

ES

ES

ES



COMISIÓN DE LAS COMUNIDADES EUROPEAS

Bruselas, 11.11.2008
COM(2008) 726 final

Propuesta de

RECOMENDACIÓN DEL CONSEJO

relativa a una acción europea en el ámbito de las enfermedades raras

{SEC(2008)2713}

{SEC(2008)2712}

RECOMENDACIÓN DEL CONSEJO

relativa a una acción europea en el ámbito de las enfermedades raras

EL CONSEJO DE LA UNIÓN EUROPEA,

Visto el Tratado constitutivo de la Comunidad Europea y, en particular, su artículo 152, apartado 4, párrafo segundo,

Vista la propuesta de la Comisión¹,

Visto el dictamen del Parlamento Europeo²,

Visto el dictamen del Comité Económico y Social Europeo³,

Visto el dictamen del Comité de las Regiones⁴,

Considerando lo siguiente:

- (1) Las enfermedades raras son una amenaza para la salud de los ciudadanos europeos, ya que son enfermedades con peligro de muerte o de invalidez crónica, de baja prevalencia y alto nivel de complejidad.
- (2) Para el período comprendido entre el 1 de enero de 1999 y el 31 de diciembre de 2003, se adoptó un Programa de Acción Comunitaria sobre las Enfermedades poco Comunes, incluidas las genéticas⁵. Según dicho programa, se considera rara la enfermedad que no afecta a más de 5 personas de cada 10 000 en la Unión Europea.
- (3) El Reglamento (CE) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo, de 16 de diciembre de 1999, sobre medicamentos huérfanos, establece que un medicamento ha de ser declarado «medicamento huérfano» si se destina al diagnóstico, prevención o tratamiento de una afección que ponga en peligro la vida o conlleve una incapacidad crónica y que no afecte a más de 5 personas por cada 10 000 en la Comunidad en el momento de presentar la solicitud.
- (4) Se calcula que existen actualmente entre cinco mil y ocho mil enfermedades raras diferentes, que afectan a entre un 6 % y un 8 % de la población en algún momento de su vida. Es decir, a entre 27 y 36 millones de personas en la Unión Europea. La mayoría padecen enfermedades de prevalencia todavía menor, que afectan a una de cada 100 000 personas o menos.
- (5) A causa de su baja prevalencia y de su especificidad, las enfermedades raras exigen un enfoque global, basado en esfuerzos especiales y combinados, a fin de prevenir la

¹ DO C, p.

² DO C, p.

³ DO C, p.

⁴ DO C, p.

⁵ Decisión nº 1295/1999/CE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 29 de abril de 1999, por la que se aprueba un programa de acción comunitaria sobre las enfermedades poco comunes en el marco de la acción en el ámbito de la salud pública (1999-2003).

morbilidad significativa o la mortalidad prematura evitable y mejorar la calidad de vida y el potencial socioeconómico de las personas afectadas.

- (6) Las enfermedades raras eran una de las prioridades del Sexto Programa Marco de la Comunidad para Acciones de Investigación, Desarrollo Tecnológico y Demostración (2002-2006), y siguen siendo una prioridad de acción en el nuevo Séptimo Programa Marco para Acciones de Investigación, Desarrollo Tecnológico y Demostración (2007-2013)⁶, ya que el desarrollo de nuevos diagnósticos y tratamientos para trastornos raros y la investigación epidemiológica sobre dichos trastornos requieren enfoques plurinacionales para aumentar el número de pacientes de cada estudio.
- (7) La Comisión, en su Libro Blanco «Juntos por la salud: un planteamiento estratégico para la UE (2008-2013)», de 23 de octubre de 2007, que desarrolla la estrategia sanitaria de la UE⁷, identifica las enfermedades raras como una prioridad de acción.
- (8) A fin de mejorar la coordinación y coherencia de las iniciativas nacionales, regionales y locales en materia de enfermedades raras, todas las acciones nacionales pertinentes en dicho ámbito deben integrarse en planes nacionales de enfermedades raras.
- (9) Según la base de datos Orphanet, de las 5 863 enfermedades raras conocidas que es posible identificar clínicamente, solo 250 tienen un código en la actual Clasificación Internacional de Enfermedades (décima versión). Es necesaria una clasificación y codificación apropiadas de todas las enfermedades raras para darles la visibilidad y el reconocimiento necesarios en los sistemas sanitarios nacionales.
- (10) La Organización Mundial de la Salud (en lo sucesivo, «OMS») inició en 2007 el proceso de revisión de la décima versión de la Clasificación Internacional de Enfermedades, a fin de adoptar la nueva versión undécima de dicha clasificación en la Asamblea Mundial de la Salud de 2014. La OMS ha designado el Grupo de Trabajo de la Unión Europea sobre Enfermedades Raras como Grupo Consultivo Temático sobre Enfermedades Raras, a fin de contribuir a dicho proceso de revisión mediante la formulación de propuestas de codificación y clasificación de las enfermedades raras.
- (11) La aplicación de una definición común de enfermedades raras en todos los Estados miembros reforzaría sensiblemente la contribución de la Unión Europea en dicho Grupo Consultivo Temático y facilitaría la cooperación a escala comunitaria en el ámbito de las enfermedades raras.
- (12) En julio de 2004 se creó un Grupo de Alto Nivel sobre Servicios de Salud y Atención Médica⁸ para reunir a expertos de todos los Estados miembros a fin de trabajar en aspectos prácticos de la colaboración entre los sistemas sanitarios nacionales de la UE. Uno de los grupos de trabajo de este Grupo de Alto Nivel se centra en las redes europeas de referencia (RER) para las enfermedades raras⁹. Se han desarrollado algunos principios, como su cometido para hacer frente a las enfermedades raras, así como determinados criterios que dichos centros deben cumplir. Las RER deben servir también como centros de investigación y de conocimiento, para tratar a pacientes de

⁶ <http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:L:2006:412:0001:0041:ES:PDF>

⁷ Véase http://ec.europa.eu/health/ph_overview/strategy/health_strategy_es.htm.

⁸ En respuesta al proceso de reflexión de alto nivel, la Comisión adoptó una Comunicación sobre la movilidad de los pacientes y los progresos de la asistencia sanitaria en la UE [COM(2004) 301 de 20.4.2004], y estableció un mecanismo para hacer progresar los trabajos presentados en la Comunicación.

⁹ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_es.htm

otros Estados miembros y asegurar la disponibilidad de servicios de tratamiento ulterior en caso necesario.

- (13) El valor añadido comunitario de las redes europeas de referencia es especialmente importante en el caso de las enfermedades raras debido al carácter poco común de dichas afecciones, que implica que en cada país el número de pacientes y los conocimientos especializados son limitados. Por tanto, es primordial poner en común los conocimientos a escala europea para garantizar a los pacientes que sufren enfermedades raras el mismo acceso a una asistencia de alta calidad.
- (14) En diciembre de 2006, un grupo de expertos del Grupo de Trabajo de la Unión Europea sobre Enfermedades Raras presentó un informe titulado «Contribución a la elaboración de políticas: por una colaboración europea en materia de servicios de salud y atención médica en el ámbito de las enfermedades raras»¹⁰ al Grupo de Alto Nivel sobre Servicios de Salud y Atención Médica de la CE. El informe del grupo de expertos subraya, entre otras cosas, la importancia de identificar centros especializados a escala nacional y regional, así como los cometidos que dichos centros deben cumplir. Algunas medidas solicitadas en el informe se incluyen en la presente Recomendación.
- (15) La cooperación y puesta en común de conocimientos entre los centros especializados nacionales y regionales ha demostrado ser el enfoque más eficaz para tratar las enfermedades raras en Europa.
- (16) Los centros especializados nacionales y regionales deben seguir un enfoque de asistencia pluridisciplinar que integre aspectos médicos y sociales para hacer frente a las afecciones diversas y complejas propias de las enfermedades raras.
- (17) Las especificidades de las enfermedades raras (número limitado de pacientes y escasez de conocimientos y de especialización al respecto) hacen que destaquen como un ámbito en el que el valor añadido de las acciones a escala comunitaria es muy alto. Una forma de producir dicho valor añadido consiste en reunir los conocimientos especializados nacionales sobre enfermedades raras, actualmente dispersos en los diferentes Estados miembros.
- (18) Es sumamente importante garantizar la contribución activa de los Estados miembros en la elaboración de determinados instrumentos comunes previstos en la Comunicación de la Comisión sobre enfermedades raras, en especial los dictámenes europeos de referencia sobre diagnósticos y asistencia médica y las directrices europeas sobre cribado de población. Lo mismo se aplica a los informes de evaluación sobre el valor añadido terapéutico de los medicamentos huérfanos, que podrían contribuir a acelerar las negociaciones de precios a escala nacional y reducir así los plazos de espera para acceder a dichos medicamentos para los pacientes que sufren enfermedades raras.
- (19) La OMS ha definido el empoderamiento de los pacientes como un requisito previo para la salud y ha instado a una cooperación proactiva y una estrategia de autoayuda de los pacientes para mejorar los resultados sanitarios y la calidad de vida del enfermo crónico¹¹. En este sentido, el papel de las asociaciones de pacientes es esencial, tanto en términos de apoyo directo a las personas que padecen la enfermedad como del

¹⁰ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/contribution_policy.pdf.

¹¹ <http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf>.

trabajo colectivo que realizan para mejorar la situación de la comunidad de pacientes que sufren una enfermedad rara en general y de las próximas generaciones.

- (20) Por tanto, los pacientes y sus representantes deben participar en todas las etapas de los procesos de elaboración de políticas y de toma de decisiones. Es preciso fomentar y apoyar activamente sus actividades, incluso mediante financiación, en todos los Estados miembros.
- (21) El desarrollo de infraestructuras de investigación y de atención sanitaria en el ámbito de las enfermedades raras requiere proyectos duraderos y, por tanto, un esfuerzo financiero apropiado para asegurar su continuidad a largo plazo. Este esfuerzo maximizaría especialmente la sinergia con los proyectos desarrollados en el marco del Programa Comunitario de Salud (2008-2013), el Séptimo Programa Marco de la Comunidad Europea para Acciones de Investigación, Desarrollo Tecnológico y Demostración (2007-2013) y sus programas sucesivos.

RECOMIENDA A LOS ESTADOS MIEMBROS:

1. Elaborar planes nacionales de enfermedades raras para garantizar a los afectados por tales enfermedades el acceso universal a una asistencia sanitaria, que incluya diagnóstico, tratamiento y medicamentos huérfanos, de elevada calidad en todo su territorio nacional de manera justa y solidaria en toda la UE, y en particular:
 - (1) elaborar y adoptar, antes de finales de 2011, una estrategia completa e integrada para gestionar y estructurar todas las acciones pertinentes en materia de enfermedades raras en forma de un plan nacional de enfermedades raras;
 - (2) adoptar medidas para garantizar que todas las iniciativas actuales y futuras a escala regional y nacional se integren en su plan nacional;
 - (3) definir un número limitado de acciones prioritarias en el plan nacional de enfermedades raras, con objetivos concretos, plazos claros, estructuras de gestión e informes periódicos;
 - (4) apoyar la elaboración de directrices y recomendaciones para definir la acción nacional en materia de enfermedades raras por parte de las autoridades competentes a escala nacional en el marco del Proyecto Europeo de Elaboración de Planes Nacionales de Enfermedades Raras (Europlan) actualmente en curso, seleccionado para recibir financiación durante el período 2007-2010 en el marco del Programa de Salud Pública;
 - (5) incluir en los planes nacionales disposiciones para garantizar a todos los afectados por enfermedades raras un acceso equitativo a asistencia sanitaria, que incluya diagnóstico, tratamiento y medicamentos huérfanos, de elevada calidad en todo su territorio nacional, a fin de garantizar este acceso de manera justa y solidaria en toda la Unión Europea.
2. Definición, codificación e inventario adecuados de las enfermedades raras
 - (1) aplicar en la Unión Europea una definición común de enfermedades raras como enfermedades que no afectan a más de 5 personas de cada 10 000;
 - (2) garantizar que las enfermedades raras tengan una codificación y trazabilidad apropiadas en todos los sistemas de información sanitarios, para contribuir así a un reconocimiento adecuado de dichas enfermedades en los sistemas nacionales de asistencia sanitaria y de reembolso;
 - (3) contribuir activamente al establecimiento del inventario dinámico de enfermedades raras de la Unión Europea mencionado en la Comunicación;
 - (4) prestar apoyo a las redes de información, los registros y las bases de datos nacionales o regionales sobre enfermedades específicas.
3. Investigación sobre enfermedades raras
 - (1) identificar los proyectos de investigación en curso y los resultados disponibles para definir el estado actual de los conocimientos en el ámbito de las enfermedades raras;
 - (2) identificar las necesidades y prioridades de investigación básica, clínica y traslacional en el ámbito de las enfermedades raras, así como las prioridades de investigación social;

- (3) estimular la participación de los investigadores y laboratorios nacionales en proyectos de investigación sobre enfermedades raras financiados a escala comunitaria;
 - (4) incluir, en el plan nacional de enfermedades raras, medidas para fomentar la investigación, en particular sanitaria y social, en materia de enfermedades raras, en especial para elaborar herramientas tales como infraestructuras transversales y proyectos específicos para determinadas enfermedades.
4. Centros especializados y redes europeas de referencia para enfermedades raras
- (1) identificar los centros especializados nacionales y regionales del territorio nacional antes de finales de 2011 y fomentar la creación de centros especializados donde no existan, en particular incluyendo, en su plan nacional de enfermedades raras, disposiciones sobre creación de centros especializados nacionales o regionales;
 - (2) fomentar la participación de los centros especializados nacionales o regionales en redes europeas de referencia y aportar financiación pública adecuada a largo plazo para asegurar su sostenibilidad y, por tanto, la continuidad de la asistencia prestada a los pacientes;
 - (3) organizar rutas sanitarias para los pacientes mediante la cooperación con los expertos pertinentes del propio país o de otros, en caso necesario; conviene fomentar la atención sanitaria transfronteriza, incluida la movilidad de los pacientes, profesionales y proveedores sanitarios y la prestación de servicios mediante tecnologías de la información y de la comunicación, cuando sea preciso para garantizar un acceso universal a la atención sanitaria específica necesaria;
 - (4) garantizar que los centros especializados nacionales o regionales adopten un enfoque sanitario pluridisciplinar al tratar afecciones complejas y diversas, tales como las enfermedades raras, y promover la integración de los niveles médico y social en los centros;
 - (5) garantizar que los centros especializados nacionales o regionales respeten las normas definidas por las redes europeas de referencia para enfermedades raras, teniendo debidamente en cuenta las necesidades y expectativas de los pacientes y profesionales.
5. Recabar a escala europea conocimientos especializados sobre enfermedades raras
- (1) aplicar mecanismos para recabar los conocimientos especializados nacionales sobre enfermedades raras y ponerlos en común con los de otros países europeos para prestar apoyo a la elaboración de:
 - a) protocolos y recomendaciones comunes, tales como dictámenes europeos de referencia sobre herramientas de diagnóstico, asistencia médica, educación y asistencia social;
 - b) directrices europeas sobre cribado de población y pruebas de diagnóstico;
 - c) un sistema para compartir, a escala de la UE, los informes de evaluación de los Estados miembros sobre el valor añadido terapéutico de los medicamentos huérfanos, a fin de minimizar la tardanza en acceder a medicamentos huérfanos para los pacientes que sufren enfermedades raras.

6. Empoderamiento de las organizaciones de pacientes
 - (1) adoptar medidas para garantizar que se consulte debidamente a los pacientes y a sus representantes en todas las fases de los procesos de elaboración de políticas y de toma de decisiones en el ámbito de las enfermedades raras, en particular sobre la creación y gestión de centros especializados y de redes europeas de referencia y sobre la elaboración de planes nacionales;
 - (2) apoyar las actividades de las organizaciones de pacientes, como sensibilización, desarrollo de capacidades y formación, intercambio de información y buenas prácticas, creación de redes e inclusión de los pacientes más aislados;
 - (3) incluir en los planes nacionales de enfermedades raras medidas de apoyo y consulta a las organizaciones de pacientes mencionadas en los puntos 1 y 2.
7. Sostenibilidad
 - (1) garantizar, mediante mecanismos de financiación adecuados, la sostenibilidad a largo plazo de las infraestructuras de investigación, como los biobancos, las bases de datos y los registros, y de las infraestructuras sanitarias, como los centros especializados, y también de las redes europeas de referencia para enfermedades raras;
 - (2) cooperar con otros Estados miembros para abordar la cuestión de la sostenibilidad de las infraestructuras de investigación a escala europea, comunes a todos los Estados miembros y comunes al mayor número posible de enfermedades raras;
 - (3) incluir en los planes nacionales de enfermedades raras disposiciones sobre la necesidad de abordar el problema de la sostenibilidad financiera de las actividades en el ámbito de las enfermedades raras.

INVITA A LA COMISIÓN A:

1. presentar al Consejo, al Parlamento Europeo, al Comité Económico y Social Europeo y al Comité de las Regiones, un informe sobre la aplicación de la presente Recomendación sobre la base de la información facilitada por los Estados miembros, a más tardar al final del quinto año siguiente a la fecha de adopción de la presente Recomendación, para valorar la eficacia de las medidas propuestas y la necesidad de nuevas acciones;
2. informar regularmente al Consejo sobre el seguimiento de la Comunicación de la Comisión sobre enfermedades raras.

Hecho en Bruselas, el

*Por el Consejo
El Presidente*