

Az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleménye Tárgy: Javaslat tanácsi ajánlásra a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről

COM(2008) 726 végleges – 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

2008. november 28-án az Európai Unió Tanácsa úgy határozott, hogy az Európai Közösséget létrehozó szerződés 262. cikke alapján kikéri az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményét a következő tárgyban:

„Javaslat tanácsi ajánlásra a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről”

A bizottsági munka előkészítésével megbízott „Foglalkoztatás- és szociálpolitika, uniós polgárság” szekció 2009. február 4-én elfogadta véleményét. (Előadó: CSER Ágnes.)

Az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság 2009. február 25.–26-án tartott, 451. plenáris ülésén (a 2009. február 25-i ülésnapon) 162 szavazattal 4 ellenében, 8 tartózkodás mellett elfogadta az alábbi véleményt.

1. Következtetések és ajánlások

1.1 Az EGSZB üdvözli a Tanácsi ajánlástervezetet, és egyetért a ritka betegségek területén összehangolt európai fellépéssel, amely azonosítja, meghatározza és osztályozza a ritka betegségeket.

1.2 Az EGSZB támogatja a ritka betegségekkel foglalkozó nemzeti és regionális szintű szakértői központok kijelölését és e szakértői központok európai referenciahálózatokban való részvételének ösztönzését, elősegítését.

1.3 Az EGSZB egyetért a ritka betegségek területén folyó összehangolt kutatások támogatásával és ösztönzésével, a rendelkezésre álló szűkös pénzügyi erőforrások optimális kihasználását célzó, ún. koordinációs projektek előmozdításával, illetve a nemzetközi együttműködés fokozásával.

1.4 Az EGSZB javasolja, hogy az európai szinten megvalósuló szakértelem összegyűjtése terén a szellemi alkotások jogát is kellő módon vegyék figyelembe, és ezzel kapcsolatban kellő garanciákat nyújtsanak.

1.5 Az EGSZB támogatja, hogy nemzeti tervek készüljenek, azonban a 2011. évet túl korainak tartja ahhoz, hogy ezek kellő alapossággal készüljenek el.

1.6 Az EGSZB támogatja, hogy nemzeti és regionális szintű központokat szándékoznak 2011-re kijelölni, ez azonban a nemzeti tervek megfelelő elkészítésétől függ.

1.7 Az EGSZB javasolja az európai koordináció- és információáramlás, valamint a közös és egységes terminus technikusok kialakítását; kerüljön kialakításra az ágazati sajátosságokat tartalmazó szakmai kultúrák közti párbeszéd kézikönyve.

1.8 Az EGSZB javasolja a referenciahálózat és a „mobil szolgáltatás” működtetése érdekében speciális kommunikáció és jelzőrendszer kialakítását, hogy minden érintett hozzájusson a megfelelő információhoz.

1.9 Az EGSZB támogatja, hogy társadalomtudományi kutatások is kapjanak szerepet a ritka betegségek terén felmerülő igényekkel kapcsolatban.

1.10 Az EGSZB javasolja, hogy valamennyi tagállam hozza létre a saját Ritka Betegségek Központját, mely központok koordináló szerepet tölthetnének be a tagállami kutató és gyógyító intézmények, egészségügyi szolgálatok és a kormányzat között.

1.11 Az EGSZB javasolja, hogy a tagállami Ritka Betegségek Központjai foglalkozzanak adatgyűjtési, akkreditációs és módszertani feladatokkal és koordinációval.

1.12 Az EGSZB javasolja, hogy a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti stratégiák váljanak a nemzeti népegészségügyi és nemzeti egészségfejlesztési programok részévé.

1.13 Az EGSZB javasolja, hogy a projektfinanszírozások helyett a betegjogok érvényesülése és a hatékony, gazdaságosabb forrásfelhasználás érdekében hosszú távú finanszírozás kerüljön kialakításra.

1.14 Az EGSZB javasolja a betegszervezetek, a szakmai és civil szervezetek és a szociális partnerek bevonásával megvizsgálni, elemezni és értékelni a más tagállamban levő referenciaközpontok használhatóságát a betegek érdekeinek és jogainak figyelembevételével.

1.15 Az EGSZB javasolja az egészségügyi szakemberek mobilitásának további elemzését a betegszervezetek, a szakmai és civil szervezetek és a szociális partnerek bevonásával a kellő garanciák megteremtése érdekében.

1.16 Az EGSZB javasolja az egészségügyi egyenlőtlenségek csökkentése érdekében az arányos forrásfelhasználás megteremtésének vizsgálatát, ugyanis a javaslat valamennyi ritka betegségben szenvedő ellátását tűzi ki célul.

1.17 Az EGSZB támogatja az EU ritka betegségekkel foglalkozó tanácsadó bizottságának létrehozását (EUACRD), és javasolja, hogy a tagállami képviselőknél, az iparon, a betegképviselői szervezeteken és a szakértőknél túl a szociális partnerek és egyéb civil szervezetek is kerüljenek bevonásra, ugyanis nélkülük nem alakítható ki az a nemzeti stratégia, amely a javaslat megvalósulásának egyik feltétele.

1.18 Az EGSZB javasolja, hogy az Európai Ritka Betegségek Napja mozgalom az EU egészségügyi nemzetközi politikája által nyerjen támogatást ritka betegségek világnapja létrehozásában.

1.19 Az EGSZB egyetért az ajánlás elfogadását követő 5. évben végrehajtási jelentés elkészítésével, azonban a végrehajtás során biztosítani kell a betegjogokra figyelemmel a szükséges korrekciót, és a folyamatos értékelésben részt kíván venni.

2. Általános megjegyzések

2.1 Előzmények:

2.1.1 A ritka betegségekre – ezen belül a genetikai betegségekre – elfogadásra került egy 1999. január 1-től 2003. december 31-ig tartó közösségi cselekvési program (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), mely szerint a ritka betegségek előfordulási gyakorisága az Európai Unióban 10 000 főt tekintve legfeljebb 5. Ugyanezen meghatározás szerint került elfogadásra a ritka betegségek gyógyszereiről szóló 1999. december 16-i 141/2000/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet.

2.1.2 Az alacsony előfordulási gyakoriság és a betegségek speciális jellege miatt a ritka betegségek területén átfogó megközelítés szükséges - egyedi és egyesített erőfeszítésen alapulva -, amely lehetővé teszi a magas morbiditási ráta, illetve az elkerülhető, idő előtti halálozás megelőzését, és javítja az érintett személyek életminőségét és társadalmi-gazdasági lehetőségét.

2.1.3 Az Európai Bizottság által létrehozott Ritka Betegségek Európai Referenciahálózatával foglalkozó munkacsoport feladata: az alapelvek, a kezelések, az európai referenciaközpont kritériumainak meghatározása. Ez a 6. és 7. közösségi kutatás-fejlesztési keretprogramnak is témája.

2.1.4 Az Egészségügyi Világszervezet (WHO) 2014-ben készül elfogadni a betegségek nemzetközi osztályozásának 11. változatát; ebbe már a ritka betegségek is bekerülnek. A WHO a Ritka Betegségekkel Foglalkozó Európai Unió Munkacsoportot kérte fel tanácsadó csoportnak, hogy a ritka betegségek kódolását és osztályozását készítse el.

2.1.5 A ritka betegségek valamennyi tagállamban egységes meghatározásának bevezetése jelentős mértékben fokozná az EU hozzájárulását a WHO és az EU együttműködésében, az EU határain túli nagyobb szerepvállalást a világ egészségügyi problémáinak megoldásában.

2.1.6 A 2007-ben elfogadott Európai Egészségügyi Stratégia a ritka betegségekben szenvedő személyek számára a jó minőségű diagnózist, kezelést és tájékoztatást kiemelt prioritásként kezeli.

3. Részletes megjegyzések

3.1 A ritka betegségek meghatározása és előfordulása:

3.1.1 A ritka betegségek átfogó megközelítést tesznek szükségessé, amely a jelentős halandóság vagy az elkerülhető idő előtti elhalálozás megelőzésére, az életminőség javítására vagy az érintett személyek társadalmi-gazdasági lehetőségeinek javítására tett különleges és egyesített erőfeszítésen alapul.

3.1.2 E betegségek előfordulási aránya szerint 5 000–8 000 elkülönülő ritka betegség érinti az EU teljes lakosságának akár 6 %-át az élete során, azaz az Európai Unióban 29–36 millió személy érintett vagy lesz érintett valamely ritka betegség által.

3.1.3 A legtöbb ritka betegség előfordulása nagyon ritka – 100 000-ból 1 személyt vagy még kevesebbet érint. A nagyon ritka betegségekben szenvedő betegek és családjaik különösen elszigeteltek és kiszolgáltatottak.

3.1.4 Az életkor – amikor az első tünetek megjelennek – szintén nagy eltéréseket mutat: a ritka betegségek fele születésnél vagy gyermekkorban, míg másik fele felnőttkorban jelentkezhet. A ritka betegségek többsége örökletes betegség, de a terheesség alatt vagy a későbbiek során a beteget érő környezeti hatások is okozhatják, gyakran genetikai hajlammal párosulva. Némelyik valamely közönséges betegség ritka formája vagy ritka szövődménye.

3.2 A ritka betegségek felismerésének és közismertségének hiánya:

3.2.1 A ritka betegségek súlyosságuk és a megnyilvánulásuk tekintetében is nagymértékben különböznek. A ritka betegségben szenvedő betegek várható élettartama jelentősen lecsökken. Számos betegség összetett, degeneratív és maradandó károsodást okoz, míg mások összeegyeztethetők a normális életvitellel – amennyiben időben diagnosztizálják, megfelelően gondozzák és/vagy kezelik. Gyakran több fogyatékoság együttesen létezik, sok funkcionális következménnyel. Az ilyen fogyatékoságok fokozzák az elszigeteltség érzését, a hátrányos megkülönböztetés forrásai lehetnek, és csökkentik az oktatási, szakmai és társadalmi lehetőségeket.

3.3 A ritka betegségekre vonatkozó politikák hiánya a tagállamokban:

3.3.1 A ritka betegségek nagymértékben hozzájárulnak a halandósághoz és az elhalálozásokhoz, az egészségügyi információs rendszerekben a megfelelő kódolási és osztályozási rendszerek hiánya miatt láthatatlanok. E betegségekre vonatkozó egyedi egészségügyi politikák hiánya, a szakértelem ritkasága késedelmes diagnosztizálást és az ellátáshoz való nehézkes hozzáférést eredményez. E betegek diagnosztizálása, kezelése és rehabilitációja jelentősen eltér tagállami szinten. A tagállamok és/vagy a tagállamon belüli régiók polgárai nem rendelkeznek egyenlő hozzáféréssel a szakszerű ellátáshoz és a ritka betegségek gyógyszereihez.

3.3.2 A ritka betegségek kutatására, diagnosztizálásra és a kezelésre tagállamonként rendkívül eltérő források állnak rendelkezésre, és dekoncentrátságuk miatt csekély a hatékonyságuk, így sok beteg későn vagy egyáltalán nem jut kezeléshez.

3.3.3 A ritka betegségek diagnosztizálása és gyógyítása különleges felkészültséget igényel; forráshiány miatt nagyok az eltérések, és sok beteg szenved a téves, vagy hiányos diagnosztika következtében.

3.3.4 A ritka betegségek sajátosságai – korlátozott számú beteg és a tárgyhoz tartozó ismeretek és szakértelem ritkasága – a nemzetközi együttműködést hozzáadott értéként igénylik.

Valószínűleg a népegészségügynek nincs még egy olyan területe, ahol a 27 különböző nemzeti megközelítés közötti együttműködés olyan hatékony és eredményes lehet, mint a ritka betegségek területén. Ezt a nemzeti és az uniós döntéshozók és az érdekelt felek felismerték. A korlátozottan rendelkezésre álló erőforrások összevonásával lehet jobb eredményeket elérni. A tagországokban eltérő típusú és eltérő időben elrendelt adatgyűjtések, illetve bejelentési kötelezettségek léteznek. Van a teljes populációra vonatkozó bejelentési kötelezettség, illetve szórványos adatgyűjtési előírás. Kiemelt jelentőségű az egységes adat-szolgáltatás és információk megteremtése preventív és egyben költséghatékonyabb egészségpolitikák kialakítására és alkalmazására, illetve a tagállami és EU-s kutatás számára. A megfelelő adatok és információk eljuttatása az érintettek számára hasonló fontosságú.

3.3.5 Az ilyen betegségekben szenvedők és családtagjaik életminőségének javítása, megfelelő társadalmi és munkaerő-piaci integrációja kiemelten fontos, hiszen életük folyamatosan a mássággal, a fizikai és lelki megpróbáltatásokkal való küzdelemmel terhelt.

3.3.6 Az Európai Unió tagállamaiban számos nem kormányzati szervezet, civil kezdeményezés működik az egyes ritka betegséggel élők tájékozottságának, a meglévő tudományos, klinikai ismeretek terjesztésének, az elérhető és adekvát orvosi terápiákhoz és gyógyszerekhez való hozzáférésnek a javítására, végső soron e betegek társadalmi-gazdasági integrációjának érdekében. E civil kezdeményezések forráshiánnyal küszködnek, nem részesülnek koordinált és összehangolt kormányzati támogatással, nincs összehangolt hálózat, és így folyamatosan sérülnek a betegjogok. A betegek, a családok, a civilszervezetek, a szakemberek és a szociális partnerek között nem alakultak ki a rendszeres együttműködések. Az ellátásokban és azok elérhetőségében súlyos aránytalanságok és halmozottan hátrányos helyzetek léteznek.

3.3.7 A ritka betegségek diagnosztizálása és terápiája rendkívül költséges. Az új technológiák és a magas fajlagos költséggel járó ritka betegségek terápiáinak esetében a finanszírozás legfelső küszöbértékének meghatározása és alkalmazása tagállamonként elengedhetetlen.

3.3.8 Az Európai Bizottság 2008-ban megjelentette a ritka betegségekre vonatkozó közleményét; az előkészítése érdekében széles körű nyilvános konzultációt tartott, amely 2008 februárjában zárult le.

3.3.9 A beérkezett hozzájárulások megerősítették az igényt közösségi szintű akcióra; az elkészített tanácsi ajánlásra vonatkozó javaslat három területre fókuszál:

- a ritka betegségek azonosítása és kódolása, a ritka betegségekhez kapcsolódó, az egyes betegségek felismerését segítő európai szintű kodifikációs és osztályozási rendszer megalkotásával. Az új verzió kidolgozásában a Bizottság együttműködik a WHO-val, hiszen az EU területén kerülnek világszinten leginkább azonosításra a különböző típusú ritka betegségek;
- nemzeti szintű akciótervek kidolgozásához alapelvek, szakpolitikai iránymutatások biztosítása; a tagállamok ritka betegségekhez kapcsolódó nemzeti egészségpolitikai kialakításának ösztönzése, támogatása annak érdekében, hogy a ritka betegségekkel élők megelőzéshez, diagnózishoz, kezeléshez és rehabilitációhoz való egyenlő hozzáférést és e szolgáltatások elérhetőségét biztosítsák,
- A közleménytervezethez kapcsolódó tanácsi ajánlás szerint:
 - a tagállamok készítsék el a ritka betegségekhez kapcsolódó nemzeti terveiket,
 - készítsék el a ritka betegségek fogalm meghatározását, kodifikálását és osztályozását célzó megfelelő mechanizmusokat,
 - a ritka betegségek kutatásának – beleértve a határon átnyúló együttműködések is – elősegítése, az uniós kutatási együttműködési lehetőségek maximalizálásával,
 - szakértői központok azonosítása és azok európai referenciahálózatokban való részvételének elősegítése,
 - a ritka betegségek tagállami szakértői összesítése,
 - a betegek és a betegszervezetek részvételének biztosítását célzó akciók végrehajtása
 - együttműködés megerősítése minden olyan területen, ahol a közösségi szintű tevékenység hozzáadott értékkel bír, közös politikai iránymutatások kidolgozásának és azok kölcsönös megismerésének Európa-szerte történő biztosítására: speciális akciók a kutatás, a referenciahálózatok, információhoz való hozzáférés, ösztönzők a ritka betegségek gyógyszereinek kifejlesztéséhez, szűrések stb. területén, amelyek egy, a ritka betegségeket célzó közös minimumstratégia elemeit képezik (pl. kísérleti programok, kutatás/fejlesztés, a ritka betegségek

gyógyszereiről szóló 141/2000/EK rendelet végrehajtásának monitorozása).

3.3.10 A közlemény célja a ritka betegségek hatékony felismerését, megelőzését, diagnosztizálását, kezelését és kutatását célzó átfogó európai közösségi stratégia kidolgozásának elősegítése, a tagállamok közötti együttműködés megerősítésével és az európai információs hálózatok és betegszervezetek akcióinak támogatásával. Valamennyi közösségi politika és tevékenység meghatározása és végrehajtása során biztosítani kell az emberi egészségvédelem magas szintjét. Mindez hozzájárul majd az egészségügyi eredmények javulásához, az egészségben eltöltött évek számának – mint a lisszaboni stratégia kulcsindikátorának – növekedését célzó átfogó célkitűzés teljesüléséhez, amihez azonban elengedhetetlen a közösségi programok és kezdeményezések – az EU Közöségi Népegészségügyi Programjai, a kutatási-fejlesztési keretprogramok, a ritka gyógyszerek stratégiája, a határon átnyúló egészségügyi ellátásokról szóló irányelv és más meglévő vagy jövőbeli uniós vagy tagállami akciók – közötti koherencia megerősítése.

3.3.11 A tanácsi ajánlás tervezete szükségesnek tartja, hogy a tagállamok 2011 végéig dolgozzanak ki a ritka betegségek területén átfogó és integrált nemzeti stratégiákat, és a betegek és a betegképviselőket a stratégiai és döntéshozatali eljárások minden szintjébe vonják be. Tevékenységüket aktív hozzájárulással kell elősegíteni és támogatni, többek között pénzügyi eszközökkel is.

3.3.12 Az EGSZB egyetért az átfogó és integrált nemzeti stratégiák létrehozásával, azonban szükséges mérlegelni az időpont módosítását, ha a betegérdekre figyelemmel átfogó stratégiát akarunk elérni. Ennek érdekében a Ritka Betegségek Központjait tagállami szinten kellene létrehozni módszertani, adatgyűjtési, akkreditációs és koordinációs tevékenységgel.

3.3.13 Az európai uniós szintű információáramlás, kutatás és a referenciahálózatok kialakítása és kijelölése indokolja a közös és egységes terminus technikusok, diagnosztikus és terápiás protokollok kialakítását és elfogadását. Ezek megismerése nemcsak betegérdek, hanem az egészségügyi dolgozók és szolgáltatók érdeke is, ezért célszerű lenne szektorális kézikönyvet, mint sajátos szakmai kultúrák közötti párbeszéd kézikönyvet készíteni a ritka betegségekről, diagnosztizálásokról és gyógyításokról.

3.3.14 Az európai referenciahálózat kialakítása, kijelölése, illetve „mobil szolgáltatás nyújtása” sajátos kommunikációt és jelzőrendszer-kiépítést igényel, hogy a szükséges információk valóban mindenkihez eljussanak.

3.3.15 Tekintettel arra, hogy az új típusú kutatási és szolgáltatási struktúrák kapcsán is várhatóan szellemi alkotások jönnek majd létre, fontos az ezekhez kapcsolódó jogvédelem kapcsán is megtenni a megfelelő lépéseket.

3.3.16 Az EGSZB üdvözlöi az első Európai Ritka Betegségek Napja megszervezését 2008. február 29-ére, és támogatja a kezdeményezést a ritka betegségek világnapja létrehozására, mely nemzetközi mozgalom nagymértékben segítené a kutatások és gyógyítások eredményesebbé tételét. Kiemelten fontos az EGSZB számára a megfelelő kommunikáció biztosítása, a kultúrák közötti párbeszéd elősegítése, így a nyelvi akadályok és a technikai feltételek hiányának leküzdése, hogy az érintettek (a betegek, hozzátartozók, az egészségügyi szolgáltatást nyújtók, a civil szervezetek és a szociális partnerek) elegendő és valós információhoz jussanak.

3.3.17 Az EGSZB korábbi véleményeiben felhívta a figyelmet a civil társadalom és a szociális partnerek fontos szerepére a közösségi értékek megőrzésében, azok fejlesztésében, a valódi hozzáadott értékek létrehozatalában. Ezért fontosnak tartja, hogy a ritka betegségekről szóló közlemény célkitűzéseinek megvalósítói között kellő szerepet kapjanak a szervezett civil társadalom szereplői és a szociális partnerek. Az egészségügyi közkiadások forrásait a civil társadalom és a szociális partnerek hozzák létre, így elosztásukban stratégiai szerepet kell betölteniük.

3.3.18 Az EGSZB javasolja az egészségügyi egyenlőtlenségek csökkentése érdekében az arányos forrásfelhasználás megteremtésének vizsgálatát – a rendkívüli költségek miatt –, ugyanis a javaslat valamennyi ritka betegségben szenvedő ellátását tűzi ki célul. Tagállamonként eltérő mértékűek a források, rendkívül nagyok az eltérések az ellátásra jogosultak és az ellátásban részesülők között.

3.3.19 Az EGSZB támogatja a koordinált kutatások és referenciaközpontok szervezését és kijelölését, mivel e tevékenység kiemelkedő lehetőséget teremthet az Európai Unió számára a világ egészségügyi problémáinak megoldásában. E lehetőség összhangban áll az „Együtt az egészségért” című fehér könyvben megfogalmazott célkitűzéssel, az Európai Unió hatékonyabb nemzetközi szerepvállalásával.

3.3.20 Az EUACRD állandó tanácsadó bizottság létrehozása fontos előrelépés a célkitűzés megvalósításában. A tagállami képviselők, a szakértők, a betegképviselői szervek, az ipar szereplői mellett az EGSZB javasolja, hogy a betegszervezeteken túl a civil társadalom képviselőit és a szociális partnereket is vonják be a tanácsadó bizottság munkájába állandó jelleggel. Közreműködésük nélkül nem alakítható ki az a nemzeti stratégia, amely a javaslat megvalósulásának egyik feltétele.

Kelt Brüsszelben, 2009. február 25-én.

Európai Gazdasági és Szociális Bizottság
elnöke
Mario SEPI
