

Yttrande från Europeiska ekonomiska och sociala kommittén om "Förslag till rådets rekommendation om en EU-satsning avseende sällsynta sjukdomar"

KOM(2008) 726 slutlig – 2008/0218 (CNS)

(2009/C 218/18)

Den 28 november 2008 beslutade rådet att i enlighet med artikel 262 i EG-fördraget rådfråga Europeiska ekonomiska och sociala kommittén om

"Förslag till rådets rekommendation om en EU-satsning avseende sällsynta sjukdomar"

Facksektionen för sysselsättning, sociala frågor och medborgarna, som svarat för kommitténs beredning av ärendet, antog sitt yttrande den 4 februari 2009. Föredragande var Ágnes CSER.

Vid sin 451:a plenarsession den 25 – 26 februari 2009 (sammanträdet den 25 februari) antog Europeiska ekonomiska och sociala kommittén följande yttrande med 162 röster för, 4 röster emot och 8 nedlagda röster.

1. Slutsatser och rekommendationer

1.1 EESK välkomnar rådets förslag till rekommendation och stöder den samordnade europeiska insatsen på området för sällsynta sjukdomar med kartläggning, definition och klassificering av dessa sjukdomar.

1.2 EESK ser positivt på förslaget att man ska utse nationella och regionala kunskapscentrum med avseende på sällsynta sjukdomar och främja deras medverkan i europeiska referensnätverk.

1.3 EESK ställer sig bakom det stöd som ges åt pågående samordnad forskning på området sällsynta sjukdomar och de främjande insatser som denna forskning är föremål för. EESK stöder även främjandet av samordningsprojekt som syftar till ett optimalt utnyttjande av de blygsamma resurser som finns tillgängliga, liksom ett intensivare internationellt samarbete.

1.4 När det gäller frågan om att sammanföra sakkunskapen på området för sällsynta sjukdomar på EU-nivå, rekommenderar EESK att man tar hänsyn till de immateriella rättigheterna och att man föreslår lämpliga garantier.

1.5 EESK stöder utarbetandet av nationella planer, men anser att tidsgränsen 2011 är för tidig för att man ska kunna utarbeta dessa planer med den noggrannhet som krävs.

1.6 EESK ser mycket positivt på att man till slutet av 2011 ska identifiera nationella och regionala kunskapscentrum, men en förutsättning för detta är att adekvata nationella planer utarbetas.

1.7 EESK rekommenderar att man inrättar ett samordnings- och informationssystem på EU-nivå samt att man utarbetar en

gemensam teknisk och datorstödd terminologi. Vi rekommenderar även att man utarbetar praktiska anvisningar för en dialog mellan olika yrkeskulturer med hänsyn till de olika sektorernas särdrag.

1.8 EESK rekommenderar att det utvecklas ett särskilt kommunikations- och signaleringssystem; målsättningen är att inrätta ett referensnätverk och en mobil tjänst så att berörda personer kan få tillgång till relevant information.

1.9 EESK ser positivt på att man även låter social forskning spela en roll i kartläggningen av behoven på området sällsynta sjukdomar.

1.10 EESK rekommenderar att samtliga medlemsstater inrättar egna centrum för sällsynta sjukdomar. Dessa centrum skulle kunna bedriva samordningsverksamhet mellan å ena sidan forsknings-, vård- och hälsoinstitut och å andra sidan de offentliga myndigheterna.

1.11 EESK anser att medlemsstaternas centrum för sällsynta sjukdomar bör svara för insamling av uppgifter, ackreditering och metoder samt för samordning.

1.12 EESK rekommenderar att de nationella strategierna avseende sällsynta sjukdomar ska ingå som en naturlig del av de nationella hälso- och sjukvårdsprogrammen och medlemsstaternas hälsofrämjande program.

1.13 I stället för att finansiera olika projekt bör man utveckla en finansiering på lång sikt som syftar till en effektiv och lönsammare resursanvändning och ett effektivt utövande av patienternas rättigheter.

1.14 EESK rekommenderar att man granskar medverkan av patientorganisationer, yrkesorganisationer, det civila samhällets organisationer och arbetsmarknadens parter samt att man analyserar och utvärderar användbarheten av befintliga referenscentrum i andra medlemsstater samtidigt som man tar hänsyn till patienternas intressen och rättigheter.

1.15 Det är angeläget att man gör en noggrann analys av hälsovårdspersonalens förpliktelser och verksamhet på området och att man involverar branschorganisationerna, det civila samhällets organisationer och arbetsmarknadens parter eftersom målet är att kunna erbjuda lämpliga garantier.

1.16 I syfte att minska ojämlikheterna på hälsovårdsområdet rekommenderar EESK att man undersöker vilka förhållanden som möjliggör en proportionerlig resursanvändning, eftersom rekommendationen syftar till att ge alla patienter som lider av sällsynta sjukdomar tillgång till vård.

1.17 EESK ställer sig bakom inrättandet av EU:s rådgivande kommitté för sällsynta sjukdomar och rekommenderar att man förutom företrädare för medlemsstaterna även involverar företrädare för vårdbranschen, patientorganisationer och sakkunniga, arbetsmarknadens parter och det civila samhällets övriga organisationer. Utan dem kan det inte utarbetas några nationella strategier, vilket är ett av villkoren för att rekommendationen ska kunna genomföras.

1.18 EESK anser att evenemanget med en europeisk dag för sällsynta sjukdomar bör stödjas av den internationella hälsovårdspolitikerna genom att det inrättas en internationell dag för sådana sjukdomar.

1.19 EESK stöder utarbetandet av en rapport om genomförandet av rekommendationen fem år efter det att den antagits, samtidigt som vi anser att det är viktigt att se till att nödvändiga ändringar görs under genomförandet och att man tar hänsyn till patienternas rättigheter. EESK vill gärna delta i den fortlöpande utvärderingen av genomförandet.

2. Allmänna kommentarer

2.1 Bakgrund

2.1.1 Sällsynta sjukdomar – inklusive genetiska sjukdomar – är föremål för ett gemenskapsprogram som omfattar perioden från den 1 januari 1999 till den 31 december 2003 [Europaparlamentets och rådets beslut nr 1295/1999/EG av den 29 april 1999 om att anta ett åtgärdsprogram för gemenskapen avseende sällsynta sjukdomar inom ramen för åtgärderna på folkhälsoområdet (1999-2003)], enligt vilket en sällsynt sjukdom är en sjukdom som drabbar högst 5 av 10 000 personer i Europeiska unionen. På denna definition grundar sig även Europaparlamentets och rådets förordning (EG) 141/2000 av den 16 december 1999 om särsläkemedel.

2.1.2 På grund av den låga prevalensen och sin specificitet, och för att förbättra de drabbades livskvalitet och socioekonomiska potential, kräver de sällsynta sjukdomarna en övergripande ansats grundad på särskilda och samordnade ansträngningar för att förhindra hög sjuklighet eller förtida dödlighet som kan undvikas.

2.1.3 Arbetsgruppen om referensnätverk för sällsynta sjukdomar, inrättad av Europeiska kommissionen, har till uppgift att fastställa grundläggande principer och behandlingar samt de kriterier som de europeiska referenscentrumen ska svara mot. Dessa frågor omfattas även av det sjätte och sjunde europeiska ramprogrammet för forskning och utveckling.

2.1.4 Världshälsoorganisationen (WHO) förbereder inför 2014 den elfte versionen av den internationella sjukdomsklassifikationen, som även omfattar sällsynta sjukdomar. EU:s arbetsgrupp för sällsynta sjukdomar har av WHO utnämnts till rådgivande grupp kring sällsynta sjukdomar som i samband med revideringen ska lägga fram förslag till kodning och klassificering av sällsynta sjukdomar.

2.1.5 Att införa en gemensam definition av sällsynta sjukdomar i alla medlemsstater skulle stärka Europeiska unionens bidrag avsevärt inom ramen för samarbetet mellan EU och WHO, och det skulle göra det möjligt för EU att spela en mer framträdande roll utanför unionens gränser när det gäller att lösa internationella hälsoproblem.

2.1.6 Garantin för att personer som lider av en sällsynt sjukdom ska kunna få tillgång till diagnos, behandling och information av god kvalitet hör till de stora prioriteringarna i den europeiska hälsovårdsstrategi som antogs 2007.

3. Särskilda kommentarer

3.1 Avseende definitionen och prevalensen av sällsynta sjukdomar:

3.1.1 De sällsynta sjukdomarna kräver en övergripande ansats grundad på särskilda och samordnade ansträngningar för att förhindra hög sjuklighet eller förtida dödlighet som kan undvikas, och för att förbättra de drabbades livskvalitet och socioekonomiska potential.

3.1.2 Uppgifter om dessa sjukdomars prevalens visar att mellan 5 000 och 8 000 sällsynta sjukdomar drabbar cirka 6 % av hela EU:s befolkning, vilket innebär att 27–36 miljoner medborgare lider av eller kommer att drabbas av en sällsynt sjukdom under sitt liv.

3.1.3 De flesta av de sällsynta sjukdomarna är mycket sällan förekommande och drabbar endast en person på 100 000. Patienter som lider av mycket sällsynta sjukdomar är liksom deras familjer mycket utsatta och sårbara.

3.1.4 När det gäller dessa sjukdomar uppträder de första symptomen vid mycket olika ålder: Hälften av de sällsynta sjukdomarna uppträder vid födseln eller under barndomen medan den andra hälften uppträder först vid vuxen ålder. De flesta sällsynta sjukdomar är genetiska sjukdomar, men det kan även finnas koppling till exponering för miljöagenser under graviditeten eller senare, ofta i samverkan med en genetisk disposition. I vissa fall rör det sig om sällsynta former eller komplikationer av vanliga sjukdomar.

3.2 Sällsynta sjukdomar erkänns och synliggörs inte:

3.2.1 Sällsynta sjukdomar skiljer sig även kraftigt åt beroende på hur allvarliga de är och vilka uttryck de tar sig. Livslängden hos patienter som lider av sällsynta sjukdomar är betydligt förkortad. Vissa av sjukdomarna är komplexa, degenerativa och medför kroniska skador, medan andra går att förena med en normal livsstil – under förutsättning att de diagnostiseras i tid och att de behandlas på lämpligt sätt. Ofta förekommer flera sorters funktionsnedsättning på samma gång, vilket ger upphov till många praktiska problem. Funktionsnedsättningen stärker känslan av isolering, kan utgöra en orsak till diskriminering och minska möjligheterna till utbildning, yrkesverksamhet och ett socialt liv.

3.3 Avsaknad av politiska strategier med avseende på sällsynta sjukdomar i medlemsstaterna:

3.3.1 De sällsynta sjukdomarna bidrar i stor utsträckning till sjuklighet och dödlighet, men eftersom det inte finns några lämpliga kodnings- och klassificeringssystem finns de inte med i hälsoinformationssystemen. Avsaknaden av en specifik hälsovårdspolitik med inriktning på dessa sjukdomar och bristen på sakkunskap återspeglas i försenade diagnoser och svårigheter att få tillgång till vård. Viktiga skillnader råder mellan medlemsstaterna i fråga om screening av dessa sjukdomar liksom när det gäller behandling och rehabilitering av patienter. Medborgarna i olika medlemsstater och/eller i olika regioner i en och samma medlemsstat har inte lika tillgång till specialistvård och särskilda läkemedel.

3.3.2 De resurser som avsätts till forskning, screening och behandling av sällsynta sjukdomar varierar kraftigt mellan medlemsstaterna, och den bristande resurskoncentrationen leder till minskad effektivitet, vilket medför förseningar i behandlingarna eller till och med total avsaknad av behandling för många patienter.

3.3.3 Screening och behandling av sjukdomar kräver specifik planering. Till följd av resursbristen är skillnaderna stora, och många patienter blir lidande av konsekvenserna av felställda eller ofullständiga diagnoser.

3.3.4 På grund av de egenskaper som utmärker sällsynta sjukdomar – begränsat antal patienter och brist på kunskap

och expertis – krävs det ett internationellt samarbete som skulle kunna skapa mervärde. Det finns förmodligen inget annat hälsovårdsområde där ett samarbete som förenar de 27 nationella tillvägagångssätten skulle vara så effektivt och värdefullt som detta område. Detta har erkänts av de politiska beslutsfattarna både på nationell nivå och på EU-nivå liksom av alla berörda parter. Att slå samman de begränsade tillgängliga resurserna skulle möjliggöra bättre resultat. Praxis när det gäller insamling av uppgifter – typ av insamling och tidsplan – samt bestämmelserna om anmälningskyldighet skiljer sig åt mellan de olika medlemsstaterna. Anmälningskyldighet tillämpas på vissa håll för hela befolkningen, på andra håll sker en sporadisk uppgiftsinsamling. Att förfoga över enhetliga uppgifter och information är av grundläggande betydelse för att man ska kunna utarbeta och tillämpa en hälsovårdspolitik som är både förebyggande och mer lönsam, och för att man ska kunna bedriva forskning i medlemsstaterna och i EU. Att berörda personer får tillgång till lämpliga uppgifter och information är även det viktigt.

3.3.5 Framför allt är det angeläget att förbättra livskvaliteten för patienter som lider av allvarliga sjukdomar och se till att de integreras i samhället och yrkeslivet. Det är även viktigt att tänka på deras familjer. Deras liv är en ständig kamp mot att vara annorlunda och mot fysiska och psykiska prövningar.

3.3.6 I EU:s medlemsstater finns det många icke-statliga organisationer och initiativ från det civila samhället som verkar för information till patienter med en sällsynt sjukdom, spridning av befintlig vetenskaplig och klinisk kunskap, bättre tillgång till medicinsk behandling och lämpliga läkemedel till rimliga priser, dvs. för en socioekonomisk integration av dessa patienter. Dessa initiativ från det civila samhället lider av bristande resurser och saknar ett samordnat och harmoniserat stöd av regeringarna liksom ett samordnat nätverk, vilket påverkar patienträttigheterna negativt. Något systematiskt samarbete mellan patienter, deras familjer, det civila samhällets organisationer, specialister och arbetsmarknadsparterna har inte etablerats. Stora ojämlikheter kan konstateras liksom en anhopning av svårigheter på vårdområdet och när det gäller tillgången till vård.

3.3.7 Screening och behandling av sällsynta sjukdomar är mycket kostsamma. När det krävs tillgång till ny teknik och nya behandlingar av sällsynta sjukdomar som innebär stora specifika kostnader är det nödvändigt att varje medlemsstat fastställer och tillämpar högsta möjliga tröskelvärde.

3.3.8 Europeiska kommissionen offentliggjorde 2008 ett meddelande om sällsynta sjukdomar och genomförde i anslutning till att meddelandet utarbetades ett brett offentligt samråd som avslutades i februari samma år.

3.3.9 Bidragen från detta samråd bekräftade behovet av att vidta åtgärder på EU-nivå. Rådets förslag till rekommendation fokuserar i huvudsak på tre områden:

- Inventering och kodning av sällsynta sjukdomar samt inrättande av ett europeiskt kodnings- och klassificeringssystem för sällsynta sjukdomar som kan bidra till att varje sjukdom erkänns. I anslutning till att den nya versionen utarbetas samarbetar Europeiska kommissionen med WHO eftersom det jämfört med världen i stort är i EU som de olika sällsynta sjukdomarna har störst möjlighet att identifieras.
- Definition av grundläggande principer och riktlinjer på detta område med tanke på de nationella handlingsplaner som ska utarbetas. Uppmuntran och stöd till medlemsstaterna i utformningen av den nationella hälsovårdspolitik som avser sällsynta sjukdomar och som syftar till att garantera drabbade personer lika tillgång till förebyggande vård, screening, behandling och rehabilitering och mer allmänt större tillgång till dessa tjänster.
- I den rekommendation från rådet som meddelandet avser anges följande:
 - Medlemsstaterna bör utarbeta nationella planer med avseende på sällsynta sjukdomar.
 - De bör dessutom inrätta nödvändiga mekanismer för att definiera, koda och klassificera sällsynta sjukdomar.
 - Forskning om sällsynta sjukdomar bör uppmuntras, även i form av gränsöverskridande samarbete, och unionens möjligheter till forskningssamarbete bör utnyttjas maximalt.
 - Kunskapscentrum ska identifieras och deras medverkan i de europeiska referensnätverken främjas.
 - Det är viktigt att man i medlemsstaterna förfogar över sammanställningar av uppgifter om sällsynta sjukdomar som etablerats av sakkunniga.
 - Åtgärder som syftar till att säkerställa patienternas och patientorganisationernas medverkan bör vidtas.
 - Det finns anledning att stärka samarbetet på alla de områden där verksamhet på gemenskapsnivå kan ge ett mervärde åt insatser för att säkerställa större, gemensamma politiska riktlinjer och ett ömsesidigt erkännande av dessa på EU-nivå. Det kan röra sig om specifika åtgärder på forskningsområdet, referenscentrum, tillgång till information, incitament för utveckling av läkemedel, screening osv., dvs. faktorer för en gemensam minimistrategi som fokuserar på sällsynta sjukdomar (exempelvis pilotprogram, forskning och utveckling, uppfölj-

ning av genomförandet av förordning (EG) 141/2000 om läkemedel).

3.3.10 Syftet med meddelandet är att se till att det utarbetas en övergripande gemensam europeisk strategi som inbegriper erkännande, förebyggande åtgärder, effektiv screening och behandling av sällsynta sjukdomar samt fruktbar forskning på detta område. Målsättningen är vidare att stärka samarbetet mellan medlemsstaterna och att stödja den verksamhet som bedrivs av de europeiska informationsnätverken och patientföreningarna. När EU:s politik och verksamhet fastställs och genomförs är det viktigt att man säkerställer en hög hälsoskyddsnivå. Samtliga insatser ska bidra till att uppfylla det allmänna målet att förbättra hälsoläget och öka antalet friska levnadsår, en central indikator i Lissabonstrategin. I detta syfte är det emellertid viktigt att stärka samstämmigheten mellan olika gemenskapsprogram och -initiativ såsom EU:s hälsovårdsprogram, ramprogrammen för forskning och utveckling, strategin avseende läkemedel, direktivet om gränsöverskridande hälsovård och annan redan pågående eller kommande verksamhet i EU eller medlemsstaterna.

3.3.11 I rådets förslag till rekommendation anser man det nödvändigt att medlemsstaterna fram till år 2011 utarbetar övergripande och integrerade nationella strategier på området sällsynta sjukdomar och att man säkerställer samråd med patienter och patientrepresentanter i samtliga led i policyprocesserna och beslutsfattandet på området. Deras verksamhet bör främjas och stödjas aktivt, även finansiellt.

3.3.12 EESK stöder utarbetandet av övergripande och integrerade nationella strategier, men anser däremot att man bör ändra tidsplanen ifall man i den övergripande strategin ska kunna ta hänsyn till patienternas intressen. I detta syfte bör man i medlemsstaterna inrätta centrum för sällsynta sjukdomar som svarar för metodologi, insamling av uppgifter, ackreditering och samordning.

3.3.13 Informationsflödet inom EU, forskning och inrättande och utnämning av referenscentrum kräver att man definierar och antar en teknisk terminologi och gemensamma och unika diagnos- och terapiprotokoll. Ett sådant erkännande ligger inte bara i patienternas intresse utan är även av betydelse för de yrkesverksamma inom hälsovårdssektorn och tjänsteleverantörerna inom denna sektor. Av denna anledning vore det lämpligt att utarbeta korta sektorsvisa sammanfattningar, praktiska anvisningar för en dialog mellan olika yrkeskulturer på temat sällsynta sjukdomar, screening och behandling.

3.3.14 Utvecklingen av ett europeiskt referensnätverk, dess identifiering och tillhandahållandet av en mobil tjänst kräver särskilda kommunikationsinsatser samt att det inrättas ett signaleringssystem så att alla verkligen får tillgång till information.

3.3.15 Med hänsyn till att inrättandet av denna nya sorts forskningsstrukturer och tjänster förmodligen kommer att leda till att det skapas intellektuella produkter, är det viktigt att vidta nödvändiga åtgärder när det gäller rättsskydd på detta område.

3.3.16 EESK ställer sig positiv till att man för första gången den 29 februari 2008 anordnade en europeisk dag för sällsynta sjukdomar, och vi stöder initiativet att införa en internationell dag för sällsynta sjukdomar. Detta initiativ skulle göra det möjligt att sätta igång en internationell rörelse som på ett betydande sätt skulle bidra till bättre forskning och behandling. Enligt EESK:s uppfattning är det absolut nödvändigt att säkerställa en adekvat kommunikation, att främja den interkulturella dialogen och bland annat undanröja språkhindren och rätta till tekniska problem så att de berörda (patienter, närstående, tjänsteleverantörer, det civila samhällets organisationer och arbetsmarknadsparterna) kan få tillgång till tillräcklig och korrekt information.

3.3.17 I flera tidigare yttranden har kommittén uppmärksammat den viktiga roll som det civila samhället och arbetsmarknadsparterna spelar när det gäller att bevara gemensamma värden och genomföra dem i syfte att få till stånd ett verkligt mervärde. Av denna anledning är det viktigt att det organiserade civila samhällets aktörer och arbetsmarknadsparterna kan spela en lämplig roll när det gäller att uppfylla kommunikationsmålen med avseende på sällsynta sjukdomar. Eftersom det är samhället och arbetsmarknadens aktörer som tillhandahåller nödvändiga resurser på hälsovårdsområdet bör de kunna spela en strategisk roll i fördelningen av dessa resurser.

3.3.18 I syfte att minska ojämlikheterna på hälsovårdsområdet rekommenderar EESK att man – med hänsyn till de höga kostnaderna – undersöker möjligheterna till en proportionerlig resursanvändning, eftersom rekommendationen syftar till att ge alla patienter som lider av sällsynta sjukdomar tillgång till vård. Tillgängliga resurser varierar från en medlemsstat till en annan, och det råder stora skillnader mellan antalet personer som borde kunna få tillgång till behandling och dem som verkligen får det.

3.3.19 EESK stöder organisationen av samordnade forskningsinsatser och ser positivt på att man inrättar och utser referenscentrum eftersom det kan utgöra ett exceptionellt tillfälle för EU att bidra till att lösa problemen på hälsovårdsområdet på olika håll i världen. Det är i linje med den målsättning som formuleras i vitboken "Tillsammans för hälsa: Strategi för EU: 2008–2013", dvs. att EU ska spela en effektivare internationell roll.

3.3.20 Inrättandet av EU:s rådgivande kommitté för sällsynta sjukdomar innebär ett viktigt framsteg när det gäller att uppfylla målen. EESK rekommenderar att det civila samhällets företrädare och arbetsmarknadsparterna fortlöpande ska delta i den rådgivande kommitténs arbete tillsammans med medlemsstaternas företrädare, sakkunniga, patientorganisationerna och industriaktörerna. Utan deras medverkan är det inte möjligt att utarbeta en nationell strategi, vilket är en av förutsättningarna för att rekommendationen ska kunna genomföras.

Bryssel den 25 februari 2009

Europeiska ekonomiska och sociala kommitténs

Mario SEPI

Ordförande
