvalósított projektek között fellépő kölcsönös pozitív hatásokat.

A KÖVETKEZŐKET JAVASOLJA A TAGÁLLAMOKNAK:

1. Hozzanak létre a ritka betegségek területén nemzeti tervet annak biztosítására, hogy a ritka betegségekben szenvedő betegek az Európai Unióban biztosított egyenlő elbánás és szolidaritás alapján a nemzeti határaikon belül mindenütt, kivétel nélkül hozzáférjenek a magas színvonalú ellátáshoz, többek között a diagnosztikához, a kezelésekhöz és a ritka betegségek gyógyszereihez, ami különösképpen a következőket foglalja magában:
 - (1) átfogó és integrált stratégia kidolgozása és elfogadása 2011 végére, melynek célja, hogy a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek formájában irányt adjon a ritka betegségek területére vonatkozó intézkedéseknek és szerkezetileg összefogja azokat;
 - (2) olyan intézkedések meghozatala, melyek biztosítják, hogy valamennyi jelenlegi és jövőbeli regionális és nemzeti szintű kezdeményezés szerves része legyen a nemzeti terveknek;
 - (3) bizonyos, korlátozott számú kiemelt tevékenység meghatározása a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti terv keretében, konkrét célkitűzésekkel, egyértelműen lefektetett határidőkkel, irányítási struktúrával és rendszeres jelentéstétellel;
 - (4) annak támogatása, hogy az illetékes nemzeti hatóságok újabb iránymutatásokat és ajánlásokat dolgozzanak ki a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti fellépésekre nemzeti szinten a jelenleg folyamatban lévő EUROPLAN-projektek keretében (a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek kifejlesztésének európai projektje), amelyet a 2007–2010-es időszakban a közegészségügyi program általi támogatásra kiválasztottak;
 - (5) olyan rendelkezések beemelése a nemzeti tervekbe, melyek biztosítják, hogy a ritka betegségekben szenvedő betegek az Európai Unióban biztosított egyenlő elbánás és szolidaritás alapján a nemzeti határukon belül mindenütt, kivétel nélkül hozzáférjenek a magas színvonalú ellátáshoz, többek között a diagnosztikához, a kezelésekhöz és a ritka betegségek gyógyszereihez.
2. A ritka betegségek megfelelő definíciójának, kódolásának és jegyzékének bevezetése terén:

- (1) olyan közös európai uniós meghatározás bevezetése a ritka betegségekre, amely értelmében ezen betegségek 10 000 embert tekintve legfeljebb 5-nél fordulnak elő;
- (2) a ritka betegségek megfelelő kódolásának és az egészségügyi információs rendszerben történő nyomon követhetőségének biztosítása, hozzájárulva ezáltal ahhoz, hogy megfelelőképpen azonosítsák a betegséget a nemzeti egészségügyi ellátási és visszatérítési rendszerekben;
- (3) aktív hozzájárulás az Európai Unió ritka betegségekre vonatkozó dinamikus jegyzékének létrehozásához, a közleményben említettek szerint;
- (4) a betegséggel kapcsolatos nemzeti és regionális szintű speciális információs hálózatok, jegyzékek és adatbázisok támogatása.

3. A ritka betegségek kutatása terén:

- (1) a folyamatban lévő kutatási projektek és a meglévő tudományos források feltérképezése a ritka betegséggel kapcsolatos kutatások jelenlegi állásának felmérése érdekében;
- (2) a ritka betegségek terén felmerülő igények, prioritási területek, klinikai és transzlációs kutatások, valamint a társadalomtudományi kutatás számára kiemelt területek meghatározása;
- (3) a tagállamokban működő kutatók és laboratóriumok egyre fokozottabb bevonása a ritka betegségekkel kapcsolatos, közösségi szinten finanszírozott kutatási projektekbe;
- (4) olyan rendelkezések felvétele a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervbe, melyek a kutatás erősítését célozzák, többek között a közegészségügyi, illetve a társadalomtudományi kutatást, a ritka betegségek kutatását, különös tekintettel olyan eszközök kifejlesztésére, mint a transzverzális infrastruktúrák, valamint az egyes betegségekre vonatkozó specifikus projektek.

4. A ritka betegségekkel foglalkozó szakértői központok és európai referenciahálózatok terén:

- (1) nemzeti és regionális szintű szakértői központok kijelölése 2011 végéig a tagállamok teljes területén, illetve amennyiben még nem léteznének, úgy ezen szakértői központok létrehozásának támogatása elsősorban azáltal, hogy a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek rendelkeznek a nemzeti és regionális szakértői központok létrehozásáról;
- (2) a nemzeti és regionális szakértői központok európai referenciahálózatokban való részvételének megerősítése, megfelelő, hosszú távú finanszírozásuk biztosítása mellett, ez által biztosítva fenntarthatóságukat és ezzel együtt a folyamatos betegellátást;
- (3) különböző egészségügyi ellátási módok meghatározása a betegek számára a megfelelő nemzeti, szükség esetén pedig külföldi szakértők közötti együttműködés megteremtésével; a határokon átnyúló egészségügyi ellátás, többek között a betegek, az egészségügyi szakemberek és szolgáltatók mobilitásának támogatása, valamint az információs és kommunikációs technológiákon keresztül megvalósított szolgáltatások biztosításának

elősegítése, amennyiben arra a speciális egészségügyi ellátáshoz való általános hozzáférés érdekében szükség van;

- (4) annak biztosítása, hogy a nemzeti és regionális szakértői központok az ellátás terén multidiszciplináris megközelítést követnek, amikor olyan összetett és sokoldalú zavarokat kezelnek, mint a ritka betegségek; továbbá az orvosi és társadalmi szintek a központokon belüli integrációjának elősegítése;
 - (5) annak biztosítása, hogy a nemzeti, illetve regionális szakértői központok betartják az európai referenciahálózatok által a ritka betegségekkel kapcsolatban meghatározott szabványokat, a betegek és a szakemberek szükségleteinek és elvárásainak figyelembe vétele mellett.
5. A ritka betegségekkel kapcsolatos szakértelem európai szinten megvalósuló összegyűjtése terén:
- (1) a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti szaktudás összegyűjtésére és az európai partnerekkel való megosztására alkalmas mechanizmusok biztosítása a következők tekintetében megvalósuló fejlődés érdekében:
 - (a) közös jegyzőkönyvek és ajánlások, mint például a diagnosztikai eszközökkel, az egészségügyi ellátással, képzéssel és a szociális ellátással kapcsolatos európai referenciavélemények;
 - (b) a lakossági szűrésre vonatkozó európai iránymutatások és diagnosztikai tesztek;
 - (c) a ritka betegségek gyógyszereinek terápiás többletértékére vonatkozó tagállami értékelési jelentések uniós szintű megosztása annak érdekében, hogy a betegek minimális késedelmi időt követően tudjanak hozzájutni a ritka betegségek gyógyszereihez;
6. A betegképviseleti szervek döntési helyzetbe hozása terén:
- (1) intézkedések meghozatala annak biztosítására, hogy a betegeket és a betegképviselőket a ritka betegségekkel kapcsolatos stratégiai és döntéshozatali eljárás minden szintjén bevonják a folyamatba, a szakértői központok és az európai referenciahálózatok felállítása és irányítása és a nemzeti tervek kidolgozása terén is.
 - (2) a betegszervezetek által ellátott tevékenységek támogatása: többek között az ismeretek tudatosítása, a kapacitásépítés és a képzés, az információcsere és a helyes gyakorlatok megosztása, a hálózatok valamint az elszigetelt helyzetben lévő betegek támogatása terén;
 - (3) a betegszervezetek támogatására és a velük való konzultációra vonatkozó rendelkezések felvétele a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti tervekbe, az (1) és (2) bekezdésben foglaltaknak megfelelően.
7. A fenntarthatóság terén:
- (1) megfelelő támogatási mechanizmusok biztosítása a kutatási infrastruktúra (mint például biobankok, adatbázisok és jegyzékek), valamint az egészségügyi infrastruktúra (például szakértői központok, valamint a ritka betegségekkel kapcsolatos európai referenciahálózatok) hosszú távú fenntarthatósága érdekében;

- (2) a többi tagállammal való együttműködés a valamennyi tagállam számára elérhető és a lehető legtöbb ritka betegségre kiterjedő európai kutatói infrastruktúra fenntarthatóságának biztosítása érdekében;
- (3) olyan rendelkezések felvétele a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervbe, melyek kiemelik a ritka betegségek területén megvalósuló tevékenységek finanszírozásának fenntarthatóságával kapcsolatban a kérdés áttekintésének szükségességét.

FELKÉRI A BIZOTTSÁGOT A KÖVETKEZŐKRE:

1. a tagállamoktól érkező információk alapján legkésőbb az ezen ajánlás elfogadását követő ötödik évéig terjesszen egy végrehajtási jelentést a Tanács, az Európai Parlament, az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság, valamint a Régiók Bizottsága elé annak megállapítására, hogy milyen mértékű hatékonysággal működnek a javasolt intézkedések, illetve szükség van-e további intézkedések meghozatalára;
2. rendszeresen tájékoztassa a Tanácsot a bizottsági közleményt nyomon követő intézkedésekről.

Kelt Brüsszelben,

*a Tanács részéről
az elnök*