

Parecer do Comité Económico e Social Europeu sobre a Proposta de recomendação do Conselho relativa a uma acção europeia em matéria de doenças raras

COM(2008) 726 final — 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

Em 28 de Novembro de 2008, o Conselho decidiu, nos termos do artigo 262.º do Tratado que institui a Comunidade Europeia, consultar o Comité Económico e Social Europeu sobre a

«Proposta de recomendação do Conselho relativa a uma acção europeia em matéria de doenças raras»

Foi incumbida da preparação dos correspondentes trabalhos a Secção Especializada de Emprego, Assuntos Sociais e Cidadania que emitiu parecer em 4 de Fevereiro de 2009, sendo relatora Ágnes CSER.

Na 451.ª reunião plenária de 25 e 26 de Fevereiro de 2009 (sessão de 25 de Fevereiro), o Comité Económico e Social Europeu adoptou, por 162 votos a favor, 4 votos contra e 8 abstenções, o seguinte parecer:

1. Conclusões e recomendações

1.1 O CESE congratula-se com o projecto de recomendação do Conselho e aprova a acção coordenada da UE para identificar, definir e classificar as doenças raras.

1.2 O CESE apoia a designação de centros de especialização nacionais e regionais responsáveis pelas doenças raras, bem como o incentivo e a promoção da sua participação nas redes europeias de referência.

1.3 O CESE aprova o apoio prestado às actuais investigações coordenadas sobre doenças raras, bem como a promoção de que beneficiam. Saúde igualmente o fomento de projectos de coordenação que visem a utilização optimizada dos escassos recursos disponíveis, bem como o reforço da cooperação internacional.

1.4 No que diz respeito à compilação dos conhecimentos científicos existentes sobre doenças raras a nível europeu, o CESE recomenda que os direitos de propriedade intelectual sejam devidamente considerados e que se proponham garantias adequadas para os mesmos.

1.5 O CESE concorda com a elaboração de planos nacionais, mas considera que 2011 é uma data demasiado próxima para assegurar o rigor necessário.

1.6 O CESE felicita-se com a identificação de centros nacionais e regionais até 2011, estando, porém, ciente de que tal dependerá da elaboração adequada de planos nacionais.

1.7 O CESE recomenda que se promova a coordenação e a informação a nível europeu, bem como a elaboração de uma

base comum e informatizada de terminologia técnica. Recomenda igualmente que seja preparado um guia prático que possibilite o diálogo entre diferentes culturas profissionais e reflecta as particularidades do sector.

1.8 O CESE recomenda o desenvolvimento de um sistema especial de comunicação e alerta que funcione como rede de referência e «serviço móvel» permitindo às pessoas envolvidas aceder à informação de que necessitam.

1.9 O CESE concorda em que se atribua também um papel à investigação no campo das ciências sociais para identificar as necessidades que se fazem sentir no âmbito das doenças raras.

1.10 O CESE propõe que os Estados-Membros estabeleçam os seus próprios centros para as doenças raras, com eventuais funções de coordenação entre, por um lado, os institutos de investigação, os centros de cuidados de saúde e os serviços de saúde e, por outro, os poderes públicos.

1.11 O CESE sugere que os centros para as doenças raras dos Estados-Membros se encarreguem de tarefas ligadas à recolha de dados, à acreditação, à metodologia e à coordenação.

1.12 O CESE recomenda que as estratégias nacionais para as doenças raras integrem os programas nacionais de saúde pública e desenvolvimento da saúde.

1.13 O CESE propõe que, em lugar de um financiamento projecto a projecto, se desenvolva um financiamento a longo prazo, visando uma utilização eficaz e mais rentável dos recursos, numa perspectiva de respeito dos direitos dos doentes.

1.14 O CESE defende que, mediante a participação das associações de doentes, das organizações profissionais, das organizações da sociedade civil e dos parceiros sociais, se examine, analise e avalie as possibilidades de utilização dos centros de referência existentes nos vários Estados-Membros, sem nunca esquecer os interesses e os direitos dos doentes.

1.15 O CESE recomenda que se analise com maior profundidade a mobilidade dos peritos em saúde, contando com o contributo das organizações profissionais, das organizações da sociedade civil e dos parceiros sociais, para assegurar as garantias adequadas.

1.16 Para reduzir as desigualdades na saúde, o CESE recomenda que se examinem as condições que permitem uma utilização equilibrada de recursos, dado que a proposta de recomendação visa assegurar o acesso a cuidados de saúde a todos os doentes com doenças graves.

1.17 O CESE apoia a criação do Comité Consultivo da UE em matéria de doenças raras e recomenda que, além dos representantes dos Estados-Membros, este Comité deve incluir também a indústria dos cuidados de saúde, peritos e associações representantes dos doentes, os parceiros sociais e outras organizações da sociedade civil, porque, sem eles, não será possível elaborar estratégias nacionais, que é uma das condições para a aplicação da recomendação.

1.18 O CESE recomenda que a política internacional para a saúde apoie a iniciativa do Dia Europeu das Doenças Raras, para que este ganhe uma dimensão mundial.

1.19 O CESE aprova a elaboração de um relatório sobre a aplicação da recomendação, o mais tardar cinco anos após a data da sua adopção, estando, porém, ciente de que as correcções necessárias deverão ser introduzidas durante a aplicação, tendo em conta os direitos dos doentes. O CESE gostaria de participar na avaliação contínua desta aplicação.

2. Observações na generalidade

2.1 Contexto

2.1.1 As doenças raras, incluindo as de origem genética, foram objecto de um programa de acção comunitária para o período compreendido entre 1 de Janeiro de 1999 e 31 de Dezembro de 2003 (Decisão n.º 1295/1999/CE do Parlamento Europeu e do Conselho, de 29 de Abril de 1999, que adopta um programa de acção comunitária em matéria de doenças raras no quadro da acção no domínio da saúde pública [1999-2003]), segundo o qual uma doença rara é uma doença com uma prevalência de até cinco casos em cada 10 mil pessoas na União. O Regulamento (CE) n.º 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho, de 16 de Dezembro de 1999, relativo aos medicamentos órfãos, assenta nesta mesma definição.

2.1.2 Devido à sua baixa prevalência e à sua especificidade, as doenças raras exigem uma abordagem englobante, numa combinação de esforços especiais, no sentido de impedir uma morbilidade significativa ou uma mortalidade prematura evitável e melhorar a qualidade de vida e o potencial socioeconómico das pessoas afectadas.

2.1.3 O grupo de trabalho para as redes europeias de referência no âmbito das doenças raras, criado pela Comissão Europeia, tem como missão definir os princípios básicos, os tratamentos e os critérios a serem cumpridos pelos centros europeus de referência. Estes aspectos inscrevem-se também nos 6.º e 7.º programas-quadro de investigação e desenvolvimento.

2.1.4 A Organização Mundial de Saúde (OMS) está a preparar a adopção, em 2014, da 11.ª versão da Classificação Internacional de Doenças, que inclui igualmente as doenças raras. A OMS convidou a *Task Force* para as Doenças Raras, da União Europeia, a contribuir, enquanto grupo consultivo, para a codificação e classificação destas doenças.

2.1.5 A adopção de uma definição comum para «doenças raras» por todos os Estados-Membros reforçaria sobremaneira a contribuição da União Europeia no quadro da cooperação com a OMS, permitindo à UE desempenhar, a nível mundial, um papel mais importante na resolução de problemas de saúde.

2.1.6 Assegurar o acesso dos doentes com doenças raras ao diagnóstico, ao tratamento e a informações de qualidade é uma das grandes prioridades da estratégia europeia em matéria de saúde, adoptada em 2007.

3. Observações na especialidade

3.1 Definição e prevalência das doenças raras

3.1.1 As doenças raras exigem uma abordagem englobante, numa combinação de esforços especiais, no sentido de impedir uma morbilidade significativa ou uma mortalidade prematura evitável e melhorar a qualidade de vida e o potencial socioeconómico das pessoas afectadas.

3.1.2 Os dados sobre a prevalência destas doenças indicam que há entre 5 000 e 8 000 doenças raras diferentes, que afectam cerca de 6 % da população total da UE, o que significa que entre 27 e 36 milhões de pessoas sofrem ou virão a sofrer de uma doença rara no decurso das suas vidas.

3.1.3 A maioria destas doenças raras é extremamente invulgar e afecta não mais do que uma em cada 100 mil pessoas ou menos. Os doentes com doenças muito raras e os seus familiares encontram-se particularmente isolados e vulneráveis.

3.1.4 Verifica-se igualmente uma grande diversidade em termos de idade na qual os primeiros sintomas ocorrem: metade das doenças raras aparece à nascença ou durante a infância, ao passo que a outra metade aparece na idade adulta. A maioria das doenças raras corresponde a doenças genéticas, mas aquelas podem igualmente resultar de exposições ambientais durante a gravidez ou mais tarde, frequentemente em combinação com uma predisposição genética. Algumas são formas ou complicações raras de doenças comuns.

3.2 Doenças raras com pouco reconhecimento e visibilidade

3.2.1 As doenças raras diferem igualmente, em grande medida, a nível de gravidade e expressão. A esperança de vida de doentes com doenças raras é significativamente reduzida. Algumas são complexas, degenerativas e cronicamente debilitantes, enquanto outras são compatíveis com uma vida normal – se diagnosticadas a tempo e geridas e tratadas correctamente. Diversas deficiências coexistem frequentemente, facto que traz muitas consequências funcionais. Estas deficiências aumentam a sensação de isolamento e poderiam ser uma fonte de discriminação e reduzir as oportunidades educativas, profissionais e sociais.

3.3 Falta de políticas em matéria de doenças raras nos Estados-Membros

3.3.1 As doenças raras contribuem amplamente para a morbilidade e mortalidade e, no entanto, os sistemas de informação sobre os serviços de saúde não as incluem, dado não haver sistemas adequados de codificação e classificação. A falta de políticas de saúde específicas para as doenças raras e a escassez de conhecimentos especializados resultam em diagnósticos tardios e no acesso difícil aos cuidados de saúde. Há disparidades grandes entre os Estados-Membros no que toca ao rastreio destas doenças, bem como ao tratamento e à readaptação dos doentes. Os cidadãos de Estados-Membros distintos ou de diferentes regiões num mesmo país não beneficiam de um acesso equitativo a cuidados de saúde especiais e a medicamentos órfãos.

3.3.2 Os recursos atribuídos à investigação, ao rastreio e ao tratamento de doenças raras diferem consideravelmente entre os Estados-Membros e a dispersão dos mesmos prejudica a sua eficácia, facto que atrasa a prestação de cuidados de saúde ou que pode mesmo mesmo inviabilizar o tratamento de muitos doentes.

3.3.3 O rastreio e o tratamento de doenças exigem uma preparação especial. Devido à falta de recursos, há diferenças significativas e muitos doentes sofrem as consequências de um diagnóstico errado ou incompleto.

3.3.4 As especificidades das doenças raras, nomeadamente o número restrito de doentes e a insuficiência de conhecimentos e competências na matéria, requerem uma cooperação internacio-

nal que traga uma mais-valia. Provavelmente, não há outro domínio na saúde pública em que a colaboração entre as 27 abordagens nacionais possa ser tão eficaz e útil como no domínio das doenças raras. Este facto é reconhecido pelos decisores políticos nacionais e europeus, bem como pelas partes interessadas. A congregação dos poucos meios disponíveis permitiria alcançar melhores resultados. As práticas de recolha de dados (por exemplo, os tipos e períodos de recolha) e a obrigação de notificação diferem entre os Estados-Membros. Em alguns casos pode aplicar-se a obrigação de notificação ao conjunto da população, ao passo que noutros se pode prever uma recolha de dados esporádica. A uniformização dos dados e informações é de importância fulcral para a elaboração e aplicação de políticas de saúde preventivas e mais rentáveis, bem como para a investigação, tanto nos Estados-Membros como na UE. O acesso a dados e informações adequadas pelos interessados é igualmente essencial.

3.3.5 Importa, em particular, melhorar a qualidade de vida dos doentes com doenças raras e dos seus familiares, bem como assegurar a sua integração na sociedade e no mundo profissional, dado que a sua vida já é uma luta constante contra a diferença e as dificuldades físicas e psicológicas.

3.3.6 Nos Estados-Membros da União Europeia há numerosas organizações não governamentais ou iniciativas da sociedade civil que visam informar os doentes com doenças raras, divulgar os conhecimentos científicos e clínicos existentes e melhorar o acesso a tratamentos médicos e a medicamentos acessíveis e adequados, contribuindo assim para a integração socioeconómica destes doentes. Estas iniciativas da sociedade civil não têm recursos suficientes e não beneficiam de um apoio governamental coordenado e harmonizado, nem de uma rede coordenada, pondo assim em causa os direitos dos doentes. Não há uma cooperação sistemática entre doentes, respectivas famílias, organizações da sociedade civil, especialistas e parceiros sociais. Verificam-se graves desequilíbrios bem como um conjunto de dificuldades em matéria de cuidados de saúde e acesso aos mesmos.

3.3.7 O rastreio e o tratamento de doenças raras são extremamente dispendiosos. No que diz respeito à utilização das novas tecnologias e ao tratamento de doenças raras com custos específicos significativos, é indispensável que cada Estado-Membro defina e aplique um limiar que seja o mais elevado possível.

3.3.8 A Comissão Europeia publicou, em 2008, uma comunicação sobre as doenças raras, no âmbito da qual procedeu a uma ampla consulta pública, que terminou em Fevereiro desse ano.

3.3.9 Os contributos reunidos nesta consulta confirmaram a necessidade de uma acção a nível comunitário. A proposta de recomendação do Conselho baseia-se, principalmente, em três domínios:

- a identificação e a codificação de doenças raras, bem como o desenvolvimento de um sistema europeu de codificação e classificação de doenças raras que contribua para o reconhecimento destas doenças; no quadro da elaboração da nova versão, a Comissão colabora com a OMS, dado que, à escala mundial, é na União Europeia que os diferentes tipos de doenças raras podem ser melhor identificados;
- a definição de princípios fundamentais e de orientações europeias neste domínio tendo em vista a elaboração de planos de acção nacionais; encorajar e apoiar os Estados-Membros na definição de políticas nacionais de saúde em matéria de doenças raras para assegurar às pessoas afectadas um acesso equitativo à prevenção, ao rastreio, ao tratamento e à convalescença e, no plano geral, a acessibilidade dos serviços;
- a recomendação do Conselho, na qual se baseia o projecto de comunicação, visa o seguinte:
 - os Estados-Membros devem elaborar planos nacionais para as doenças raras;
 - devem, além disso, estabelecer os mecanismos necessários para a definição de doenças raras, bem como a sua codificação e classificação;
 - importa promover a investigação sobre doenças raras, incluindo a colaboração transfronteiriça, e maximizar o potencial de cooperação na União Europeia na área da investigação;
 - há que identificar os centros de especialização e promover a sua participação em redes de referência europeias;
 - há necessidade de compilar nos Estados-Membros estatísticas gerais baseadas em dados sobre doenças raras recolhidos por peritos;
 - devem ser tomadas medidas para assegurar a participação dos doentes e das organizações que os representam;
 - é necessário reforçar a cooperação nas áreas em que a acção comunitária possa representar um valor acrescentado para a elaboração de orientações políticas comuns e o reconhecimento mútuo das mesmas na Europa. Essas áreas poderão incluir medidas específicas de investigação, centros de referência, acesso a informação, medidas de incentivo para o desenvolvimento de medicamentos órfãos, acções de rastreio, etc., que podem ser elementos constitutivos de uma estratégia mínima comum para as doenças raras (por exemplo, programas-piloto, investigação e desenvolvimento, seguimento da aplicação do Re-

gulamento (CE) n.º 141/2000 relativo aos medicamentos órfãos).

3.3.10 A comunicação visa apoiar a elaboração de uma estratégia europeia comum e global que promova o reconhecimento, a prevenção e a eficácia do rastreio e do tratamento das doenças raras, bem como a investigação bem sucedida neste domínio. Tem também como objectivo reforçar a cooperação entre os Estados-Membros e apoiar as actividades das redes de informação europeias e das associações de doentes. A definição e a aplicação de toda e qualquer política ou actividade comunitária devem assegurar um nível elevado de protecção da saúde humana. O conjunto destes esforços contribui para a consecução do objectivo geral de melhorar a situação sanitária e aumentar o número de anos de vida saudável, indicador crucial da Estratégia de Lisboa. Haverá, contudo, que reforçara coerência entre os diversos programas e iniciativas comunitárias como os programas de saúde pública da UE, os programas-quadro para a investigação e o desenvolvimento, a estratégia para os medicamentos órfãos, a directiva sobre os cuidados de saúde transfronteiriços e outras actividades em curso ou futuras da União ou dos seus Estados-Membros.

3.3.11 A proposta de recomendação do Conselho considera necessário que os Estados-Membros elaborem, até finais de 2011, estratégias nacionais globais e integradas para as doenças raras, associando os doentes e respectivas organizações representativas a todas as etapas do processo político e decisório. Os Estados-Membros devem também encorajar activa e financeiramente as suas actividades.

3.3.12 Embora apoie a elaboração de estratégias nacionais globais e integradas, o CESE considera, contudo, necessário que o calendário seja alterado, caso se pretenda alcançar uma estratégia global que tenha em conta os interesses dos doentes. Para isso, convirá criar centros especializados em doenças raras nos Estados-Membros, que se encarreguem das tarefas de metodologia, recolha de dados, acreditação e coordenação.

3.3.13 O fluxo de informação na União Europeia, a investigação, e o estabelecimento e a identificação de centros de referência requerem a definição e a adopção de uma terminologia técnica e de protocolos diagnósticos e terapêuticos comuns e únicos. O seu reconhecimento seria do interesse, não só dos doentes, mas também dos profissionais de saúde e dos prestadores de serviços neste sector. Por este motivo, seria útil preparar um guia prático por sector, que possibilitasse o diálogo entre diferentes culturas profissionais sobre as doenças raras, e sobre o respectivo rastreio e tratamento.

3.3.14 O desenvolvimento e a identificação de uma rede europeia de referência, bem como a disponibilização de um «serviço móvel», requerem esforços de comunicação especiais e o estabelecimento de um sistema de alerta que permita aos interessados aceder acesso à informação relevante.

3.3.15 A aplicação destas novas estruturas de investigação e prestação de serviços resultarão na criação de propriedade intelectual, pelo que será essencial tomar as medidas necessárias de protecção jurídica.

3.3.16 O CESE saúda a organização do primeiro Dia Europeu das Doenças Raras, em 29 de Fevereiro de 2008, e apoia a iniciativa da criação de um Dia Internacional das Doenças Raras. Este evento à escala internacional contribuiria para aumentar substancialmente a eficácia das investigações e dos tratamentos. No entender do CESE, é essencial assegurar uma comunicação adequada, promover o diálogo intercultural, suprimir as barreiras linguísticas e solucionar a falta de condições técnicas para possibilitar o acesso a informação suficiente e correcta aos interessados (doentes, respectivos familiares, prestadores de serviços de saúde, organizações da sociedade civil e parceiros sociais).

3.3.17 O Comité chamou a atenção, em vários pareceres anteriores, para o papel fulcral da sociedade civil e dos parceiros sociais na preservação e aplicação de valores comuns, de modo a viabilizar um valor acrescentado real. Assim, considera importante que os intervenientes da sociedade civil organizada e os parceiros sociais possam desempenhar um papel adequado na consecução dos objectivos da comunicação sobre as doenças raras. A sociedade e os parceiros sociais são os que produzem os recursos necessários em matéria de saúde, devendo, por isso, ter uma função estratégica na sua repartição.

3.3.18 Para reduzir as desigualdades na saúde, e devido aos custos extraordinários envolvidos, o CESE recomenda que se examine a possibilidade de utilizar os recursos de forma equilibrada, dado que a recomendação visa assegurar o acesso a cuidados de saúde a todos os doentes com doenças graves. A disponibilidade de recursos varia entre os Estados-Membros, existindo também diferenças muito significativas entre o número de pessoas que necessitam de tratamento e o número das que efectivamente recebem tratamento.

3.3.19 O CESE apoia a organização de investigações coordenadas e o estabelecimento e a identificação de centros de referência, dado que estas medidas poderão oferecer uma oportunidade única à União Europeia de contribuir para a resolução dos problemas mundiais de saúde, constituindo um avanço para a realização do objectivo do Livro Branco «Juntos para a saúde: Uma abordagem estratégica para a UE (2008-2013)», nomeadamente o de a UE assumir um papel de relevo a nível mundial.

3.3.20 A criação do Comité Consultivo da UE em matéria de doenças raras é um importante passo rumo à consecução deste objectivo. O CESE recomenda que, para além dos representantes dos Estados-Membros, dos peritos, das organizações representativas de doentes e do sector dos cuidados de saúde, sejam igualmente associados aos trabalhos consultivos, de forma permanente, os representantes da sociedade civil e os parceiros sociais. De facto, sem a sua colaboração, não será possível elaborar estratégias nacionais, que são uma das condições para a aplicação da recomendação.

Bruxelas, 25 de Fevereiro de 2009.

O Presidente
do Comité Económico e Social Europeu
Mario SEPI
