

Europos ekonomikos ir socialinių reikalų komiteto nuomonė „Užtikrinti tvirtą Europos solidarumą su pacientais, sergančiais retosiomis ligomis“

(nuomonė savo iniciatyva)

(2023/C 75/10)

Pranešėjas **Alain COHEUR**

Plenarinės asamblėjos sprendimas	2022 2 24
Teisinis pagrindas	Darbo tvarkos taisyklių 52 straipsnio 2 dalis
	Nuomonė savo iniciatyva
Atsakingas skyrius	Užimtumo, socialinių reikalų ir pilietybės skyrius
Priimta skyriuje	2022 9 29
Priimta plenarinėje sesijoje	2022 10 26
Plenarinė sesija Nr.	573
Balsavimo rezultatai	
(už / prieš / susilaikė)	171 / 1 / 1

1. Išvados ir rekomendacijos

1.1. 2009 m. Europos ekonomikos ir socialinių reikalų komitetas (EESRK) priėmė nuomonę SOC/330 dėl *Pasiūlymo dėl Tarybos rekomendacijos dėl Europos retųjų ligų srities veiksmų* ⁽¹⁾, kurioje išreiškė savo paramą, nurodė susirūpinimą ir pateikė pasiūlymų, kaip didinti informuotumą apie visus retosiomis ligomis sergančių žmonių poreikius. EESRK labai apgailestauja, kad praėjus daugiau kaip dešimčiai metų nuo nuomonės priėmimo jam tenka iš naujo raginti laikytis visapusiško Europos požiūrio siekiant atsižvelgti į visus retosiomis ligomis sergančių žmonių poreikius, ir prašo ieškoti europinių sprendimų, kaip sušvelninti retųjų ligų poveikį kasdieniame, šeimos ir profesiniame gyvenime.

1.2. EESRK dar kartą patvirtina savo paramą retosiomis ligomis sergantiems pacientams, jų šeimoms ir visai retųjų ligų bendruomenei bei reiškia solidarumą su jais. Europos Sąjunga (ES) galėtų būti teisės į sveikatos priežiūrą visiems visoje Europos Sąjungoje gynėja ir parodyti, kad sirgti retąja liga nereiškia būti vienišam. Norint greičiau diagnozuoti ir gydyti retąsias ligas, būtina vadovaujantis FAIR principu (randami, prieinami, sąveikūs ir pakartotinai panaudojami duomenys) remti fundamentinius mokslinius tyrimus ir Europos sveikatos duomenų erdvę. EESRK rekomenduoja pripažinti ir visapusiškai skatinti patirtį, įgytą naudojant duomenų bazę „Orphanet“, siekiant sustiprinti Europos sveikatos duomenų ekosistemą, kuri būtų naudinga retosiomis ligomis sergantiems pacientams. „Orphanet“ portalo sukūrimas visomis ES kalbomis suteiktų didelę pridėtinę vertę retosiomis ligomis sergantiems pacientams ir sveikatos priežiūros specialistams.

1.3. EESRK dar kartą patvirtina savo išvadas apie retųjų ligų paplitimą ES, retosiomis ligomis sergančių pacientų gydymo procesų ir socialinės apsaugos problemų panašumus, nepaisant ligų įvairovės ar didelio skaičiaus ir pacientų bei ekspertinių žinių sklaidos.

1.4. EESRK palankiai vertina Europos socialinių teisių ramstyje pasiūlytą teisės gauti sveikatos priežiūros paslaugas principą, Jungtinių Tautų rezoliuciją ir Konferencijos dėl Europos ateities bei 2022 m. Europos Sąjungos Tarybai pirmininkavusios Prancūzijos dėmesį retosioms ligoms siekiant užtikrinti, kad retosiomis ligomis sergančių pacientų padėtis nepablogėtų dėl nelygybės sveikatos srityje. Komitetas pabrėžia plataus užmojo Europos priežiūros strategijos svarbą retosiomis ligomis sergančių asmenų neoficialiems slaugytojams.

⁽¹⁾ OL C 218, 2009 9 11, p. 91.

1.5. EESRK rekomenduoja pasinaudoti politine galimybe ir, atsižvelgiant į institucijų bei pilietinės visuomenės rekomendacijas, parengti išsamų Europos retųjų ligų veiksmų planą, kuriame būtų numatyti SMART (konkretūs, išmatuojami, pasiekiami, realūs ir per nustatytą laiką įvykdytini) tikslai iki 2030 m., kad visiems retosiomis ligomis sergantiems pacientams ES būtų užtikrintos vienodos galimybės nustatyti diagnozę, gauti gydymo paslaugas ir naudotis holistiniu požiūriu grindžiama integruota priežiūra. Turi būti siekiama, kad pacientams retoji liga būtų diagnozuojama per metus.

1.6. EESRK siūlo išplėsti Pasirengimo ekstremaliosioms sveikatos situacijoms ir reagavimo į jas institucijos (HERA) įgaliojimus arba jos pavyzdžiu sukurti naują Europos neužkrečiamųjų ligų instituciją, kuri skatintų retųjų ligų srities koordinavimą ir solidarumą su jomis sergančiais pacientais, siekiant derinti Europos retųjų ligų veiksmų plano įgyvendinimą ir užtikrinti Europos požiūrį į neužkrečiamąsias retąsias ligas. Bendradarbiaujant su platforma „Orphanet“, kuriai būtų naudinga struktūrinė ES parama, kad ji galėtų skelbti darbus visomis oficialiosiomis ES kalbomis, būtų užtikrinta, kad ir pacientai, ir specialistai galėtų gauti reikiamą informaciją.

1.7. EESRK suteikia galimybę valstybių narių pilietinei visuomenei išsakyti savo nuomonę siekiant stiprinti politinį dialogą su visuomene ir remia Europos institucijas struktūriniu ir nuolatiniu bendradarbiavimu siekiant plėtoti visapusiškai remiamą politiką. EESRK rekomenduoja, kad 2023–2024 m. kitos trys paeiliui pirmininkausiančios valstybės – Ispanija, Belgija ir Vengrija – išlaikytų retųjų ligų politikos klausimą savo darbotvarkėje, atsižvelgdamos į 2022 m. Europos referencijos centrų tinklą (ERCT) raidą ir Komisijos pažadą iki 2023 m. pradžios peržiūrėti retųjų ligų strategiją, įtraukiant retąsias ligas į visuomenės sveikatos politiką būsimų Komisijos kadencijų metu. Kuriant plataus užmojo strategiją labai svarbus suinteresuotųjų subjektų ir socialinių partnerių dalyvavimas.

1.8. EESRK prašo imtis iniciatyvų, pavyzdžiui, priimti rezoliuciją, kuria būtų suteikta galių retosiomis ligomis sergantiems pacientams, jie būtų skatinami dalyvauti rengiant retųjų ligų politiką ir teikti rekomendacijas pagal JT neigaliųjų teisių konvencijos (JT NTK) 4 straipsnį. Pacientų asociacijos, kurių patirtis labai vertinga, gali atlikti labai svarbų vaidmenį atstovaudamos pacientams ir kalbėdamos jų vardu; reikėtų užtikrinti ir remti jų pasisakymus žiniasklaidoje ir dalyvavimą rengiant politikos rekomendacijas⁽²⁾.

1.9. EESRK ragina pripažinti retųjų ligų diagnostavimo galimybės perinatalinės ar naujagimių patikros metu arba kuo greičiau po to, kai atsiranda sveikatos ar raidos sutrikimų, svarbą, taip pat pripažinti daugiasritės sveikatos priežiūros ir holistinio požiūrio į pacientų poreikius bei gydymo procesą naudą bei tai, kad integruota medicininė ir socialinė priežiūra ir centralizuotas priežiūros koordinavimas galėtų tam pasitarnauti, o svarbiausia – optimizuoti finansinį priežiūros prieinamumą.

1.10. EESRK teigia, kad kokybiškos sveikatos priežiūros paslaugos jokių būdu negali būti privilegija tiems, kurie dėl kokių nors priežasčių gali užsitikrinti geresnes galimybes naudotis atitinkamomis nacionalinėmis sveikatos priežiūros paslaugomis, mokėti didžiausias draudimo įmokas, mokėti savo lėšomis ar organizuoti pelningiausias lėšų rinkimo kampanijas. Reikėtų deramai įvertinti ir solidarumu grindžiamų sveikatos draudimo sistemų, kurios apsaugo retosiomis ligomis sergančius pacientus, svarbą. EESRK pritartų, kad būtų surengta diskusija apie Europos solidarumo principu grindžiamų sveikatos savidraudos fondų naudą ir iššūkius, susijusius su naujovišku retosiomis ligomis sergančių pacientų gydymu.

1.11. EESRK pripažįsta, jog svarbu, kad retosiomis ligomis sergantys pacientai Europoje galėtų naudotis tarpvalstybiniu gydymu diagnostavimo ir sveikatos priežiūros srityse. Galimybė keliauti gydymosi tikslais ir išvengti pernelyg ilgų kelionių pasitelkiant telemediciną gali pagerinti priežiūros prieinamumą retosiomis ir ypač labai retomis ligomis sergantiems pacientams. EESRK prašo optimizuoti ERCT veikimą ir ragina įtraukti juos į visą ES ir valstybių narių sveikatos priežiūros sistemą. EESRK siūlo išnagrinėti galimybę parengti konvenciją dėl priežiūros Europos referencijos centrų tinkluose.

1.12. Atsižvelgdamas į nevienodą valstybių narių ekonominę padėtį, EESRK rekomenduoja apsvarstyti galimybę sukurti specialų ES finansinį fondą, prie kurio valstybės narės prisidėtų ir gautų naudos pagal savo finansinius pajėgumus, kad visiems retosiomis ligomis sergantiems pacientams, ypač turintiems nepatenkintų medicininių poreikių, būtų užtikrinta

⁽²⁾ JT žmogaus teisių biuras (2006 m.), Neigaliųjų teisių konvencija.

galimybė gauti gydymo paslaugas ir būtų užtikrintas tikras solidarumas ES. EESRK tikisi, kad tai bus padaryta. EESRK pritaria tam, kad būtų naudojami bendro pirkimo ir įnašų modeliai, pavyzdžiui, Europos sąžiningos vaistų kainos skaičiuoklė, siekiant padidinti gydymo vaistais prieinamumą valstybėms narėms ir retosiomis ligomis sergantiems pacientams, ir prašo į tai atsižvelgti persvarstant ES teisės aktus dėl retųjų ir pediatriinių vaistų (skirtų retosiomis ligomis sergantiems asmenims ir vaikams).

1.13. EESRK rekomenduoja apsvarstyti galimybes įsteigti retosiomis, ypač į ERCT neįtrauktoms, ligoms skirtą solidarumo fondą. Toks fondas gali būti naudingas papildymas, kai privalomasis sveikatos draudimas nepadengia sudėtingų ar retųjų ligų gydymo ar tarpvalstybinės priežiūros išlaidų, ir EESRK mano, kad būtina Europos lygmeniu sujungti lėšas. Europos solidarumo fondas, skirtas retosiomis ligomis sergantiems pacientams, turėtų:

- siekti, kad retosiomis ligomis sergantys asmenys nepatirtų nepakeliamų išlaidų už ES prieinamą mediciniškai būtiną ir pagrįstą sveikatos priežiūrą ir dar didesnės nelygybės sveikatos srityje dėl to, kad jų liga yra reta,
- išreikšti Europos solidarumą, kad visiems retosiomis ligomis sergantiems pacientams būtų sudarytos geresnės galimybės naudotis sveikatos priežiūros paslaugomis, teikiamomis visoje ES, geriau užtikrinti pacientų teises į tarpvalstybines sveikatos priežiūros paslaugas ir optimizuoti bei palengvinti naudojimąsi ERCT,
- papildyti nacionalines socialinės apsaugos ir sveikatos draudimo nuostatas sukuriant fondą susijusioms ir neišvengiamoms išlaidoms už tarpvalstybinę sveikatos priežiūrą ES padengti ir palengvinti Europos bendradarbiavimą sprendžiant visuomenės sveikatos problemas laikantis struktūrinio ir parama grindžiamo tarpvalstybinio požiūrio.

2. Bendrosios pastabos dėl retųjų ligų

2.1. Retosios ligos yra retos, tačiau retosiomis ligomis sergančių pacientų yra daug; liga priskiriama prie retųjų atsižvelgiant į jos paplitimą. ES retoji liga apibrėžiama kaip būklė, kuri dažnai yra lėtinė, kartais sukelia negalią arba tampa pavojinga gyvybei ir kuria serga ne daugiau kaip 1 iš 2 000 asmenų⁽³⁾. 2019 m. retųjų ligų ir retųjų vaistų portale „Orphanet“ buvo suskaičiuotos 6 172 unikalios retosios ligos⁽⁴⁾. 71,9 % šių retųjų ligų yra genetinės kilmės, o 69,9 % jų pasireiškia ankstyvoje vaikystėje. Apskaičiuota, kad retosiomis ligomis serga 3,5–5,9 % gyventojų, t. y. maždaug 36 mln. pacientų ES.

2.2. Daugelio retųjų ligų sudėtingumas ir lėtinis pobūdis dažnai turi įtakos ne tik paciento gyvenimui, bet ir daugeliui kitų asmenų, pavyzdžiui, šeimai, taip pat sveikatos ir socialinės priežiūros sistemoms. Šeimoms gali grėsti izoliacija ir didesnis pažeidžiamumas ir, atsižvelgiant į lyčių aspektą neformaliosios priežiūros srityje⁽⁵⁾, retoji liga gali turėti didelės įtakos motinų ir ypač moterų gyvenimui. Todėl ypatingą dėmesį reikėtų skirti tam, kad neformalieji slaugytojai galėtų naudotis socialine apsauga.

2.3. Nors jau nustatytos daugiau nei 6 172 ligos, kurias galima diagnozuoti pacientui, kai kurių sveikatos sutrikimų, vadinamųjų sindromų be pavadinimo (angl. *syndromes without a name*, SWAN), apibrėžtys, apibūdinimai ar diagnostiniai testai vis dar gali būti neparengti. Sveikatos priežiūros atotrūkis dar ryškesnis pacientams, kuriems diagnozė nenustatyta. Jų nepatenkintų poreikių yra dar daugiau, o nelygybė yra dar didesnė, nes diagnozė būtina norint gauti tinkamą medicininę priežiūrą arba papildomas socialinio ir sveikatos draudimo išmokas.

2.4. Dėl nuolatinės nelygybės, susijusios su galimybe naudotis sveikatos priežiūros paslaugomis, reikia iniciatyvių ir tikslinių bendruomene grindžiamų modelių, kad pažeidžiamiausios grupės, pavyzdžiui, asmenims, turintiems fizinę, psichosocialinę ir jutimo negalią, būtų nustatyta diagnozė ir skirta priežiūra. Ankstesnėse EESRK nuomonėse buvo kalbama apie migrantų ir ES piliečių, kilusių iš migrantų šeimų, sveikatos priežiūrą; šios žinios ir rekomendacijos turi būti grindžiamos bendru požiūriu į retąsias ligas⁽⁶⁾.

⁽³⁾ Europos Komisija (2019 m.), *Rare Diseases* („Retosios ligos“).

⁽⁴⁾ „Orphanet“ (2021 m.), *Orphanet in numbers: 6 172 diseases* <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>; Nguengang Wakap S., Lambert D. M., Olry A., Rodwell C., Gueydan C., Lanneau V., Murphy D., Le Cam Y., Rath A., *Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database*. Eur J Hum Genet. 2020 m. vasario mėn.; 28(2):165-173. doi:10.1038/s41431-019-0508-0. Epub, 2019 m. rugsėjo 16 d. PMID: 31527858; PMCID: PMC6974615.

⁽⁵⁾ „Eurocarers“ (2021 m. gruodžio mėn.), *The gender dimension of informal care* („Neformalios priežiūros lyčių aspektas“).

⁽⁶⁾ OL C 256, 2007 10 27, p. 123.

2.5. Retosios ligos diagnozavimas, jeigu liga nenustatoma perinatalinės patikros metu, vidutiniškai užtrunka maždaug 4,5 metų po to, kai išryškėja sveikatos ar raidos sutrikimai. Tyrimais nustatyta, kad diagnostinio neapibrėžtumo laikotarpiai (dažnai dėl klaidingos diagnozės ir (arba) netinkamo gydymo, kurių pasekmės būna žalingos) trunka nuo 5 iki 7 metų ⁽⁷⁾. Kelias iki galutinės ir teisingos diagnozės dažnai tampa kliūčių ruožu, kurio metu tenka apsilankyti pas keletą sveikatos priežiūros specialistų. Tyrimais nustatyta, kad 22 % pacientų, kuriems diagnozuota retoji liga, konsultavosi su daugiau nei penkiais sveikatos priežiūros specialistais, o 7 % – su daugiau nei dešimčia ⁽⁸⁾.

2.6. Norint geriau informuoti sveikatos priežiūros specialistus, kad jie galėtų geriau diagnozuoti galimas retąsias ligas, ir suteikti jiems galimybę nukreipti pacientus bei paspartinti diagnozavimo procesą, reikia dalytis informacija, užtikrinti tinkamą ir nuolatinę aukštos kokybės mokymą ir laiku planuoti darbuotojų poreikius, įtraukiant socialinius partnerius.

2.7. Prioritetų nustatymas ir struktūrinės investicijos į fundamentinius medicininius tyrimus, susijusius su retųjų ligų priežastimis, įskaitant genetines priežastis, turi padėti užtikrinti veiksmingesnį gydymą ir galbūt net galimybę gauti vaistų retosiomis ligomis sergantiems pacientams. Tokie moksliniai tyrimai turėtų būti remiami pasitelkiant Europos finansavimo priemones, pavyzdžiui, 2021–2027 m. programą „ES – sveikatos labui – sveikesnės Europos Sąjungos vizija“ ir reglamentus, kaip antai pasiūlymą dėl bendros Europos sveikatos duomenų erdvės.

2.8. Žinių ir kompetencijos, reikalingų specializuotos terapinės priežiūros poreikiams nustatyti ir valdyti gydant kai kurias retąsias ligas, gali trūkti kelete valstybių narių ir jos gali būti geografiškai išsklaidytos po visą ES. Gydymas turi būti prieinamesnis, lengviau pasiekiamas ir įperkamas, nes pacientai nurodo, kad jų gyvenamojoje vietoje gydymas yra neprieinamas (22 %), gydymo paslaugas gauti trukdo laukiančiųjų sąrašai (14 %), gydymas yra finansiškai neįperkamas (12 %), o gauti finansinę paramą, kuri palengvintų kelionę gydymosi tikslais į kitą šalį, neįmanoma (12 %) ⁽⁹⁾.

2.9. Norint užtikrinti kokybišką priežiūrą, reikia, kad sveikatos priežiūros paslaugos būtų teikiamos laiku, teisingai, integruotai ir veiksmingai ⁽¹⁰⁾. Perinatalinė ir naujagimių patikra yra gyvybiškai svarbūs ankstyvosios diagnostikos procesai. Komisijos ekspertų grupės parengta rekomendacija dėl retųjų ligų tarpvalstybinių genetinių tyrimų Europos Sąjungoje (angl. *Recommendation on Cross Border Genetic Testing Of Rare Diseases in the European Union*) ir EURORDIS darbai dėl patikros visoje ES sudaro pagrindą Europos masto rekomendacijai parengti.

2.10. Diagnozės nustatymas, jos sužinojimas ir gyvenimas sergant retąja liga pacientui ir (arba) jo šeimai gali būti psichologiškai sudėtingas. Psichologinį ir socialinį pažeidžiamumą gali lemti ligos nematomumas, su ja susiję fiziniai sunkumai ir tai, kad kiti asmenys padėties nežino ar nesupranta. Kasdienį gyvenimą gali apsunkinti ne tik prastas priežiūros koordinavimas, bet ir praktinio, administracinio, šviečiamojo, profesinio ar finansinio pobūdžio sunkumai ⁽¹¹⁾. Holistinis požiūris į priežiūrą apima visą spektrą sveikatos priežiūros (profilaktinės ir nuolatinės, gydomosios, reabilitacinės ir palaikomosios slaugos), socialinių ir kasdinių poreikių ir reikalauja aukštos kokybės integruotos daugiasritės medicininės ir socialinės priežiūros.

2.11. Retųjų ligų diena skirta didinti plačiosios visuomenės informuotumą ir skatinti pripažinimą, taip pat didinti pacientų ir jų šeimų supratimą bei socialinę įtrauktį. Retomis ligomis sergančių pacientų informavimui ir pacientų bei jų šeimų gerovės užtikrinimui reikalinga sveikatos priežiūros specialistų, sveikatos savidraudos fondų, (skaitmeninių) ryšių grupių ir pacientų asociacijų ekosistema.

⁽⁷⁾ „Eurordis“, *Rare disease impact report: insights from patients and the medical community 2013 detailing diagnostic uncertainty of low prevalence diseases in the United States and the United Kingdom* (Retųjų ligų poveikio ataskaita „2013 m. pacientų ir medikų bendruomenės įžvalgos, kuriose išsamiai aprašomas mažo paplitimo ligų JAV ir Jungtinėje Karalystėje diagnostinis netikrumas“).

⁽⁸⁾ Koning Boudewijnstichting (2014 m.), *Zoom: nieuwe perspectieven op gelijke kansen – Zeldzame ziekten*.

⁽⁹⁾ Kole A., Hedley V., et al. (2021 m.), *Recommendations from the Rare 2030 Foresight Study: The future of rare diseases starts today: Available, accessible and affordable treatments – what do people living with a rare disease think?* (Rekomendacijos iš „Rare 2030“ prognozės tyrimo „Retųjų ligų ateitis prasideda šiandien: prieinami, pasiekiami ir įperkami gydymo būdai – ką galvoja žmonės, sergantys retomis ligomis?“), p. 119.

⁽¹⁰⁾ Pasaulio sveikatos organizacija (2022 m.), *Quality of care*.

⁽¹¹⁾ Loridan J., Noirhomme C. (2020 m.), *Field analysis of existing RD patient pathways in the EMR* („Esamų retomis ligomis sergančių pacientų gydymo procesų EMR analizė vietoje“).

3. Bendrosios pastabos dėl Europos retųjų ligų politikos

3.1. ES daugiau nei prieš dvidešimt metų nustatė, kad retosios ligos yra visuomenės sveikatos srities prioritetas ir ėmėsi veiksmų, dėl kurių aktyviau pradėti vykdyti moksliniai tyrimai ir plėtra, valstybės narės priėmė nacionalinius veiksmų planus dėl retųjų ligų, pradėtas koordinuoti tarpvalstybinis bendradarbiavimas ERCT ir pacientai įgijo teisę gauti tarpvalstybinę priežiūrą⁽¹²⁾. Komisija priėmė 3 rekomendaciją „Gerinti paramą siekiant retosiomis ligomis sergantiems pacientams sudaryti palankesnes sąlygas naudotis sveikatos priežiūros paslaugomis“ ir paskelbė, kad iki 2023 m. pradžios prireikus peržiūrės savo retųjų ligų strategiją⁽¹³⁾. Europos Parlamentas priėmė rezoliuciją dėl ES visuomenės sveikatos strategijos po COVID-19, kurioje raginama parengti ES retųjų ligų veiksmų planą⁽¹⁴⁾. Europos socialinių teisių ramstyje ES taip pat įtvirtino teisę „laiku gauti įperkamas ir kokybiškas prevencinės ir gydymosios medicinos paslaugas“⁽¹⁵⁾.

3.2. Tikimasi, kad į paskelbtą komunikatą dėl Europos priežiūros strategijos bus įtraukta parama Europos socialinių teisių ramsčio įgyvendinimui ir tinkamam neformaliųjų slaugytojų pripažinimui. Retosiomis ligomis sergančių pacientų šeimoms būtų naudinga tokia strategija, kurioje slaugytojai ir jų teisės visoje ES būtų labiau pripažinti, slaugytojų teisės tarpvalstybiniais atvejais būtų įgyvendinamos lanksčiau ir (formaliųjų ir neformaliųjų slaugytojų) psichikos sveikata būtų laikoma vienu svarbiausių dalykų⁽¹⁶⁾.

3.3. ES valstybės narės padėjo parengti 2021 m. Jungtinių Tautų rezoliuciją „Retosiomis ligomis sergančių asmenų ir jų šeimų problemų sprendimas“⁽¹⁷⁾, kurioje raginama „stiprinti sveikatos priežiūros sistemas <...> siekiant suteikti retosiomis ligomis sergantiems asmenims daugiau galimybių tenkinti savo fizinės ir psichinės sveikatos poreikius, kad būtų įgyvendintos jų žmogaus teisės, įskaitant teisę į aukščiausią įmanomą fizinės ir psichinės sveikatos lygį, didinti vienodas galimybes ir lygybę sveikatos priežiūros srityje, panaikinti diskriminaciją ir stigmatizaciją, pašalinti aprėpties spragas ir sukurti įtraukesnę visuomenę“.

3.4. Užimtumo, socialinės politikos, sveikatos ir vartotojų reikalų taryba (sveikata) aptarė Europos atsaką į retųjų ligų problemą ir diskutavo, ar būtų naudinga stiprinti bendradarbiavimą ir veiksmų koordinavimą retųjų ligų srityje tarp valstybių narių ir ES lygmeniu. Tarybai pirmininkavusi valstybė narė manė, kad skatinant ES veiksmus šioje srityje Europos sveikatos sąjunga piliečiams suteiktų apčiuopiamos naudos. Europos sveikatos duomenų erdvė yra viena iš priemonių, kuri turėtų sustiprinti ES veiksmus, nes ji atlieka svarbų vaidmenį kovojant su retosiomis ligomis ir užtikrinant prieigą prie aukštos kokybės asmens sveikatos duomenų saugioje sistemoje. Ji turi padėti greičiau gauti naujoviško, saugesnio ir individualiems poreikiams pritaikyto gydymo paslaugas⁽¹⁸⁾.

3.5. Į ataskaitą apie Konferencijos dėl Europos ateities rezultatus įtrauktas pasiūlymas suteikti vienodas galimybes visiems naudotis sveikatos priežiūros paslaugomis, siekiant įtvirtinti „teisę į sveikatą“ – visiems europiečiams užtikrinant vienodas ir visuotines galimybes naudotis įperkama, profilaktine, gydomąja ir kokybiška sveikatos priežiūra. Konferencijos plenariniam posėdyje buvo konkrečiai pripažinta ir paminėta retųjų ligų bendruomenė, remiant: greitesnį ir ryžtingesnį sprendimų priėmimą svarbiausiais klausimais ir Europos valdymo veiksmingumo didinimą kuriant Europos sveikatos sąjungą; poreikį užtikrinti, kad kiekvienas asmuo galėtų gauti esamas gydymo paslaugas ten, kur ES jas galima gauti greičiausiai ir šiuo tikslu palengvinant tarpvalstybinį bendradarbiavimą, ypač retųjų ligų srityje; sveikatos priežiūros sistemos stiprinimą siekiant padidinti mūsų sveikatos priežiūros sistemų atsparumą ir kokybę, visų pirma toliau plėtojant, koordinuojant ir finansuojant Europos referencijos centrų tinklus, nes jie sudaro labai specializuotą ir sudėtingą gydymui skirtą medicinines priežiūros tinklų plėtros pagrindą⁽¹⁹⁾.

⁽¹²⁾ 1999 m. gruodžio 16 d. Europos Parlamento ir Tarybos reglamentas (EB) Nr. 141/2000 dėl retųjų vaistų (OL L 18, 2000 1 22, p. 1) 2009 m. birželio 8 d. Tarybos rekomendacija dėl retųjų ligų srities veiksmų (OL C 151, 2009 7 3, p. 7); 2011 m. kovo 9 d. Europos Parlamento ir Tarybos direktyva 2011/24/ES dėl pacientų teisių į tarpvalstybines sveikatos priežiūros paslaugas įgyvendinimo (OL L 88, 2011 4 4, p. 45).

⁽¹³⁾ Europos Audito Rūmai (2019 m.), „ES veiksmų tarpvalstybinės sveikatos priežiūros srityje. Užmojai platūs, bet būtina gerinti valdymą“.

⁽¹⁴⁾ Europos Parlamentas (2020 m. liepos 10 d.), 2020 m. liepos 10 d. Europos Parlamento rezoliucija dėl ES visuomenės sveikatos strategijos po COVID-19 „ES visuomenės sveikatos strategija laikotarpiu po COVID-19“ (2020/2691(RSP)) (OL C 371, 2021 9 15, p. 102).

⁽¹⁵⁾ Komisijos komunikatas Europos Parlamentui, Tarybai, Europos ekonomikos ir socialinių reikalų komitetui ir Regionų komitetui „Europos socialinių teisių ramsčio veiksmų planas“ (COM(2021) 102 final).

⁽¹⁶⁾ Tarptautinė savitarpio pagalbos asociacija (AIM) (2022 m.), AIM's Views on the EU Care Strategy („AIM požiūris į ES priežiūros strategiją“).

⁽¹⁷⁾ Jungtinės Tautos (2022 m. sausio 5 d.), A/RES/76/132: 2021 m. gruodžio 16 d. Generalinės Asamblėjos priimta rezoliucija *Addressing the challenges of persons living with a rare disease and their families* („Retosiomis ligomis sergančių asmenų ir jų šeimų problemų sprendimas“).

⁽¹⁸⁾ Užimtumo, socialinės politikos, sveikatos ir vartotojų reikalų taryba (sveikata) (2022 m. kovo 29 d.), „Pagrindiniai rezultatai. Europos atsakas į retąsias ligas“.

⁽¹⁹⁾ Konferencija dėl Europos ateities, ataskaita dėl galutinių rezultatų, 2022 m. gegužės mėn.

3.6. 2021 m. „Europos kovos su vėžiu planas. Naujas ES požiūris į prevenciją, gydymą ir priežiūrą“, veiksmų, kuriuos reikėtų įgyvendinti iki 2030 m., sąrašas ir suinteresuotųjų subjektų dalyvavimas sudaro metodą rengiant Europos sveikatos politiką, kuria siekiama mažinti ES esančių nelygybę sveikatos srityje⁽²⁰⁾. Plane taip pat remiamasi Europos referencijos centrų tinklais – keitimosi patirtimi apie retųjų ligų diagnozavimą ir gydymą iniciatoriais.

4. Konkrečios pastabos dėl retųjų ligų ir retųjų ligų politikos

4.1. Vertindamas tolesnę veiklą, susijusią su EESRK nuomone dėl *pasiūlymo priimti Tarybos rekomendaciją dėl Europos retųjų ligų srities veiksmų*⁽²¹⁾, EESRK mano, kad nors šiuo metu rekomendacijos vis dar įgyvendinamos nevienodai sėkmingai, pavyzdžiui, nuo 2017 m. plėtojant Europos referencijos centrų tinklus, įdiegiant komunikacijos ir ataskaitų teikimo sistemą, vadovus ar gaires, kad būtų sudarytos palankesnės sąlygos įvairių profesinių kultūrų dialogui ES ir Europos sveikatos priežiūros strategijai, siekiant įtraukti reikalavimą, kad pacientai galėtų susipažinti su savo duomenimis, ES retųjų ligų politikos srityje reikia imtis skubių veiksmų ir daug pasivyti.

4.2. ERCT yra konkretaus Europos sveikatos priežiūros sistemų bendradarbiavimo pavyzdys, kuriuo siekiama palengvinti klinikinių tyrimų vykdymą ir įgyti patirties diagnozuojant ir gydant retosiomis ligomis sergančius Europos pacientus. Šiuo metu šių ERCT potencialas dar nėra iki galo išnagrinėtas ir jų paslaugos dar neteikiamos. Vertinimą planuojama pradėti 2022 m.⁽²²⁾ 2017 m. įkurti 24 ERCT jau turi 1 466 narius visose Europos valstybėse narėse, įskaitant daugiau nei 900 sveikatos priežiūros padalinių, esančių 313 ligoninių. ERCT nariai gydo 1,7 mln. pacientų, tačiau per Klinikinės pacientų priežiūros sistemą gydymo paslaugas gavo tik 2 100 sudėtingomis ir labai retomis ligomis sergančių pacientų.

4.3. Siekiant optimizuoti ERCT potencialą, reikia atsižvelgti į šiuos veiksnius: kompensacijų ERCT dalyvaujantiems sveikatos priežiūros paslaugų teikėjams nebuvimą, specialių kompensacijų už virtualias konsultacijas per Klinikinės pacientų priežiūros sistemą nebuvimą, administracinio ar techninio sąveikumo problemas. Kitas darbinis klausimas – ERCT integravimas į nacionalines sveikatos priežiūros sistemas per dalyvaujančius retųjų ligų referencijos centrus, užtikrinant jų egzistavimo ir prieinamumo skatinimą.

4.4. Retosiomis ligomis sergančių pacientų priežiūros centralizavimas, išlaikant pakankamą kompetencijos centrų skaičių, padėtų pagerinti priežiūros kokybę. Reikia nustatyti kompetencijos centrą apibrėžiančius kriterijus. Kompetencijos centrams reikia specialaus ir pakankamo finansavimo. Kadangi pilietinė visuomenė ir socialiniai partneriai generuoja išteklius, naudojamus sveikatos apsaugos sistemai finansuoti, jiems turėtų būti suteikta galimybė atlikti strateginį vaidmenį juos skirstant. Vietos, regioninius ir nacionalinius priežiūros tinklus reikia informuoti apie kompetencijos centrų egzistavimą ir skatinti dalyvauti ERCT, siekiant palengvinti prieigą prie priežiūros paslaugų ir pagerinti priežiūros kokybę.

4.5. Įrodyta, kad ES lėšomis remiamos tarpvalstybinės daugiašalės suinteresuotųjų subjektų partnerystės ir konsorciškai, vienijantys pilietinę visuomenę ir retųjų ligų bei sveikatos ar socialinės politikos ekspertus, akademinę bendruomenę, medicinos partnerius, žinių centrus, pacientų asociacijas, ne pelno sveikatos savidraudos fondus ir pacientus ekspertus, yra Europos mokslinius tyrimus ir bendradarbiavimą praturtinančios ekosistemos. Jos prisidėjo prie politikos rekomendacijų, orientuotų į pacientą, rengimo, bandomųjų projektų ir tyrimų, kuriais siekiama pagerinti Europos retosiomis ligomis sergančių pacientų galimybes gauti aukštos kokybės kompleksinę ir integruotą sveikatos bei socialinę priežiūrą⁽²³⁾. Atėjo laikas šias rekomendacijas ir geriausią praktiką įtvirtinti nuoseklioje politikoje, kuri sujungtų nacionalines, tarpvalstybines ir europines iniciatyvas į vieną visumą, nepaliekant nė vieno retosiomis ligomis sergančio paciento nuošalyje.

⁽²⁰⁾ Komisijos komunikatas Europos Parlamentui ir Tarybai „Europos kovos su vėžiu planas“ (2021 m.).

⁽²¹⁾ OL C 218, 2009 9 11, p. 91.

⁽²²⁾ Komisijos tarnybų darbinis dokumentas, pridamas prie dokumento „Komisijos ataskaita Europos Parlamentui ir Tarybai dėl Direktyvos 2011/24/ES dėl pacientų teisių ir tarpvalstybines sveikatos priežiūros paslaugas įgyvendinimo taikymo“ (SWD(2022) 200 final), Europos referencijos centrų tinklai, p. 29–36.

⁽²³⁾ INNOVCARE (2018 m.), *Bridging the gaps between health, social and local services to improve care of people living with rare and complex conditions* („Pašalinti atotrūkį tarp sveikatos, socialinių ir vietos paslaugų, siekiant pagerinti retosiomis ir sudėtingomis ligomis sergančių žmonių priežiūrą“); EMRaDi (2020 m.), *Rare diseases do not stop at borders* („Retosios ligos nesibaigia prie valstybių sienų“); RARE 2030 (2021 m.), *Foresight in Rare Disease Policy* („Retųjų ligų politikos prognozavimas“).

4.6. Dalyvaujame tyrime „Rare 2030“, skirtame retųjų ligų politikos prognozavimui, pateiktos aštuonios esminės rekomendacijos dėl gydymo, priežiūros, mokslinių tyrimų, duomenų ir Europos bei nacionalinės infrastruktūros, taip pat nurodytos veiksmų gairės ir SMART (konkretūs, išmatuojami, pasiekiami, realūs ir per nustatytą laiką įvykdytini) tikslai, kuriais nustatoma kito dešimtmečio retųjų ligų politikos kryptis: 1) ilgalaikiai, integruoti Europos ir nacionaliniai planai bei strategijos; 2) ankstyvesnė, greitesnė ir tikslesnė diagnostika; 3) galimybė gauti aukštos kokybės sveikatos priežiūrą; 4) integruota ir į asmenį orientuota priežiūra; 5) partnerystė su pacientais; 6) novatoriški ir į poreikius orientuoti moksliniai tyrimai ir plėtra; 7) duomenų optimizavimas siekiant naudoti pacientams ir visuomenei; 8) prieinamas, lengvai pasiekiamas ir įperkamas gydymas ⁽²⁴⁾.

4.7. Projekto „EMRaDi“, kurio metu, be kita ko, buvo tiriama pasiūla ir paklausa retųjų ligų srityje Maso ir Reino euroregione, esmę sudarė retosiomis ligomis sergančių pacientų, jų artimųjų ir sveikatos priežiūros specialistų kompetencijos pripažinimas. Projekto metu, remiantis 104 išsamių apklausų apie aštuonias retąsias ligas rezultatais, taip pat buvo nagrinėjama pacientų kasdienybė ir gydymo procesai ⁽²⁵⁾. Rezultatai patvirtino prielaidas apie diagnozavimo sunkumus, padidėjusią priežiūros koordinavimo našą (gydymo proceso metu pacientai susiduria su 6–25 sveikatos priežiūros specialistais), daugiasritės priežiūros specializuotuose centruose poreikį ir jai teikiamą pirmenybę, o kartu ir būtinybę laikytis platesnio kompleksinio požiūrio, apimančio visą spektrą informacinių poreikių, psichologinę paramą, socialinę įtrauktį ir praktines bei administracines plėtros galimybes, taip pat tarpvalstybinius sveikatos priežiūros poreikius. Projekte suformuluotos rekomendacijos dėl kompleksinės priežiūros, telemedicinos ir Europos solidarumo ⁽²⁶⁾.

4.8. COVID-19 pandemija paspartino sveikatos priežiūros skaitmeninimą, naujų technologijų naudojimą ir telemedicinos diegimą. Per konsultacijas su socialiniais partneriais ir medicinos sektoriaus suinteresuotaisiais subjektais turi būti susitarta dėl telemedicinos, apimančios nuotolines konsultacijas, nuotolinę ekspertizę, nuotolinę stebėseną ir mobiliąją sveikatą, reglamentavimo, gebėjimų stiprinimo ir kompensavimo, pirmiausia užtikrinant pacientų saugą ir priežiūros bei gydymo kokybę ir tęstinumą. Optimaliai naudojantis telemedicina pacientams, įskaitant sergančius retosiomis ligomis, neberekės pernelyg dažnai keliauti gydymosi tikslais po savo šalį ar visą Europą.

4.9. Akademiinių mokslinių tyrimų, sveikatos ekonomikos ir priežiūros kokybės sergant retosiomis ligomis gerinimui reikalingi pacientų registrai, grindžiami FAIR principu (randami, prieinami, sąveikūs ir pakartotinai panaudojami duomenys). Tokios iniciatyvos, kaip Europos registrų duomenų saugykla, Europos retųjų ligų registrų infrastruktūros metaduomenų saugykla (ERDRI.mdr) ir Europos sveikatos duomenų erdvė, turi paskatinti diskusijas dėl glaustos, standartinės registracijos ir registrų paskirties.

4.10. Pasiūlai ir paklausai retųjų ligų srityje nustatyti reikia atlikti kiekybinę sergamumo retosiomis ligomis paplitimo, pacientų naudojimosi priežiūra ir priežiūros išlaidų analizę, kuo labiau gerbiant pacientų privatumą. Belgijos sveikatos draudimo fondų taikoma naujoviška metodika pirmą kartą leido išnagrinėti, kaip plačiai paplitusios retosios ligos, kokios yra priežiūros išlaidos ir kokiomis priežiūros paslaugomis naudojasi sergantieji retosiomis ligomis, lyginant su tuo, kiek vidutiniškai išlaidų priežiūrai patiria ir kiek plačiai priežiūros paslaugomis naudojasi apdraustieji ⁽²⁷⁾.

4.11. Analizė patvirtino, kad sergantieji retosiomis ligomis priežiūros paslaugomis naudojasi daugiau nei vidutinis apdraustasis (dažniau lankosi ligoninėse ir yra hospitalizuojami, dažniau naudojasi šeimos gydytojų ir specialistų priežiūra), o tai galima paaiškinti sudėtingesniais priežiūros poreikiais. Patvirtinta, kad dėl sergančiųjų retosiomis ligomis priežiūros privalomojo sveikatos draudimo sistema patiria dešimt kartų daugiau išlaidų nei dėl vidutinio apdraustojo priežiūros, be to, sergančiųjų retosiomis ligomis metinė savo lėšomis padengiamų išlaidų dalis yra tris kartus didesnė nei vidutinio apdraustojo. Daugiausia išlaidų tenka vaistams – vidutiniškai pusė. Realios išlaidos turėtų būti daug didesnės, nes tyrime neatsižvelgta į socialines ir ekonomines šeimos aplinkybes ar kitas nekompensuojamas išlaidas, pavyzdžiui, psichologinę ar paramedicininę priežiūrą, papildomą draudimą arba vien savo lėšomis padengiamas išlaidas. Analizė įrodė, kad stiprios, solidarumu grindžiamos sveikatos draudimo sistemos, padedančios apsaugoti retosiomis ligomis sergančius pacientus, yra svarbios. Kai retosiomis ligomis sergantys pacientai atsisako priežiūros arba ją nesinaudoja dėl finansinių priežasčių, tai turi įtakos jų sveikatai, vėlesnio gyvenimo kokybei ir sukelia finansinį pavojų dėl padidėjusių išlaidų ilguoju laikotarpiu.

⁽²⁴⁾ Kole, A., Hedley V., et al. (2021 m.), Tyrimo *Rare 2030 Foresight Study: The future of rare diseases starts today* rekomendacijos.

⁽²⁵⁾ EMRaDi (2020 m.), *Final report of the EMRaDi project* (Projekto „EMRaDi“ galutinė ataskaita).

⁽²⁶⁾ EMRaDi projektas (2019 m.), EMRaDi informacijos suvestinė *How to get EU actions on rare diseases (RD) closer to RD patients and their relatives? From local and cross-border developments to European solutions* („Kaip ES veiksmus retųjų ligų srityje priartinti prie retosiomis ligomis sergančių pacientų ir jų artimųjų? Nuo vietinių ir tarpvalstybinių pokyčių iki europinių sprendimų“).

⁽²⁷⁾ Noirhomme C., (2020 m. gruodžio mėn.), „MC informations 282“, *Analyse de la consommation et des dépenses de soins des personnes atteintes de maladies rares* („Retosiomis ligomis sergančių žmonių naudojimosi sveikatos priežiūros paslaugomis ir išlaidų analizė“), p. 20–29.

4.12. ES teisės aktų dėl retųjų ir pediatriinių vaistų (retomis ligomis sergantiems žmonėms ir vaikams skirtų vaistų) peržiūra reikalauja plataus užmojo požiūrio siekiant užtikrinti, kad retieji vaistai ir gydymas būtų įperkami valstybių narių sveikatos priežiūros sistemoms ir pacientams. Šiuo metu įperkamumas yra kliūtis daugeliui retosiomis ligomis sergančių pacientų. Taikant bendrą, skaidrų, tvarų ir palaikantį ES požiūrį įvairios Europos bendradarbiavimo formos ir modeliai, pagal kuriuos šalys bendrai perka vaistus, pavyzdžiui, iniciatyva „Beneluxa“⁽²⁸⁾, arba vakcinas, kaip buvo per COVID-19 pandemiją, pagerina galimybės gauti gydymą. Diskusijas dėl sąžiningos kainodaros ir vaistų mokslinių tyrimų ir plėtros išlaidų skaidrumo suaktyvino pasiūlymas dėl sąžiningos vaistų kainos skaičiuoklės ir Tarptautinės savitarpio pagalbos asociacijos (AIM) siūlomas sąžiningos naujų ar esamų vaistų (be generinių vaistų konkurencijos) kainodaros modelis ir lyginimas su mokama ar derybų metu nustatoma kaina⁽²⁹⁾.

4.13. Kai neįmanoma gauti reguliaraus kompensavimo, įvairiose valstybėse narėse taikomos kitos priemonės dėl galimybės retosiomis ligomis sergantiems pacientams gauti retųjų vaistų, kaip antai vilties vaistinių preparatų naudojimo programos, nuostatos dėl vaisto naudojimo ne pagal indikacijas ir, pavyzdžiui, intervenciniai veiksmai pasitelkiant Specialų solidarumo fondą⁽³⁰⁾. Solidarumo fondai gali būti naudinga papildoma priemonė, kai privalomasis sveikatos draudimas nepadengia sudėtingų ar retųjų ligų gydymo arba tarpvalstybinės priežiūros išlaidų. Taip yra tuo atveju, kai ES nėra pripažintų referencijos centrų. Nepaisant retųjų ligų gydymo poveikio biudžetui, svarstymai apie Europos konvencijas dėl priežiūros ERCT arba galimybės retosiomis ligomis sergantiems pacientams gauti priežiūrą kitos valstybės narės referencijos centre, rezultatų nedavė.

4.14. Pasirengimo ekstremaliosioms sveikatos situacijoms ir reagavimo į jas institucija (HERA) buvo įsteigta kaip atsakas į COVID-19 pandemiją ir kaip pagrindinis Europos sveikatos sąjungos ramstis. Šios institucijos paskirtis – užkirsti kelią ekstremaliosioms sveikatos situacijoms, jas nustatyti ir greitai į jas reaguoti, taip pat numatyti grėsmes ir galimas sveikatos krizes, renkant žvalgybinę informaciją ir telkiant būtinus reagavimo pajėgumus. HERA veiklos sritis gali būti išplėsta ir neapsiriboti užkrečiamosiomis ligomis, o įgaliojimai suteikia jai galimybę kovoti su kitomis grėsmėmis sveikatai. Dabartinė Europos sveikatos sąjungos valdymo struktūra dar neapima institucinės paramos pasirengimui ir reagavimui į sunkumus, susijusius su retosiomis ligomis, kurių gali patirti valstybės narės. HERA gali būti pavyzdžiu naujai neužkrečiamųjų ligų institucijai, kuri skatintų koordinavimą ir solidarumą retųjų ligų srityje.

Bruselis, 2022 m. spalio 26 d.

Europos ekonomikos ir socialinių reikalų komiteto
pirmininkė
Christa SCHWENG

⁽²⁸⁾ Iniciatyva „Beneluxa“ dėl vaistų politikos.

⁽²⁹⁾ AIM – Europos sąžiningos vaistų kainos skaičiuoklė; AIM siūlo priemonę sąžiningoms ir skaidrioms prieinamų vaistų inovacijų kainoms Europoje apskaičiuoti.

⁽³⁰⁾ Maastrichto universitetas (2020 m), *Report on the analysis of legal, financial and reimbursement mechanisms of rare diseases for treatment costs of EMR rare diseases patients* (Retųjų ligų teisinių, finansinių ir kompensavimo mechanizmų, susijusių su retosiomis ligomis sergančių pacientų gydymo išlaidomis, analizės ataskaita), 3.2 punktas „Retieji vaistai“, p. 43–45.