

SL

SL

SL



KOMISIJA EVROPSKIH SKUPNOSTI

Bruselj, 11.11.2008  
SEC(2008) 2713 konč.

**DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE**

**Povzetek ocene učinka**

**Priložen**

**SPOROČILO KOMISIJE SVETU, EVROPSKEMU PARLAMENTU, EVROPSKEMU  
EKONOMSKO-SOCIALNEMU ODBORU IN ODBORU REGIJ**

**Redke bolezni: izziv za Evropo**

{COM(2008)679}

{SEC(2008)2712}

**DELOVNI DOKUMENT SLUŽB KOMISIJE**

*Povzetek ocene učinka*

*Priložen*

**SPOROČILO KOMISIJE SVETU, EVROPSKEMU PARLAMENTU, EVROPSKEMU  
EKONOMSKO-SOCIALNEMU ODBORU IN ODBORU REGIJ**

**Redke bolezni: izziv za Evropo**

## KAZALO

1.	Uvod.....	4
2.	Opredelevitev problema.....	4
2.1.	Premalo priznavanja in vidnosti redkih bolezni.....	4
2.2.	Pomanjkanje politik glede redkih bolezni v državah članicah.....	4
2.3.	Pomanjkanje učinkovite zdravstvene oskrbe, raziskav in zakonske ureditve na področju redkih bolezni v Evropi.....	4
2.3.1.	Nepravičen dostop do strokovne zdravstvene oskrbe.....	4
2.3.2.	Razdrobljene raziskave.....	4
2.3.3.	Nezadosten zakonodajni okvir.....	4
2.4.	Subsidiarnost.....	4
2.4.1.	Preizkus potrebnosti.....	5
2.4.2.	Preizkus dodane vrednosti.....	5
3.	Cilji.....	5
3.1.	Izboljšanje priznavanja in vidnosti redkih bolezni.....	5
3.2.	Podporne politike na področju redkih bolezni v državah članicah.....	6
3.3.	Oblikovanje evropskega sodelovanja, usklajevanja in zakonske ureditve na področju redkih bolezni.....	6
4.	Možnosti politike.....	6
4.1.	Osnovna možnost.....	6
4.2.	Sporočilo Komisije in predlog za priporočilo Sveta.....	6
4.3.	Ponovna vzpostavitev formalnega programa za redke bolezni.....	6
5.	Analiza učinkov.....	6
5.1.	Socialni učinki.....	6
5.2.	Vpliv na okolje.....	7
5.3.	Gospodarski učinki.....	7
6.	Primerjava možnosti.....	7
6.1.	Izboljšanje priznavanja in vidnosti redkih bolezni.....	7
6.2.	Podporne politike na področju redkih bolezni v državah članicah.....	8
6.3.	Oblikovanje evropskega sodelovanja, usklajevanja in zakonske ureditve na področju redkih bolezni.....	8
6.4.	Povzetek.....	9
7.	Nadzor in vrednotenje.....	9
7.1.	Zbiranje podatkov.....	9
7.2.	Komitologija in mehanizem nadzora.....	9

## 1. UVOD

Redke bolezni so smrtno nevarne ali kronično izčrpavajoče bolezni z nizko stopnjo prevalence in visoko ravnijo zapletenosti. Večinoma so to genetske bolezni, druge so redke oblike raka, avtoimunske bolezni, prirojene okvare, toksične in infekcijske bolezni med ostalimi kategorijami. Zahtevajo globalen pristop, ki temelji na prizadevanjih na posameznih področjih ter skupnih prizadevanjih za preprečitev znatne obolevnosti ali prezgodnje umrljivosti, ki se ji je mogoče izogniti, in za izboljšanje kakovosti življenja ter socialno-ekonomskih možnosti prizadetih oseb.

Redke bolezni so glede na prevalenco opredeljene kot bolezni, ki prizadenejo največ 5 na 10 000 oseb v Evropski uniji. Medtem ko se ta prevalenca zdi nizka, to pomeni približno 246 000 oseb na bolezen v 27 državah članicah EU. Na podlagi sedanjih znanstvenih spoznanj obstaja med 5 000 in 8 000 različnih redkih bolezni, ki prizadenejo do 6 % celotnega prebivalstva EU v času njihovega življenja. Z drugimi besedami to pomeni, da redka bolezen prizadene ali bo prizadela med 29 in 36 milijoni ljudi v 27 državah članicah.

## 2. OPREDELITEV PROBLEMA

### 2.1. Premalo priznavanja in vidnosti redkih bolezni

Čeprav redke bolezni precej prispevajo k obolevnosti in umrljivosti, v informacijskih sistemih zdravstvene oskrbe v glavnem niso vidne, ker ni ustreznih sistemov kodiranja in klasificiranja. Ker v zdravstvenih sistemih ni formalne opredelitve, prihaja do zdravstvenih in finančnih ovir pri zdravljenju nepriznane bolezni, za katero ni dodeljenih sredstev in virov, kar ustvarja krog, ki vzdržuje sedanjo neučinkovitost. Poleg tega je napačna ali nepostavljena diagnoza glavna ovira za izboljšanje kakovosti življenja tisočih bolnikov z redko boleznijo.

### 2.2. Pomanjkanje politik glede redkih bolezni v državah članicah

V državah članicah so razpoložljivi omejeni viri za redke bolezni razdrobljeni, zato je bistvena priprava posebnega načrta za doseg koncentracije in učinkovite rabe teh virov, ki bi sicer padli pod prag učinkovitosti. Odsotnost posebne zdravstvene politike za redke bolezni in pomanjkanje strokovnega znanja in izkušenj povzročata prepozno diagnozo in težaven dostop do oskrbe.

### 2.3. Pomanjkanje učinkovite zdravstvene oskrbe, raziskav in zakonske ureditve na področju redkih bolezni v Evropi

#### 2.3.1. Nepravičen dostop do strokovne zdravstvene oskrbe

Ugotavlja se pomanjkanje referenčnih mrež in dostopa do oskrbe, virov ter strokovnega znanja in izkušenj, ki pa so lahko na voljo samo v drugi državi članici.

#### 2.3.2. Razdrobljene raziskave

Med raziskavami ter možnostmi za postavitve diagnoze in zdravljenje redkih bolezni je zelo tesna povezava. Zato so potrebne nadaljnje raziskave redkih bolezni, vendar jih ovirajo neučinkovitost in razdrobljenost omejenih razpoložljivih virov.

#### 2.3.3. Nezdosten zakonodajni okvir

Sedanji zakonodajni okvir EU je zelo slabo prilagojen področju redkih bolezni. Veljavna zakonodaja Skupnosti na primer glede kliničnih preskušanj in dovoljenja za promet z zdravili se pri uporabi za redke bolezni izkaže za neustrezno in nezadostno.

### 2.4. Subsidiarnost

Verjetno ni nobenega drugega področja javnega zdravja, na katerem bi se 27 nacionalnih pristopov izkazalo za tako neučinkovite in neuspešne, kakor so se na področju redkih bolezni. Majhno število

bolnikov in potreba po zbiranju sredstev za področje teh bolezni pomenijo, da obseg in narava učinkovite ureditve zahteva ukrepanje na evropski ravni v skladu s členom 152 Pogodbe o ustanovitvi Evropske skupnosti.

Ustanovitev centra za vsako bolezen v vsaki državi članici je neizvedljiva zaradi prevelikega obsega virov, ki bi bili potrebni. Osnovna zamisel je, da bi morale potovati znanje in ne bolniki, čeprav morajo tudi bolniki biti sposobni potovati do centrov, kadar je to potrebno.

#### *2.4.1. Preizkus potrebnosti*

Države članice EU imajo glavno odgovornost za varovanje in izboljšanje zdravja svojih državljanov. Del te odgovornosti je odločanje o organizaciji in zagotavljanju zdravstvenih storitev ter zdravstvene oskrbe za bolnike, ki trpijo za redkimi boleznimi. Vendar imajo osnovni cilji EU, kot so prosti pretok bolnikov, pravično priznavanje bolezni in pravičen dostop do varnih in učinkovitih zdravil sirot ali sodelovanje pri raziskavah na področju redkih bolezni, nujno razsežnost javnega zdravja na ravni EU.

Ključni razlog za ukrepanje na področju redkih bolezni v tem trenutku je sedanja revizija mednarodne klasifikacije bolezni (ICD). Cilj nove, 11. različice mednarodnih klasifikacij bolezni je vključiti redke bolezni, treba pa je vzpostaviti osrednjo usklajevalno točko, da bi bilo to z evropskega vidika opravljeno učinkovito.

#### *2.4.2. Preizkus dodane vrednosti*

EU lahko doda vrednost prek številnih dejavnosti. Te lahko vključujejo prizadevanja za doseg kritične mase ali pridobitev ekonomij velikega obsega, na primer z izmenjavo informacij o redkih boleznih, ki prizadenejo samo manjše število ljudi v vsaki državi članici, ali izvajanje kolaborativnih multidisciplinarnih raziskav, kar se izkaže za najučinkovitejši način za boljše razumevanje bolezni in razvoj preprečevanja, diagnostike in terapevtskih metod. Jasni primeri dodane vrednosti se lahko ugotovijo na štirih področjih:

- zmanjšanje nepravičnosti na področju zdravja v EU;
- vzpostavitev usklajenega okvira za identifikacijo redkih bolezni in vseevropske izmenjave informacij;
- dodana vrednost novega pristopa EU glede redkih bolezni, izboljšanje informacij, identifikacija redkih bolezni in znanje o njih za postavitve trdnih podlag za diagnozo in oskrbo bolnikov;
- oblikovanje izboljšane okvira za raziskave na področju redkih bolezni.

### **3. CILJI**

Splošni cilj ukrepanja Skupnosti na področju redkih bolezni je podpirati države članice pri zagotavljanju učinkovitega in uspešnega priznavanja, preprečevanja, diagnoz, zdravljenja, oskrbe in raziskav na področju redkih bolezni. Ta se opira na strateške cilje Komisije glede blaginje, solidarnosti in varnosti. Vse to je treba doseči prek treh posebnih ciljev.

#### **3.1. Izboljšanje priznavanja in vidnosti redkih bolezni**

Ključ za izboljšanje splošnih strategij za redke bolezni je zagotovitev, da so priznane, od česar je odvisno ustrezno sprejetje vseh s tem povezanih ukrepov. EU mora tesno sodelovati s Svetovno zdravstveno organizacijo pri postopkih revizije sedanje ICD, da bi zagotovila boljše kodifikacijo in klasifikacijo redkih bolezni.

### **3.2. Podporne politike na področju redkih bolezni v državah članicah**

Učinkovito in uspešno ukrepanje na področju redkih bolezni je odvisno od usklajene splošne strategije za redke bolezni z zbiranjem pomanjkljivih in razpršenih virov na celovit in že priznan način, ki je vključena v skupno evropsko prizadevanje. Navedeno skupno evropsko prizadevanje samo je odvisno tudi od skupnega pristopa k delu na področju redkih boleznih po vsej EU, da se vzpostavi skupna podlaga za sodelovanje.

### **3.3. Oblikovanje evropskega sodelovanja, usklajevanja in zakonske ureditve na področju redkih bolezni**

Cilj Skupnosti mora biti boljše usklajevanje politik in pobud na ravni EU ter okrepitev sodelovanja med programi EU za nadaljnje povečanje razpoložljivih virov za redke bolezni na ravni Skupnosti, zlasti za zagotovitev:

- učinkovitega sodelovanja pri raziskavah in tehnološkem razvoju;
- dostopa do ustrezne strokovne zdravstvene oskrbe in prilagojenih socialnih storitev za bolnike z redkimi boleznimi
- ter prilagoditve zakonodajnega okvira in ukrepov na ravni Skupnosti posebnim potrebam bolnikov z redkimi boleznimi.

## **4. MOŽNOSTI POLITIKE**

### **4.1. Osnovna možnost**

*Nadaljevanje dela na podlagi projekta brez evropske referenčne točke znotraj sedanjega zakonodajnega okvira*

V okviru te možnosti bi Komisija še nadalje podpirala posamezne projekte, katerih cilj je izboljšanje priznavanja in vidnosti redkih bolezni, ne da bi državam članicam zagotovila formalno usmeritev ali priporočilo, kako naj zagotovijo učinkovite in uspešne strategije.

### **4.2. Sporočilo Komisije in predlog za priporočilo Sveta**

V okviru te možnosti bi Komisija zavzela formalno stališče glede opredelitve redkih bolezni v EU in določila svoje namere glede priznavanja in vidnosti redkih bolezni na evropski in globalni ravni ter splošno strategijo za delo na področju redkih bolezni na evropski ravni.

Komisija bi tudi dala predlog za priporočilo Sveta, ki bi države članice pozivalo, da vzpostavijo usklajene in celovite nacionalne strategije za redke bolezni.

### **4.3. Ponovna vzpostavitev formalnega programa za redke bolezni**

V okviru te možnosti bi Komisija predlagala vzpostavitev posebnega programa z eno samo podrobno strategijo za zdravstveno oskrbo redkih bolezni na ravni Skupnosti. Ta program bi bil vzpostavljen v skladu s členom 152 Pogodbe, da bi se nadaljevali posebni projekti za redke bolezni na podoben način kot prejšnji program za redke bolezni. Komisija bi lahko tudi sprejela ukrepe iz uredbe Evropskega parlamenta in Sveta o statistiki Skupnosti na področju javnega zdravja ter zdravja in varstva pri delu, da bi državam članicam določila obvezujočo pravno zahtevo za zbiranje podatkov o redkih boleznih.

## **5. ANALIZA UČINKOV**

### **5.1. Socialni učinki**

Ker je vzpostavljanje nacionalne strategije iz nič na podlagi osnovne možnosti zapleteno in dolgotrajno, se zdi malo verjetno, da bi države članice lahko vzpostavile take strategije brez

zagotovitve jasne referenčne točke, ki bi zbrala najboljše prakse po vsej Uniji. To bi lahko pripeljalo celo do večjih nepravilnosti med državami članicami.

Priporočilo Sveta bi državam članicam omogočilo, da prevzamejo formalno pravno in politično zavezo, kljub temu pa bi pri izvajanju obdržale prožnost. Ta pristop je v členu 152 posebej določen kot ustrezno orodje na področju zdravja, ker vzpostavlja pravo ravnotežje med učinkoviti smernicami in skupno zavezo na eni strani ter upoštevanjem načela subsidiarnosti na drugi strani. To bi pripeljalo do večje pravičnosti in kakovosti pri zagotavljanju storitev in dostopu do njih ter bi tako imelo pozitiven učinek na zdravje prebivalstva v državah članicah.

Ponovna vzpostavitev formalnega programa za redke bolezni bi prinesla neznatno povečanje učinkovitosti ukrepanja v primerjavi s strategijo Komisije. Zato ponovna vzpostavitev formalnega programa ne bi prinesla večjih prednosti kakor druge opisane možnosti.

## 5.2. Vpliv na okolje

Zaradi narave pobude je vpliv na okolje zanemarljiv in se nadalje ne bo preučeval.

## 5.3. Gospodarski učinki

Uspešen poseg na področju redkih bolezni bi lahko imel tudi gospodarski učinek z izboljšanjem učinkovitosti in uspešnosti pri uporabi virov za redke bolezni. Vzpostavitev francoske večletne (2005–2008) strategije za redke bolezni bo stala 86,66 milijonov EUR, poleg nadaljnjih 20 milijonov EUR, namenjenih za raziskave. Za veliko držav članic osnovna možnost ni izvedljiva zaradi proračunskih posledic za javne organe pri vzpostavljanju teh strategij brez smernic in evropskega pristopa.

Tehnično delo za možnost, ki predvideva priporočilo Sveta, bi se lahko izvajalo s podporo iz obstoječega programa javnega zdravja in s centraliziranjem prizadevanj, ki bodo učinkovitejša in manj obremenjujoča za nacionalne sisteme in javne organe. Izboljšanje učinkovitosti ukrepanja na področju redkih bolezni bo prineslo veliko koristi za posamezne bolnike in za učinkovito uporabo virov za zdravstvene sisteme na splošno. Ker je pobuda nezavezujoča, za verjetne učinke ni pričakovati, da bi obremenjevali katero koli skupino ali sektor.

Upravno breme za javne organe zaradi zahtevanega zbiranja podatkov o 5 000–8 000 redkih bolezni iz celotne Unije, kakor predlaga tretja možnost, bi bilo precejšnje. Precejšnji bi bili tudi dodatni stroški za vključevanje zbranih podatkov o redkih boleznih v evropski statistični sistem. Ta možnost bi prav tako sprožila vprašanja o subsidiarnosti zaradi razlik v organizaciji in zagotavljanju zdravstvenih storitev in zdravstvene oskrbe po vsej Uniji. Čeprav bi področja, kot so raziskave in tehnološki razvoj, imela koristi od ponovne vzpostavitve formalnega programa EU za redke bolezni, pa bi ta zahteval precejšnje financiranje, da bi bil izvedljiv, zato se ta možnost ne zdi najbolj učinkovit pristop.

## 6. PRIMERJAVA MOŽNOSTI

### 6.1. Izboljšanje priznavanja in vidnosti redkih bolezni

	Osnovna možnost	Sporočilo Komisije	Zahteva obveznega zbiranja podatkov
Prednosti	<b>boljša identifikacija &amp; kategorizacija</b>	<b>izboljšano priznavanje; povečane obveznosti zadevnih zainteresiranih strani; sprejemanje rezultatov</b>	<b>izboljšana zbirka razpoložljivih podatkov; izboljšan nadzor javnega zdravja; izboljšano</b>



			<b>&amp; pravičnejše zagotavljanje storitev</b>
Slabosti	<b>zmanjšanje verjetnosti sprejetja klasifikacije; podvajanje dela &amp; neučinkovitost; nadaljevanje nepravilnosti pri dostopu do oskrbe</b>	<b>uspeh odvisen od sodelovanja številnih zainteresiranih strani</b>	<b>visoka upravna obremenitev; visoki stroški vključevanja v statistični sistem; nesorazmerna raven posega</b>

### 6.2. Podporne politike na področju redkih bolezni v državah članicah

	Osnovna možnost	Priporočilo Sveta	Strategija zdravstvene oskrbe za redke bolezni na ravni EU
Prednosti	<b>največ prožnosti za države članice pri organizaciji zdravstvenih sistemov po njihovih željah</b>	<b>formalno pravna &amp; politična zaveza; obdržana prožnost; povečana učinkovitost &amp; uspešnost ukrepanja; združevanje virov</b>	<b>podrobne smernice na ravni EU; učinkovitejša pri izbiri najboljših praks; izboljšano zagotavljanje zdravstvene oskrbe</b>
Slabosti	<b>nepravilnosti pri dostopu &amp; kakovosti zdravstvene oskrbe; pomanjkanje jasne referenčne točke; neučinkovita vzpostavitev nacionalnih strategij; viri ostanejo razdrobljeni</b>	<b>države članice se pravno niso obvezane usklajevati</b>	<b>znatno prestrukturiranje nacionalnih zdravstvenih sistemov; vprašanja glede načela subsidiarnosti</b>

### 6.3. Oblikovanje evropskega sodelovanja, usklajevanja in zakonske ureditve na področju redkih bolezni

	Osnovna možnost	Sporočilo Komisije	Ponovna vzpostavitev programa za redke bolezni
Prednosti	<b>izogne se potrebi po preusmerjanju obstoječih ukrepov Skupnosti</b>	<b>izboljša pravičnost pri dostopu &amp; kakovosti zdravstvene oskrbe; poveča čezmejno sodelovanje; zniža umrljivost &amp; obolevnost; zmanjša neučinkovitosti; spodbuja raziskave; olajša uvajanje</b>	<b>omogoča politično vidnost financiranja Skupnosti</b>

		<b>tehnologije</b>	
Slabosti	<b>ukrepi so še vedno neučinkoviti; privede do večjih nepravilnosti; viri ostanejo omejeni in razpršeni</b>	<b>odvisno od sodelovanja številnih programov in akterjev na ravni Skupnosti</b>	<b>zahtevano precejšnje financiranje (ki ga obstoječe finančne perspektive ne omogočajo); pomanjkanje vključevanja na druga področja politike; neučinkovit pristop</b>

#### **6.4. Povzetek**

Na podlagi navedenega je najboljša možnost dati predloge za strategijo Skupnosti za redke bolezni, predstavljene v sporočilu Komisije, prizadevajoč si za doseg skupne zaveze na podlagi spremnega predloga za Priporočilo Sveta o vzpostavitvi usklajenih in celovitih strategij za redke bolezni na podlagi člena 152 PES.

### **7. NADZOR IN VREDNOTENJE**

#### **7.1. Zbiranje podatkov**

Nabor podatkov za kazalnike, ki se nanašajo na redke bolezni, bo vzpostavljen na podlagi sedanjega dela struktur tehnične podpore. Nabor podatkov bi zajemal naslednja področja (samo okvirno, neobsežen seznam):

- demografijo, epidemiologijo in zdravstveni status;
- determinante zdravja in socialno-ekonomske dejavnike;
- zdravstvene storitve;
- raziskave in tehnološki razvoj;
- pravičnost, regionalne razlike in pobude EU.

#### **7.2. Komitologija in mehanizem nadzora**

Ustanovljen bi bil svetovalni odbor EU za redke bolezni (EUACRD), da bi opravljal naloge, ki jih sedaj izvaja delovna skupina EU za redke bolezni. Prihodnjo EUACRD bodo sestavljali predstavniki 27 držav članic. Vključevala bo strokovnjake iz programa javnega zdravja in projektov okvirnega programa, predstavnike organizacij bolnikov, predstavnike industrijskih panog in drugih zainteresiranih organov.