

Avizul Comitetului Economic și Social European privind propunerea de recomandare a Consiliului privind o acțiune europeană în domeniul bolilor rare

COM(2008) 726 final – 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

La 28 noiembrie 2008, în conformitate cu articolul 262 din Tratatul de instituire a Comunității Europene, Consiliul a hotărât să consulte Comitetul Economic și Social European cu privire la

„Propunerea de recomandare a Consiliului privind o acțiune europeană în domeniul bolilor rare”

Secțiunea pentru ocuparea forței de muncă, afaceri sociale și cetățenie, însărcinată cu pregătirea lucrărilor Comitetului pe această temă, și-a adoptat avizul la 4 februarie 2009. Raportor: dna CSER.

În cea de-a 451-a sesiune plenară, care a avut loc la 25 și 26 februarie 2009 (ședința din 25 februarie 2009), Comitetul Economic și Social European a adoptat prezentul aviz cu 162 voturi pentru, 4 voturi împotriva și 8 abțineri.

1. Concluzii și recomandări

1.1 CESE salută propunerea de recomandare a Consiliului și aprobă abordarea coordonată la nivel european în domeniul bolilor rare, care identifică, definește și clasifică bolile rare.

1.2 CESE susține desemnarea centrelor de expertiză naționale și regionale în domeniul bolilor rare și încurajarea și promovarea participării lor în rețelele de referință europene.

1.3 CESE aprobă sprijinirea și încurajarea cercetărilor coordonate care se desfășoară în prezent în domeniul bolilor rare, utilizarea eficientă a modestelor resurse financiare disponibile, precum și promovarea proiectelor de coordonare, respectiv intensificarea cooperării internaționale.

1.4 CESE recomandă, având în vedere responsabilitatea comună la nivel european, să se ia în considerare în mod adecvat dreptul de proprietate intelectuală și să se propună garanții corespunzătoare.

1.5 CESE susține elaborarea proiectelor naționale, însă consideră că 2011 reprezintă un termen prea scurt pentru ca acestea să fie pregătite corespunzător.

1.6 CESE susține înființarea centrelor naționale și regionale până în 2011, însă aceasta depinde de pregătirea corespunzătoare a proiectelor naționale.

1.7 CESE propune extinderea coordonării și informării la nivel european, precum și elaborarea unei terminologii tehnice

comune și unitare; de asemenea, propune elaborarea unui manual referitor la dialogul între practicile profesionale, care să reia particularitățile domeniului.

1.8 CESE recomandă elaborarea unui sistem special de comunicare și semnalare pentru a dispune de o rețea de referință funcțională și de un „serviciu mobil”, astfel încât toți cei implicați să aibă acces la informații.

1.9 CESE sprijină ideea ca și cercetările din domeniul științelor sociale să joace un rol în stabilirea necesităților din domeniul bolilor rare.

1.10 CESE recomandă ca statele membre să înființeze propriile centre de boli rare, care să joace un rol în coordonarea dintre instituțiile de cercetare și îngrijire, serviciile medicale și guvernele acestor state.

1.11 CESE recomandă ca centrele de boli rare din statele membre să fie însărcinate cu colectarea datelor, acreditarea, definirea metodologiei și coordonarea.

1.12 CESE recomandă ca strategiile naționale privind bolile rare să facă parte din programele naționale de sănătate publică și de promovare a sănătății.

1.13 CESE recomandă elaborarea unui program de finanțare pe termen lung care să înlocuiască finanțarea pe proiecte, urmărind astfel respectarea mai riguroasă a drepturilor pacienților și utilizarea mai rentabilă a resurselor financiare.

1.14 CESE recomandă verificarea, analiza și evaluarea utilității centrelor de referință din statele membre cu participarea asociațiilor bolnavilor, a organizațiilor profesionale și ale societății civile, precum și a partenerilor sociali, luând în considerare interesele și drepturile pacienților.

1.15 CESE recomandă analizarea mobilității personalului de specialitate în domeniul medical, prin implicarea asociațiilor bolnavilor, a organizațiilor profesionale și ale societății civile și a partenerilor sociali, cu scopul de a asigura garanțiile adecvate.

1.16 CESE recomandă, în scopul reducerii inegalităților în cadrul sistemului medical, verificarea utilizării proporționale a resurselor, întrucât propunerea are în vedere accesul tuturor pacienților la îngrijire medicală.

1.17 CESE sprijină înființarea Comitetului consultativ pentru boli rare al Uniunii Europene și recomandă ca pe lângă reprezentanții statelor membre, ai domeniului sănătății, ai asociațiilor bolnavilor și experți, să fie implicați și partenerii sociali și alte organizații ale societății civile. Fără includerea acestora nu este posibilă elaborarea strategiilor naționale, una dintre condițiile punerii în aplicare a propunerii.

1.18 CESE recomandă ca inițiativa Zilei europene a bolilor rare să fie sprijinită de politica internațională a UE în domeniul sănătății prin stabilirea unei Zile mondiale a bolilor rare.

1.19 CESE aprobă elaborarea unui raport privind punerea în aplicare a recomandării, după cinci ani de la adoptarea acesteia, dar insistă ca modificările necesare să fie efectuate pe parcurs, luând în considerare drepturile pacienților și dorește să ia parte la evaluarea continuă a acestora.

2. Observații generale

2.1 Context

2.1.1 Bolile rare, inclusiv bolile genetice, au făcut obiectul unui Program de acțiune comunitar în perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003 [Decizia nr. 1295/1999/CE 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)]. Acest program definește boala rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din Uniunea Europeană. Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane are la bază aceeași definiție.

2.1.2 Din cauza incidenței reduse 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 vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socio-economic al persoanelor afectate.

2.1.3 Sarcina Grupului de lucru pentru rețeaua europeană de referință privind bolile rare, înființat de Comisia Europeană, constă în: stabilirea principiilor fundamentale, a tratamentelor și a criteriilor pentru centrele europene de referință. Aceste sarcini constituie, de asemenea, obiectivele celui de-al 6-lea și celui de-al 7-lea program-cadru de cercetare și dezvoltare.

2.1.4 În 2014, Organizația Mondială a Sănătății (OMS) va adopta a 11-a versiune a clasificării internaționale a bolilor, care va include și bolile rare. OMS a solicitat Grupului operativ al Uniunii Europene în domeniul bolilor rare să contribuie, în calitate de grup consultativ, la codificarea și clasificarea bolilor rare.

2.1.5 Punerea în aplicare a unei definiții comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene în cadrul cooperării dintre OMS și UE și ar permite UE să joace un rol mai important în soluționarea problemelor mondiale de sănătate, din afara granițelor sale.

2.1.6 Strategia europeană în domeniul sănătății adoptată în 2007 definește ca priorități accesul pacienților care suferă de boli rare la diagnosticare, tratament și informare de bună calitate.

3. Observații speciale

3.1 Definirea și incidența bolilor rare

3.1.1 Este necesară o abordare globală a bolilor rare, bazată pe eforturi combinate deosebite, în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socio-economic al persoanelor afectate.

3.1.2 Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând, în cursul vieții, 6 % din populația UE și anume, între 29 și 36 de milioane de persoane în Uniunea Europeană, care sunt sau vor fi afectate de o boală rară.

3.1.3 Majoritatea acestora suferă de boli foarte rare care afectează o persoană din 100 000 sau mai puține. Pacienții care suferă de boli rare și familiile acestora sunt izolate și deosebit de vulnerabile.

3.1.4 Vârsta la care apar primele simptome diferă substanțial: jumătate dintre bolile rare apar la naștere sau în copilărie, iar cealaltă jumătate la vârsta adultă. Majoritatea bolilor rare sunt ereditare, însă acestea pot apărea și sub influența unor factori de mediu în timpul sarcinii sau mai târziu, fiind deseori asociate unor predispoziții genetice. Unele boli sunt forme sau complicații rare ale unor boli comune.

3.2 Lipsa recunoașterii și a sensibilizării cu privire la bolile rare

3.2.1 Bolile rare se deosebesc în mare măsură și în ceea ce privește gravitatea și manifestarea lor. Speranța de viață a pacienților care suferă de boli rare scade considerabil. Numeroase boli sunt complexe și degenerative și cauzează invalidități cronice, în timp ce altele sunt compatibile cu un stil normal de viață, în măsura în care sunt diagnosticate la timp, îngrijite și tratate în mod corespunzător. Deseori coexistă mai multe handicapuri, având numeroase consecințe funcționale. Astfel de handicapuri pot intensifica sentimentul de izolare, pot conduce la discriminare și reduc oportunitățile de educație generală și profesională, precum și în domeniul social.

3.3 Lipsa politicilor privind bolile rare în statele membre

3.3.1 Bolile rare sunt deseori cauza morbidității și mortalității, însă, datorită lipsei unor sisteme corespunzătoare de codificare și clasificare, nu sunt înregistrate în sistemul de informații corespunzător. Lipsa unor politici de sănătate specifice acestor boli, precum și a cunoștințelor de specialitate în domeniu determină diagnosticarea cu întârziere și accesul anevoios la tratament. Diagnosticarea, tratamentul și recuperarea pacienților diferă semnificativ de la un stat membru la altul. Cetățenii statelor membre și/sau din anumite regiuni ale statelor membre nu au acces la același nivel la serviciile de specialitate și la medicația pentru bolile rare.

3.3.2 Natura resurselor financiare alocate cercetării, diagnosticării și tratamentului bolilor rare diferă de la un stat membru la altul, iar prin descentralizarea mijloacelor scade efectul acestora, astfel încât mulți pacienți beneficiază prea târziu sau nu beneficiază deloc de tratament.

3.3.3 Diagnosticarea și tratarea bolilor rare presupun o dotare specifică; lipsa resurselor determină diferențe considerabile, mulți pacienți având de suferit ca urmare a diagnosticării eronate sau incomplete.

3.3.4 Caracteristicile bolilor rare, numărul limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor pertinente și a celor de specialitate impun cooperarea internațională, care generează valoare adăugată.

Probabil nu există alt domeniu de sănătate publică în care coordonarea diferitelor abordări din cele 27 de state membre ar putea fi atât de eficace și eficientă ca în cazul bolilor rare. Acest lucru este cunoscut și factorilor de decizie și părților interesate de la nivel național și european. Prin punerea în comun a resurselor limitate se pot obține rezultate mai bune. Modul și planul de colectare a datelor, precum și obligația de notificare diferă considerabil de la un stat membru la altul. Obligația de notificare poate viza întreaga populație sau poate fi prevăzută doar colectarea sporadică de date. Datele și informațiile uniforme sunt deosebit de importante pentru stabilirea și punerea în aplicare a unor măsuri preventive și rentabile în domeniul sănătății, precum și pentru cercetarea la nivelul statelor membre și al UE. Accesul celor în cauză la datele și informațiile corespunzătoare este la fel de important.

3.3.5 Deosebit de importante sunt, de asemenea, îmbunătățirea calității vieții pacienților și familiilor acestora, integrarea lor în societate și pe piața forței de muncă, întrucât viața lor este marcată permanent de lupta cu faptul de a fi altfel, cu încercarea fizică și psihică.

3.3.6 În statele membre ale Uniunii Europene numeroase organizații neguvernamentale și inițiative ale societății civile se implică în informarea pacienților cu boli rare, în diseminarea cunoștințelor științifice și clinice actuale, în ameliorarea accesului la terapii medicale accesibile și corespunzătoare, precum și în integrarea socio-economică a acestora. Aceste inițiative ale societății civile se luptă cu lipsa resurselor și nu beneficiază de susținerea coordonată și armonizată a guvernelor și nici de o rețea coordonată, drepturile pacienților fiind astfel permanent îngrădite. Încă nu este instituită o cooperare sistematică între pacienți, familii, organizațiile societății civile, specialiști și partenerii sociali. Se constată un dezechilibru grav și dezavantaje multiple cu privire la îngrijirea medicală și accesul la aceasta.

3.3.7 Diagnosticarea și terapia bolilor rare sunt deosebit de costisitoare. Fiecare stat membru trebuie să stabilească și să aplice un nivel maxim de finanțare pentru terapia bolilor rare, care implică noi tehnologii și cheltuieli speciale ridicate.

3.3.8 În 2008, Comisia Europeană a elaborat Comunicarea privind bolile rare; în procesul de pregătire a acesteia a recurs la o vastă consultare publică încheiată în februarie 2008.

3.3.9 Contribuțiile din cadrul consultării au confirmat necesitatea adoptării unor măsuri la nivel comunitar. Propunerea de recomandare a Consiliului are în vedere trei domenii:

- identificarea și codificarea bolilor rare prin înființarea unui sistem european de codificare și clasificare a bolilor rare care să contribuie la recunoașterea fiecărei boli. Comisia cooperează cu OMS în cadrul elaborării noii versiuni, întrucât, la nivel internațional, în UE sunt cele mai mari șanse de a identifica diferitele tipuri de boli rare;
- definirea unor principii fundamentale și a unor linii directoare în vederea elaborării planurilor de acțiune la nivel național; încurajarea și susținerea statelor membre în elaborarea politicilor naționale în domeniul medical cu privire la bolile rare, cu scopul de a asigura accesul echitabil al pacienților la prevenire, diagnosticare, tratament și recuperare, precum și accesibilitatea la aceste servicii, în general;
- conform propunerii de recomandare a Consiliului se impun următoarele măsuri:
 - statele membre trebuie să pregătească planul de acțiune privind bolile rare,
 - de asemenea, să stabilească mecanismele necesare pentru definirea, codificarea și clasificarea bolilor rare,
 - sprijinirea cercetării în domeniul bolilor rare, incluzând cooperarea transfrontalieră, prin exploatarea maximă a potențialului de cooperare al Uniunii Europene în domeniul cercetării,
 - desemnarea centrelor de expertiză și sprijinirea participării acestora în rețeaua de referință europeană,
 - elaborarea de către experți a unor statistici referitoare la bolile rare,
 - asigurarea participării bolnavilor și a asociațiilor reprezentative,
 - consolidarea cooperării în domeniile în care acțiunea la nivel comunitar poate avea valoare adăugată, în vederea elaborării unor orientări politice comune și a recunoașterii reciproce a acestora la nivel european. Măsurile speciale în cadrul cercetării, al centrelor de referință, în domeniul informării, al dezvoltării de produse medicamentoase orfane pentru boli rare, al depistării etc. constituie elementele unei strategii comune minime privind bolile rare (de exemplu, programe pilot, cercetare/dezvoltare, monitorizarea

punerii în aplicare a Regulamentului (CE) nr. 141/2000 privind produsele medicamentoase orfane).

3.3.10 Obiectivul comunicării este sprijinirea elaborării unei strategii europene comune globale pentru recunoașterea, prevenirea, diagnosticarea, tratamentul bolilor rare și cercetarea eficientă în acest domeniu. De asemenea, comunicarea vizează consolidarea cooperării dintre statele membre și susținerea rețelilor de informare europene și a acțiunilor asociațiilor bolnavilor. Prin stabilirea și punerea în aplicare a politicilor și acțiunilor comunitare trebuie asigurat un nivel ridicat de ocrotire a sănătății. Astfel se contribuie la obiectivul general de ameliorare a stării de sănătate și creștere a speranței de viață sănătoasă, indicatori cheie ai Strategiei de la Lisabona. În acest scop, trebuie consolidată coerența dintre diferitele programe și inițiative comunitare, cum ar fi Programul de sănătate publică al UE, programele-cadru de cercetare și dezvoltare, Strategia privind produsele medicamentoase orfeline, Directiva privind asistența medicală transfrontalieră și alte acțiuni prezente sau viitoare comunitare sau ale statelor membre.

3.3.11 Propunerea de recomandare a Consiliului consideră necesar ca statele membre să elaboreze până la sfârșitul anului 2011 strategii naționale globale și integrate în domeniul bolilor rare și să includă pacienții și reprezentanții bolnavilor în procesul de elaborare și de decizie. Activitățile acestora trebuie sprijinite în mod activ, în special prin măsuri financiare.

3.3.12 CESE aprobă elaborarea unor strategii naționale globale și integrate, însă trebuie avută în vedere modificarea calendarului pentru ca această strategie să aibă în vedere interesul bolnavilor. În acest scop trebuie înființate la nivel național centre specializate în domeniul bolilor rare, însărcinate cu activități din domeniul metodologiei, colectării de date, acreditării și coordonării.

3.3.13 Fluxul de informații de la nivelul Uniunii Europene, cercetarea, înființarea și desemnarea centrelor de referință presupun definirea și adoptarea unei terminologii tehnice și a unor protocoale de diagnosticare și terapie comune și unice. Recunoașterea acestora nu este doar în interesul pacienților, ci și al personalului și al serviciilor medicale. În acest scop, ar fi utilă elaborarea unui manual destinat acestui sector, referitor la dialogul dintre practicile profesionale în domeniul bolilor rare, al diagnosticării și al tratamentului acestora.

3.3.14 Dezvoltarea rețelei europene de referință, identificarea și instituirea unui „serviciu mobil” necesită un sistem propriu de comunicare și de semnalizare, astfel încât fiecare persoană să aibă acces la informația necesară.

3.3.15 Având în vedere faptul că noile structuri de cercetare și servicii pot reprezenta un act de creație intelectuală, este esențial să se ia măsurile necesare de protecție juridică în acest sens.

3.3.16 CESE salută organizarea primei Zile europene a bolilor rare la 29 februarie 2008 și susține inițiativa de instituire a unei Zile mondiale a bolilor rare. Această inițiativă globală ar contribui semnificativ la eficacitatea cercetărilor și tratamentelor. Din punctul de vedere al CESE este deosebit de importantă asigurarea unei comunicări adecvate, promovarea dialogului intercultural și înlăturarea barierelor lingvistice și a lipsei condițiilor tehnice, astfel încât cei în cauză (pacienții, aparținătorii, prestatorii de servicii medicale, organizațiile societății civile și partenerii sociali) să aibă acces la informații suficiente și corecte.

3.3.17 În avizele sale anterioare, CESE a atras atenția asupra rolului important al societății civile și al partenerilor sociali în conservarea valorilor comunitare și în dezvoltarea acestora pentru a obține valoare adăugată. Prin urmare, consideră că este esențial ca organizațiile societății civile și partenerii sociali să joace un rol adecvat în realizarea obiectivelor comunicării privind bolile rare. Având în vedere faptul că societatea civilă și partenerii sociali generează resursele necesare în domeniul medical, aceștia trebuie să joace un rol strategic în repartitia acestor resurse.

3.3.18 CESE recomandă, în scopul reducerii inegalităților în domeniul medical, să se verifice utilizarea proporțională a resurselor, - din cauza cheltuielilor deosebite -, întrucât propunerea are ca scop asigurarea accesului pacienților la îngrijire medicală. Resursele disponibile diferă de la un stat membru la altul, iar diferențele dintre cei care au dreptul la tratament și cei care beneficiază de tratament sunt foarte mari.

3.3.19 CESE sprijină organizarea cercetării coordonate și desemnarea și înființarea centrelor de referință, întrucât acestea reprezintă ocazii importante pentru Uniunea Europeană de a contribui la soluționarea problemelor de sănătate la nivel mondial. Această oportunitate corespunde obiectivului stabilit în Cartea albă „Împreună pentru sănătate: o abordare strategică pentru UE 2008-2013”, și anume, acela ca Uniunea Europeană să joace un rol mai important pe plan internațional.

3.3.20 Înființarea Comitetului consultativ al Uniunii Europene pentru bolile rare reprezintă un pas important spre atingerea obiectivului. CESE recomandă ca, pe lângă reprezentanții statelor membre, specialiștii, asociațiile bolnavilor și actorii din domeniu să fie implicați permanent în munca comitetului consultativ și reprezentanții societății civile și partenerii sociali. Fără colaborarea acestora nu este posibilă elaborarea unei strategii naționale, care este una dintre condițiile punerii în aplicare a propunerii.

Bruxelles, 25 februarie 2009.

Președintele
Comitetului Economic și Social European
Mario SEPI
