



COMISSÃO EUROPEIA

DIRECÇÃO-GERAL SAÚDE E PROTECÇÃO DOS CONSUMIDORES

Direcção F - Saúde pública

Unidade F4 - Doenças raras, transmissíveis e emergentes

**PROGRAMA DE ACÇÃO COMUNITÁRIA EM MATÉRIA DE
DOENÇAS RARAS (1999-2003)**

**Decisão nº 1295/1999/CE do Parlamento Europeu e do Conselho de 29
de Abril de 1999**

(JO L 155 de 22.06.1999, p. 1)

PROGRAMA DE TRABALHO ANUAL PARA 1999-2000

(nº 2 do art. 5º da Decisão nº 1295/99/CE)

PROGRAMA DE TRABALHO ANUAL PARA 1999-2000

1. INTRODUÇÃO

Para efeitos do presente programa, entendem-se como doenças raras, incluindo as de origem genética, as doenças que constituem uma ameaça para a vida ou uma invalidez crónica e cuja prevalência é tão reduzida que o seu tratamento exige a conjugação de esforços especiais para tentar evitar elevadas taxas de morbilidade ou mortalidade perinatal e precoce, bem como uma diminuição considerável da qualidade de vida ou do potencial socioeconómico dos indivíduos.

A título indicativo, pode considerar-se reduzida uma prevalência geralmente reconhecida como sendo inferior a 5 por 10000 na Comunidade.

Em conformidade com a Decisão nº 1295/99/CE do Parlamento Europeu e do Conselho, de 29 de Abril de 1999¹, que adopta um programa de acção comunitária em matéria de doenças raras (1999-2003), o representante da Comissão deve submeter à apreciação do Comité um programa de trabalho anual indicando as prioridades de acção (nº 2, alínea b), do artigo 5º).

O artigo 1º da Decisão nº 1295/99/CE define o objectivo do programa nos seguintes termos:

- "2. O presente programa tem por objectivo contribuir, em coordenação com outras medidas comunitárias, para assegurar um elevado nível de protecção da saúde relativamente às doenças raras, melhorando os conhecimentos na matéria, designadamente através da promoção da criação de uma rede europeia de informação, coerente e complementar, sobre as doenças raras e facilitando o acesso à informação sobre essas doenças, em especial, aos profissionais da saúde, aos investigadores e às pessoas directa ou indirectamente afectadas por essas doenças, incentivando e reforçando a colaboração transnacional das organizações de voluntários e das organizações de profissionais que prestam assistência a estas últimas pessoas e assegurando uma gestão adequada dos agregados, bem como fomentando a vigilância das doenças raras.
3. As acções a executar no âmbito do presente programa figuram no anexo."

¹ JO L 155 de 22.06.1999.

O anexo da Decisão nº 1295/99/CE enumera quatro acções:

- "1. Promover a criação de uma rede europeia de informação, coerente e complementar, sobre as doenças raras e o acesso a essa rede, utilizando designadamente as bases de dados existentes. Nas informações deverão incluir-se entradas referindo o nome da doença, sinónimos, uma descrição geral da afecção, os seus sintomas e causas, os dados epidemiológicos, as medidas preventivas, os tratamentos-padrão, os ensaios clínicos, os laboratórios de diagnóstico, as consultas especializadas, os programas de investigação e uma lista das fontes que podem ser contactadas para a obtenção de mais informações sobre a doença. O acesso a estas informações deve ser tão amplo quanto possível, incluindo o recurso à Internet.
2. Contribuir para a formação e a actualização dos conhecimentos dos profissionais da saúde por forma a melhorar o diagnóstico precoce, a identificação, a intervenção e a prevenção na área das doenças raras.
3. Promover a colaboração transnacional e o estabelecimento de redes entre grupos de pessoas directa ou indirectamente afectadas por uma mesma doença rara ou voluntários e grupos profissionalmente envolvidos, bem como a coordenação a nível comunitário, por forma a favorecer a continuidade dos trabalhos e a cooperação transnacional.
4. Apoiar, a nível comunitário, o controlo das doenças raras nos Estados-Membros e os sistemas de alerta precoce para os agregados e promover a criação de redes e a formação de peritos especializados no domínio dessas doenças e na resposta precoce ao fenómeno dos agregados."

Estas acções constituem o principal quadro de referência para a execução do programa e o estabelecimento de prioridades.

No presente documento e no contexto da execução do programa estas acções serão referidas utilizando as seguintes designações abreviadas:

Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras";

Acção 2: "Formação em matéria de doenças raras";

Acção 3 "Colaboração transnacional em matéria de doenças raras";

Acção 4 "Controlo, vigilância e alerta precoce em relação aos agregados de doenças raras".

No presente programa de trabalho são definidas as acções que devem ser realizadas prioritariamente em 1999 e 2000. Para estes dois anos, os projectos seleccionados para financiamento serão escolhidos entre as candidaturas apresentadas em resposta a um único convite à apresentação de propostas, a publicar com a maior brevidade possível.

2. PRIORIDADES DE ACÇÃO PARA 1999-2000

2.1. Orientações e equilíbrio geral do programa

Valor acrescentado comunitário. A fim de gerar valor acrescentado para a Comunidade Europeia, será atribuída prioridade a projectos e a redes que apresentem uma dimensão europeia substancial, susceptíveis de contribuir significativamente para a realização dos objectivos do programa. Neste contexto, o objectivo prioritário do programa não consiste em apoiar directamente acções de terreno ou estruturas locais, mas sim fomentar iniciativas que se revistam da dimensão comunitária mais ampla possível, contribuindo para as políticas comunitárias.

Abordagem horizontal. A dotação orçamental de 6,5 milhões de euros para 1999-2003 (em média 1,3 milhões de euros por ano) é demasiado limitada para permitir uma abordagem adequada de doenças específicas, tendo em conta que existem mais de 5 000 doenças raras. Principalmente no que respeita às acções 1, 2 and 3, considerar-se-ão prioritários os projectos que tenham por objecto as doenças raras em geral, grupos importantes dessas doenças ou, pelo menos, um número considerável de doenças raras.

Acção prioritária. Na atribuição dos recursos disponíveis para 1999 e 2000 será dada prioridade à realização da Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras". A Decisão nº 1295/1999/CE inclui já uma disposição nesse sentido:

"(17) Considerando que convém promover, logo que possível a partir do início do presente programa, a criação de uma rede europeia de informação, coerente e complementar sobre as doenças raras e o acesso a essa rede, utilizando designadamente as bases de dados existentes".

As acções 2, 3 e 4 serão igualmente executadas no período 1999-2000.

2.2. Prioridades por acção

2.2.1. *Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras"*

Será dada prioridade aos projectos que explorem bases de dados existentes e que recorram às tecnologias da Internet (*World Wide Web*), a fim de tornar a rede acessível ao grande público.

As bases de dados devem ser constituídas por entradas referentes a doenças (lista de doenças raras). As informações das bases de dados devem incluir o nome da doença, os seus sinónimos, uma descrição geral da afecção, os seus sintomas e causas, os dados epidemiológicos, as medidas preventivas, os tratamentos-padrão, os ensaios clínicos, os laboratórios de diagnóstico e as consultas especializadas, os programas de investigação e uma lista das fontes que podem ser contactadas para a obtenção de mais informações sobre a doença.

As informações incluídas nestas bases de dados não devem conter quaisquer dados pessoais dos doentes afectados por doenças raras.

As informações das bases de dados devem ser validadas e constantemente actualizadas. O beneficiário do apoio financeiro deve tomar as medidas necessárias para assegurar essa validação, assistido por peritos científicos da área da saúde. As informações devem igualmente respeitar os critérios gerais estabelecidos para avaliar a qualidade das informações divulgadas na Internet em matéria de saúde.

A *homepage* da Rede europeia de informação sobre doenças raras estará disponível no servidor Europa (o principal servidor da Comissão Europeia), com ligações às bases de dados externas que constituem a rede. Será adoptada uma política adequada no que respeita às cláusulas de exoneração de responsabilidade.

2.2.2. Acção 2: *"Formação em matéria de doenças raras"*

Será dada prioridade a projectos respeitantes à organização de cursos de formação e de actualização dos conhecimentos dos profissionais, por forma a melhorar o diagnóstico precoce, a identificação, a intervenção e a prevenção na área das doenças raras.

2.2.3. Acção 3 *"Colaboração transnacional em matéria de doenças raras"*

Será dada prioridade a projectos de colaboração transnacional e de criação de redes promovidos por "organizações de coordenação" (que reúnem várias organizações e/ou representam outras organizações).

2.2.4. Acção 4 *"Controlo, vigilância e alerta precoce em relação aos agregados de doenças raras"*

Será dada prioridade a projectos de controlo e vigilância de doenças raras, tendo em vista melhorar a recolha sistemática, a análise, a interpretação e a divulgação de dados epidemiológicos sobre doenças raras; será igualmente dada prioridade a projectos relativos a sistemas de alerta precoce e resposta rápida ao fenómeno dos agregados de doenças raras. Os dados pessoais utilizados nestes projectos devem ser tratados em conformidade com a Directiva 95/46/CE.

Os projectos que não se inscrevam inteiramente nas prioridades indicadas nos pontos 2.2.1, 2.2.2, 2.2.3 e 2.2.4, mas que apresentem uma qualidade excepcional e cumpram os restantes critérios de selecção adoptados com o acordo do Comité, poderão ser financiados, dentro dos limites dos recursos orçamentais remanescentes.

3. EXECUÇÃO DO PROGRAMA

3.1. Reuniões do Comité

Os artigos 2º e 5º da Decisão nº 1295/99/CE prevêm que, para efeitos da execução do programa, a Comissão será assistida por um Comité composto por dois representantes designados por cada Estado-Membro e presidido pelo representante da Comissão. Em 1999 e 2000, a Comissão tomou disposições no sentido de o Comité se reunir duas vezes por ano.

A Comissão prevê submeter em duas fases à apreciação do Comité os projectos de medidas a tomar em conformidade com o nº 2 do artigo 5º:

em 1999:

- a) regulamento interno do Comité;
- b) um programa de trabalho anual indicando as prioridades de acção;
- c) as modalidades, critérios e procedimentos de selecção e financiamento de projectos no âmbito do presente programa, incluindo os que impliquem uma cooperação com organizações internacionais competentes em matéria de saúde pública e a participação dos países referidos no nº 2 do artigo 6º;

no ano 2000:

- d) o processo de avaliação;
- e) as modalidades de difusão e transferência dos resultados;
- f) as regras de coordenação com os programas e iniciativas directamente relacionados com a realização do objectivo do presente programa
- g) as formas de cooperação com as instituições e organizações a que se refere o nº 2 do artigo 2º.

3.2. Grupos de trabalho

O regulamento interno do Comité prevê a possibilidade de criar grupos de trabalho para tratar de aspectos específicos do programa de acção.

Estes grupos poderão constituir um local de intercâmbio de experiências e de informações entre os Estados-Membros e a Comissão. Poderão igualmente ser levados a formular propostas ao Comité no que respeita às orientações e às prioridades a atribuir a certas acções do programa. Os grupos de trabalho serão criados, e os respectivos mandatos serão definidos, em concertação com o Comité.

3.3. Convites à apresentação de propostas

Tendo em vista a selecção de projectos para 1999 e 2000, será publicado com a maior brevidade possível no Jornal Oficial das Comunidades Europeias um convite à apresentação de propostas. Para os anos subsequentes, prevê-se publicar um convite à apresentação de propostas por ano. A data-limite para a apresentação de candidaturas será o dia 15 de Setembro (15 de Setembro de 2000 para o ano de 2001).

A título indicativo, tendo em conta a necessidade de dar prioridade a projectos em grande escala susceptíveis de produzir um verdadeiro valor acrescentado para a Comunidade, em 1999-2000 deverão ser apoiados cerca de 10 projectos.

3.4. Informação sobre o programa de acção - Divulgação dos resultados

Em conformidade com o nº 2, alínea e), do artigo 5º, a Comissão deve submeter ao Comité um projecto das medidas a tomar no sentido de garantir a informação do grande público, das pessoas directa ou indirectamente afectadas e dos profissionais da saúde que trabalham no domínio das doenças raras, bem como a adequada divulgação dos resultados do programa.

Isto poderá implicar a elaboração de folhetos de apresentação do programa, a publicação e divulgação de documentos e relatórios, a atribuição de maior importância ao critério valorização/divulgação aquando da selecção dos projectos e a publicação de uma lista dos projectos financiados pelo programa.

O *site* Internet da Comissão Europeia incluirá todas as informações pertinentes sobre o programa. Como referido no ponto 2.2.1., a *homepage* da Rede europeia de informação sobre doenças raras será criada no servidor Europa (o principal servidor da Comissão Europeia), com ligações às bases de dados externas que constituem a rede. O endereço da *homepage* sobre saúde pública do servidor Europa é (sob reserva de eventuais modificações futuras):

http://europa.eu.int/comm/dg05/phealth/index_ph.htm

4. COERÊNCIA E COMPLEMENTARIDADE

A Comissão assegurará a coerência e a complementaridade entre as acções comunitárias a executar no âmbito do presente programa e as acções e programas comunitários seguintes:

4.1. Proposta de Regulamento (CE) do Parlamento Europeu e do Conselho relativo aos medicamentos órfãos

Esta proposta (COM(98)450) encontra-se actualmente submetida ao procedimento de co-decisão. Tem como objectivo a criação de um procedimento comunitário de atribuição do estatuto de medicamento órfão a determinados medicamentos e a introdução de incentivos em relação à investigação, desenvolvimento e comercialização dos medicamentos órfãos assim designados.

É de referir que o facto de uma doença ser incluída na Rede europeia de informação sobre doenças raras, ou ser de alguma forma abordada no âmbito do programa "Doenças raras", não implica necessariamente que será elegível para a atribuição do estatuto de medicamento órfão em conformidade com as regras e os procedimentos previstos no futuro regulamento sobre os medicamentos órfãos. Inversamente, também não implica a sua rejeição.

4.2. Investigação comunitária

A investigação comunitária em matéria de doenças raras é actualmente levada a cabo no âmbito do 4º (1994-1998) e do 5º (1998-2002) Programas-quadro de investigação e desenvolvimento tecnológico. No contexto do 4º Programa-quadro - Biomed 2 - foram financiados 23 projectos no domínio 4.6 "Doenças raras". No contexto do 5º Programa-quadro, "Qualidade de vida e gestão dos recursos vivos", a investigação sobre doenças raras é levada a cabo principalmente no âmbito da acção 7 "Doenças crónicas e degenerativas, cancro, diabetes, doenças cardiovasculares e doenças raras". A acção 8 "Investigação do genoma e de doenças de origem genética" e a acção 9 "Neurociências" revestem-se também de particular importância no domínio das doenças raras.

O programa relativo às doenças raras tomará em conta estas importantes actividades de investigação e contribuirá, principalmente através da Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras" para a divulgação dos resultados da investigação em matéria de doenças raras. Será examinada a possibilidade de criar ligações directas na Internet com a base de dados Cordis. Além do mais, a Comissão, assistida pelo Comité "Doenças raras", examinará de que modo os resultados dos projectos de investigação mais directamente relacionados com o programa relativo às doenças raras, financiados no âmbito do 4º e 5º Programas-quadro, poderão ser utilizados para atingir os objectivos do programa relativo às doenças raras.

O programa relativo às doenças raras terá igualmente em consideração a investigação comunitária realizada no domínio da Telemática na Saúde, dada a sua importância para a Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras" e para a Acção 4 "Controlo, vigilância e alerta precoce em relação aos agregados de doenças raras".

Serão tomadas disposições de coordenação adequadas a fim de evitar duplicações e garantir a complementaridade no que respeita ao financiamento dos projectos.

4.3. Programa de acção comunitário em matéria de vigilância da saúde (1997-2001)

A Decisão nº 1295/99/CE prevê expressamente que a recolha sistemática de dados relativos à saúde deve ser efectuada no âmbito do programa de acção comunitário em matéria de vigilância da saúde e que, por conseguinte, é necessário garantir um intercâmbio regular de informações e de dados entre o programa de vigilância da saúde e o presente programa.

4.4. Programa de acção comunitária relativo à prevenção da sida e de outras doenças transmissíveis; Rede de vigilância epidemiológica e de controlo das doenças transmissíveis na Comunidade

Algumas doenças transmissíveis importantes são também, em muitos casos, doenças raras na Comunidade (por exemplo: a salmonelose, a doença do legionário, o paludismo, a nova variante da doença de Creutzfeldt-Jakob, etc.), pelo que poderiam, em princípio, ser abordadas tanto no programa e na rede relativos às doenças transmissíveis como no programa sobre as doenças raras.

Como linha de orientação geral para garantir a devida coordenação, recomenda-se que as doenças transmissíveis raras sejam em primeiro lugar tratadas como doenças transmissíveis, o que significa que a vigilância e alerta precoce relativamente a estas doenças devem ser realizados no contexto da Rede comunitária sobre doenças transmissíveis e os pedidos de financiamento devem ser dirigidos ao programa de prevenção da sida e de outras doenças transmissíveis.

4.5. Plano de acção de luta contra o cancro (1996-2000)

Muitos tipos de cancro são também raros. Como linha de orientação geral para assegurar a devida coordenação, recomenda-se que os cancros raros sejam primeiramente tratados no âmbito do Plano de acção de luta contra o cancro (1996-2000).

4.6. IDA (Intercâmbio de Dados entre Administrações)

O projecto IDA-EUPHIN (*European Union Public Health Information Network* - Rede Europeia de Informação em Matéria de Saúde Pública) assegura já a infra-estrutura de telecomunicações para duas acções comunitárias em matéria de saúde pública: o programa de vigilância da saúde e a rede das doenças transmissíveis. Assim que possível será igualmente alargado ao programa relativo às doenças raras (IDA-EUPHIN-doenças raras), principalmente no que respeita à Acção 1 "Rede europeia de informação sobre doenças raras" e à Acção 4 "Controlo, vigilância e alerta rápido em relação a agregados de doenças raras".

5. ORÇAMENTO

Por motivos vários (aprovação tardia do programa em 1999, bloqueio pelo Parlamento Europeu de 50% da rubrica orçamental A0-73031, reorganização da Comissão), não serão possíveis quaisquer autorizações a título do orçamento de 1999 até 31 de Dezembro de 1999.

Com base numa decisão da Comissão, a dotação anual de 1999 (1,3 milhões de euros) pode, se assim for decidido, ser transferida para 2000. Nesse caso, o primeiro convite à apresentação de propostas do programa poderia, assim, ser financiado com dotações de 1999 e 2000 (provavelmente 1,3 milhões de euros + 1,3 milhões de euros = 2,6 milhões de euros).

6. COOPERAÇÃO INTERNACIONAL

Com base no nº 2, alínea c), do artigo 5º, a Comissão deve submeter à apreciação do Comité um projecto de medidas específicas sobre as regras, critérios e procedimentos de selecção e financiamento de projectos no âmbito do presente programa, incluindo os que impliquem uma cooperação com organizações internacionais competentes em matéria de saúde pública e a participação dos países referidos no nº 2 do artigo 6º.

O nº 2 do artigo 6º prevê a participação dos países associados da Europa Central. A abertura do programa a esses países depende da manifestação oficial da sua vontade de participar. A abertura do programa pode ser concretizada depois dessa manifestação oficial. A aplicação efectiva deverá ter em conta as regras específicas em matéria de atribuição de dotações, bem como o orçamento disponível.

A abordagem prevista inclui a identificação de instituições competentes para a coordenação do programa e a elaboração de um plano de trabalho que estabeleça prioridades nos países participantes. De um modo geral, esta participação deve ter essencialmente por objectivo a integração nas redes e projectos europeus mais importantes criados e apoiados pelo programa comunitário.

7. ACOMPANHAMENTO E AVALIAÇÃO

Nos termos do nº 1 do artigo 7º da Decisão nº 1295/99/CE, a Comissão deve tomar as medidas necessárias para assegurar o acompanhamento e a avaliação contínua do programa.

Em particular, o nº 2 do artigo 7º prevê que a Comissão apresente ao Parlamento Europeu e ao Conselho um relatório intercalar durante o terceiro ano de execução do programa e um relatório final no seu termo. Estes relatórios devem incluir, entre outros elementos, os resultados da avaliação.

Com base no nº 2, alínea d), do artigo 5º, a Comissão submeterá à apreciação do Comité um projecto de medidas específicas relativas ao processo de avaliação