

NL

NL

NL



COMMISSIE VAN DE EUROPESE GEMEENSCHAPPEN

Brussel, 11.11.2008  
COM(2008) 726 definitief

Vorstel voor een

**AANBEVELING VAN DE RAAD**

**betreffende Europees optreden op het gebied van zeldzame ziekten**

{SEC(2008)2713}

{SEC(2008)2712}

Voorstel voor een

## AANBEVELING VAN DE RAAD

### betreffende Europees optreden op het gebied van zeldzame ziekten

DE RAAD VAN DE EUROPESE UNIE,

Gelet op het Verdrag tot oprichting van de Europese Gemeenschap, en met name op artikel 152, lid 4, tweede alinea,

Gezien het voorstel van de Commissie<sup>1</sup>,

Gezien het advies van het Europees Parlement<sup>2</sup>,

Gezien het advies van het Europees Economisch en Sociaal Comité<sup>3</sup>,

Gezien het advies van het Comité van de Regio's<sup>4</sup>,

Overwegende hetgeen volgt:

- (1) Zeldzame ziekten zijn levensbedreigende of chronisch invaliderende ziekten met een geringe prevalentie en een grote complexiteit, en vormen als zodanig een gezondheidsbedreiging voor de Europese burgers.
- (2) Voor de periode van 1 januari 1999 tot en met 31 december 2003 is een communautair actieprogramma inzake zeldzame ziekten, met inbegrip van ziekten van genetische oorsprong, vastgesteld<sup>5</sup>. In dat programma werden zeldzame ziekten gedefinieerd als ziekten waaraan minder dan 5 op de 10 000 mensen in de Europese Unie lijden.
- (3) In Verordening (EG) nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen is bepaald dat een geneesmiddel als een "weesgeneesmiddel" wordt aangewezen wanneer het bedoeld is voor de diagnose, preventie of behandeling van een levensbedreigende of chronisch invaliderende aandoening waaraan maximaal 5 per 10 000 personen in de Gemeenschap lijden op het tijdstip van de aanvraag.
- (4) Er zijn momenteel naar schatting 5 000 tot 8 000 verschillende zeldzame ziekten, waaraan 6 tot 8% van de bevolking in de loop van zijn leven lijdt. Voor de Europese Unie betekent dit dat 27 tot 36 miljoen mensen een zeldzame ziekte hebben of krijgen. Hiervan lijden de meeste mensen aan een ziekte die bij 1 op de 100 000 mensen of minder voorkomt.
- (5) Vanwege de geringe prevalentie en de specifieke kenmerken van zeldzame ziekten vereisen deze ziekten een algemene aanpak, gebaseerd op bijzondere gebundelde inspanningen om een grote morbiditeit of vermijdbare vroegtijdige mortaliteit te

---

<sup>1</sup> PB C [...] van [...], blz. [...].

<sup>2</sup> PB C [...] van [...], blz. [...].

<sup>3</sup> PB C [...] van [...], blz. [...].

<sup>4</sup> PB C [...] van [...], blz. [...].

<sup>5</sup> Besluit nr. 1295/1999/EG van het Europees Parlement en de Raad van 29 april 1999 tot vaststelling van een communautair actieprogramma inzake zeldzame ziekten binnen het actiekader op het gebied van de volksgezondheid (1999-2003).

voorkomen en de levenskwaliteit en het sociaaleconomisch potentieel van de getroffen personen te verbeteren.

- (6) Zeldzame ziekten waren een van de prioriteiten van het zesde kaderprogramma voor activiteiten op het gebied van onderzoek, technologische ontwikkeling en demonstratie (2002-2006) en zijn ook een actieprioriteit in het nieuwe zevende kaderprogramma voor activiteiten op het gebied van onderzoek, technologische ontwikkeling en demonstratie (2007-2013)<sup>6</sup> aangezien voor de ontwikkeling van nieuwe diagnostica en behandelingen voor zeldzame aandoeningen, alsook voor de uitvoering van epidemiologisch onderzoek naar deze aandoeningen, een internationale aanpak nodig is om het aantal patiënten voor elke studie te vergroten.
- (7) In haar witboek “Samen werken aan gezondheid: een EU-strategie voor 2008-2013” van 23 oktober 2007<sup>7</sup>, waarin de EU-gezondheidsstrategie uiteengezet is, heeft de Commissie zeldzame ziekten als actieprioriteit aangemerkt.
- (8) Om de nationale, regionale en plaatselijke initiatieven op het gebied van zeldzame ziekten beter te coördineren en meer samenhang te geven, moeten alle nationale maatregelen op dit gebied in nationale plannen voor zeldzame ziekten worden opgenomen.
- (9) Volgens de databank Orphanet hebben slechts 250 van de 5 863 bekende zeldzame ziekten waarvoor een klinische identificatie mogelijk is een code in de huidige internationale classificatie van ziekten (tiende versie). Een goede classificatie en systematisering van alle zeldzame ziekten is nodig om deze ziekten de vereiste zichtbaarheid en erkenning in de nationale gezondheidsstelsels te geven.
- (10) De Wereldgezondheidsorganisatie (hierna “WHO” genoemd) is in 2007 begonnen met de herziening van de tiende versie van de internationale classificatie van ziekten en het is de bedoeling dat de nieuwe elfde versie van deze classificatie in 2014 door de Wereldgezondheidsvergadering wordt goedgekeurd. De WHO heeft de EU-taskforce zeldzame ziekten aangewezen als thematische adviesgroep om in het kader van de herziening voorstellen te doen voor de systematisering en classificatie van zeldzame ziekten.
- (11) Als alle lidstaten een gemeenschappelijke identificatie van zeldzame ziekten hanteren, zou dit de bijdrage van de Europese Unie aan deze thematische adviesgroep aanzienlijk versterken en de communautaire samenwerking op het gebied van zeldzame ziekten eenvoudiger maken.
- (12) In juli 2004 is een Groep op hoog niveau inzake gezondheidsdiensten en medische zorg opgericht<sup>8</sup> om deskundigen uit alle lidstaten bijeen te brengen om praktische aspecten van samenwerking tussen de nationale gezondheidsstelsels in de EU uit te werken. Een van de werkgroepen van deze groep op hoog niveau houdt zich bezig met Europese referentienetwerken voor zeldzame ziekten<sup>9</sup>. Er zijn enkele beginselen ontwikkeld, onder meer betreffende de rol van deze netwerken in de aanpak van

---

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

<sup>7</sup> Zie [http://ec.europa.eu/health/ph\\_overview/strategy/health\\_strategy\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_en.htm).

<sup>8</sup> Naar aanleiding van het denkproces op hoog niveau heeft de Commissie een mededeling over de mobiliteit van patiënten en de ontwikkelingen in de gezondheidszorg in de EU goedgekeurd (COM(2004) 301 van 20.4.2004) en een mechanisme ingesteld om de in de mededeling vermelde werkzaamheden te bevorderen.

<sup>9</sup> [http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/rare\\_8\\_en.htm](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm).

zeldzame ziekten, en criteria vastgesteld waaraan deze centra moeten voldoen. Europese referentienetwerken moeten bovendien als onderzoeks- en kenniscentra fungeren, patiënten uit andere lidstaten behandelen en zo nodig zorgen voor de beschikbaarheid van nazorgfaciliteiten.

- (13) Europese referentienetwerken voor zeldzame ziekten hebben een bijzonder grote communautaire toegevoegde waarde doordat deze aandoeningen maar weinig voorkomen, zodat er in de afzonderlijke landen een gering aantal patiënten en beperkte deskundigheid is. Om patiënten met een zeldzame ziekte gelijke toegang tot hoogwaardige zorg te kunnen bieden, is het daarom cruciaal dat op Europees niveau expertise bijeengebracht wordt.
- (14) In december 2006 heeft een groep van deskundigen van de EU-taskforce zeldzame ziekten het verslag “Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases”<sup>10</sup> aan de Groep op hoog niveau inzake gezondheidsdiensten en medische zorg voorgelegd. In dit verslag van de groep van deskundigen wordt onder meer gewezen op het belang van de identificatie van nationale en regionale expertisecentra en de rol die deze centra moeten vervullen. Enkele van de in het verslag gevraagde maatregelen zijn in deze aanbeveling verwerkt.
- (15) Gebleken is dat zeldzame ziekten in Europa het meest doeltreffend kunnen worden aangepakt door nationale en regionale expertisecentra te laten samenwerken en kennis te laten uitwisselen.
- (16) De nationale en regionale expertisecentra moeten een multidisciplinaire zorgaanpak volgen waarin medische en sociale aspecten een rol spelen om te kunnen omgaan met de complexe en uiteenlopende zeldzame ziekten.
- (17) De specifieke kenmerken van zeldzame ziekten – een beperkt aantal patiënten en weinig relevante kennis en deskundigheid – maken deze ziekten tot een uniek domein met een zeer grote toegevoegde waarde van communautair optreden. Deze toegevoegde waarde kan in het bijzonder worden bereikt door de over de lidstaten verspreide nationale deskundigheid op het gebied van zeldzame ziekten te bundelen.
- (18) Het is van het grootste belang dat de lidstaten actief bijdragen aan de ontwikkeling van bepaalde gemeenschappelijke instrumenten die vermeld zijn in de mededeling van de Commissie over zeldzame ziekten, met name de Europese referentieadviezen over diagnostiek en medische verzorging en Europese richtsnoeren voor bevolkingsonderzoek. Dit moet ook gelden voor de verslagen van beoordelingen van de therapeutische toegevoegde waarde van weesgeneesmiddelen, die de prijsonderhandelingen op nationaal niveau kunnen bespoedigen en zo weesgeneesmiddelen sneller toegankelijk kunnen maken voor patiënten met een zeldzame ziekte.
- (19) De WHO heeft zeggenschap van patiënten betiteld als een “absolute vereiste voor gezondheid” en pleit voor een “proactief partnerschap en een strategie voor zelfzorg voor patiënten ter verbetering van de gezondheidsresultaten en van de levenskwaliteit van chronisch zieken”<sup>11</sup>. In dit licht hebben patiëntengroepen een cruciale rol bij zowel de rechtstreekse ondersteuning van individuele patiënten als bij de collectieve werkzaamheden waarmee zij de voorwaarden voor de patiëntengemeenschap als geheel, alsook voor de komende generaties verbeteren.

---

<sup>10</sup> [http://ec.europa.eu/health/ph\\_threats/non\\_com/docs/contribution\\_policy.pdf](http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/contribution_policy.pdf).

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

- (20) Patiënten en patiëntenvertegenwoordigers moeten daarom bij alle stappen van de beleids- en besluitvorming worden betrokken. Hun activiteiten moeten in elke lidstaat actief worden bevorderd en, onder meer financieel, worden gesteund.
- (21) Voor de ontwikkeling van onderzoeks- en gezondheidszorginfrastructuur voor zeldzame ziekten zijn langetermijnprojecten nodig en om de duurzaamheid daarvan op lange termijn te kunnen waarborgen moet worden gezorgd voor passende financiering. Bij deze financiering wordt in het bijzonder gestreefd naar maximale synergie met de projecten die ontwikkeld zijn in het gezondheidsprogramma van de Gemeenschap (2008-2013), het zevende communautaire kaderprogramma voor activiteiten op het gebied van onderzoek, technologische ontwikkeling en demonstratie (2007-2013) en de opvolgers van deze programma's,

#### BEVEELT DE LIDSTATEN AAN:

1. nationale plannen voor zeldzame ziekten op te stellen, om voor alle patiënten met een zeldzame ziekte op hun nationale grondgebied universele toegang tot hoogwaardige zorg, inclusief diagnostiek, behandeling en weesgeneesmiddelen, te waarborgen, op basis van rechtvaardigheid en solidariteit in de hele EU, en met name:
  - 1) uiterlijk eind 2011 een algemene geïntegreerde strategie in de vorm van een nationaal plan voor zeldzame ziekten op te stellen en goed te keuren, die als leidraad dient voor en structuur aanbrengt in alle relevante maatregelen op het gebied van zeldzame ziekten;
  - 2) maatregelen te nemen om te waarborgen dat alle lopende en toekomstige initiatieven op regionaal en nationaal niveau in hun nationale plan worden opgenomen;
  - 3) in het nationale plan voor zeldzame ziekten een beperkt aantal prioritaire acties te definiëren met concrete doelstellingen, duidelijke termijnen, beheersstructuren en regelmatige verslagen;
  - 4) steun te verlenen aan de ontwikkeling van richtsnoeren en aanbevelingen voor de opstelling van nationale maatregelen voor zeldzame ziekten door relevante autoriteiten op nationaal niveau in het kader van het lopende Europese project voor de ontwikkeling van nationale plannen voor zeldzame ziekten (EUROPLAN), dat in de periode 2007-2010 financiële steun krijgt van het volksgezondheidsprogramma;
  - 5) in de nationale plannen bepalingen op te nemen om voor alle patiënten met een zeldzame ziekte op hun nationale grondgebied gelijke toegang tot hoogwaardige zorg, inclusief diagnostiek, behandeling en weesgeneesmiddelen, te waarborgen, teneinde gelijke toegang tot hoogwaardige zorg te waarborgen op basis van rechtvaardigheid en solidariteit in de hele Europese Unie;
2. Adequate definitie, classificatie en inventarisatie van zeldzame ziekten
  - 1) de gemeenschappelijke definitie van de Europese Unie voor zeldzame ziekten als ziekten waaraan niet meer dan 5 op de 10 000 mensen lijden, te hanteren;
  - 2) te waarborgen dat zeldzame ziekten adequaat worden gecodeerd en in alle gezondheidsinformatiesystemen op te sporen zijn en zo te bevorderen dat deze

ziekten passende erkenning krijgen in de nationale gezondheidszorg- en vergoedingsstelsels;

- 3) actief bij te dragen tot de totstandkoming van een dynamische EU-inventaris van zeldzame ziekten, zoals bedoeld in de mededeling;
- 4) op nationaal of regionaal niveau steun te verlenen aan informatienetwerken, registers en databanken voor specifieke ziekten;

### 3. Onderzoek naar zeldzame ziekten

- 1) lopende onderzoeksprojecten en bestaande onderzoeksmiddelen te identificeren teneinde de laatste ontwikkelingen op het gebied van zeldzame ziekten te signaleren;
- 2) de behoeften en prioriteiten op het gebied van fundamenteel, klinisch en translationeel onderzoek naar zeldzame ziekten vast te stellen, alsook de prioriteiten voor sociaal onderzoek;
- 3) nationale onderzoekers en laboratoria aan te moedigen deel te nemen aan door de Gemeenschap gefinancierde onderzoeksprojecten voor zeldzame ziekten;
- 4) in de nationale plannen voor zeldzame ziekten bepalingen op te nemen om onderzoek naar zeldzame ziekten, waaronder volksgezondheids- en sociaal onderzoek, te bevorderen, in het bijzonder met het oog op de ontwikkeling van hulpmiddelen als transversale infrastructuur en projecten voor specifieke ziekten;

### 4. Expertisecentra en Europese referentienetwerken voor zeldzame ziekten

- 1) uiterlijk eind 2011 op hun hele nationale grondgebied nationale of regionale expertisecentra te identificeren en wanneer deze nog niet bestaan, de oprichting van expertisecentra te bevorderen, met name door in hun nationale plan voor zeldzame ziekten bepalingen betreffende de oprichting van nationale of regionale expertisecentra op te nemen;
- 2) nationale of regionale expertisecentra aan te moedigen deel te nemen aan Europese referentienetwerken en op lange termijn voldoende overheidsmiddelen ter beschikking te stellen om hun duurzaamheid, en bijgevolg de continuïteit van de patiëntenzorg, te waarborgen;
- 3) zorgtrajecten voor patiënten tot stand te brengen door zo nodig samenwerking met relevante deskundigen in binnen- en buitenland op te zetten; wanneer dit nodig is om universele toegang tot specifieke benodigde gezondheidszorg te waarborgen, moet steun worden verleend aan grensoverschrijdende gezondheidszorg, waaronder mobiliteit van patiënten, gezondheidswerkers en zorgaanbieders, en de verlening van diensten met behulp van informatie- en communicatietechnologie;
- 4) te waarborgen dat de nationale of regionale expertisecentra voor complexe en uiteenlopende aandoeningen, zoals zeldzame ziekten, een multidisciplinaire zorgaanpak hanteren; en de integratie van medische en sociale niveaus binnen de centra te bevorderen;
- 5) te waarborgen dat de nationale of regionale expertisecentra zich houden aan de door de Europese referentiecentra voor zeldzame ziekten gedefinieerde normen en daarbij terdege rekening houden met de behoeften en verwachtingen van patiënten en gezondheidswerkers;

5. Bundeling van Europese deskundigheid op het gebied van zeldzame ziekten
  - 1) mechanismen in te stellen om nationale deskundigheid op het gebied van zeldzame ziekten samen te brengen en te bundelen met de deskundigheid van collega's elders in Europa, om de ontwikkeling te bevorderen van:
    - a) gemeenschappelijke protocollen en aanbevelingen, zoals Europese referentieadviezen over diagnostica, medische verzorging, onderwijs en sociale zorg;
    - b) Europese richtsnoeren voor bevolkingsonderzoek en diagnostische tests;
    - c) uitwisseling op EU-niveau van verslagen van beoordelingen van de lidstaten betreffende de therapeutische toegevoegde waarde van weesgeneesmiddelen, om weesgeneesmiddelen sneller toegankelijk te maken voor patiënten met een zeldzame ziekte;
6. Zeggenschap van patiëntenorganisaties
  - 1) maatregelen te nemen om ervoor te zorgen dat patiënten en patiëntenvertegenwoordigers naar behoren worden geraadpleegd bij alle stappen van de beleids- en besluitvorming op het gebied van zeldzame ziekten, met inbegrip van de oprichting en het beheer van expertisecentra en Europese referentienetwerken en de opstelling van nationale plannen;
  - 2) de activiteiten van patiëntenorganisaties te ondersteunen, bijvoorbeeld op het gebied van bewustmaking, capaciteitsvorming en opleiding, uitwisseling van informatie en beste praktijken, netwerkvorming en hulpverlening aan zeer geïsoleerde patiënten;
  - 3) in de nationale plannen voor zeldzame ziekten bepalingen op te nemen over de ondersteuning en raadpleging van patiëntenorganisaties, zoals bedoeld onder 1) en 2);
7. Duurzaamheid
  - 1) met passende financieringsmechanismen de duurzaamheid op lange termijn te garanderen van onderzoeksstructuren, zoals biobanken, databanken en registers, van gezondheidszorginfrastructuur, zoals expertisecentra, en van de Europese referentienetwerken voor zeldzame ziekten;
  - 2) met andere lidstaten samen te werken om de nodige duurzaamheid te verlenen aan pan-Europese onderzoeksinfrastructuur die door alle lidstaten wordt gedeeld en een zo groot mogelijk aantal zeldzame ziekten omvat;
  - 3) in de nationale plannen voor zeldzame ziekten bepalingen op te nemen over de noodzaak om aandacht te besteden aan de financiële duurzaamheid van activiteiten op het gebied van zeldzame ziekten;

VERZOEKT DE COMMISSIE:

1. uiterlijk aan het eind van het vijfde jaar na de datum van goedkeuring van deze aanbeveling aan de hand van de door de lidstaten verstrekte informatie een aan het Europees Parlement, de Raad, het Europees Economisch en Sociaal Comité en het Comité van de Regio's gericht uitvoeringsverslag over deze aanbeveling op te stellen, waarin wordt beoordeeld in hoeverre de voorgestelde maatregelen doeltreffend zijn en of nadere maatregelen noodzakelijk zijn;



2. de Raad op gezette tijden op de hoogte te brengen van de follow-up van de mededeling van de Commissie over zeldzame ziekten.

Gedaan te Brussel,

*Voor de Raad*  
*De voorzitter*