

A TANÁCS AJÁNLÁSA

(2009. június 8.)

a ritka betegségek területén megvalósítandó fellépésről

(2009/C 151/02)

AZ EURÓPAI UNIÓ TANÁCSA,

tekintettel az Európai Közösséget létrehozó szerződésre, és különösen annak 152. cikke (4) bekezdésének második albekezdésére,

tekintettel a Bizottság javaslatára,

tekintettel az Európai Parlament véleményére ⁽¹⁾,

tekintettel az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság véleményére ⁽²⁾,

mivel:

- (1) A ritka betegségek veszélyt jelentenek az EU polgárok egészségére, mivel olyan életveszélyes vagy maradandó károsodást okozó betegségekről van szó, amelyek kis prevalenciával bírnak és nagyon összetettek. Gyér előfordulásuk ellenére a ritka betegségeknek olyan sok különböző típusa létezik, hogy azok több millió személyt érintenek.
- (2) Az egyetemesség, a jó minőségű ellátáshoz való hozzáférés, az azonos bánásmód és a szolidaritás elvei és átfogó értékei – melyeket az uniós egészségügyi rendszerekben a közös értékekről és elvekről szóló, 2006. június 2-i tanácsi következtetések is megerősítenek – kiemelt fontossággal bírnak a ritka betegségekben szenvedők számára.
- (3) Az 1999. január 1-jétől 2003. december 31-ig tartó időszakra elfogadtak egy közösségi cselekvési programot a ritka betegségekkel – többek között a genetikai betegségekkel – kapcsolatban ⁽³⁾. A programban szereplő meghatározás szerint a ritka betegségek prevalenciája az EU-ban 10 000 személyből legfeljebb 5. A második közösségi egészségügyi program ⁽⁴⁾ forrásainak felhasználásával a tudományos fejlődésen alapuló, pontosabb, mind a prevalenciát, mind az incidenciát figyelembe vevő fogalom meghatározás kerül majd kidolgozásra.

- (4) A ritka betegségek gyógyszereiről szóló, 1999. december 16-i 141/2000/EK európai parlamenti és tanácsi rendelet ⁽⁵⁾ értelmében egy gyógyszer akkor tekintendő ritka betegségek gyógyszerének, ha olyan életveszélyes vagy súlyosan egészségkárosító betegség diagnosztizálására, megelőzésére vagy kezelésére szolgál, amely 10 000-ból legfeljebb 5 embert érint a Közösségben a kérelem benyújtásakor.
- (5) Becslések szerint jelenleg 5 000 és 8 000 között mozog a különböző ritka betegségek száma, melyek a lakosság 6–8 %-át érintik életük során. Más szóval, noha a ritka betegségek mindegyikét alacsony prevalencia jellemzi, a ritka betegségek által érintett személyek teljes száma az EU-ban 27–36 millió fő. Többségük kis gyakorisággal – százezer emberből legfeljebb egynél – előforduló betegségben szenved. E betegek különösen elszigeteltek és kiszolgáltatottak.
- (6) Az alacsony prevalencia, a betegségek speciális jellege és az érintett személyek magas összlétszáma miatt a ritka betegségek tekintetében átfogó, egyedi és egyesített erőfeszítéseken alapuló megközelítésre van szükség a magas morbiditási ráta, illetve az elkerülhető, idő előtti elhalálozás megelőzése, valamint az érintett személyek életminőségének és társadalmi-gazdasági lehetőségeinek javítása érdekében.
- (7) A ritka betegségek a hatodik kutatási és fejlesztési közösségi keretprogram ⁽⁶⁾ egyik kiemelt területe volt, és úgyszintén kiemelt területet képeznek a hetedik kutatási és fejlesztési keretprogramban ⁽⁷⁾ is, mivel a ritka betegségek diagnosztikájának és kezelésének fejlesztése, valamint az ilyen rendellenességekkel kapcsolatos epidemiológiai kutatás végzése érdekében több országra kiterjedő megközelítésre van szükség, hogy növekedjen az egyes tanulmányokba bevont betegek száma.
- (8) A Bizottság az EU egészségügyi stratégia fejlesztésére irányuló, „Együtt az egészségért: Stratégiai megközelítés az EU számára, 2008–2013” című, 2007. október 23-i fehér könyvében cselekvési prioritásként határozta meg a ritka betegségeket.

⁽¹⁾ A 2009. április 23-i jogalkotási állásfoglalás (a Hivatalos Lapban még nem tették közzé).

⁽²⁾ A 2009. február 25-i vélemény (a Hivatalos Lapban még nem tették közzé).

⁽³⁾ Az Európai Parlament és a Tanács 1999. április 29-i 1295/99/EK határozata a ritka betegségekre irányuló közösségi cselekvési programnak a közösségi egészségügyi fellépés (1999–2003) keretében történő elfogadásáról (HL L 155., 1999.6.22., 1. o.). Az 1786/2002/EK határozattal hatályon kívül helyezett határozat (HL L 271., 2002.10.9., 1. o.).

⁽⁴⁾ Az Európai Parlament és a Tanács 1350/2007/EK határozata (2007. október 23.) az egészségügyre vonatkozó második közösségi cselekvési program (2008–2013) létrehozásáról (HL L 301., 2007.11.20., 3. o.).

⁽⁵⁾ HL L 18., 2000.1.22., 1. o.

⁽⁶⁾ Az Európai Parlament és a Tanács 1513/2002/EK határozata (2002. június 27.) az Európai Közösségnek az Európai Kutatási Térség létrehozásához és az innovációhoz hozzájáruló kutatási, technológiai fejlesztési és demonstrációs tevékenységére vonatkozó hatodik keretprogramjáról (2002–2006) (HL L 232., 2002.8.29., 1. o.).

⁽⁷⁾ Az Európai Parlament és a Tanács 1982/2006/EK határozata (2006. december 18.) az Európai Közösség kutatási, technológiai fejlesztési és demonstrációs tevékenységére vonatkozó hetedik keretprogramjáról (2007–2013) (HL L 412., 2006.12.30., 1. o.).

- (9) A ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti, regionális és helyi kezdeményezések koordinációjának és egységességének, valamint a kutatóközpontok közötti együttműködésnek a javítása érdekében a ritka betegségek területére vonatkozó nemzeti fellépéseket integrálni lehetne a ritka betegségekre vonatkozó tervekbe vagy stratégiákba.
- (10) Az Orphanet adatbázis szerint a jelenleg ismert és klinikailag azonosítható több ezer ritka betegség közül csak 250 rendelkezik a betegségek nemzetközi osztályozásának (BNO) jelenleg érvényben levő, tizedik változata szerinti kóddal. Valamennyi ritka betegséget megfelelően osztályozni és kódolni kell, hogy a nemzeti egészségügyi rendszerek is ismerjék és betegséggént elismerjék őket.
- (11) Az Egészségügyi Világszervezet (WHO) 2007-ben kezdte el a BNO 10. változatának a felülvizsgálatát azzal a céllal, hogy az Egészségügyi Világszervezet 2014. évi közgyűlésén elfogadásra kerülhessen az osztályozás 11. változata. A WHO a ritka betegségekkel foglalkozó európai uniós munkacsoport elnökét nevezte ki a ritka betegségekkel foglalkozó tematikus tanácsadó csoport elnökévé, melynek feladata, hogy a ritka betegségek kódolására és osztályozására vonatkozó javaslatok tételével járuljon hozzá a felülvizsgálati folyamathoz.
- (12) A ritka betegségek valamennyi tagállamban egységes meghatározásának bevezetése jelentős mértékben fokozná az Európai Unió hozzájárulását a tematikus tanácsadó csoport munkájához, és megkönnyítené a ritka betegségek területén megvalósuló közösségi szintű együttműködést.
- (13) 2004 júliusában létrejött egy, az egészségügyi szolgáltatásokkal és gyógyellátással foglalkozó bizottsági magas szintű csoport, melyben valamennyi tagállam szakértői részt vesznek, hogy kidolgozzák az Európai Unióban létező nemzeti egészségügyi rendszerek közötti együttműködés gyakorlati szempontjait. A magas szintű csoport egyik munkacsoportja a ritka betegségek európai referenciahálózataival foglalkozik. E referenciahálózatok vonatkozásában bizonyos kritériumok és alapelvek kidolgozására került sor, beleértve a ritka betegségek kezelésében betöltött szerepüket is. Az európai referenciahálózatok kutató- és tudásközpontként is szolgálhatnak, ennek keretében kezelést nyújthatnak a más tagállamokból érkező betegek számára, és szükség esetén biztosíthatják a további kezeléshez szükséges létesítmények rendelkezésre állását.
- (14) Az európai referenciahálózatok képviselte közösségi többletérték a ritka betegségek esetében kiemelt jelentőségű a betegségek ritka előfordulása miatt, ami egyaránt vonatkozik az egyes tagállamokban élő betegek korlátozott számára és a szakismeret szűkösségére. A szakértelm európai szinten történő összegyűjtése ezért kiemelkedően fontos a ritka betegségekben szenvedő betegek számára a pontos tájékoztatáshoz, a megfelelő és időben történő diagnosztizáláshoz és a magas színvonalú ellátáshoz való egyenlő hozzáférés biztosításában.
- (15) 2006 decemberében az Európai Unió ritka betegségekkel foglalkozó munkacsoportjának egyik szakértői csoportja „Hozzájárulás a politikaformáláshoz: európai együttműködésért az egészségügyi szolgáltatásokban és a gyógyellátásban a ritka betegségek területén” címmel jelentést nyújtott be az egészségügyi szolgáltatásokkal és gyógyellátással foglalkozó magas szintű csoport részére. A szakértői csoport jelentése kiemeli többek között a szakértői központok kijelölésének, valamint a központok által betöltendő szerep meghatározásának jelentőségét. A jelentés azt is megállapította, hogy – elvben és amennyiben lehetséges – a betegek helyett a szakértőknek kellene utazniuk. A jelentésben szorgalmazott intézkedések közül néhány bekerült ebbe az ajánlásba.
- (16) A szakértői központok közötti együttműködés és ismeretmegosztás a ritka betegségek leküzdése tekintetében igen hatékony megközelítésnek bizonyult Európában.
- (17) A szakértői központok az ellátás terén követhetnének multidiszciplináris megközelítést a ritka betegségek összetett és változatos körképeinek megfelelő kezelése érdekében.
- (18) A ritka betegségek sajátosságai – korlátozott számú beteg, korlátozottan rendelkezésre álló ismeretek és szakértelm – olyan egyedi területté teszi őket, ahol az uniós szintű intézkedések igen jelentős többletértéket jelentenek. Ezt a többletértéket elsősorban a ritka betegségekkel kapcsolatban az egyes tagállamokban elszórtan meglévő nemzeti szakértelm összegyűjtésével lehet elérni.
- (19) Rendkívül fontos annak biztosítása, hogy a tagállamok aktívan hozzájáruljanak a 2008. november 11-i, „Ritka betegségek: kihívás Európa számára” című bizottsági közleményben előirányzott közös eszközök némelyikének kidolgozásához, különösen a diagnosztika és az orvosi ellátás, valamint a lakossági szűrésre vonatkozó európai iránymutatások megalkotása tekintetében. Ez vonatkozhatna a ritka betegségek gyógyszereinek terápiás többletértékéről készülő értékelő jelentésekre is, melyek hozzájárulhatnak a nemzeti szintű ártárgyalások felgyorsításához, minek következtében a betegek rövidebb idő alatt tudnának hozzájutni a ritka betegségek gyógyszereihez.
- (20) A WHO a betegek felelős döntési helyzetbe hozását az egészség előfeltételeként határozta meg, és a krónikus betegek egészségi állapotának és életminőségének javítására proaktív partnerségi és öngyógyító stratégiák kialakítását ösztönözte⁽¹⁾. Ebben az értelemben a független betegcsoportok szerepe döntő jelentőségű mind a betegséggel élő egyes személyek közvetlen támogatásában, mind pedig azon kollektív munkát illetően, amelyet általában a ritka betegségekkel élők, és a későbbi generációk körülményeinek javítása érdekében végeznek.
- (21) A tagállamoknak célul kellene kitűzniük, hogy a betegeket és a betegek képviselőit bevonják a szakpolitikai folyamatba, és törekedniük kellene a betegcsoportok tevékenységeinek a támogatására.

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

- (22) A kutatás és az egészségügyi infrastruktúra fejlesztésére a ritka betegségek területén hosszú távú projekteket kell létrehozni, ezért olyan megfelelő pénzügyi erőfeszítésekre van szükség, melyek hosszú távon biztosítják a projektek fenntarthatóságát. Ezek az erőfeszítések maximális mértékben növelnék a szinergiát különösen a második egészségügyi közösségi program, a hetedik kutatási és fejlesztési közösségi keretprogram, valamint az ezen programokat követő programok keretében megvalósító projektekkel,

AJÁNLJA A TAGÁLLAMOKNAK, HOGY

I. A RITKA BETEGSÉGEK TERÜLETÉRE VONATKOZÓ TERVEK ÉS STRATÉGIÁK TERÉN

1. A megfelelő szinten hozzanak létre és valósítsanak meg a ritka betegségekre vonatkozó terveket vagy stratégiákat, illetve vizsgálják meg a ritka betegségekre vonatkozó megfelelő intézkedések más közegészségügyi stratégiákba való beillesztését abból a célból, hogy biztosítsák a ritka betegségekben szenvedők magas színvonalú ellátáshoz való hozzáférését, beleértve a diagnosztikát, a kezeléseket, a betegséggel élők rehabilitációját és – amennyiben lehetséges – a ritka betegségek kezelésére szolgáló gyógyszereket, és különösen ajánlja az alábbiakat:

- olyan terv vagy stratégia mielőbbi kidolgozása és elfogadása, lehetőleg legkésőbb 2013 végéig, melynek célja, hogy egészségügyi és szociális rendszereik keretében a ritka betegségek területére vonatkozó intézkedések tekintetében iránymutatással szolgáljon és szerkezetileg összefogja azokat;
- intézkedések hozatala a helyi, regionális és nemzeti szintű jelenlegi és jövőbeli kezdeményezéseknek a tagállami tervekbe, illetve stratégiákba való integrálására átfogó megközelítés biztosítása érdekében;
- terveikben, illetve stratégiáikban kis számú kiemelt cselekvés célkitűzésekkel és nyomon követési mechanizmusokkal együtt történő meghatározása;
- a 2008–2011-es időszakban a közegészségügyre vonatkozó első közösségi cselekvési program⁽¹⁾ általi támogatásra kiválasztott, a ritka betegségekre vonatkozó nemzeti tervek kifejlesztésének jelenleg folyamatban lévő európai projektje (EUROPLAN) keretében a ritka betegségekkel kapcsolatos nemzeti fellépések meghatározását célzó iránymutatásoknak és ajánlásoknak az illetékes hatóságok által nemzeti szinten folytatott kidolgozásának figyelembe vétele.

II. A RITKA BETEGSÉGEK MEGFELELŐ MEGHATÁROZÁSA, KÓDOLÁSA ÉS JEGYZÉKBE VÉTELE TERÉN

- A közösségi szintű szakpolitikai munka céljából alkalmazták a ritka betegségek azon közös fogalom meghatározását, miszerint e betegségek tízezer személyből legfeljebb ötnél fordulnak elő.
- Tűzzék ki célul a ritka betegségek megfelelő kódolásának és valamennyi egészségügyi információs rendszerben való

nyomon követhetőségének a biztosítását, ösztönözve ezáltal a betegségek megfelelő elismerését a nemzeti egészségügyi ellátási és visszatérítési rendszerekben a BNO alapján, a nemzeti eljárások tiszteletben tartásával.

- Aktívan járuljanak hozzá a ritka betegségek könnyen elérhető és dinamikus, az Orphanet hálózaton és más létező hálózatokon alapuló uniós nyilvántartásának a kifejlesztéséhez, a ritka betegségekről szóló bizottsági közleményben említettek szerint.

- Mérlegeljék minden megfelelő szinten – a közösségi szintet is beleértve – egyrészt az egyes betegségekkel foglalkozó információs hálózatok, másrészt pedig – járványügyi célokból – nyilvántartások és adatbankok támogatását, a független irányítás elvét szem előtt tartva.

III. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS KUTATÁS TERÉN

- Azonosítsák a nemzeti és közösségi keretekben a ritka betegségekkel kapcsolatban folyamatban lévő kutatásokat és a kutatási erőforrásokat a kutatások jelenlegi állásának megállapítása és a kutatási szintér felmérése céljából, valamint javítsák a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatásokra vonatkozó közösségi, nemzeti és regionális programok koordinációját.
- Azonosítsák a ritka betegségek terén végzett alap-, klinikai, transzlációs és szociális kutatás szükségleteit és prioritásait, valamint támogatásuk módját, továbbá ösztönözzék az interdiszciplináris együttműködési megközelítést, melynek megvalósítása a nemzeti és közösségi programokon keresztül egymást kiegészítő módon történne.
- Támogassák tagállami kutatók részvételét a ritka betegségekkel kapcsolatos, minden megfelelő szinten – a közösségi szintet is beleértve – finanszírozott kutatási projekteken.
- Terveikbe, illetve stratégiáikba illesszenek be a ritka betegségek területén folytatott kutatás támogatását célzó rendelkezéseket.

- Az Európai Bizottsággal együttesen segítsék elő a ritka betegségekkel kapcsolatos kutatás terén aktív harmadik országokkal való kutatási együttműködés kialakítását, általában az információcseré és a szakértelem megosztása tekintetében.

IV. A RITKA BETEGSÉGEKKEL FOGLALKOZÓ SZAKÉRTŐI KÖZPONTOK ÉS EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOK TERÉN

- Országuk területén 2013 végére azonosítsák a megfelelő szakértői központokat és mérlegeljék létrehozásuk támogatását.
- Támogassák a szakértői központok részvételét az európai referenciahálózatokban, az engedélyezésükre, illetve az elismerésükre vonatkozó nemzeti hatáskörök és szabályok tiszteletben tartásával.

(1) Az Európai Parlament és a Tanács 1786/2002/EK határozata (2002. szeptember 23.) a közegészségügyre vonatkozó közösségi cselekvési program (2003–2008) elfogadásáról (HL L 271., 2002.10.9., 1. o.).

13. Biztosítsanak különböző egészségügyi ellátási módokat a ritka betegségekben szenvedők számára a megfelelő nemzeti, szükség esetén pedig külföldi szakértők közötti együttműködés és szakemberek csereútjainak szervezésével, valamint az ismeretek megosztásával.
14. Támogassák az információs és kommunikációs technológiák alkalmazását, például a távgyógyászatot a szükséges esetekben, a konkrét esetben szükséges egészségügyi ellátáshoz való távoli hozzáférés biztosítása érdekében.
15. Terveikbe vagy stratégiáikba foglalják bele a szakértelem és tudás terjesztésére és a szakértők mobilitására vonatkozó szükséges feltételeket annak megkönnyítése érdekében, hogy a betegek lakóhelyük közelében részesülhessenek ellátásban.
16. A ritka betegségek tekintetében ösztönözzék, hogy a szakértői központok munkája az ellátásra vonatkozó multidiszciplináris megközelítésen alapuljon.

V. A RITKA BETEGSÉGEKKEL KAPCSOLATOS SZAKÉRTELEM EURÓPAI SZINTEN TÖRTÉNŐ ÖSSZEJÚJTÁSA TERÉN

17. Gyűjtsék össze a ritka betegségekkel kapcsolatos, nemzeti szinten meglévő szakértelmet és támogassák annak az európai partnerekkel való megosztását az alábbiak támogatása érdekében:
 - a) a ritka betegségek terén a diagnosztikai eszközökre és orvosi ellátásra, valamint az oktatásra és a szociális ellátásra vonatkozó legjobb gyakorlatok megosztása;
 - b) megfelelő oktatás és képzés biztosítása valamennyi egészségügyi szakember számára annak érdekében, hogy felhívják a figyelmüket e betegségek és az azokkal kapcsolatos ellátás céljából rendelkezésre álló eszközök létezésére;
 - c) egészségügyi képzés kidolgozása a ritka betegségek diagnosztikájához és kezeléséhez kapcsolódó területeken, mint például a genetika, immunológia, neurológia, onkológia és a pediátria);
 - d) a diagnosztikai vizsgálatokra vagy a népesség szűrésére vonatkozó európai iránymutatások kidolgozása a nemzeti döntések és hatáskörök tiszteletben tartásával;
 - e) a ritka betegségek gyógyszereinek terápiás, illetve klinikai többletértékére vonatkozó tagállami értékelő jelentések közösségi szintű megosztása, amennyiben a

vonatkozó ismereteket és szakértelmet összegyűjtötték, annak érdekében, hogy a betegek minimális időn belül tudjanak hozzájutni a ritka betegségek gyógyszereihez.

VI. A BETEGKÉPVISELETI SZERVEK SZEREPÉNEK NÖVELÉSE TERÉN

18. Folytassanak konzultációt a betegekkel és a betegek képviselőivel a ritka betegségek területét érintő szakpolitikákról, és könnyítsék meg a betegek hozzáférését a ritka betegségekkel kapcsolatos, naprakész információkhoz.
19. Támogassák a betegképviselői szervek olyan tevékenységeit, mint a tájékoztatás a kapacitásépítés és a képzés, az információcseré és a legjobb gyakorlatok megosztása, a hálózatépítés és a nagyon elszigetelt helyzetben lévő betegek támogatása.

VII. A FENNTARTHATÓSÁG TERÉN

20. A Bizottsággal együttesen tűzzék ki célul a ritka betegségekkel kapcsolatos tájékoztatás, kutatás és egészségügyi ellátás terén kifejlesztett infrastruktúrák hosszú távú fenntarthatóságának – megfelelő finanszírozási és együttműködési mechanizmusokon keresztül – biztosítását.

FELKÉRI A BIZOTTSÁGOT, HOGY

1. 2013 végéig – annak érdekében, hogy lehetővé tegye javaslatok benyújtását az egészségügy területére vonatkozó esetleges jövőbeli közösségi cselekvési programok keretében – készítsen ezen ajánlás végrehajtásáról a tagállamok által nyújtott információkon alapuló végrehajtási jelentést az Európai Parlament, a Tanács, az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság, valamint a Régiók Bizottsága részére annak megállapítására, hogy a javasolt intézkedések milyen mértékű hatékonysággal működnek, valamint hogy szükség van-e a ritka betegségekben szenvedők és családtagjaik életminőségét javító, további intézkedések meghozatalára.
2. Rendszeresen tájékoztassa a Tanácsot a ritka betegségekről szóló bizottsági közleményt követő intézkedésekről.

Kelt Luxemburgban, 2009. június 8-án.

a Tanács részéről
az elnök
Petr ŠIMERKA