

ZALECENIE RADY

z dnia 8 czerwca 2009 r.

w sprawie działań w dziedzinie rzadkich chorób

(2009/C 151/02)

RADA UNII EUROPEJSKIEJ,

uwzględniając Traktat ustanawiający Wspólnotę Europejską, w szczególności jego art. 152 ust. 4 akapit drugi,

uwzględniając wniosek Komisji,

uwzględniając opinię Parlamentu Europejskiego ⁽¹⁾,uwzględniając opinię Europejskiego Komitetu Ekonomiczno-Społecznego ⁽²⁾,

a także mając na uwadze, co następuje:

- (1) Rzadkie choroby stanowią zagrożenie dla zdrowia obywateli UE, o ile są to choroby zagrażające życiu lub choroby powodujące chroniczny ubytek na zdrowiu i o ile charakteryzują się niską częstością występowania i znacznym stopniem złożoności. Pomimo ich rzadkiego występowania, istnieje tak wiele różnych rodzajów rzadkich chorób, że dotknięte nimi są miliony osób.
- (2) Zasady i nadrzędne wartości uniwersalności, sprawiedliwości i solidarności oraz dostępu do opieki odpowiedniej jakości zatwierdzone w konkluzjach Rady w sprawie wspólnych wartości i zasad systemów opieki zdrowotnej UE z dnia 2 czerwca 2006 r. mają najwyższe znaczenie dla pacjentów cierpiących na rzadkie choroby.
- (3) Na okres od dnia 1 stycznia 1999 r. do dnia 31 grudnia 2003 r. przyjęto wspólnotowy program działania w dziedzinie rzadkich chorób, w tym chorób genetycznych ⁽³⁾. W programie tym określono częstość występowania rzadkiej choroby jako dotykającą nie więcej niż 5 na 10 000 osób w UE. Dokładniejsza definicja oparta na uaktualnionym przeglądzie naukowym, z uwzględnieniem zarówno częstości występowania, jak i współczynnika zachorowalności, zostanie opracowana z wykorzystaniem zasobów drugiego wspólnotowego programu w dziedzinie zdrowia ⁽⁴⁾.

(4) Rozporządzenie (WE) nr 141/2000 Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 16 grudnia 1999 r. w sprawie sierocych produktów leczniczych ⁽⁵⁾ stanowi, że produkt leczniczy jest oznaczony jako „sierocy produkt leczniczy”, jeżeli produkt ten przeznaczony jest do diagnozowania, zapobiegania lub leczenia stanu chorobowego zagrażającego życiu lub powodującego chroniczny ubytek zdrowia, występującego u nie więcej niż 5 na 10 000 osób we Wspólnocie w chwili gdy przedkładany jest wniosek.

(5) Szacuje się, że liczba istniejących obecnie rzadkich chorób waha się pomiędzy 5 000 a 8 000, a w ciągu życia cierpi na nie od 6 % do 8 % populacji. Innymi słowy, pomimo faktu, że każda z rzadkich chorób charakteryzuje się niską częstością występowania, to całkowita liczba osób dotkniętych rzadkimi chorobami w UE waha się pomiędzy 27 a 36 milionów. Większość przypadków to choroby rzadko występujące, na które cierpi maksymalnie 1 na 100 000 osób. Pacjenci ci są szczególnie odizolowani i bezradni.

(6) Ze względu na niską częstość występowania, szczególny charakter i wysoką całkowitą liczbę osób nimi dotkniętych rzadkie choroby wymagają globalnej strategii, której podstawą są specyficzne i złożone działania mające na celu zapobieżenie wysokiej chorobowości lub możliwym do uniknięcia przedwczesnym zgonom oraz poprawę jakości życia i możliwości społeczno-ekonomicznych chorych.

(7) Rzadkie choroby były jednym z priorytetów szóstego wspólnotowego programu ramowego w dziedzinie badań i rozwoju ⁽⁶⁾, i pozostają jednym z priorytetów działań w ramach siódmego programu ramowego w dziedzinie badań i rozwoju ⁽⁷⁾, jako że rozwój nowych możliwości w zakresie diagnozowania i leczenia rzadkich chorób oraz przeprowadzenie badań epidemiologicznych w ich zakresie wymaga działań obejmujących wiele krajów w celu zwiększenia liczby pacjentów objętych poszczególnymi badaniami.

(8) W swojej białej księdze zatytułowanej „Razem na rzecz zdrowia: strategiczne podejście dla UE na lata 2008–2013” z dnia 23 października 2007 r., przedstawiającej strategię UE w zakresie zdrowia, Komisja wskazała rzadkie choroby jako jeden z priorytetów działań.

⁽¹⁾ Rezolucja legislacyjna z dnia 23 kwietnia 2009 r. (dotychczas nieopublikowana w Dzienniku Urzędowym).

⁽²⁾ Opinia z dnia 25 lutego 2009 r. (dotychczas nieopublikowana w Dzienniku Urzędowym).

⁽³⁾ Decyzja nr 1295/1999/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 29 kwietnia 1999 r. przyjmująca wspólnotowy program działania w dziedzinie rzadkich chorób w ramach działań w dziedzinie zdrowia publicznego (1999–2003) (Dz.U. L 155, 22.6.1999, s. 1). Decyzja uchylona decyzją nr 1786/2002/WE (Dz.U. L 271, 9.10.2002, s. 1).

⁽⁴⁾ Decyzja nr 1350/2007/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 23 października 2007 r. ustanawiająca drugi wspólnotowy program działań w dziedzinie zdrowia na lata 2008–2013, (Dz.U. L 301 z 20.11.2007, s. 3).

⁽⁵⁾ Dz.U. L 18 z 22.1.2000, s. 1.

⁽⁶⁾ Decyzja nr 1513/2002/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 27 czerwca 2002 r. dotycząca szóstego programu ramowego Wspólnoty Europejskiej w dziedzinie badań, rozwoju technologicznego i demonstracji, przyczyniającego się do utworzenia Europejskiej Przestrzeni Badawczej i innowacji (2002–2006) (Dz.U. L 232 z 29.8.2002, s. 1).

⁽⁷⁾ Decyzja nr 1982/2006/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 18 grudnia 2006 r. dotycząca siódmego programu ramowego Wspólnoty Europejskiej w zakresie badań, rozwoju technologicznego i demonstracji (2007–2013) (Dz.U. L 412 z 30.12.2006, s. 1).

- (9) W celu poprawy koordynacji i spójności krajowych, regionalnych i lokalnych inicjatyw dotyczących rzadkich chorób i współpracy ośrodków badawczych odpowiednie działania krajowe w obszarze rzadkich chorób mogłyby zostać ujęte w planach lub strategiach dotyczących rzadkich chorób.
- (10) Zgodnie z bazą danych Orphanet tylko 250 spośród tysięcy znanych rzadkich chorób, w przypadku których możliwa jest identyfikacja kliniczna, posiada kod w istniejącej międzynarodowej klasyfikacji chorób (wersja 10). Odpowiednia klasyfikacja i oznaczenie kodami wszystkich rzadkich chorób są niezbędne dla zapewnienia świadomości co do ich istnienia i rozpoznania w krajowych systemach opieki zdrowotnej.
- (11) Światowa Organizacja Zdrowia („WHO”) zainicjowała proces przeglądu 10. wersji międzynarodowej klasyfikacji chorób w celu przyjęcia w ramach Światowego Zgromadzenia Zdrowia w 2014 roku jej nowej, 11. wersji. WHO mianowała przewodniczącą grupy zadaniowej UE ds. rzadkich chorób przewodniczącym głównej grupy doradczej ds. rzadkich chorób, aby wesprzeć wspomniany proces przeglądu, przedstawiając wnioski dotyczące kodyfikacji i klasyfikacji rzadkich chorób.
- (12) Wdrożenie wspólnej identyfikacji rzadkich chorób przez wszystkie państwa członkowskie znacznie wzmocniłoby wkład UE w prace powyższej głównej grupy doradczej oraz ułatwiłoby współpracę na poziomie Wspólnoty w dziedzinie rzadkich chorób.
- (13) W lipcu 2004 roku w ramach Komisji została ustanowiona grupa wysokiego szczebla ds. usług zdrowotnych i opieki medycznej w celu zaangażowania ekspertów z wszystkich państw członkowskich w prace dotyczące praktycznych aspektów współpracy pomiędzy krajowymi systemami opieki zdrowotnej w UE. Jedną z grup roboczych tej grupy wysokiego szczebla koncentruje się na europejskich sieciach referencyjnych (ERN) dotyczących rzadkich chorób. Opracowano pewne kryteria i zasady dla ERN, wśród nich kryteria i zasady dotyczące roli ERN w zwalczaniu rzadkich chorób. ERN mogłyby również służyć jako ośrodki badawcze i ośrodki wiedzy, zajmujące się leczeniem pacjentów z innych państw członkowskich i zapewniające w razie potrzeby dostęp do odpowiedniej infrastruktury leczniczej.
- (14) Z punktu widzenia Wspólnoty wartość dodana ERN jest szczególnie wysoka w przypadku rzadkich chorób ze względu na ich niski stopień występowania, z którym związana jest zarówno ograniczona liczba pacjentów, jak i niedobór wiedzy specjalistycznej w poszczególnych krajach. Gromadzenie specjalistycznej wiedzy na poziomie europejskim ma zatem kluczowe znaczenie dla zapewnienia pacjentom cierpiącym na rzadkie choroby równego dostępu do rzetelnych informacji, odpowiedniej i terminowej diagnozy oraz opieki wysokiej jakości.
- (15) W grudniu 2006 roku grupa ekspertów w ramach grupy zadaniowej Unii Europejskiej ds. rzadkich chorób wydała sprawozdanie zatytułowane „Wkład w kształtowanie polityki: europejska współpraca na rzecz usług zdrowotnych i opieki medycznej w dziedzinie rzadkich chorób”, skierowane do grupy wysokiego szczebla ds. usług zdrowotnych i opieki medycznej. Sprawozdanie grupy ekspertów podkreśla między innymi znaczenie, jakie ma wyznaczanie ośrodków wiedzy specjalistycznej oraz określenie roli, jaką powinny pełnić. Uzgodniono również, że – co do zasady i w miarę możliwości – podróżować powinna raczej specjalistyczna wiedza, a nie sami pacjenci. Niektóre ze środków, o których mowa w sprawozdaniu, włączono do niniejszego zalecenia.
- (16) Współpraca i wymiana wiedzy pomiędzy ośrodkami wiedzy specjalistycznej okazała się bardzo skuteczną strategią postępowania z rzadkimi chorobami w Europie.
- (17) Ośrodki wiedzy specjalistycznej mogłyby przyjąć multidyscyplinarne podejście do opieki w celu rozwiązania złożonych i wielorakich problemów związanych z rzadkimi chorobami.
- (18) Cechy szczególne rzadkich chorób, do których należą ograniczona liczba pacjentów i niedobór odpowiedniej wiedzy, w tym wiedzy specjalistycznej, czynią z nich wyjątkową dziedzinę, a działania podejmowane w jej ramach mają bardzo wysoką wartość dodaną na poziomie wspólnotowym. Osiągnięcie tej wartości dodanej może w szczególności być możliwe przez zgromadzenie krajowej wiedzy specjalistycznej z zakresu rzadkich chorób rozproszonej we wszystkich państwach członkowskich.
- (19) Rzeczą najwyższej wagi jest zapewnienie aktywnego wkładu państw członkowskich w opracowanie niektórych wspólnych instrumentów przewidzianych w komunikacie z dnia 11 listopada 2008r. Komisji zatytułowanym „Rzadkie choroby: wyzwania stojące przed Europą”, w szczególności instrumentów dotyczących diagnozowania i opieki medycznej, a także europejskich wytycznych w sprawie prowadzenia badań przesiewowych populacji. Mogłyby się to także odnosić do sprawozdań z oceny dotyczących terapeutycznej wartości dodanej sierocych produktów leczniczych, które mogłyby przyczynić się do przyspieszenia negocjacji dotyczących cen na poziomie krajowym, redukując tym samym opóźnienia w dostępie pacjentów cierpiących na rzadkie choroby do leków sierocych.
- (20) WHO określiła upodmiotowienie pacjentów jako jeden z „warunków wstępnych zdrowia” i zachęciła do „aktywnego partnerstwa i strategii samoopieki pacjentów w celu poprawy wyników zdrowotnych i jakości życia w grupie osób dotkniętych przewlekłymi chorobami”⁽¹⁾. Z tego punktu widzenia rola niezależnych grup pacjentów jest kluczowa tak pod względem bezpośredniego wsparcia osób dotkniętych chorobą, jak i zbiorowej pracy, jaką te osoby wykonują w celu poprawy warunków wspólnoty pacjentów cierpiących na rzadkie choroby jako całości, także z uwzględnieniem przyszłych pokoleń.
- (21) Państwa członkowskie powinny zmierzać do zaangażowania pacjentów i ich przedstawicieli w proces polityczny; powinny także dążyć do propagowania działań grup pacjentów.

(1) <http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf>

(22) Rozwój infrastruktury w zakresie badań i opieki zdrowotnej w dziedzinie rzadkich chorób wymaga długotrwałych projektów, a w związku z tym odpowiedniego wsparcia finansowego w celu zapewnienia trwałości projektów w perspektywie długoterminowej. Wysiłki te przyczyniłyby się zwłaszcza do maksymalizacji efektu synergii z projektami opracowanymi w ramach drugiego wspólnotowego programu działań, siódmego programu ramowego w dziedzinie badań, i rozwoju oraz następców tych programów,

canie do odpowiedniego uznania choroby w krajowych systemach opieki zdrowotnej i zwrotu kosztów na podstawie ICD, przy jednoczesnym poszanowaniu procedur krajowych.

4. Aktywny udział w opracowaniu unijnego, łatwo dostępnego i dynamicznego spisu rzadkich chorób w oparciu o sieć Orphanet i inne istniejące sieci, o których mowa w komunikacie Komisji w sprawie rzadkich chorób.

NINIEJSZYM ZALECA PAŃSTWOM CZŁONKOWSKIM:

I. PLANY I STRATEGIE W DZIEDZINIE RZADKICH CHORÓB

1. ustanowienie i realizację planów lub strategii dotyczących rzadkich chorób na odpowiednim szczeblu lub przeanalizowanie odpowiednich środków odnoszących się do rzadkich chorób w innych strategiach dotyczących zdrowia publicznego, zmierzając do zapewnienia pacjentom cierpiącym na rzadkie choroby dostępu do opieki wysokiej jakości, w tym diagnostyki, leczenia, rehabilitacji osób chorych i w miarę możliwości skutecznych leków sierocych, zaś w szczególności:

- jak najszybsze, najlepiej nie później niż przed końcem 2013 roku, opracowanie i przyjęcie planu lub strategii, której celem byłoby ukierunkowanie i zorganizowanie stosownych działań w dziedzinie rzadkich chorób w ramach ich systemów zdrowotnych i socjalnych;
- przedsięwzięcie działań służących włączeniu obecnych i przyszłych inicjatyw na poziomie lokalnym, regionalnym i krajowym, do swoich planów lub strategii w celu przyjęcia kompleksowego podejścia;
- określenie pewnej liczby działań priorytetowych w ramach swoich planów lub strategii, wraz z celami tych działań i mechanizmami ich monitorowania;
- przyjęcie do wiadomości opracowania wytycznych i zaleceń dotyczących rozwoju działań krajowych w zakresie rzadkich chorób przez właściwe organy na poziomie krajowym w ramach trwającego europejskiego projektu na rzecz opracowania krajowych planów zwalczania rzadkich chorób (EUROPLAN) wybranego do finansowania w okresie 2008–2011 w ramach pierwszego wspólnotowego programu działań w dziedzinie zdrowia publicznego ⁽¹⁾.

II. ODPOWIEDNIĄ DEFINICJĘ, KODYFIKACJĘ I SPORZĄDZANIE SPISU RZADKICH CHORÓB

- Zastosowanie – do celów prac politycznych na poziomie Wspólnoty – wspólnej definicji rzadkiej choroby jako choroby dotykającej nie więcej niż 5 na 10 000 osób.
- Dążenie do zapewnienia odpowiedniego opatrzenia rzadkich chorób kodami i możliwości odnalezienia tych chorób we wszystkich systemach informacji zdrowotnej, zachę-

5. Rozważenie wsparcia na wszystkich odpowiednich szczeblach, również na szczeblu wspólnotowym, z jednej strony specjalnych sieci informacyjnych w zakresie chorób, zaś z drugiej strony – do celów epidemiologicznych – rejestrów i baz danych, pamiętając przy tym o niezależnym zarządzaniu.

III. BADANIA NAUKOWE DOTYCZĄCE RZADKICH CHORÓB

- Określenie trwających badań naukowych i aktualnych zasobów badawczych w krajowych i wspólnotowych ramach, aby ustalić obecny stan badań, ocenić warunki badawcze w dziedzinie rzadkich chorób i poprawić koordynację programów wspólnotowych, krajowych i regionalnych w zakresie badań nad rzadkimi chorobami.
- Określenie potrzeb i priorytetów dla badań podstawowych, klinicznych, translacyjnych i socjalnych w dziedzinie rzadkich chorób oraz sposobów propagowania tych potrzeb i priorytetów, jak również propagowanie multidyscyplinarnych sposobów współdziałania, którymi należy się dodatkowo zająć z wykorzystaniem programów krajowych i wspólnotowych.
- Propagowanie udziału krajowych naukowców w projektach badawczych dotyczących rzadkich chorób finansowanych na wszystkich odpowiednich szczeblach, w tym na szczeblu Wspólnoty.
- Włączenie do swoich planów lub strategii przepisów służących propagowaniu badań w dziedzinie rzadkich chorób.
- Ułatwianie wraz z Komisją rozwoju współpracy badawczej z państwami trzecimi biorącymi aktywny udział w badaniach nad rzadkimi chorobami a, w ujęciu bardziej ogólnym, współpracy w zakresie wymiany informacji i wiedzy specjalistycznej.

IV. OŚRODKI SPECJALISTYCZNE I EUROPEJSKIE SIECI REFERENCYJNE DOTYCZĄCE RZADKICH CHORÓB

- Określenie odpowiednich ośrodków specjalistycznych na terytorium całego kraju do końca 2013 roku i rozważenie wsparcia tworzenia takich ośrodków.
- Propagowanie uczestnictwa specjalistycznych ośrodków w europejskich sieciach referencyjnych, z poszanowaniem krajowych kompetencji i zasad dotyczących udzielania im zezwoleń lub ich uznawania.

⁽¹⁾ Decyzja nr 1786/2002/WE Parlamentu Europejskiego i Rady z dnia 23 września 2002 r. przyjmująca program działań wspólnotowych w dziedzinie zdrowia publicznego (2003–2008) (Dz.U. L 271 z 9.10.2002, s. 1).

13. Organizowanie ścieżek opieki zdrowotnej dla pacjentów cierpiących na rzadkie choroby przez podejmowanie współpracy z odpowiednimi specjalistami oraz wymianę osób zawodowo zajmujących się tą dziedziną i wymianę wiedzy specjalistycznej w kraju lub w razie potrzeby za granicą.
14. Wspieranie wykorzystania technologii informacyjno-komunikacyjnych, takich jak telemedycyna w sytuacjach, gdy niezbędne jest zapewnienie dostępu do potrzebnej specjalnej opieki zdrowotnej na odległość.
15. Włączenie do swoich planów lub strategii warunków koniecznych do rozpowszechniania i mobilności wiedzy specjalistycznej i wiedzy ogólnej w celu ułatwienia leczenia pacjentów znajdujących się w pobliżu.
16. Zachęcanie specjalistycznych ośrodków do działania na podstawie multidyscyplinarnego podejścia do opieki w przypadku zajmowania się kwestią rzadkich chorób.

V. GROMADZENIE WIEDZY SPECJALISTYCZNEJ NA TEMAT RZADKICH CHOROÓB NA POZIOMIE EUROPEJSKIM

17. Gromadzenie krajowej wiedzy specjalistycznej na temat rzadkich chorób i wspieranie łączenia jej z wiedzą specjalistyczną posiadaną przez europejskich partnerów w celu wspierania:
 - a) wymiany najlepszych praktyk w zakresie narzędzi diagnostycznych i opieki medycznej, jak również kształcenia i opieki socjalnej w dziedzinie rzadkich chorób;
 - b) odpowiedniego nauczania i szkolenia dla wszystkich pracowników służby zdrowia, aby uświadomić im istnienie tych chorób i zasoby dostępne na związaną z nimi opiekę;
 - c) rozwoju szkolenia medycznego w dziedzinach związanych z diagnostyką rzadkich chorób i zarządzaniem nimi, takich jak genetyka, immunologia, neurologia, onkologia, pediatria);
 - d) opracowania europejskich wytycznych w sprawie testów diagnostycznych, oraz badań przesiewowych populacji, z poszanowaniem krajowych decyzji i kompetencji;
 - e) wymiany między państwami członkowskimi sprawozdań z oceny dotyczących terapeutycznej lub klinicznej wartości dodanej leków sierocych na poziomie Wspólnoty, gdzie gromadzona jest stosowna

wiedza, w tym wiedza specjalistyczna, w celu zminimalizowania opóźnień w dostępie do leków sierocych w przypadku pacjentów cierpiących na rzadkie choroby.

VI. UPODMIOTOWIENIE ORGANIZACJI PACJENTÓW

18. Zasięganie opinii pacjentów i przedstawicieli pacjentów w zakresie polityk w dziedzinie rzadkich chorób i ułatwianie pacjentom dostępu do aktualizowanych informacji na temat rzadkich chorób.
19. Propagowanie działań podejmowanych przez organizacje pacjentów, takich jak podnoszenie świadomości, rozwijanie potencjału, szkolenia, wymiana informacji i najlepszych praktyk, tworzenie sieci, nawiązywanie kontaktów z pacjentami najbardziej odizolowanymi.

VII. TRWAŁOŚĆ

20. Wraz z Komisją dążenie do zapewnienia – za pomocą odpowiedniego finansowania i mechanizmów współpracy – długoterminowej trwałości infrastruktury rozwiniętej w dziedzinie informacji, badań i opieki zdrowotnej w zakresie rzadkich chorób.

NINIEJSZYM WZYWA KOMISJĘ DO:

1. Sporządzenia, do końca roku 2013 i w celu umożliwienia przedstawienia wniosków w ramach ewentualnego przyszłego programu wspólnotowych działań w dziedzinie zdrowia, sprawozdania z wykonania niniejszego zalecenia, skierowanego do Parlamentu Europejskiego, Rady, Europejskiego Komitetu Ekonomiczno-Społecznego i Komitetu Regionów i którego podstawą będą informacje dostarczone przez państwa członkowskie; w sprawozdaniu tym należy przeanalizować, w jakim stopniu zaproponowane środki są skuteczne, oraz potrzebę dalszych działań służących poprawie jakości życia pacjentów cierpiących na rzadkie choroby oraz życia ich rodzin.
2. Regularnego informowania Rady o działaniach podjętych w następstwie komunikatu Komisji w sprawie rzadkich chorób.

Sporządzono w Luksemburgu, dnia 8 czerwca 2009 r.

W imieniu Rady
Petr ŠIMERKA
Przewodniczący