



**EUROPA-KOMMISSIONEN**

GENERALDIREKTORAT - SUNDHED OG FORBRUGERBESKYTTELSE

Direktorat F - Folkesundhed

**Kontor F4 - Smitsomme, Sjældne og Nye Sygdomme**

**EF-HANDLINGSPROGRAM**

**VEDRØRENDE SJÆLDNE SYGDOMME**

**(1999 – 2003)**

**Europa-Parlamentets og Rådets afgørelse nr. 1295/1999/EF  
af 29. april 1999**

**(EFT L 155 af 22.06.1999, s. 1)**

**ÅRLIGT ARBEJDSPROGRAM FOR 1999-2000**

**(Artikel 5, stk. 2, i afgørelse nr. 1295/1999/EF)**

## ÅRLIGT ARBEJDSPROGRAM FOR 1999-2000

### 1. INDLEDNING

Ved sjældne sygdomme, herunder sjældne sygdomme af genetisk oprindelse, forstås i dette program livstruende eller kronisk invaliderende sygdomme, der har så lav prævalens, at der kræves en særlig fælles indsats for at søge at undgå betydelig morbiditet eller prænatal eller tidlig dødelighed eller en væsentlig forringelse af den enkeltes livskvalitet eller socioøkonomiske potentiale.

Som vejledende norm kan en almindeligt anerkendt prævalens på mindre end 5 ud af 10000 anses som en lav prævalens i Fællesskabet.

I henhold til Europa-Parlamentets og Rådets afgørelse nr. 1295/1999/EF af 29. april 1999<sup>1</sup> om vedtagelse af et EF-handlingsprogram vedrørende sjældne sygdomme (1999-2003) forelægger Kommissionens repræsentant udvalget et årligt arbejdsprogram, der beskriver de højt prioriterede aktionsområder (artikel 5, stk. 2, litra b)).

I artikel 1 i afgørelse nr. 1295/1999/EF defineres formålet med programmet som følger:

“2. Formålet med dette program er - koordineret med andre fællesskabsforanstaltninger - at bidrage til at sikre et højt sundhedsbeskyttelsesniveau for så vidt angår sjældne sygdomme, ved at forbedre kendskabet til disse, bl.a. ved at fremme oprettelsen af et sammenhængende og supplerende europæisk informationsnet om sjældne sygdomme, og ved at lette adgangen til oplysninger om sådanne sjældne sygdomme, særlig for sundhedspersonale, forskere og personer, som direkte eller indirekte er ramt af disse sygdomme, ved at tilskynde til og styrke det tværnationale samarbejde mellem frivillige og erhvervsmæssige organisationer, der hjælper de pågældende personer, og ved at sikre, at ophobede forekomster af sjældne sygdomme kan håndteres bedst muligt, samt ved at fremme overvågningen af sjældne sygdomme.

3. De aktioner, der skal iværksættes under dette program, er beskrevet i bilaget.”

---

<sup>1</sup> EFT L 155 af 22.06.1999.

I bilaget til afgørelse nr. 1295/1999/EF står der opført fire aktioner:

- “1. Fremme udviklingen af og adgangen til et sammenhængende og supplerende europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme, bl.a. ved anvendelse af eksisterende databaser. Oplysningerne skal omfatte sygdommens navn, synonymer, en generel sygdomsbeskrivelse, symptomer, årsager, epidemiologiske data, forebyggende foranstaltninger, standardbehandlinger, kliniske forsøg, diagnostiske laboratorier og speciallægeklinikker, forskningsprogrammer samt en liste over kilder, hvor yderligere oplysninger om sygdommen kan indhentes. Denne information skal gøres så tilgængelig som muligt, bl.a. via Internet.
2. Bidrage til uddannelses- og efteruddannelseskurser for sundhedspersonale med henblik på at forbedre muligheden for tidlig diagnosticering, identifikation, forebyggelse og behandling af sjældne sygdomme.
3. Fremme det tværnationale samarbejde og oprettelse af netværk mellem grupper af personer, der direkte eller indirekte er ramt af samme sjældne sygdom, eller af frivillige og sundhedspersonale, samt koordinering på fællesskabsplan med henblik på at fremme kontinuiteten i arbejdet og det tværnationale samarbejde.
4. På fællesskabsplan støtte overvågningen af sjældne sygdomme i medlemsstaterne og hurtig varsling af ophobninger heraf samt fremme etableringen af netværk og uddannelsen af eksperter inden for behandling af sjældne sygdomme og hurtig reaktion ved ophobede forekomster.”

Disse aktioner udgør den vigtigste referenceramme for programmets gennemførelse og for fastlæggelsen af prioriteter.

På de næste sider og i forbindelse med programmets gennemførelse henvises der til aktionerne under følgende overskrifter:

Aktion 1 “Europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme”

Aktion 2: “Uddannelse i sjældne sygdomme”

Aktion 3 “Tværnationalt samarbejde i forbindelse med sjældne sygdomme”

Aktion 4 “Overvågning og hurtig varsling om ophobninger af sjældne sygdomme”.

Arbejdsprogrammet indeholder en beskrivelse de aktioner, som man bør prioritere at gennemføre i 1999 og 2000. De projekter, som udvælges med henblik på finansiering i de to år, vil blive valgt blandt de ansøgninger, der indgives som svar på en enkelt specifik indkaldelse af forslag, som offentliggøres snarest muligt.

## 2. HØJT PRIORITEREDE AKTIONSSOMRÅDER 1999-2000

### 2.1 Programmets generelle retningslinjer og vægtfordeling

**EU-merværdi.** For at tilføre Det Europæiske Fællesskab en merværdi prioriteres projekter og netværk med en betydelig europæisk dimension, som kan forventes at yde et betydeligt bidrag til gennemførelsen af programmets målsætninger. Programmet har derfor ikke til hovedformål at yde direkte støtte til praktiske lokale aktiviteter eller strukturer, men derimod at tilskynde initiativer, som har den størst mulige fællesskabsdimension og bidrager til Fællesskabets politik.

**Horisontal indfaldsvinkel.** De € 6,5 mio., der er afsat på budgettet for perioden 1999-2003 (i gennemsnit €1,3 mio. pr. år), rækker ikke til at anlægge en sygdomsspecifik indfaldsvinkel, da der findes mere end 5 000 sjældne sygdomme. I forbindelse med aktion 1, 2 og 3 vil man særlig prioritere projekter, som vedrører eller baner vej for en indsats inden for sjældne sygdomme i almindelighed, vigtige sygdomsgrupper eller i det mindste et betydeligt antal heraf.

**Højt prioriterede aktion.** I forbindelse med tildelingen af de midler, der står til rådighed for 1999 og 2000, vil man prioritere gennemførelsen af aktion 1 "Europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme". Afgørelse nr. 1295/1999/EF indeholder allerede en bestemmelse herom:

“(17) der bør gøres en indsats for, at der snarest efter dette programs begyndelse, særlig ved anvendelse af de eksisterende databaser, oprettes og gives adgang til et sammenhængende og supplerende europæisk informationsnet om sjældne sygdomme”.

Aktion 2, 3 og 4 vil også blive gennemført i 1999-2000.

### 2.2 Prioriterede projekter under de enkelte aktioner

#### 2.2.1. **Aktion 1: “Europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme”**

Man vil prioritere projekter, som er baseret på eksisterende databaser, og hvor der gøres brug af Internettet (World Wide Web), således at offentligheden kan få adgang.

Databaserne skal have sygdomsbaserede indgange (oversigter over sjældne sygdomme). Oplysningerne i databaserne skal omfatte: sygdommens navn, synonymer, en generel sygdomsbeskrivelse, symptomer, årsager, epidemiologiske data, forebyggende foranstaltninger, standardbehandlinger, kliniske forsøg, diagnostiske laboratorier og speciallægeklinikker, forskningsprogrammer samt en liste over kilder, hvor der kan indhentes yderligere oplysninger om sygdommen.

Oplysningerne i disse databaser må ikke omfatte personlige data om patienter, som lider af sjældne sygdomme.

Oplysningerne i baserne skal være godkendte data, som ajourføres løbende. Støttemodtageren skal sørge for godkendelse med bistand fra videnskabelige sundhedseksperter. Oplysningerne skal opfylde de almindelige kriterier, der er opstillet for vurdering af kvaliteten af sundhedsdata på Internettet.

Internet-hjemmesiden for det europæiske informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme vil være at finde på Europa-serveren (Europa-Kommissionens vigtigste server) med links til de eksterne databaser, som udgør netværket. Der vil blive fastlagt en hensigtsmæssig politik med hensyn til anvendelse af ansvarsfrihedsklausuler.

### **2.2.2. Aktion 2: “Uddannelse i sjældne sygdomme”**

Man vil prioritere projekter, som vedrører tilrettelæggelse af uddannelses- og efteruddannelseskurser for fagfolk med henblik på at forbedre muligheden for tidlig diagnosticering, identifikation, behandling og forebyggelse af sjældne sygdomme.

### **2.2.3. Aktion 3: “Tværnationalt samarbejde i forbindelse med sjældne sygdomme”**

Man vil prioritere projekter vedrørende tværnationalt samarbejde og oprettelse af netværk, som promoveres af "paraplyorganisationer" (organisationer, som har et interessefællesskab og/eller repræsenterer andre organisationer).

### **2.2.4. Aktion 4: “Overvågning og hurtig varsling om ophobninger af sjældne sygdomme”**

Man vil prioritere projekter vedrørende overvågning af sjældne sygdomme med henblik på at forbedre systematisk indsamling, analyse, fortolkning og formidling af epidemiologiske data om sjældne sygdomme; endvidere vil man prioritere projekter, som vedrører tidlig varsling om og hurtig reaktion på ophobninger af sjældne sygdomme. Personlige data, som anvendes i forbindelse med projekterne, skal opbevares i overensstemmelse med direktiv 95/46/EF.

Projekter, som ikke svarer helt til de prioriterede projekter i punkt 2.2.1, 2.2.2, 2.2.3 og 2.2.4, men som er af usædvanlig høj kvalitet, og som opfylder de øvrige udvælgelseskriterier, der er vedtaget efter høring af udvalget, kan tildeles støtte, forudsat at der er stadig er budgetmidler til rådighed.

### 3. PROGRAMMETS GENNEMFØRELSE

#### 3.1 Udvalgsmøder

I henhold til artikel 2 og 5 i afgørelse nr. 1295/1999/EF bistår Kommissionen med henblik på programmets gennemførelse af et udvalg, der består af to repræsentanter udpeget af hver medlemsstat, og som har Kommissionens repræsentant som formand. Kommissionen har planlagt, at udvalget skal mødes to gange både i 1999 og i 2000.

Kommissionen har til hensigt at forelægge udvalget de udkast til foranstaltninger, der skal træffes i henhold til artikel 5, stk. 2, af to omgange:

i 1999 udkast vedrørende:

- (a) udvalgets forretningsorden
- (b) et årligt arbejdsprogram med en beskrivelse af de højt prioriterede aktionsområder
- (c) retningslinjer, kriterier og procedurer for udvælgelse og finansiering af projekter i henhold til programmet, herunder også projekter, der indebærer samarbejde med internationale organisationer, der beskæftiger sig med folkesundhed, og deltagelse af de lande, der er omhandlet i artikel 6, stk. 2.

i 2000 udkast vedrørende:

- (d) evalueringsproceduren
- (e) foranstaltninger til formidling og overførsel af resultater
- (f) procedurer for koordinering med programmer og initiativer, som er direkte relevante for gennemførelsen af programmets målsætninger
- (g) foranstaltninger vedrørende samarbejde med de institutioner og organisationer, der er omhandlet i artikel 2, stk. 2.

#### 3.2 Arbejdsgrupper

I henhold til udvalgets forretningsorden kan der nedsættes ad hoc-arbejdsgrupper til at behandle specifikke aspekter ved handlingsprogrammet.

Sådanne arbejdsgrupper kunne eventuelt udgøre et forum for udveksling af erfaringer og informationer mellem medlemsstaterne og Kommissionen. De kunne endvidere udarbejde forslag for udvalget med hensyn til, hvilken retning der skal tages, og hvilke prioriteter der skal gives i forbindelse med bestemte aktioner under programmet. Sådanne arbejdsgrupper nedsættes og deres mandater fastlægges efter høring af udvalget.

### ***3.3 Indkaldelse af forslag***

Med henblik på udvælgelse af projekter for 1999 og 2000 offentliggøres der snarest muligt en indkaldelse af forslag i De Europæiske Fællesskabers Tidende. For de efterfølgende år er det planen at offentliggøre en indkaldelse af forslag hvert år, med den 15. september som sidste frist for indgivelse af ansøgninger (15. september 2000 for år 2001).

Da det er nødvendigt at prioritere større projekter, som kan forventes at tilføre Fællesskabet en reel merværdi, vil der sandsynligvis blive ydet støtte til ca. 10 projekter i 1999-2000.

### ***3.4 Information om handlingsprogrammet - Formidling af resultater***

I overensstemmelse med artikel 5, stk. 2, litra e), forelægger Kommissionen udvalget et specifikt udkast til foranstaltninger, som skal sikre, at offentligheden, direkte og indirekte ramte samt sundhedspersonale, der beskæftiger sig med sjældne sygdomme, informeres, og at programmets resultater formidles på en hensigtsmæssig måde.

Det kan indebære, at der skal fremstilles brochurer, som forklarer programmet, at der skal offentliggøres og rundsendes dokumenter og rapporter, at der skal lægges større vægt på kriteriet om mulighed for udnyttelse/formidling i forbindelse med udvælgelsen af projekter eller, at der skal offentliggøres en oversigt over de projekter, der finansieres under programmet.

Europa-Kommissionens Internet-sted vil indeholde alle relevante oplysninger om programmet. Som omtalt under punkt 2.2.1. vil der blive oprettet en hjemmeside for det europæiske informationsnetværk for sjældne sygdomme på Europa-serveren (Europa-Kommissionens vigtigste server) med links til de eksterne databaser, som udgør netværket. Adressen på Europa-serverens hjemmeside for folkesundhed er (kan blive ændret i fremtiden):

[http://europa.eu.int/comm/dg05/phealth/index\\_ph.htm](http://europa.eu.int/comm/dg05/phealth/index_ph.htm)

## **4. SAMMENHÆNG OG KOMPLEMENTARITET**

Kommissionens skal sikre, at der er sammenhæng og komplementaritet mellem de aktioner, der gennemføres under programmet, og følgende fællesskabsprogrammer og -aktioner:

#### ***4.1 Forslag til Europa-Parlamentets og Rådets forordning (EF) om sjældne lægemidler***

Forslaget (KOM(98)450) behandles i øjeblikket under proceduren for fælles beslutningstagning. Formålet med denne forordning er at fastlægge en fællesskabsprocedure for udpegelse af visse lægemidler som sjældne lægemidler og at give incitamenter til forskning, udvikling og markedsføring af lægemidler, der er udpeget som sjældne.

Det skal bemærkes, at selvom en sygdom indgår i det europæiske informationsnetværk for sjældne sygdomme eller på anden måde omhandles i programmet vedrørende sjældne sygdomme, er det ikke nødvendigvis ensbetydende med, at sygdommen automatisk er berettiget til udpegelse i henhold til reglerne og procedurerne i den fremtidige forordning om sjældne lægemidler.

Omvendt er det ikke ensbetydende med, at den afvises.

#### ***4.2 Fællesskabets forskning***

I øjeblikket forsker Fællesskabet i sjældne sygdomme både under det 4. (1994-1998) og det 5. (1998-2002) rammeprogram for forskning og teknologisk udvikling. Under det 4. rammeprogram - Biomed 2 - er der ydet støtte til 23 projekter inden for område 4.6 "Sjældne sygdomme". Under det 5. rammeprogram - "Livskvalitet og forvaltning af de levende ressourcer" - forskes der hovedsagelig i sjældne sygdomme inden for aktivitet 7 - "Kroniske og degenerative sygdomme, kræft, diabetes, hjerte-kar-sygdomme og sjældne sygdomme". Endvidere er aktivitet 8 - "Forskning i genomer og genetisk betingede sygdomme" - og 9 - "Neurovidenskaber" - af særlig relevans for sjældne sygdomme.

I forbindelse med programmet vedrørende sjældne sygdomme vil der blive taget hensyn til disse vigtige forskningsaktiviteter, og programmet vil, særlig via aktion 1 "Europæiske informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme", bidrage til formidling af forskningsresultater inden for sjældne sygdomme. Man vil undersøge muligheden for at skabe direkte internetforbindelser til Cordis-databasen. Endvidere vil Kommissionen med hjælp fra udvalget for sjældne sygdomme overveje, hvordan resultaterne af de forskningsprojekter, der er mest direkte relateret til programmet vedrørende sjældne sygdomme, og som støttes under det fjerde og femte rammeprogram, kan anvendes som input med henblik på gennemførelsen af målsætningerne for programmet vedrørende sjældne sygdomme.

I forbindelse med programmet for sjældne sygdomme vil der endvidere blive taget hensyn til Fællesskabets forskning i telematik inden for sundhedsvæsenet, da telematikken er af betydning for aktion 1 "Europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme" og aktion 4 "Overvågning og tidlig varsling om ophobninger af sjældne sygdomme".



Der vil blive truffet hensigtsmæssige foranstaltninger til koordinering med henblik på at undgå overlapninger og sikre komplementær finansiering af de berørte projekter.

#### ***4.3 EF-handlingsprogrammet vedrørende sundhedsovervågning (1997-2001)***

I afgørelse nr. 1295/1999/EF hedder det tydeligt, at som led i EF-handlingsprogrammet vedrørende sundhedsovervågning indsamles der systematisk sundhedsdata, og der bør derfor sikres regelmæssig udveksling af oplysninger og data mellem programmet vedrørende sundhedsovervågning og programmet vedrørende sjældne sygdomme.

#### ***4.4 EF-handlingsprogrammet vedrørende forebyggelse af AIDS og visse andre smitsomme sygdomme - Netværk for epidemiologisk overvågning og kontrol af overførbare sygdomme i Fællesskabet.***

Flere alvorlige smitsomme sygdomme forekommer også kun sjældent i Fællesskabet (f.eks.: salmonellose, legionærsygdom, malaria, nvCJD, etc.) og kunne derfor i princippet både indgå i netværket vedrørende overførbare sygdomme eller programmet vedrørende sjældne sygdomme.

For at sikre en hensigtsmæssig koordinering anbefales det normalt, at man i første omgang betragter sjældne smitsomme sygdomme som smitsomme sygdomme, dvs. overvågning - tidlig varsling bør finde sted inden for Fællesskabets netværk vedrørende overførbare sygdomme og ansøgninger om støtte indsendes under programmet vedrørende forebyggelse af AIDS og visse andre smitsomme sygdomme.

#### ***4.5 Handlingsplan for kræftbekæmpelse (1996-2000)***

Mange kræfttyper er også sjældne. For at sikre en hensigtsmæssig koordinering anbefales det normalt, at man i første omgang lader sjældne kræfttyper indgå under handlingsplanen for kræftbekæmpelse (1996-2000).

#### ***4.6 IDA (Dataudveksling mellem administrationerne)***

IDA-EUPHIN projektet (Den Europæiske Unions netværk for udveksling af oplysninger om folkesundhed) sørger allerede for infrastrukturen til telekommunikation i forbindelse med to EU-aktioner på folkesundhedsområdet, dvs. programmet for sundhedsovervågning og netværket vedrørende overførbare sygdomme. Det vil snarest muligt blive udvidet til at omfatte programmet vedrørende sjældne sygdomme (IDA-EUPHIN sjældne sygdomme), særlig aktion 1 "Europæisk informationsnetværk vedrørende sjældne sygdomme" og aktion 4 "Overvågning og tidlig varsling om ophobninger af sjældne sygdomme".

## 5. BUDGET

Af flere årsager (sen godkendelse af programmet i 1999, Europa-Parlamentets fastfrysning af 50% af budgetpost A0-73031, Kommissionens omorganisering) er det ikke muligt at indgå budgetmæssige forpligtelser for budget 1999 inden den 31. december 1999.

På grundlag af en afgørelse, som Kommissionen træffer, kan de årlige bevillinger for 1999 (1,3 mio. •) i givet fald overføres til år 2000. I så fald ville den første indkaldelse af forslag i forbindelse med programmet kunne finansieres ved hjælp af bevillinger for både 1999 og 2000 (formentlig 1,3 mio. • + 1,3 mio. • = 2,6 mio. •).

## 6. INTERNATIONALT SAMARBEJDE

I henhold til artikel 5, stk. 2, litra c), forelægger Kommissionen udvalget et særligt udkast til retningslinjer, kriterier og procedurer for udvælgelse og finansiering af projekter i henhold til programmet, herunder også projekter, der indebærer samarbejde med internationale organisationer, der beskæftiger sig med folkesundhed, og deltagelse af de i artikel 6, stk. 2, omhandlede lande.

I henhold til artikel 6, stk. 2, er programmet åbent for deltagelse af de associerede lande i Centraleuropa. Det forudsætter dog, at landene officielt har givet udtryk for et ønske om at deltage. Herefter kan tilslutningen forberedes. I forbindelse med selve gennemførelsen skal der tages hensyn til de særlige regler om tildeling af bevillinger og til det budget, som står til rådighed.

Fremgangsmåden forventes at indebære, at der identificeres institutioner, som er egnede til at koordinere programmet, og at der fastlægges et arbejdsprogram med angivelse af prioriterede områder i deltagerlandene. Deltagelsen bør have til hovedformål at skabe forbindelse mellem de vigtigste europæiske projekter/netværk, som er etableret og støttes i henhold til fællesskabsprogrammet.

## 7. OVERVÅGNING OG EVALUERING

I henhold til artikel 7, stk. 1, i afgørelse nr. 1295/1999/EF træffer Kommissionen de nødvendige foranstaltninger til at sikre overvågning og løbende evaluering af programmet.

I artikel 7, stk. 2, hedder det nærmere bestemt, at Kommissionen forelægger Europa-Parlamentet og Rådet en foreløbig beretning i programmets tredje år og en endelig beretning ved programmets afslutning. Beretningerne indeholder bl.a. resultaterne af evalueringen.

I overensstemmelse med artikel 5, stk. 2, litra d), forelægger Kommissionen udvalget et særligt udkast til en foranstaltning vedrørende evalueringsproceduren.