

ODPORÚČANIE RADY

z 8. júna 2009

o činnosti v oblasti zriedkavých chorôb

(2009/C 151/02)

RADA EURÓPSKEJ ÚNIE,

so zreteľom na Zmluvu o založení Európskeho spoločenstva, a najmä na jej článok 152 ods. 4 druhý pododsek,

so zreteľom na návrh Komisie,

so zreteľom na stanovisko Európskeho parlamentu ⁽¹⁾,so zreteľom na stanovisko Európskeho hospodárskeho a sociálneho výboru ⁽²⁾,

keďže:

- (1) Zriedkavé choroby sú hrozbou pre zdravie občanov EÚ, keďže ide o životohrožujúce a chronicky invalidizujúce choroby s nízkou prevalenciou a vysokou mierou komplexnosti. Napriek tomu, že ide o zriedkavé choroby, vyskytujú sa v takom veľkom množstve rôznych druhov, že nimi trpia milióny ľudí.
- (2) Mimoriadny význam pre pacientov so zriedkavými chorobami majú zásady a všeobecné hodnoty univerzálnosti, prístupu ku kvalitnej starostlivosti, rovnosti a solidarity, ako sa schválilo v záveroch Rady o spoločných hodnotách a zásadách v zdravotníckych systémoch EÚ z 2. júna 2006.
- (3) Akčný program Spoločenstva v oblasti zriedkavých chorôb vrátane genetických chorôb sa prijal na obdobie od 1. januára 1999 do 31. decembra 2003 ⁽³⁾. Pokiaľ ide o prevalenciu, v tomto programe sa vymedzilo, že za zriedkavú sa považuje choroba, ktorá v EÚ nepostihuje viac ako 5 z 10 000 osôb. Presnejšie vymedzenie založené na aktualizovanom vedeckom skúmaní, v ktorom sa zohľadňuje aj prevalencia aj incidencia, sa vypracuje s použitím zdrojov druhého programu Spoločenstva v oblasti zdravia ⁽⁴⁾.

(4) V nariadení Európskeho parlamentu a Rady (ES) č. 141/2000 zo 16. decembra 1999 o liekoch na ojedinelé ochorenia ⁽⁵⁾ sa ustanovuje, že liek sa označuje ako „liek na ojedinelé ochorenia“, keď je určený na diagnostiku, prevenciu alebo liečbu životohrožujúceho alebo chronicky invalidizujúceho ochorenia postihujúceho v čase podania žiadosti nie viac ako päť osôb na 10 tisíc osôb v Spoločenstve.

(5) Odhaduje sa, že v súčasnosti existuje približne 5 000 až 8 000 rôznych zriedkavých chorôb, ktoré počas života postihujú 6 % až 8 % obyvateľstva. Inými slovami, napriek tomu, že v prípade každej zriedkavej choroby je charakteristická nízka prevalencia, celkový počet osôb v EÚ, ktoré trpia zriedkavými chorobami, predstavuje približne 27 až 36 miliónov. Väčšina z nich trpí menej často sa vyskytujúcimi chorobami, ktoré postihujú jednu alebo menej ako jednu osobu na 100 000 ľudí. Títo pacienti sú izolovaní a ohrození.

(6) Zriedkavé choroby si z dôvodu nízkej prevalence, osobitosti a vysokého celkového počtu osôb, ktoré sú nimi postihnuté, vyžadujú jednotný prístup založený na osobitnom a spoločnom úsilí o predchádzanie značnej morbidite alebo odvrátiteľnej predčasnej úmrtnosti a na úsilí zlepšiť kvalitu života a sociálno-ekonomický potenciál postihnutých osôb.

(7) Zriedkavé choroby predstavovali jednu z priorit šiesteho rámcového programu Spoločenstva pre výskum a vývoj ⁽⁶⁾ a sú jednou z priorit aj v siedmom rámcovom programe pre výskum a vývoj ⁽⁷⁾, keďže v prípade týchto chorôb si vývoj nových diagnostických metód a liečebných postupov, ako aj uskutočňovanie ich epidemiologického výskumu vzhľadom na potrebu zvýšiť počet pacientov pre každú štúdiu vyžaduje prístupy založené na účasti viacerých krajín.

(8) Komisia v bielej knihe „Spoločne za zdravie: strategický prístup EÚ na obdobie 2008–2013“ z 23. októbra 2007, ktorou sa rozvíja stratégia EÚ v oblasti zdravia, zaradila zriedkavé choroby k prioritným oblastiam činnosti.

⁽¹⁾ Legislatívne uznesenie z 23. apríla 2009 (zatiaľ neuvverejnené v úradnom vestníku).

⁽²⁾ Stanovisko z 25. februára 2009 (zatiaľ neuvverejnené v úradnom vestníku).

⁽³⁾ Rozhodnutie Európskeho parlamentu a Rady z 29. apríla 1999 č. 1295/1999/ES, ktorým sa prijíma akčný program Spoločenstva v oblasti zriedkavých chorôb v rámci činnosti v oblasti verejného zdravia (1999 až 2003) (Ú. v. ES L 155, 22.6.1999, s. 1). Rozhodnutie zrušené rozhodnutím č. 1786/2002/ES (Ú. v. ES L 271, 9.10.2002, s. 1).

⁽⁴⁾ Rozhodnutie Európskeho parlamentu a Rady č. 1350/2007/ES z 23. októbra 2007, ktorým sa ustanovuje druhý akčný program Spoločenstva v oblasti zdravia (2008–2013) (Ú. v. EÚ L 301, 20.11.2007, s. 3).

⁽⁵⁾ Ú. v. ES L 18, 22.1.2000, s. 1.

⁽⁶⁾ Rozhodnutie Európskeho parlamentu a Rady č. 1513/2002/ES z 27. júna 2002, ktoré sa týka šiesteho rámcového programu Európskeho spoločenstva v oblasti výskumu, technického rozvoja a demonštračných činností prispievajúcich k vytvoreniu Európskeho výskumného priestoru a k inovácii (2002 až 2006) (Ú. v. ES L 232, 29.8.2002, s. 1).

⁽⁷⁾ Rozhodnutie Európskeho parlamentu a Rady č. 1982/2006/ES z 18. decembra 2006 o siedmom rámcovom programe Európskeho spoločenstva v oblasti výskumu, technického rozvoja a demonštračných činností (2007–2013) (Ú. v. EÚ L 412, 30.12.2006, s. 1).

- (9) S cieľom zlepšiť koordináciu a súlad národných, regionálnych a miestnych iniciatív zameraných na zriedkavé choroby, ako aj zlepšiť spoluprácu medzi výskumnými ústavmi by sa relevantné vnútroštátne činnosti v oblasti zriedkavých chorôb mohli včleniť do plánov alebo stratégií v oblasti zriedkavých chorôb.
- (10) Podľa databázy Orphanet má v súčasnej medzinárodnej klasifikácii chorôb (10. vydanie) z tisícok známych a klinicky rozpoznateľných zriedkavých chorôb kód len 250 z nich. Na to, aby boli vo vnútroštátnych zdravotných systémoch náležite viditeľné a rozpoznateľné, je potrebná vhodná klasifikácia a kódovanie všetkých zriedkavých chorôb.
- (11) Svetová zdravotnícka organizácia (WHO) začala v roku 2007 proces revízie 10. vydania medzinárodnej klasifikácie chorôb s cieľom prijať na svetovom zdravotníckom zhromaždení v roku 2014 jej nové 11. vydanie. WHO vymenovala predsedu osobitnej pracovnej skupiny EÚ pre zriedkavé choroby za predsedu tematickej poradnej skupiny pre zriedkavé choroby s cieľom prispieť k procesu revízie predkladaním návrhov na kódovanie a klasifikáciu zriedkavých chorôb.
- (12) Zavedenie spoločnej identifikácie zriedkavých chorôb vo všetkých členských štátoch by vo veľkej miere posilnilo príspevok EÚ k činnosti tejto tematickej poradnej skupiny a uľahčilo by spoluprácu na úrovni Spoločenstva v oblasti zriedkavých chorôb.
- (13) V júli 2004 sa v rámci Komisie zriadila skupina na vysokej úrovni pre zdravotnícke služby a lekársku starostlivosť s cieľom združiť odborníkov zo všetkých členských štátov, aby sa zaoberali praktickými aspektmi spolupráce vnútroštátnych zdravotných systémov v EÚ. Jedna z pracovných skupín tejto skupiny na vysokej úrovni sa zameriava na európske referenčné siete pre zriedkavé choroby. Pre tieto siete sa vypracovali určité kritériá a zásady vrátane ich úlohy v boji proti zriedkavým chorobám. Mohli by tiež plniť úlohu centier pre výskum a vedomosti so zameraním na liečbu pacientov z iných členských štátov a v prípade potreby zabezpečujúcich dostupnosť následnej liečby.
- (14) Pridaná hodnota, ktorú siete prinášajú Spoločenstvu, je pri zriedkavých chorobách z dôvodu ich ojedinelého výskytu a vzhľadom na obmedzený počet pacientov a nedostatok odborných znalostí v jednotlivých krajinách mimoriadne vysoká. Sústreďovanie odborných znalostí na európskej úrovni je preto kľúčovým predpokladom pre zabezpečenie rovnakého prístupu pacientov trpiacich zriedkavými chorobami k presným informáciám, riadnej a včasnej diagnóze a vysokokvalitnej starostlivosti.
- (15) V decembri 2006 vydala jedna zo skupín expertov osobitnej skupiny Európskej únie pre zriedkavé choroby správu „Prínos k formovaniu politiky: za európsku spoluprácu týkajúcu sa zdravotníckych služieb a lekárskej starostlivosti v oblasti zriedkavých chorôb“, ktorú predložila skupine na vysokej úrovni pre zdravotnícke služby a lekársku starostlivosť. V tejto správe sa okrem iného zdôrazňuje dôležitosť určenia centier odborných znalostí a úloh, ktoré majú plniť. Dosiahla sa tiež dohoda o tom, že v zásade a ak je to možné, by mali dochádzať skôr odborné znalosti, ako samotní pacienti. Niektoré opatrenia požadované v uvedenej správe sa zapracovali do tohto odporúčania.
- (16) Spolupráca a výmena poznatkov medzi centrami odborných znalostí sa ukázali ako veľmi účinný prístup k boju proti zriedkavým chorobám v Európe.
- (17) Centrá odborných znalostí by mali uplatňovať multidisciplinárny prístup k starostlivosti, aby tak mohli riešiť komplexné a rôznorodé poruchy, ktoré zriedkavé choroby vyvolávajú.
- (18) Osobitosti zriedkavých chorôb – obmedzený počet pacientov a nedostatok príslušných vedomostí a odborných znalostí – ich vylučujú ako špecifickú oblasť, v ktorej má činnosť na úrovni Spoločenstva veľmi vysokú pridanú hodnotu. Túto pridanú hodnotu možno dosiahnuť najmä sústreďovaním príslušných odborných znalostí existujúcich na vnútroštátnej úrovni, ktoré sú rozptýlené v jednotlivých členských štátoch.
- (19) Mimoriadne dôležité je, aby sa zabezpečila aktívna účasť členských štátov na vypracúvaní niektorých spoločných nástrojov, ktoré sa uvádzajú v oznámení Komisie o zriedkavých chorobách: európske výzvy z 11. novembra 2008, najmä na diagnostike a lekárskej starostlivosti a európskych usmerneniach v oblasti populačného skríningu. Rovnako by to mohlo byť aj v prípade hodnotiacich správ o terapeutickú pridanú hodnotu liekov na zriedkavé choroby, čo by mohlo prispieť k urýchleniu stanovovania cien na vnútroštátnej úrovni, a tým viesť k minimalizovaniu prieťahov, pokiaľ ide o prístup pacientov trpiacich zriedkavými chorobami k liekom na zriedkavé choroby.
- (20) WHO vymedzila posilnenie postavenia pacientov ako „podmienku pre zdravie“ a podporila „stratégiu aktívneho partnerstva a starostlivosti pacienta o seba na zlepšenie výsledkov v oblasti zdravia a kvality života chronicky chorých“⁽¹⁾. V tomto zmysle je úloha nezávislých skupín pacientov kľúčovou aj z hľadiska priamej podpory osôb postihnutých chorobou, aj z hľadiska kolektívneho úsilia, ktoré vynakladajú na zlepšenie podmienok pre komunitu pacientov so zriedkavými chorobami ako celku a pre budúce generácie.
- (21) Členské štáty by sa mali usilovať o začlenenie pacientov a ich zástupcov do procesu tvorby politik a o podporu činností skupín pacientov.

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

(22) Rozvoj výskumu a infraštruktúry zdravotnej starostlivosti v oblasti zriedkavých chorôb si vyžaduje dlhodobé projekty, a teda primerané financovanie na zabezpečenie ich udržateľnosti z dlhodobého hľadiska. Toto úsilie by najmä v maximálnej miere posilnilo súčinnosť s projektmi vypracovanými v rámci druhého akčného programu Spoločenstva v oblasti zdravia, siedmeho rámcového programu pre výskum a vývoj a ich nástupníckych programov,

TÝMTO ODPORÚČA, ABY ČLENSKÉ ŠTÁTY:

I. PLÁNY A STRATÉGIE V OBLASTI ZRIEDKAVÝCH CHORÔB

1. zaviedli a vykonávali na vhodnej úrovni plány alebo stratégie zamerané na zriedkavé choroby, alebo preskúmali vhodné opatrenia pre tieto choroby v iných stratégiách verejného zdravia s cieľom zabezpečiť, aby pacienti so zriedkavými chorobami mali prístup k vysokokvalitnej starostlivosti vrátane diagnostiky, liečby, rehabilitácie pre osoby, ktoré s takouto chorobou žijú, a ak je to možné k účinným liekom na tieto choroby, a predovšetkým:

- a) čo najskôr a podľa možnosti najneskôr do konca roku 2013 vypracovali a prijali plány alebo stratégie zamerané na usmerňovanie a štruktúrovanie súvisiacich činností v oblasti zriedkavých chorôb v rámci svojich sociálnych systémov a systémov zdravotnej starostlivosti;
- b) podnikli kroky na začlenenie súčasných a budúcich iniciatív na miestnej, regionálnej a celoštátnej úrovni do svojich plánov alebo stratégií s cieľom dosiahnuť komplexný prístup;
- c) v rámci svojich plánov alebo stratégií vymedzili obmedzený počet prioritných činností vrátane cieľov a nadväzujúcich mechanizmov;
- d) vzali na vedomie rozvíjanie usmernení a odporúčaní pre vypracovanie vnútroštátnych činností v oblasti zriedkavých chorôb príslušnými orgánmi na vnútroštátnej úrovni v rámci uskutočňovaného európskeho projektu rozvíjania vnútroštátnych plánov v oblasti zriedkavých chorôb (EUROPLAN), ktorý sa určil za projekt, ktorý sa financuje v rámci prvého programu činnosti Spoločenstva v oblasti verejného zdravia ⁽¹⁾ počas obdobia rokov 2008–2010.

II. VHODNÉ VYMEDZENIE, KÓDOVANIE A SÚPIS ZRIEDKAVÝCH CHORÔB

2. na účely tvorby politík na úrovni Spoločenstva využívali spoločné vymedzenie pojmu zriedkavá choroba – teda choroba, ktorá nepostihuje viac ako 5 z 10 000 osôb;
3. snažili sa zabezpečiť vhodné kódovanie a spätnú sledovateľnosť zriedkavých chorôb vo všetkých zdravotných informačných systémoch, a tak podporili náležité rozpoznanie

choroby vo vnútroštátnych systémoch zdravotnej starostlivosti a uhrádzania nákladov, a to na základe medzinárodnej klasifikácie chorôb a zároveň rešpektujúc vnútroštátne postupy;

4. aktívne prispievali k vytvoreniu dynamického súpisu zriedkavých chorôb EÚ, ktorý by bol ľahko dostupný a vychádzal by zo siete Orphanet a iných existujúcich sietí, ako sa uvádza v oznámení Komisie o zriedkavých chorobách;
5. zväzili poskytovanie podpory na všetkých príslušných úrovniach vrátane úrovne Spoločenstva na jednej strane sieťam zaoberajúcim sa informovaním o osobitných chorobách a na strane druhej na epidemiologické účely, registrom a databázam a zároveň pri tom zohľadňovali nezávislé riadenie.

III. VÝSKUM ZRIEDKAVÝCH CHORÔB

6. vo vnútroštátnych rámcoch a v rámcoch Spoločenstva identifikovali prebiehajúci výskum a výskumné zdroje, a zistili tak stav súčasných znalostí a výskumného prostredia v oblasti zriedkavých chorôb a zlepšili koordináciu medzi vnútroštátnymi a regionálnymi programami výskumu zriedkavých chorôb a programami výskumu zriedkavých chorôb na úrovni Spoločenstva;
7. určili potreby a priority základného, klinického, translačného a sociálneho výskumu v oblasti zriedkavých chorôb a spôsoby ich podpory a podporovali prístupy spolupráce rôznych disciplín, ktoré sa majú doplnkovo riešiť v rámci vnútroštátnych programov a programov Spoločenstva;
8. podporovali účasť svojich výskumných pracovníkov na výskumných projektoch v oblasti zriedkavých chorôb financovaných na všetkých príslušných úrovniach vrátane úrovne Spoločenstva;
9. zapracovali do svojich plánov alebo stratégií ustanovenia zamerané na podporu výskumu v oblasti zriedkavých chorôb;
10. spoločne s Komisiou zjednodušili rozvoj spolupráce vo výskume s tretími krajinami, ktoré sa zaoberajú výskumom zriedkavých chorôb, a zo všeobecnejšieho hľadiska zjednodušili výmenu informácií a odborných znalostí.

IV. CENTRÁ ODBORNÝCH ZNALOSTÍ A EURÓPSKE REFERENČNÉ SIETE PRE ZRIEDKAVÉ CHOROBY

11. do roku 2013 určili na svojom území vhodné centrá odborných znalostí a zväzili poskytnutie podpory na ich vytvorenie;
12. podporovali účasť centier odborných znalostí na európskych referenčných sieťach rešpektujúc vnútroštátne právomoci a pravidlá, pokiaľ ide o ich autorizáciu a uznanie;

⁽¹⁾ Rozhodnutie Európskeho parlamentu a Rady č. 1786/2002/ES z 23. septembra 2002 o akčnom programe spoločenstva v oblasti verejného zdravia (2003–2008) (Ú. v. ES L 271, 9.10.2002, s. 1).

13. zaviedli pre pacientov so zriedkavými chorobami vhodné postupy prostredníctvom nadviazania spolupráce s relevantnými odborníkmi a výmeny odborníkov a odborných znalostí doma alebo v prípade potreby v zahraničí;
14. tam, kde je nutné zabezpečiť prístup k potrebnej osobitnej zdravotnej starostlivosti na diaľku, podporovali využívanie informačných a komunikačných technológií, ako napríklad telemedicínu;
15. zapracovali do svojich plánov a stratégií potrebné podmienky na šírenie a mobilitu odborných znalostí a vedomostí, a zjednodušili tak liečbu pacientov v ich blízkom okolí;
16. nabádali centrá odborných znalostí, aby pri zaoberaní sa zriedkavými chorobami vychádzali z multidisciplinárneho prístupu k starostlivosti.

V. ZHROMAŽĎOVANIE ODBORNÝCH ZNALOSTÍ V OBLASTI ZRIEDKAVÝCH CHORÔB NA EURÓPSKEJ ÚROVNI

17. zbierali na vnútroštátnej úrovni odborné znalosti o zriedkavých chorobách a podporovali spoločné využívanie týchto znalostí s európskymi partnermi s cieľom podporovať:
 - a) výmenu najlepších postupov v súvislosti s diagnostickými nástrojmi a zdravotnou starostlivosťou, ako aj vzdelávaním a sociálnou starostlivosťou v oblasti zriedkavých chorôb;
 - b) zodpovedajúce vzdelávanie a odbornú prípravu pre všetkých zdravotníckych pracovníkov s cieľom upovedomiť ich o existencii týchto chorôb a o zdrojoch na ich liečbu;
 - c) rozvoj lekárskej odbornej prípravy v oblastiach súvisiacich s diagnózou a riadením zriedkavých chorôb (napr. v oblasti genetiky, imunológie, neurológie, onkológie a pediatrie);
 - d) vypracovanie európskych usmernení v oblasti diagnostických testov a populačného skríningu a rešpektovali pri tom vnútroštátne právomoci a rozhodnutia;
 - e) výmenu správ členských štátov o terapeutickú alebo klinickú pridanú hodnotu liekov na zriedkavé choroby

na úrovni Spoločenstva, a to tam, kde sa súvisiace vedomosti a odborné znalosti zbierajú, aby sa tak minimalizovali prieťahy, pokiaľ ide o prístup pacientov so zriedkavými chorobami k liekom na takéto choroby.

VI. POSILNENIE POSTAVENIA ORGANIZÁCIÍ PACIENTOV

18. konzultovali s pacientmi a ich zástupcami o politikách v oblasti zriedkavých chorôb a zjednodušili prístup pacientov k aktualizovaným informáciám o týchto chorobách;
19. podporovali činnosti organizácií pacientov, ako sú napríklad zvyšovanie informovanosti, budovanie kapacít a odborná príprava, výmena informácií a najlepších postupov, nadväzovanie a udržiavanie kontaktov a zahrnutie veľmi izolovaných pacientov.

VII. UDRŽATEĽNOSŤ

20. spoločne s Komisiou sa zamerali na to, aby prostredníctvom vhodných mechanizmov financovania a spolupráce zabezpečovali dlhodobú udržateľnosť infraštruktúr vytvorených v oblasti zriedkavých chorôb na podporu informovanosti, výskumu a zdravotnej starostlivosti,

TÝMTO VYZÝVA KOMISIU, ABY:

1. do konca roku 2013 s cieľom umožniť predkladanie návrhov v rámci ktoréhokoľvek budúceho programu činnosti Spoločenstva v oblasti zdravia vypracovala k tomuto odporúčaniu na základe informácií poskytnutých členskými štátmi správu o vykonávaní určenú Európskemu parlamentu, Rade, Európskemu hospodárskemu a sociálnemu výboru a Výboru regiónov, v ktorej by posúdila mieru, do akej navrhované opatrenia účinne fungujú, a potrebu ďalších krokov na zlepšenie života pacientov so zriedkavými chorobami a ich rodín;
2. pravidelne informovala Radu o činnostiach nadväzujúcich na oznámenie Komisie o zriedkavých chorobách.

V Luxemburgu 8. júna 2009

Za Radu
predseda
Petr ŠIMERKA