

RO

RO

RO



COMISIA COMUNITĂȚILOR EUROPENE

Bruxelles, 11.11.2008
COM(2008) 726 final

Propunere de

RECOMANDARE A CONSILIULUI

privind o acțiune europeană în domeniul bolilor rare

{SEC(2008)2713}

{SEC(2008)2712}

Propunere de

RECOMANDARE A CONSILIULUI

privind o acțiune europeană în domeniul bolilor rare

CONSILIUL UNIUNII EUROPENE,

având în vedere Tratatul de instituire a Comunității Europene, în special articolul 152 alineatul (4) al doilea paragraf,

având în vedere propunerea Comisiei¹,

având în vedere avizul Parlamentului European²,

având în vedere avizul Comitetului Economic și Social European³,

având în vedere avizul Comitetului Regiunilor⁴,

întrucât:

- (1) Bolile rare reprezintă o amenințare pentru sănătatea cetățenilor europeni în măsura în care ele sunt boli care pun în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică, având o prevalență redusă și un grad ridicat de complexitate.
- (2) Un program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003⁵. În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din Uniunea Europeană.
- (3) Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane prevede că un medicament este desemnat drept „produs medicamentos orfan” dacă este destinat diagnosticării, prevenirii sau tratamentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii.
- (4) Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând între 6% și 8% din populație în cursul vieții și anume, între 27 și 36 de milioane de persoane în Uniunea Europeană. Majoritatea acestora suferă de boli foarte puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin.
- (5) Din cauza prevalenței slabe și a specificității lor, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi combinate deosebite în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în

¹ JO C , , p. .

² JO C , , p. .

³ JO C , , p. .

⁴ JO C , , p. .

⁵ Decizia nr. 1295/1999/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999 - 2003).

vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socio-economic al persoanelor afectate.

- (6) Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de-Al șaselea program-cadru pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2002-2006) și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul noului program, Al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2007-2013)⁶, deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.
- (7) Comisia, în Cartea sa albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia Uniunii în materie de sănătate⁷, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare.
- (8) Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența între inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare, toate acțiunile naționale pertinente în acest domeniu trebuie integrate în planuri naționale de luptă împotriva bolilor rare.
- (9) În conformitate cu baza de date Orphanet, din cele 5 863 de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o identificare clinică, doar 250 de boli rare au un cod în clasificarea internațională a bolilor existente (a zecea versiune). Este necesară efectuarea unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul sistemelor naționale de sănătate.
- (10) Organizația Mondială a Sănătății (denumită în continuare „OMS”) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de-a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, pentru ca cea de-a unsprezecea versiune a acestei clasificări să fie adoptată în cadrul Adunării Mondiale a Sănătății din 2014. OMS a desemnat Grupul special (*Task Force*) al Uniunii Europene în materie de boli rare ca Grup consultativ pe teme specifice (*Topic Advisory Group*) privind bolile rare, pentru a contribui la acest proces de revizuire formulând propuneri în ceea ce privește codificarea și clasificarea bolilor rare.
- (11) Punerea în aplicare a unei identificări comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene la acest Grup consultativ pe teme specifice și ar facilita cooperarea la nivel comunitar în domeniul bolilor rare.
- (12) În iulie 2004, a fost înființat⁸ un Grup la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală cu scopul de a reuni experți din toate statele membre pentru a analiza aspecte practice ale colaborării dintre sistemele naționale de sănătate din UE. Unul dintre grupurile de lucru ale acestui Grup la nivel înalt se concentrează asupra rețelelor europene de referință pentru bolile rare⁹. Au fost elaborate câteva principii, inclusiv privind rolul acestor rețele în lupta împotriva bolilor rare și anumite criterii pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. Rețelele europene de referință ar trebui să servească, de asemenea, drept centre de cercetare și de cunoștințe, tratând

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

⁷ A se vedea http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_en.htm

⁸ Ca urmare a procesului de reflecție la nivel înalt, Comisia a adoptat o comunicare privind mobilitatea pacienților și evoluția asistenței medicale în UE - COM (2004) 301, 20.4.2004 - și a instituit un mecanism pentru a asigura progresul lucrărilor prezentate în Comunicare.

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

pacienți din alte state membre și garantând disponibilitatea unităților de tratament ulterior, dacă este cazul.

- (13) Valoarea adăugată comunitară a rețelelor europene de referință este extrem de importantă pentru bolile rare datorită frecvenței foarte reduse a acestor afecțiuni, care implică, într-o țară luată în mod separat, un număr limitat de pacienți și lipsa expertizei. Reunirea expertizei la nivel european este, prin urmare, primordială pentru a asigura un acces egal la asistență medicală de înaltă calitate pacienților care suferă de boli rare.
- (14) În decembrie 2006, un grup de experți din grupul special al Uniunii Europene în materie de boli rare a publicat un raport intitulat: „*Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases*”¹⁰ („Contribuția la definirea politicilor: pentru o colaborare europeană privind serviciile de sănătate și asistență medicală în domeniul bolilor rare”) în atenția Grupului la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală. Raportul grupului de experți subliniază, printre altele, importanța identificării centrelor de expertiză la nivel național și regional și rolurile pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. Unele măsuri solicitate în acest raport sunt incluse în prezenta recomandare.
- (15) Cooperarea și schimbul de cunoștințe între centrele naționale și regionale de expertiză s-au dovedit a fi abordarea cea mai eficientă pentru a face față bolilor rare în Europa.
- (16) Centrele naționale și regionale de expertiză ar trebui să urmeze o abordare multidisciplinară a asistenței, integrând aspecte medicale și sociale, pentru a face față afecțiunilor complexe și diverse implicate de bolile rare.
- (17) Având în vedere caracteristicile specifice ale bolilor rare – număr limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor relevante și a expertizei în domeniu – acestea pot fi caracterizate drept un domeniu unic cu o valoare adăugată foarte ridicată a acțiunii la nivel comunitar. Această valoare adăugată poate fi realizată, în special, prin reunirea expertizei naționale privind bolile rare, care este în prezent răspândită în diferite state membre.
- (18) Este de o importanță crucială asigurarea unei contribuții active a statelor membre la elaborarea unora dintre instrumentele comune prevăzute în comunicarea Comisiei privind bolile rare, în special avizele europene de referință privind diagnosticul și asistența medicală și orientările europene privind screeningul populației. Acest lucru ar trebui să fie valabil și pentru rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică a medicamentelor orfane, care ar putea contribui la accelerarea negocierilor de preț la nivel național, reducând astfel timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste medicamente al pacienților care suferă de boli rare.
- (19) OMS a descris responsabilizarea pacienților ca fiind „o condiție esențială pentru sănătate” și „un parteneriat proactiv și o strategie de auto-îngrijire a pacientului, de îmbunătățire a rezultatelor privind sănătatea și a calității vieții în rândul bolnavilor cronici”¹¹. În acest sens, rolul grupurilor de pacienți este fundamental, atât în ceea ce privește sprijinul direct acordat persoanelor care suferă de boală, cât și în ceea ce privește munca colectivă realizată pentru a îmbunătăți situația comunității de pacienți care suferă de o boală rară în ansamblu și pentru generațiile viitoare.

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

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

- (20) Pacienții și reprezentanții pacienților ar trebui, prin urmare, să fie implicați în toate etapele procesului de elaborare a politicilor și a deciziilor. Activitățile acestora ar trebui promovate și susținute în mod activ, inclusiv financiar, în fiecare stat membru.
- (21) Dezvoltarea infrastructurilor de cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. Acest efort ar maximiza în mod semnificativ sinergia cu proiectele elaborate în cadrul Programului comunitar în materie de sănătate (2008-2013), al celui de-Al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2007-2013) și în cadrul programelor ulterioare acestora.

RECOMANDĂ STATELOR MEMBRE:

1. Să stabilească planuri naționale de combatere a bolilor rare pentru a asigura pacienților care suferă de boli rare accesul universal la asistență medicală de înaltă calitate, inclusiv diagnostice, tratamente și medicamente orfane pe întregul lor teritoriu național, pe baza echității și solidarității în ansamblul Uniunii Europene și în special:
 - (1) să elaboreze și să adopte, până la sfârșitul anului 2011, o strategie globală și integrată destinată să orienteze și să structureze toate acțiunile relevante în domeniul bolilor rare, sub forma unui plan național de combatere a bolilor rare;
 - (2) să adopte măsuri pentru a se asigura că inițiativele actuale și viitoare la nivel regional și național sunt integrate în planul lor național;
 - (3) să definească un număr limitat de acțiuni prioritare în cadrul planului național de combatere a bolilor rare, cu obiective concrete, termene clare, structuri de gestionare și rapoarte regulate;
 - (4) să susțină elaborarea de orientări și de recomandări pentru definirea acțiunii naționale în domeniul bolilor rare de către autoritățile competente la nivel național, în cadrul Proiectului european de dezvoltare a planurilor naționale de combatere a bolilor rare (EUROPLAN), care a fost selecționat pentru a beneficia de finanțare în cadrul Programului de sănătate publică în cursul perioadei 2007-2010 și care este în prezent în desfășurare;
 - (5) să includă în planurile lor naționale dispozițiile destinate să asigure accesul echitabil la asistență medicală de înaltă calitate, inclusiv diagnostice, tratamente și medicamente orfane, tuturor pacienților care suferă de boli rare de pe întregul lor teritoriu național, pentru a asigura un acces echitabil la asistență medicală de calitate pe baza echității și solidarității în ansamblul Uniunii Europene;
2. Definiere, codificare și inventariere adecvate ale bolilor rare
 - (1) să pună în aplicare o definiție comună a bolilor rare la nivelul Uniunii Europene, conform căreia acestea reprezintă bolile care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane;
 - (2) să se asigure că bolile rare fac obiectul unei codificări și a unei trasabilități adecvate în toate sistemele de informare privind sănătatea, contribuind la o recunoaștere adecvată a acestor boli în sistemele naționale de asistență medicală și de rambursare;
 - (3) să contribuie activ la crearea inventarului dinamic al bolilor rare al Uniunii Europene, menționat în comunicare;
 - (4) să susțină, la nivel național sau regional, rețele de informare, registre și baze de date specifice privind bolile.
3. Cercetarea cu privire la bolile rare
 - (1) să identifice proiectele de cercetare în curs și rezultatele de cercetare existente pentru a defini situația cunoștințelor actuale în materie de boli rare;

- (2) să determine necesitățile și prioritățile pentru cercetarea fundamentală, clinică și translațională în domeniul bolilor rare, precum și prioritățile pentru cercetarea socială;
 - (3) să încurajeze participarea cercetătorilor și laboratoarelor naționale la proiecte de cercetare privind bolile rare, finanțate la nivel comunitar;
 - (4) să includă în planul național pentru bolile rare dispoziții menite să favorizeze cercetarea, inclusiv cercetarea socială și cea privind sănătatea publică, în domeniul bolilor rare, în special în vederea elaborării unor instrumente cum ar fi infrastructurile transversale, precum și proiecte specifice anumitor boli.
4. Centre de expertiză și rețele europene de referință pentru bolile rare
- (1) să identifice centrele naționale sau regionale de expertiză de pe teritoriul lor național până la sfârșitul anului 2011 și să încurajeze crearea de centre de expertiză în cazul în care acestea sunt inexistente, în special incluzând în planul lor național de combatere a bolilor rare dispoziții privind crearea de centre naționale sau regionale de expertiză;
 - (2) să încurajeze participarea centrelor naționale sau regionale de expertiză la rețelele europene de referință și să le ofere o finanțare publică adecvată pe termen lung pentru a garanta viabilitatea acestora și, astfel, continuitatea asistenței pentru pacienți;
 - (3) să organizeze filiere de asistență medicală pentru pacienți, prin instituirea unei cooperări cu experții în cauză din țară sau din străinătate, dacă este cazul. Ar trebui promovată asistența medicală transfrontalieră, inclusiv mobilitatea pacienților, profesioniștilor din domeniul sanitar și furnizorilor de asistență medicală, precum și prestarea de servicii prin intermediul tehnologiilor de informare și comunicare, în cazul în care acest lucru este necesar pentru a asigura accesul universal la asistența medicală specifică necesară;
 - (4) să se asigure că centrele naționale sau regionale de expertiză se bazează pe o abordare multidisciplinară a asistenței medicale atunci când sunt confruntate cu afecțiuni diverse și complexe cum sunt bolile rare și să încurajeze integrarea nivelurilor medical și social în cadrul centrelor;
 - (5) să se asigure că centrele naționale sau regionale de expertiză respectă standardele definite de rețelele europene de referință pentru bolile rare, ținând seama în mod corespunzător de nevoile și de așteptările pacienților și personalului medical.
5. Reunirea, la nivel european, a expertizei în domeniul bolilor rare
- (1) să asigure mecanisme care să permită reunirea expertizei naționale în domeniul bolilor rare și să o regroupeze cu cea a altor țări europene pentru a susține elaborarea:
 - (a) de recomandări și protocoale comune, cum ar fi avizele europene de referință privind instrumentele de diagnosticare, asistența medicală, educația și asistența socială;
 - (b) de orientări europene privind screeningul populației și testele de diagnosticare;
 - (c) unui sistem de schimb la nivel comunitar de rapoarte de evaluare ale statelor membre privind valoarea adăugată terapeutică a

medicamentelor orfane la nivelul UE, pentru a reduce la minimum timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste medicamente al pacienților care suferă de boli rare.

6. Responsabilizarea organizațiilor de pacienți

- (1) să ia măsuri pentru a se asigura că pacienții și reprezentanții pacienților sunt consultați în mod corespunzător în fiecare etapă a proceselor de elaborare a politicilor și a deciziilor în domeniul bolilor rare, inclusiv în ceea ce privește crearea și gestionarea centrelor de expertiză și rețelelor europene de referință și elaborarea planurilor naționale;
- (2) să susțină activitățile organizațiilor de pacienți, cum ar fi cele care vizează sensibilizarea, consolidarea capacităților și formarea, schimbul informațiilor și al celor mai bune practici, constituirea de rețele și extinderea serviciilor la pacienții foarte izolați;
- (3) să includă în planurile naționale de combatere a bolilor rare dispoziții privind sprijinirea organizațiilor de pacienți și consultarea acestora, astfel cum se prevede la punctele (1) și (2).

7. Viabilitatea

- (1) să garanteze, prin mecanisme de finanțare adecvate, viabilitatea pe termen lung a infrastructurilor de cercetare, cum ar fi biobăncile, bazele de date și registrele, a infrastructurilor de asistență medicală, cum ar fi centrele de expertiză, precum și a rețelelor de referință pentru bolile rare;
- (2) să coopereze cu alte state membre pentru a asigura viabilitatea necesară a infrastructurilor de cercetare la scară europeană, comune tuturor statelor membre și comune celui mai mare număr posibil de boli rare;
- (3) să includă în planul național de combatere a bolilor rare dispoziții privind necesitatea de a rezolva problema viabilității financiare a activităților în domeniul bolilor rare.

INVITĂ COMISIA:

1. să elaboreze, pe baza informațiilor furnizate de statele membre, un raport privind punerea în aplicare a prezentei recomandări, adresat Consiliului, Parlamentului European, Comitetului Economic și Social European și Comitetului Regiunilor, cel târziu la sfârșitul celui de-al cincilea an care urmează datei adoptării prezentei recomandări, pentru a analiza eficiența măsurilor propuse și necesitatea unor acțiuni ulterioare.
2. să informeze cu regularitate Consiliul cu privire la acțiunile desfășurate în urma comunicării Comisiei privind bolile rare.

Adoptată la Bruxelles,

*Pentru Consiliu,
Președintele*