

PT

PT

PT



COMISSÃO DAS COMUNIDADES EUROPEIAS

Bruxelas, 11.11.2008
COM(2008) 726 final

Proposta de

RECOMENDAÇÃO DO CONSELHO

relativa a uma acção europeia em matéria de doenças raras

{SEC(2008)2713}

{SEC(2008)2712}

Proposta de

RECOMENDAÇÃO DO CONSELHO

relativa a uma acção europeia em matéria de doenças raras

O CONSELHO DA UNIÃO EUROPEIA,

Tendo em conta o Tratado que institui a Comunidade Europeia, e, nomeadamente, o segundo parágrafo do n.º 4 do artigo 152.º,

Tendo em conta a proposta da Comissão¹,

Tendo em conta o parecer do Parlamento Europeu²,

Tendo em conta o parecer do Comité Económico e Social Europeu³,

Tendo em conta o parecer do Comité das Regiões⁴,

Considerando o seguinte:

- (1) As doenças raras, que se caracterizam por uma baixa prevalência e um nível elevado de complexidade, são uma ameaça para a saúde dos cidadãos europeus na medida em que podem pôr a vida em perigo ou provocar uma invalidez crónica.
- (2) Foi adoptado um programa de acção comunitária em matéria de doenças raras, incluindo doenças genéticas, para o período compreendido entre 1 de Janeiro de 1999 e 31 de Dezembro de 2003⁵. Este programa definiu a prevalência das doenças raras como uma relação não superior a 5 pessoas para cada 10 000, na União Europeia.
- (3) O Regulamento (CE) n.º 141/2000 do Parlamento Europeu e do Conselho, de 16 de Dezembro de 1999, relativo aos medicamentos órfãos estabelece que um medicamento é designado «medicamento órfão» quando se destina ao diagnóstico, prevenção ou tratamento de uma patologia que ponha a vida em perigo ou seja cronicamente debilitante e que afecte até 5 pessoas em 10 000 na Comunidade aquando da apresentação do pedido.
- (4) Estima-se que existam hoje entre 5 000 e 8 000 doenças raras diferentes, que afectam entre 6% e 8% das pessoas no decurso das suas vidas. Por outras palavras, entre 27 e 36 milhões de pessoas na União Europeia. A maioria delas sofre de doenças menos frequentes que afectam uma em cada 100 000 pessoas ou menos.
- (5) Devido à sua baixa prevalência e à sua especificidade, as doenças raras exigem uma abordagem englobante baseada em esforços especiais e combinados no sentido de impedir uma morbilidade significativa ou uma mortalidade prematura evitável e melhorar a qualidade de vida e o potencial socioeconómico das pessoas afectadas.

¹ JO C de..., p. .

² JO C de..., p. .

³ JO C de..., p. .

⁴ JO C de..., p. .

⁵ Decisão 1295/1999/CE do Parlamento Europeu e do Conselho, de 29 de Abril de 1999, que adopta um programa de acção comunitária em matéria de doenças raras no quadro da acção no domínio da saúde pública (1999-2003).

- (6) As doenças raras eram uma das prioridades do sexto programa-quadro comunitário de actividades de investigação, desenvolvimento tecnológico e demonstração (2002-2006) e continuam a ser uma prioridade do sétimo programa-quadro de actividades de investigação, desenvolvimento tecnológico e demonstração (2007-2013)⁶, uma vez que o desenvolvimento de novos diagnósticos e tratamentos para doenças raras, e a investigação epidemiológica sobre essas doenças exigem abordagens plurinacionais a fim de aumentar o número de doentes em cada estudo.
- (7) A Comissão, no seu Livro Branco «Juntos para a saúde: uma abordagem estratégica para a UE (2008-2013)»⁷, de 23 de Outubro de 2007, identificou as doenças raras como um domínio prioritário de acção da UE.
- (8) A fim de melhorarem a coordenação e coerência das iniciativas nacionais, regionais e locais em matéria de doenças raras, todas as acções nacionais pertinentes neste domínio deveriam ser integradas nos planos nacionais em matéria de doenças raras.
- (9) De acordo com a base de dados Orphanet, das 5 863 doenças raras conhecidas que é possível identificar clinicamente, só 250 têm um código na actual Classificação Internacional de Doenças (10.ª versão). É necessário proceder à classificação e codificação adequada das doenças raras para lhes dar a visibilidade e o reconhecimento necessários no âmbito dos sistemas nacionais de saúde.
- (10) Em 2007, a Organização Mundial de Saúde (em seguida «OMS») lançou o processo de revisão da 10.ª versão da Classificação Internacional de Doenças, para que a Assembleia Mundial da Saúde possa adoptar a 11.ª versão, em 2014. A OMS nomeou a *Task Force* DR da União Europeia para desempenhar o papel de grupo consultivo sobre doenças raras, participando no processo de revisão com propostas de codificação e classificação das doenças raras.
- (11) A implementação de uma identificação comum das doenças raras por todos os Estados-Membros reforçaria sobremaneira a contribuição da União Europeia neste grupo consultivo sobre doenças raras e facilitaria a cooperação a nível comunitário neste domínio.
- (12) Em Julho de 2004, um grupo de alto nível sobre serviços de saúde e cuidados médicos foi instituído⁸ para reunir peritos de todos os Estados-Membros e trabalhar sobre os aspectos práticos da colaboração entre os sistemas de saúde nacionais da UE. Um dos núcleos de trabalho deste grupo de alto nível está a concentrar-se na questão das redes europeias de referência (RER) para doenças raras⁹. Foram desenvolvidos alguns princípios, incluindo o papel que tais centros devem desempenhar na abordagem das doenças raras e os critérios que devem cumprir. As RER deveriam igualmente desempenhar a função de centros de investigação e conhecimento, tratando pacientes de outros Estados-Membros e assegurando tratamentos subsequentes se necessário.
- (13) O valor acrescentado em termos comunitário das redes europeias de referência é particularmente elevado neste caso, dada a raridade destas doenças, que implica

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

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

⁸ Em resposta ao processo de reflexão deste grupo, a Comissão adoptou uma comunicação sobre os progressos obtidos em matéria de mobilidade de pacientes e cuidados de saúde na UE (COM (2004) 301 de 20.4.2004) e estabeleceu um mecanismo que dá continuidade ao trabalho desenvolvido na comunicação.

⁹ http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm

escassez do número de pacientes e da especialização em cada país. A recolha de especialização a nível europeu é por conseguinte primordial para assegurar a igualdade de acesso aos cuidados de grande qualidade por parte dos pacientes com doenças raras.

- (14) Em Dezembro de 2006, um grupo de peritos da *Task Force* DR apresentou ao grupo de alto nível sobre serviços de saúde e cuidados médicos da UE um relatório intitulado «Contributo para a formulação de políticas: colaboração europeia em matéria de serviços de saúde e cuidados médicos no domínio das DR»¹⁰. O relatório do grupo de peritos sublinha, nomeadamente, a importância de identificar centros de especialização ao nível nacional e regional e o papel que tais centros devem desempenhar. Algumas medidas preconizadas no relatório estão incluídas na presente recomendação.
- (15) A cooperação e a partilha de conhecimento entre centros de especialização nacionais e regionais revelaram-se o modo mais eficiente de abordar as doenças raras na Europa.
- (16) Os centros nacionais e regionais de especialização deveriam seguir uma abordagem multidisciplinar dos cuidados, com a integração dos aspectos médicos e sociais, a fim de tratarem as condições complexas e diversas próprias às doenças raras.
- (17) As especificidades das doenças raras, cujo número de pacientes é limitado e onde os conhecimentos e a especialização relevantes são diminutos, fazem destas doenças um domínio único de acção, onde a mais valia comunitária é muito elevada. Este valor acrescentado pode ser alcançado sobretudo através da reunião de especializações nacionais em doenças raras que se encontram dispersas pelos diferentes Estados-Membros.
- (18) É extremamente importante assegurar uma contribuição activa dos Estados-Membros para a elaboração de alguns instrumentos comuns previstos na comunicação da Comissão sobre doenças raras, nomeadamente pareceres europeus de referência sobre diagnóstico e cuidados médicos e orientações europeias sobre rastreio da população. Tal deveria acontecer igualmente com os relatórios de avaliação sobre o valor acrescentado terapêutico de medicamentos órfãos, que poderiam contribuir para acelerar a negociação de preços ao nível nacional e contribuir para a disponibilização destes medicamentos aos pacientes de doenças raras.
- (19) A OMS definiu a capacitação de doentes como um pré-requisito para saúde e instou a uma parceria dinâmica e estratégia de auto-suficiência dos pacientes para a melhoria dos resultados de saúde e da qualidade de vida dos pacientes crónicos¹¹. Neste sentido, o papel dos grupos de pacientes é crucial em termos de apoio directo a pessoas que vivem com a doença e, em termos do trabalho conjunto que realizam, de melhoria das condições para a comunidade de pacientes de doenças raras em geral e para as próximas gerações.
- (20) Os pacientes e os seus representantes deveriam ser envolvidos, por conseguinte, em todas as etapas dos processos político e decisório. As suas actividades deveriam ser promovidas e apoiadas activamente, incluindo com financiamento, em todos os Estados-Membros.
- (21) O desenvolvimento de infra-estruturas de investigação e cuidados de saúde no domínio das doenças raras exige projectos duradouros e, por conseguinte, um esforço financeiro adequado para assegurar a sua sustentabilidade a longo prazo. Este esforço

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

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

maximizaria nomeadamente a sinergia com os projectos desenvolvidos ao abrigo do programa de acção comunitária no domínio da saúde (2008-2013), do 7.º P-Q de investigação, desenvolvimento tecnológico e demonstração (2007-2013) e dos sucessores destes programas,

RECOMENDA QUE OS ESTADOS-MEMBROS:

1. Estabeleçam planos nacionais em matéria de doenças raras de modo a assegurar que todos os pacientes de doenças raras tenham igualdade de acesso aos cuidados de grande qualidade, incluindo diagnósticos, tratamentos e medicamentos órfãos no seu território nacional, com equidade e solidariedade em toda a UE e, em particular:
 - (1) elaborem e adoptem uma estratégia global e integrada, até finais de 2011, destinada a gerir e estruturar todas as acções relevantes no domínio das doenças raras sob a forma de um plano nacional em matéria de doenças raras;
 - (2) tomem medidas para assegurar que todas as iniciativas actuais e futuras a nível regional e nacional sejam integradas no seu plano nacional;
 - (3) definam um número limitado de acções prioritárias no plano nacional em matéria de doenças raras, com objectivos concretos, prazos claros, estruturas de gestão e apresentação regular de relatórios;
 - (4) apoiem as autoridades nacionais competentes a elaborar as orientações e recomendações da acção nacional para DR, no contexto do actual projecto europeu de desenvolvimento dos planos nacionais em matéria de DR (EUROPLAN), um dos programas seleccionados e financiados pelo programa de saúde pública de 2007-2010;
 - (5) incluam nos planos nacionais disposições concebidas para assegurar o acesso equitativo a cuidados de grande qualidade, incluindo diagnósticos, tratamentos e medicamentos órfãos, por parte de todos os pacientes com doenças raras no seu território nacional, no intuito de generalizar o acesso equitativo aos cuidados, com qualidade, justiça e solidariedade, em toda a União;
2. Definam, codifiquem e inventariem adequadamente as doenças raras
 - (1) apliquem uma definição comum das doenças raras a toda a UE, como sendo doenças que afectam, no máximo, 5 em cada 10 000 pessoas;
 - (2) assegurem que as doenças raras são adequadamente codificadas e detectáveis em todos os sistemas de informação sobre saúde, contribuindo para um reconhecimento adequado da doença nos sistemas nacionais de cuidados de saúde e reembolso;
 - (3) contribuam activamente para o estabelecimento do inventário dinâmico da União Europeia das doenças raras tal como referido na comunicação;
 - (4) apoiem redes de informação, registos e bases de dados nacionais ou regionais sobre doenças específicas;
3. Investiguem sobre doenças raras
 - (1) identifiquem os projectos de investigação em curso e os recursos para essa investigação, a fim de definir o estado do conhecimento sobre doenças raras;
 - (2) identifiquem necessidades e prioridades para a investigação fundamental, clínica e transversal no domínio das doenças raras, assim como prioridades de investigação social;
 - (3) promovam a participação de investigadores e laboratórios nacionais em projectos de investigação sobre doenças raras financiados a nível comunitário;

- (4) incluam no plano nacional para as DR disposições de fomento da investigação, incluindo a investigação de saúde pública e social neste domínio, nomeadamente com vista ao desenvolvimento de ferramentas, tais como infra-estruturas transversais e projectos sobre doenças específicas.
4. Criem centros de especialização e redes europeias de referência para doenças raras
 - (1) identifiquem centros de especialização nacionais ou regionais no seu território nacional até finais de 2011 e promovam a sua criação onde eles não existam, nomeadamente incluindo disposições sobre a criação de centros de especialização nacionais ou regionais no seu plano nacional em matéria de DR;
 - (2) promovam a participação dos centros de especialização nacionais ou regionais em redes de referência europeias e facultem o financiamento público adequado a longo prazo e a fim de assegurar a sua sustentabilidade para dar continuidade aos cuidados dos pacientes;
 - (3) organizem roteiros para os cuidados de saúde dos pacientes, através da cooperação com os peritos relevantes no país ou no estrangeiro quando necessário; prestem cuidados de saúde transfronteiriços, incluindo o apoio à mobilidade de pacientes, profissionais e prestadores de serviços de saúde e o desenvolvimento das TIC, onde for necessário, para disponibilizar e generalizar cuidados de saúde específicos a todos os que precisarem;
 - (4) assegurem que os centros de especialização nacionais ou regionais tenham por base uma abordagem multidisciplinar dos cuidados de saúde, ao abordar condições complexas e diversas tais como as doenças raras; promovam a integração dos diferentes níveis médicos e sociais nesses centros;
 - (5) assegurem que os centros de especialização nacionais ou regionais adiram às normas definidas pelas redes de referência europeias para as doenças raras e tomem na conta devida as necessidades e expectativas de pacientes e profissionais.
 5. Recolham, a nível europeu, especialização em doenças raras
 - (1) assegurem mecanismos para reunir especialização nacional em doenças raras e proceder à sua articulação ao nível europeu a fim de apoiar o desenvolvimento de:
 - (a) protocolos e recomendações comuns tais como pareceres europeus de referência sobre ferramentas de diagnóstico, cuidados médicos, educação e cuidados sociais;
 - (b) orientações europeias sobre rastreio da população e testes de diagnóstico;
 - (c) partilha de relatórios nacionais com a avaliação do valor acrescentado terapêutico dos medicamentos órfãos a nível comunitário, a fim de minimizar atrasos no acesso a estes medicamentos por parte dos pacientes com doenças raras.
 6. Dêem autonomia às organizações de doentes
 - (1) tomem medidas para assegurar que tanto pacientes como seus representantes são devidamente consultados em todas as etapas das políticas e processos decisórios no domínio das doenças raras, abrangendo a criação e gestão dos

centros de especialização e das redes de referência europeias e, ainda, a elaboração dos planos nacionais;

- (2) apoiem as actividades levadas a cabo pelas organizações de pacientes, como acções de sensibilização, fomento de competências e formação, intercâmbio de informação e melhores práticas, ligação em rede e inclusão dos pacientes geograficamente isolados;
- (3) incluam nos planos nacionais em matéria de doenças raras disposições sobre o apoio e a consulta das organizações de pacientes tal como se refere nos n.ºs 1 e 2.

7. Assegurem a sustentabilidade

- (1) assegurem, através dos mecanismos de financiamento adequados, a sustentabilidade a longo prazo de infra-estruturas de investigação, como biobancos, bases de dados e registos, e de infra-estruturas de cuidados de saúde, como centros de especialização, além das redes europeias de referência para as doenças raras;
- (2) cooperem com outros Estados-Membros para responder à questão da sustentabilidade das infra-estruturas de investigação à escala europeia, que é comum a todos os Estados-Membros e comum ao mais elevado número possível de doenças raras;
- (3) incluam no plano nacional sobre doenças raras disposições sobre a necessidade de abordar a questão da sustentabilidade financeira das actividades realizadas no domínio das doenças raras.

CONVIDA A COMISSÃO:

1. A produzir um relatório, sobre a aplicação da presente recomendação, dirigido ao Conselho, ao Parlamento Europeu, ao Comité Social e Económico Europeu e ao Comité das Regiões, com base na informação facultada pelos Estados-Membros, o mais tardar no fim do quinto ano após a data de adopção da presente recomendação, para apreciar a eficácia das medidas propostas e considerar a necessidade de acção suplementar.
2. A informar regularmente o Conselho sobre o seguimento dado à comunicação da Comissão sobre doenças raras.

Feito em Bruxelas, em

*Pelo Conselho
O Presidente*