



**RAT DER  
EUROPÄISCHEN UNION**

**Brüssel, den 5. Juni 2009  
(OR. en)**

**10122/09**

**Interinstitutionelles Dossier:  
2008/0218 (CNS)**

**LIMITE**

**SAN 142  
RECH 167  
MI 219**

**GESETZGEBUNGSAKTE UND ANDERE RECHTSINSTRUMENTE**

**Betr.: EMPFEHLUNG DES RATES für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten**

## EMPFEHLUNG DES RATES

vom

**für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten**

DER RAT DER EUROPÄISCHEN UNION –

gestützt auf den Vertrag zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft, insbesondere auf Artikel 152 Absatz 4 Unterabsatz 2,

auf Vorschlag der Kommission,

nach Stellungnahme des Europäischen Parlaments<sup>1</sup>,

nach Stellungnahme des Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschusses<sup>2</sup>,

---

<sup>1</sup> Legislative Entschließung vom 23. April 2009 (noch nicht im Amtsblatt veröffentlicht).

<sup>2</sup> Stellungnahme vom 25. Februar 2009 (noch nicht im Amtsblatt veröffentlicht).

in Erwägung nachstehender Gründe:

- (1) Seltene Krankheiten sind insofern als Gesundheitsbedrohung für die Bürger der EU einzustufen, als es sich um lebensbedrohliche oder chronische Invalidität nach sich ziehende Krankheiten mit geringer Prävalenz und hoher Komplexität handelt. Obwohl sie selten vorkommen, sind Millionen von Menschen betroffen, weil es so viele verschiedene Arten seltener Krankheiten gibt.
- (2) Die Grundsätze und übergeordneten Werten der Universalität, des Zugangs zu qualitativ hochwertiger Versorgung, Gleichbehandlung und Solidarität, die der Rat in seinen Schlussfolgerungen vom 2. Juni 2006 zu den gemeinsamen Werten und Prinzipien in den Gesundheitssystemen der Europäischen Union bekräftigt hat, sind für die Patienten mit seltenen Krankheiten von allerhöchster Bedeutung.
- (3) Das Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten, einschließlich genetischer Krankheiten, wurde für den Zeitraum vom 1. Januar 1999 bis zum 31. Dezember 2003<sup>1</sup> angenommen. Nach der Definition dieses Programms beträgt die Prävalenz einer seltenen Krankheit nicht mehr als 5 von 10 000 Menschen in der EU. Mit Mitteln des Zweiten Programms der Gemeinschaft im Bereich der Gesundheit<sup>2</sup> wird auf der Grundlage neuer wissenschaftlicher Untersuchungen eine genauere Definition ausgearbeitet, die sowohl die Prävalenz als auch die Inzidenz berücksichtigt.

---

<sup>1</sup> Beschluss Nr. 1295/1999/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 29. April 1999 zur Annahme eines Aktionsprogramms der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit (1999-2003). (ABl. L 155 vom 22.6.1999, S. 1). Aufgehoben durch Beschluss Nr. 1786/2002/EG (ABl. L 271 vom 9.10.2002, S. 1).

<sup>2</sup> Beschluss Nr. 1350/2007/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 23. Oktober 2007 über ein zweites Aktionsprogramm der Gemeinschaft im Bereich der Gesundheit (2008—2013) (ABl. L 301 vom 20.11.2007, S.3).

- (4) Gemäß der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden<sup>1</sup> gilt ein Medikament als "Arzneimittel für seltene Leiden", wenn es für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung eines Leidens bestimmt ist, das lebensbedrohend ist oder eine chronische Invalidität nach sich zieht und von dem zum Zeitpunkt der Antragstellung in der Gemeinschaft nicht mehr als 5 von 10 000 Personen betroffen sind.
- (5) Heute gibt es schätzungsweise 5 000 bis 8 000 verschiedene seltene Krankheiten, an denen 6-8 % der Bevölkerung im Laufe ihres Lebens erkranken. Dies bedeutet mit anderen Worten, dass trotz der geringen Prävalenz, die jede dieser Krankheiten für sich genommen aufweist, insgesamt 27 bis 36 Millionen Menschen in der Europäischen Union von seltenen Krankheiten betroffen sind. Die meisten von ihnen leiden an noch seltener auftretenden Krankheiten, die höchstens einen von 100 000 Menschen betreffen. Diese Patienten sind besonders isoliert und schutzbedürftig.
- (6) Aufgrund ihrer geringen Prävalenz, ihres speziellen Charakters und der hohen Gesamtzahl der Betroffenen erfordern seltene Krankheiten einen globalen Ansatz, der sich auf spezielle und gemeinsame Anstrengungen zur Verhütung erheblicher Morbidität oder vermeidbarer vorzeitiger Mortalität und zur Verbesserung der Lebensqualität und des sozioökonomischen Potenzials der Betroffenen stützt.

---

<sup>1</sup> ABl. L 18 vom 22.1.2000, S. 1.

- (7) Seltene Krankheiten bildeten eine der Prioritäten des Sechsten Rahmenprogramms der Gemeinschaft für Forschung und Entwicklung<sup>1</sup>; dies ist auch im neuen Siebten Rahmenprogramm der Gemeinschaft für Forschung und Entwicklung<sup>2</sup> der Fall, denn die Entwicklung neuer Diagnose- und Behandlungsmöglichkeiten für seltene Krankheiten erfordert ebenso wie die epidemiologische Erforschung dieser Krankheiten zur Erhöhung der Zahl der Patienten für die einzelnen Studien länderübergreifende Ansätze.
- (8) Die Kommission nennt in ihrem Weißbuch "Gemeinsam für Gesundheit: Ein strategischer Ansatz der EU für 2008-2013" vom 23. Oktober 2007, in dem die gesundheitspolitische Strategie der EU dargelegt wird, seltene Krankheiten als vorrangigen Tätigkeitsbereich.
- (9) Zur Verbesserung der Koordination und der Kohärenz nationaler, regionaler und lokaler Initiativen in Bezug auf seltene Krankheiten und die Zusammenarbeit zwischen Forschungszentren könnten nationale Maßnahmen auf dem Gebiet seltener Krankheiten in nationale Pläne oder Strategien für seltene Krankheiten aufgenommen werden.
- (10) Nach der Datenbank Orphanet haben von den Tausenden bekannten seltenen Krankheiten, die klinisch identifiziert werden können, nur 250 einen Code in der derzeitigen Internationalen Klassifikation der Krankheiten (ICD-10). Es bedarf einer geeigneten Klassifizierung und Kodierung aller seltenen Krankheiten, damit sie in den einzelstaatlichen Gesundheitssystemen ins Bewusstsein gerückt und erkannt werden.

---

<sup>1</sup> Nr. 1513/2002/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 27. Juni 2002 über das Sechste Rahmenprogramm der Europäischen Gemeinschaft im Bereich der Forschung, technologischen Entwicklung und Demonstration als Beitrag zur Verwirklichung des Europäischen Forschungsraums und zur Innovation (2002-2006) (ABl. L 232 vom 29.8.2002, S.1).

<sup>2</sup> Beschluss Nr. 1982/2006/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 18. Dezember 2006 über das Siebte Rahmenprogramm der Europäischen Gemeinschaft für Forschung, technologische Entwicklung und Demonstration (2007 bis 2013) (ABl. L 412 vom 30.12.2006, S. 1).

- (11) Die Weltgesundheitsorganisation (WHO) hat 2007 die Überarbeitung der 10. Fassung der ICD eingeleitet, damit die neue, 11. Fassung dieser Klassifikation auf der Weltgesundheitsversammlung 2014 verabschiedet werden kann. Die WHO hat den Vorsitz der EU-Taskforce für seltene Krankheiten zum Vorsitz der Thematischen Beratenden Gruppe für seltene Krankheiten ernannt, die mit Vorschlägen zur Kodierung und Klassifizierung seltener Krankheiten zu dieser Überarbeitung beitragen soll.
- (12) Die Einführung einer gemeinsamen Identifizierung seltener Krankheiten in allen Mitgliedstaaten würde dem Beitrag der Europäischen Union in dieser Thematischen Beratenden Gruppe wesentlich mehr Gewicht verleihen und die Zusammenarbeit auf Gemeinschaftsebene im Bereich seltener Krankheiten erleichtern.
- (13) Im Juli 2004 wurde in der Kommission eine Hochrangige Gruppe für das Gesundheitswesen und die medizinische Versorgung eingesetzt, die Fachleute aus allen Mitgliedstaaten zusammenführt, um über praktische Aspekte des Zusammenwirkens zwischen den einzelstaatlichen Gesundheitssystemen in der EU zu beraten. Eine der Arbeitsgruppen dieser hochrangigen Gruppe befasst sich speziell mit europäischen Referenznetzen für seltene Krankheiten. Es wurden einige Kriterien und Grundsätze für diese Referenznetze erarbeitet, darunter deren Rolle beim Umgang mit seltenen Krankheiten. Die Netze könnten auch als Forschungs- und Wissenszentren dienen, die Patienten aus anderen Mitgliedstaaten behandeln und sicherstellen, dass bei Bedarf Einrichtungen zur Folgebehandlung zur Verfügung stehen.

- (14) Der gemeinschaftliche Mehrwert europäischer Referenznetze ist bei seltenen Krankheiten wegen der Seltenheit dieser Erkrankungen, der dementsprechend begrenzten Anzahl von Patienten und der daher begrenzten Erfahrungswerte innerhalb der einzelnen Länder besonders hoch. Es ist deshalb überaus wichtig, das Fachwissen auf europäischer Ebene zusammenzuführen, um flächendeckend genaue Informationen, frühzeitige richtige Diagnosen und eine qualitativ hochwertige Versorgung der Patienten, die an seltenen Krankheiten leiden, sicherzustellen.
- (15) Im Dezember 2006 hat eine Fachgruppe der EU-Taskforce für seltene Krankheiten der Hochrangigen Gruppe für das Gesundheitswesen und die medizinische Versorgung einen Bericht mit dem Titel "Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases" vorgelegt. Der Bericht der Fachgruppe hebt unter anderem hervor, wie wichtig es ist, Fachzentren zu benennen und festzulegen, welche Rolle solche Zentren übernehmen sollten. Es besteht auch Einigkeit darüber, dass im Prinzip nach Möglichkeit eher die Spezialisten zu den Patienten reisen sollten als umgekehrt. Einige der in diesem Bericht angeregten Maßnahmen sind in die vorliegende Empfehlung eingeflossen.
- (16) Zusammenarbeit und Wissenstransfer zwischen Fachzentren haben sich als sehr effizienter Ansatz beim Umgang mit seltenen Krankheiten in Europa erwiesen.
- (17) Die Fachzentren könnten einen multidisziplinären Ansatz bei der Versorgung verfolgen, um die komplexen und vielfältigen Probleme anzugehen, die seltene Krankheiten mit sich bringen.

- (18) Aufgrund der besonderen Gegebenheiten bei seltenen Krankheiten – begrenzte Zahl von Patienten und begrenzte einschlägige Erkenntnisse und Erfahrung – kann hier durch Maßnahmen auf Gemeinschaftsebene ein besonders hoher Mehrwert erzielt werden. Dieser Mehrwert lässt sich insbesondere durch die Zusammenführung des Wissens der in den verschiedenen Mitgliedstaaten tätigen Spezialisten für seltene Krankheiten erreichen.
- (19) Deshalb ist es unbedingt erforderlich, einen aktiven Beitrag der Mitgliedstaaten bei der Erarbeitung einiger der gemeinsamen Instrumente sicherzustellen, die in der Mitteilung der Kommission über seltene Krankheiten – eine Herausforderung für Europa vom 11. November 2008 vorgesehen sind, insbesondere im Bereich der Diagnostik und der medizinischen Versorgung sowie der europäischen Leitlinien für Reihenuntersuchungen der Bevölkerung. Dies könnte auch für Bewertungsberichte über den therapeutischen Mehrwert von Arzneimitteln für seltene Leiden gelten, was zu einer Beschleunigung der Preisverhandlungen auf nationaler Ebene beitragen könnte, sodass diese Arzneimittel den Patienten mit seltenen Krankheiten schneller zur Verfügung stünden.
- (20) Die WHO sieht in der aufgeklärten Mitbestimmung der Patienten eine Voraussetzung für Gesundheit und hat deshalb eine proaktive Strategie der Partnerschaft und der Selbsthilfe von Patienten zur Verbesserung der gesundheitlichen Ergebnisse und der Lebensqualität bei chronisch Kranken empfohlen<sup>1</sup>. In diesem Sinne sind unabhängige Patientengruppen von entscheidender Bedeutung, sowohl hinsichtlich der direkten Unterstützung der einzelnen Patienten, die mit der Krankheit leben, als auch hinsichtlich der kollektiven Arbeit, die sie leisten, um die Bedingungen für die betreffenden Patienten insgesamt und für die nächsten Generationen zu verbessern.

---

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



- (21) Die Mitgliedstaaten sollten daher nach Möglichkeit Patienten und Patientenvertreter in die Strategie einbinden und die Tätigkeiten von Patientengruppen fördern.
- (22) Die Entwicklung der Forschung und der Ausbau der Infrastruktur für die medizinische Versorgung im Bereich seltener Krankheiten erfordert langfristige Projekte und daher entsprechende finanzielle Anstrengungen, um diese auch langfristig sicherzustellen. Diese Anstrengungen würden vor allem die Synergieeffekte mit den im Rahmen des Zweiten Programms der Gemeinschaft im Bereich der Gesundheit , des Siebten Rahmenprogramms für Forschung und Entwicklung und ihren Nachfolgeprogrammen aufgelegten Projekte maximieren –

EMPFIEHLT, dass die Mitgliedstaaten

- I. Pläne und Strategien auf dem Gebiet der seltenen Krankheiten
  1. auf der geeigneten Ebene Pläne und Strategien für seltene Krankheiten ausarbeiten und durchführen oder geeignete Maßnahmen für seltene Krankheiten im Rahmen anderer Gesundheitsschutzstrategien prüfen, um sicherzustellen, dass Patienten mit seltenen Krankheiten medizinisch gut versorgt werden; dies schließt die Diagnostik, die Behandlung und die Habilitation der Menschen, die mit einer solchen Krankheit leben, sowie nach Möglichkeit wirksame Arzneimittel für seltene Krankheiten ein; insbesondere sollten die Mitgliedstaaten
    - a) möglichst bald, vorzugsweise vor Ende 2013 einen Plan oder eine Strategie ausarbeiten und annehmen, der die im Rahmen ihrer Gesundheits- und Sozialsysteme auf dem Gebiet seltener Krankheiten getroffenen Maßnahmen steuert und strukturiert;
    - b) Maßnahmen treffen, um alle laufenden und künftigen Initiativen auf lokaler, regionaler und nationaler Ebene in ihre Pläne oder Strategien für ein umfassendes Konzept einzubeziehen;
    - c) im Rahmen ihrer Pläne oder Strategien eine begrenzte Zahl prioritärer Maßnahmen, deren Ziele und der Verfahren zu ihrer Weiterverfolgung benennen;

d) der Entwicklung von Leitlinien und Empfehlungen für die Ausarbeitung nationaler Maßnahmen in Bezug auf seltene Krankheiten durch die zuständigen nationalen Behörden im Rahmen des laufenden europäischen Projekts zur Entwicklung nationaler Pläne für seltene Krankheiten (EUROPLAN), das zur Finanzierung aus dem ersten Gesundheitsprogramm im Zeitraum 2008-2010 ausgewählt wurde, Rechnung tragen<sup>1</sup>;

II. Angemessene Definition, Kodierung und Bestandsaufnahme seltener Krankheiten

2. für die Zwecke der diesbezüglichen Arbeit auf Gemeinschaftsebene eine gemeinsame Definition seltener Krankheiten anwenden, nach der seltene Krankheiten nicht mehr als 5 von 10 000 Menschen betreffen;
3. sicherstellen, dass seltene Krankheiten in geeigneter Weise kodiert werden und in allen Gesundheitsinformationssystemen auffindbar sind, und eine angemessene Anerkennung der Krankheit in den nationalen Systemen der gesundheitlichen Versorgung und Krankenversicherung auf der Grundlage der ICD unter Berücksichtigung der innerstaatlichen Verfahren fördern;
4. aktiv zum Aufbau einer leicht zugänglichen, ausbaufähigen Bestandsaufnahme seltener Krankheiten in der Europäischen Union auf der Grundlage der Datenbank Orphanet und anderer in der Mitteilung der Kommission über seltene Krankheiten genannter bestehender Netze beitragen;

---

<sup>1</sup> Beschluss Nr. 1786/2002/EG des Europäischen Parlaments und des Rates vom 23. September 2002 über ein Aktionsprogramm der Gemeinschaft im Bereich der öffentlichen Gesundheit (2003-2008) (ABl. L 271 vom 9.10.2002, S. 1).

5. prüfen, inwieweit auf allen geeigneten Ebenen, einschließlich der Gemeinschaftsebene, zum einen spezifische Krankheitsinformationsnetze und zum anderen, für epidemiologische Zwecke, Register und Datenbanken gefördert werden können, wobei auf eine unabhängige Verwaltung der Netze zu achten ist;
- III. Erforschung seltener Krankheiten
6. laufende Forschungsprojekte und Forschungsmittel im nationalen und im gemeinschaftlichen Rahmen ermitteln, um den aktuellen Stand der Forschung im Bereich seltener Krankheiten festzustellen, die Forschungslandschaft zu beurteilen und die Koordination der gemeinschaftlichen, nationalen und regionalen Programme für seltene Krankheiten zu verbessern;
  7. den Bedarf an Grundlagenforschung, klinischer Forschung, translationaler Forschung und Sozialforschung auf dem Gebiet seltener Krankheiten ermitteln und feststellen, wo dabei die Prioritäten liegen sollten, welche Mittel und Wege es zur Unterstützung dieser Forschungstätigkeiten gibt, und interdisziplinäre kooperative Konzepte zu fördern, die im Rahmen von nationalen und gemeinschaftlichen Programmen komplementär verfolgt werden sollen;
  8. die Beteiligung nationaler Wissenschaftler an Forschungsprojekten zu seltenen Krankheiten fördern, die auf geeigneter Ebene, einschließlich der Gemeinschaftsebene, finanziert werden;
  9. in ihre Pläne oder Strategien Bestimmungen zur Förderung der Forschung über seltene Krankheiten aufnehmen;

10. gemeinsam mit der Kommission den Ausbau der Forschungszusammenarbeit mit Drittländern, in denen über seltene Krankheiten geforscht wird, sowie generell den Austausch von Informationen und Fachwissen erleichtern;
- IV. Fachzentren und europäische Referenznetze für seltene Krankheiten
11. bis Ende 2013 in ihrem gesamten Staatsgebiet geeignete Fachzentren ermitteln und gegebenenfalls eine Unterstützung für die Errichtung solcher Fachzentren prüfen;
12. die Beteiligung der Fachzentren an europäischen Referenznetzen unter Beachtung der nationalen Zuständigkeiten und Vorschriften für ihre Zulassung oder Anerkennung fördern;
13. Strukturen für die Versorgung von Patienten einrichten, die an seltenen Krankheiten leiden, indem sie eine Zusammenarbeit der Spezialisten und einen Austausch von Fachleuten und Fachwissen auf diesem Gebiet innerhalb des Landes oder erforderlichenfalls aus dem Ausland einführen;
14. den Einsatz von Informations- und Kommunikationstechnologien, beispielsweise der Telemedizin, unterstützen wenn dies erforderlich ist, um die notwendige spezielle medizinische Versorgung auch aus der Ferne sicherzustellen;
15. in ihre Pläne oder Strategien die notwendigen Bedingungen für die Verbreitung des Fachwissens und die Mobilität der Spezialisten einzubeziehen, um die wohnortnahe Behandlung der Patienten zu erleichtern;

16. darauf hinwirken, dass in den Fachzentren bei seltenen Krankheiten ein multidisziplinärer Ansatz in der Versorgung verfolgt wird;
- V. Zusammenführung des Fachwissens über seltene Krankheiten auf europäischer Ebene
17. das in ihrem Land vorhandene Fachwissen über seltene Krankheiten zusammenführen und die Zusammenführung dieses Wissens mit europäischen Partnern im Hinblick auf folgende Ziele unterstützen:
- a) den Austausch bewährter Verfahren in Bezug auf Diagnoseinstrumente und medizinische Versorgung sowie Bildung und soziale Versorgung auf dem Gebiet seltener Krankheiten;
  - b) eine angemessene Schulung und Ausbildung aller Leistungserbringer im Gesundheitswesen zur Sensibilisierung für diese Krankheiten und zur Information über die zur Versorgung in diesen Fällen zur Verfügung stehenden Mittel;
  - c) den Ausbau der medizinischen Ausbildung auf Gebieten, die für die Diagnose und die Versorgung bei seltenen Krankheiten wichtig sind, wie beispielsweise Genetik, Immunologie, Neurologie, Onkologie oder Pädiatrie;
  - d) die Ausarbeitung europäischer Leitlinien für diagnostische Tests und Reihenuntersuchungen der Bevölkerung unter Berücksichtigung nationaler Entscheidungen und Zuständigkeiten;

- e) die gemeinsame Nutzung von Bewertungsberichten der Mitgliedstaaten über den therapeutischen oder klinischen Mehrwert von Arzneimitteln für seltene Krankheiten auf EU-Ebene, wo die entsprechenden Fachkenntnisse und Erfahrungen gesammelt werden, damit diese Arzneimittel den Patienten, die an seltenen Krankheiten leiden, schneller zur Verfügung stehen;

VI. Mitbestimmung von Patientenverbänden

- 18. die Patienten und Patientenvertreter zu den Strategien für seltene Krankheiten konsultieren und den Patienten den Zugang zu neuesten Erkenntnissen über seltene Krankheiten erleichtern;
- 19. die Tätigkeiten von Patientenverbänden auf Gebieten wie Sensibilisierung, Aufbau von Kapazitäten, Schulungen, Austausch von Informationen und bewährten Verfahren, Vernetzung und Hilfsangebote für sehr isolierte Patienten fördern;

VII. Langfristige Funktionsfähigkeit

- 20. zusammen mit der Kommission darauf hinwirken, dass durch entsprechende Finanzierungs- und Kooperationsmechanismen die langfristige Funktionsfähigkeit der auf dem Gebiet der Information, der Forschung und der medizinischen Versorgung bei seltenen Krankheiten geschaffenen Infrastrukturen sichergestellt wird;

FORDERT die Kommission AUF,

1. dem Europäischen Parlament, dem Rat, dem Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschuss und dem Ausschuss der Regionen bis Ende 2013 einen Bericht über die Durchführung dieser Empfehlung vorzulegen, der sich auf die von den Mitgliedstaaten bereitgestellten Informationen stützt und in dem geprüft werden sollte, inwieweit die vorgeschlagenen Maßnahmen wirksam sind und ob es weiterer Maßnahmen bedarf, um die Lebensumstände der an seltenen Krankheiten leidenden Patienten und ihrer Familien zu verbessern, damit gegebenenfalls in neue Aktionsprogramme der Gemeinschaft im Gesundheitsbereich entsprechende Vorschläge aufgenommen werden können;
2. den Rat regelmäßig über die Folgemaßnahmen zu der Mitteilung der Kommission über seltene Krankheiten zu unterrichten.

Geschehen zu .... am

*Im Namen des Rates*

*Der Präsident*

---