



EUROOPAN YHTEISÖJEN KOMISSIO

Bryssel, 26.05.1997
KOM(97) 225 lopull.

97/0146 (COD)

KOMISSION TIEDONANTO
harvinaisia sairauksia koskevasta yhteisön toimintaohjelmasta
kansanterveyden toimintakehyksessä

Ehdotus

EUROOPAN PARLAMENTIN JA NEUVOSTON PÄÄTÖKSEKSI
harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman
hyväksymisestä vuosiksi 1999-2003
kansanterveyden toimintakehyksessä

(komission esittämä)

KOMISSION TIEDONANTO
harvinaisia sairauksia koskevasta yhteisön toimintaohjelmasta
kansanterveyden toimintakehyksessä

SISÄLTÖ

I. JOHDANTO	3
II. HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVAT TÄRKEÄT NÄKÖKOHDAT	6
III. HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN MÄÄRITELMÄ	8
IV. YLEISKATSAUS HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVISTA JÄSENVALTIOIDEN TOIMISTA JAKANSAINVÄLISISTÄ TOIMISTA KANSANTERVEYDEN ALALLA	10
V. YLEISKATSAUS HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVISTA YHTEISÖN TOIMISTA	11
VI. YHTEISÖN TOIMINTASUUNNITELMA	12
VII. NEUVOTTELUT, ARVIOINTI JA KERTOMUKSET	16

I. JOHDANTO

- 1 Kansanterveyden toimintakehyksestä 24 päivänä marraskuuta 1993 antamassaan tiedonannossa¹ komissio määritteli terveyden suojelun tavoitteet sellaisina, kuin niistä on määrätty Euroopan yhteisön perustamissopimuksen 3 artiklan o kohdassa ja 129 artiklassa. Yhteisön tehtäväksi on määritetty jäsenvaltioiden kansanterveyden alalla suorittamien toimien tukeminen, avustaminen tavoitteiden ja strategioiden muotoilussa ja toteuttamisessa sekä terveyden suojelun edistäminen kaikkialla yhteisössä niin, että tavoitteena ovat yhteisön jossakin osassa tietyllä alalla jo saavutetut parhaat tulokset.
- 2 Ryhtyessään toimenpiteisiin 129 artiklan nojalla yhteisön on suunnattava toimensa sairauksien, erityisesti vaarallisten sairauksien, ehkäisemiseen ja terveyden suojeluun. Komission tiedonannossa määrätyillä perusteilla harvinaiset sairaudet on määritetty yhteisön toimien ensisijaiseksi kohteeksi.
- 3 Kansanterveys koskee jo määritelmänsä mukaan koko väestön terveydellisiä tarpeita. Tämä tarkoittaa, että käytettävissä olevia terveystalvveluja ja voimavaroja, erityisesti ehkäiseviä toimenpiteitä, olisi käytettävä mahdollisimman monien ihmisten hyödyksi. Tämä periaate soveltuu aivan samalla tavoin harvinaisista sairauksista kärsiviin kuin vaarallisista sairauksista kärsiviin. Hyvin harvoin esiintyvien sairauksien ja tilojen harvinaisuus sinänsä ja siitä aiheutuva niitä koskevan tiedon puute voi kuitenkin johtaa siihen, että monet näistä sairauksista kärsivät eivät saa tarvitsemiaan terveydenhoidon voimavaroja ja terveystalvveluja. Tämän syynä saattaa olla erityisesti asiaankuuluvan tiedon ja asiantuntemuksen puuttuminen sekä yhteisymmärryksen puuttuminen siitä, miten tiettyyn harvinaiseen sairauteen olisi puututtava.
- 4 Komission kansanterveyttä koskevassa puitetiedonannossa esitetään useita perusteita yhteisön ensisijaisista tavoitteista päättämislle. Näitä ovat sairauden vaikutus sairastuvuuteen ja kuolleisuuteen, sairauden sosio-ekonominen vaikutus, se missä määrin sairauteen voidaan vaikuttaa ehkäisevillä toimilla ja erityisen tärkeänä seikkana se, missä määrin yhteisön toimien avulla voidaan täydentää jäsenvaltioiden toimenpiteitä ja tuoda niille lisäarvoa.
- 5 Harvinaiset sairaudet eivät selvästikään täytä näitä perusteita koko väestön tasolla. Yksityisen ihmisen ja perheen tasolla ne aiheuttavat kuitenkin merkittävää ennenalikaista sairastuneisuutta ja kuolleisuutta tai saattavat pakottaa henkilön luopumaan terveen ihmisen elämäntyyliltä. Ehkäistävyyden osalta tuhansien harvinaisten sairauksien kohdalla on eroja; toisia voidaan ehkäistä nyt, toisia voidaan kenties ehkäistä tulevaisuudessa. Viimeinen peruste eli lisäarvon tuominen yhteisön tasolla on kuitenkin erityisen olennainen harvinaisten sairauksien kohdalla.

¹ KOM(93) 559 lopullinen

- 6 On selvää, että harvinaisilla tai harvoin esiintyvillä sairauksilla on vain rajallinen vaikutus yhteiskuntaan kokonaisuutena ja että ne aiheuttavat vain suhteellisen vähän sairastuvuutta ja kuolleisuutta. Niitä ei tämän vuoksi voida pitää vaarallisina sairauksina. Ne eivät kuitenkaan ole taloudellisesti suinkaan merkityksettömiä, sillä tehokkaat neuvot, diagnoosit ja terveydenhoitotoimenpiteet maksavat usein suhteettomasti enemmän kuin samanlaiset toimenpiteet tavallisempien tilojen ollessa kyseessä.
- 7 Tällä alalla yhteisöllä on paljon tarjottavana. Yhteisön tasolla tehtävästä työstä voi olla useita tärkeitä etuja. Erityisesti, koska koko yhteisön väestö on paljon suurempi, yksittäiset tapaukset voidaan koota paljon suuremmaksi ryhmäksi, jolla on samat ominaisuudet. Tämän ansiosta voidaan ryhtyä paljon lukuisampiin toimenpiteisiin ja aloittaa yhteensovitetut toimet sellaisten potilaiden kohdalla, jotka saattaisivat muutoin jäädä eristyksiin tai joille saatettaisiin tehdä väärä diagnoosi.
- 8 Harvinaisten sairauksien kansanterveydellistä merkitystä voidaan tarkastella myös toisella tavalla. Niitä saattaa toisinaan esiintyä useammin tietyillä seuduilla ja tiettyjen väestönosien, kuten etnisten yhteisöjen, keskuudessa kuin maan koko väestössä. Kansallisen tason seuraukset saattavat tämän vuoksi olla vähäisiä, mutta alueellisella tasolla tai ryhmän tasolla ne voivat olla merkittäviä. Tämä pätee erityisesti perinnöllisiin tauteihin.
- 9 Lisäksi ei tule unohtaa laajempaa kysymystä taudeista, jotka ovat harvinaisia Euroopan yhteisössä mutta tavallisia muualla maailmassa. Me voisimme käyttää asiantuntemustamme trooppisten sairauksien torjunnassa. Nämä sairaudet ovat meidän maissamme harvinaisia, mutta voivat aiheuttaa suunnatonta kärsimystä ja useita kuolemantapauksia kehittyvässä maailmassa.
- 10 Lisäksi joistakin nykyisin harvinaisista sairauksista voi tulevaisuudessa tulla vaarallisia sairauksia. Tämä on mahdollista esimerkiksi silloin, jos sairauden aiheuttajaa ei tunneta, kuten oli HIV:n ja AIDS'in ja äskettäin nautaeläinten bovine spongiform encephalitis -taudin/Creutzfeldt-Jacobin taudin (BSE/CJD) laita. Käyttöön otetulla uudella lääkkeellä voi olla samankaltainen vaikutus, mistä talidomidi oli selvä esimerkki. Yhteensovitettu yhteisön lähestymistapa tarjoaa tehokkaan keinon tällaisten mahdollisesti suuren mittakaavan terveysongelmien käsittelyyn.

- 11 Toiset sairaudet, erityisesti tarttuvat taudit, jotka olivat aikanaan hyvin yleisiä, kuten polio, ovat nykyisin harvinaisia yhteisössä tehokkaiden ehkäisevien toimenpiteiden, erityisesti lasten rokotusten ansiosta. Tällaiset taudit voivat kuitenkin ilmaantua uudelleen, ja niin käykin, jos esimerkiksi väestön immuniteetti vähenee. Tässä yhteydessä tällaisen taudin äkillinen ilmeneminen yhdessä maassa voi varoittaa muita maita ajoissa siitä, että niiden rokotukset tai muut ehkäisevät toimet ovat ehkä menettämässä tehoaan. Yhteisön tasolla suoritettavat toimenpiteet voivat auttaa yksittäisiä jäsenvaltioita tunnistamaan tällaiset ongelmat varhaisessa vaiheessa ja yhteensovittamaan vastatoimenpiteensä.
- 12 Monien, erityisesti harvinaisten, sairauksien etiologiaa ei tunneta. Ehkäisevät toimenpiteet ovat riippuvaisia tästä perustiedosta. Tuhannet harvinaiset sairaudet tai tilat, niiden alhainen esiintymistiheys ja niiden etiologian selvittämiseen tähtäävään tieteelliseen tutkimukseen annetut rajalliset varat ja talousarviomäärärahat merkitsevät, että niiden hoidon ja parantamisen nopea edistyminen ei ole kovin todennäköistä. Tämän vuoksi jäsenvaltioiden välinen yhteistyö ja työ yhteisön tasolla voi tällä alalla tuoda lisäarvoa yksittäisten jäsenvaltioiden toimille.
- 13 Terveystoimijajärjestelmien rajalliset voimavarat on ensisijaisesti ja välttämättömyyden vuoksi suunnattu vaarallisiin tauteihin, minkä vuoksi on todennäköistä, että yksittäisissä jäsenvaltioissa kiinnitetään vain rajallisesti huomiota harvoin esiintyviin sairauksiin. Yhteisön kansanterveyspolitiikan soveltamisalaan kuuluu auttaa jäsenvaltioita saamaan voimavaroista tehokkain mahdollinen hyöty tässä suhteessa. Näiden tilojen osalta voidaan saavuttaa todellisia mittakaavaetuja yhdistämällä rajallinen kansallinen asiantuntemus ja rajalliset kansalliset voimavarat yhteisön tasolla.
- 14 Näistä syistä komissio on päättänyt antaa harvinaisille sairauksille etusijan kansanterveysalan politiikassaan.

II. HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVAT TÄRKEÄT NÄKÖKOHDAT

TIEDOT

- 15 Niiden eurooppalaisten määrää ei tunneta, jotka kärsivät harvinaisista sairauksista. Monien näiden harvoin esiintyvien sairauksien kohdalla ei ole erityisiä potilaiden tukiyhteisöjä tai laitoksia, jotka olisivat omistautuneet tutkimukseen, ehkäisyyn, diagnoosiin tai hoitoon. Potilailta ja heidän perheiltään, lääkäreiltä, tutkijoilta, terveysviranomaisilta ja väestöltä yleensä puuttuu kaikenlaista tietoa, tai sitä levitetään huonosti.
- 16 Harvinaisten sairauksien osalta asianmukaisen havaitsemisen, tunnistamisen ja lääketieteellisen hoidon lähteet ovat rajallisia tai jopa olemattomia. Tehokasta ehkäisyä tai hoitoa varten on olemassa vain vähän tai ei mitään; sairauden tulevasta kehitymisestä, riskien välttämismahdollisuuksista ja terveyttä edistävän ympäristön ja elämäntavan luomisesta saattaa olla vain vähän tietoja annettavaksi potilaalle ja hänen perheelleen.
- 17 USA:n harvinaisten sairauksien kansallinen komissio (The U.S. National Commission on Orphan Diseases) on tehnyt yksityiskohtaisen tutkimuksen näistä harvinaisista tiloista USA:ssa kärsivien ihmisten ongelmista. Siinä todettiin, että kesti yhdestä viiteen vuotta, ennen kuin kolmasosa heistä sai oikean diagnoosin, ja että 15 prosentille ei tehty diagnoosia ainakaan kuuteen vuoteen. Lisäksi näiden tilojen kustannukset rahassa ja inhimillisillä arvoilla mitattuina ovat suunnattomat. Puolet potilaista kertoi, että heidän sairautensa aiheuttivat heille ja heidän perheilleen suuria taloudellisia vaikeuksia ja että heidän sairautensa estivät heitä käymästä työssä tai koulussa.

POTILAIEN TUKIRYHMÄT

- 18 Potilaita auttavilla ryhmillä voi olla avainasema harvinaisten sairauksien ollessa kyseessä. Viime vuosikymmenien kuluessa on luotu suuri määrä tällaisia ryhmiä, jotka kattavat monia harvinaisia sairauksia, toisinaan sen vuoksi, että on tunnettu, että lakisääteiset viranomaiset eivät ole kiinnittäneet riittävää huomiota näihin tiloihin. Lisäksi näiden ryhmien välillä on merkittävää yhteistyötä alueellisella ja kansallisella tasolla sekä kansainvälisesti, ja tämä yhteistyö liittyy usein eri sairausryhmiin. On myös useita kansainvälisiä kattojärjestöjä kuten Euroopan geneettisten tukiryhmien liitto (European Alliance of Genetic Support Groups - EAGS). Näillä potilaiden ja omaisten järjestöillä on hyvin paljon tietoa, joka perustuu heidän omiin kokemuksiinsa sairaudesta. Tämä on erityisen arvokasta, kun otetaan huomioon usein tapahtuva diagnosoinnin viivästyminen, terveydenhoidon henkilöstön rajalliset tiedot, lääkkeiden puuttuminen ja sairausvakuutusongelmat.

TAUTIKLUSTERIT

- 19 Ajateltaessa harvinaisia, harvoin esiintyviä sairauksia ja tiloja on hyödyllistä käsitellä kysymystä tautiklustereista. Nämä voidaan määritellä harvinaisen sairauden esiintymisen ajallisiksi ja paikallisiksi tihentymiksi. Toinen tapa esittää asia on todeta, että tietyllä alueella esiintyi tietyssä aikana huomattavasti useampia harvinaisten sairauksien tapauksia kuin tämän tilan "perustietojen" tai odotetun lukumäärän perusteella ennustettiin. Tarve käsitellä tehokkaasti tautiklustereita (eli tunnistaa niiden todellinen lisääntyminen, määritellä niitä aiheuttavat tekijät, arvioida niiden vaikutukset ja vähentää suuren yleisön huolestumista) on selvää: tietty paikallinen tekijä on saattanut olla syynä tai vaikuttanut syyhyn, ja tämä tekijä on tunnistettava.
- 20 Käsiteltäessä tautiklustereita toimenpiteet olisi suoritettava tietyssä järjestyksessä: ensiksi tautiklusteri olisi tunnistettava esimerkiksi varhaisen varoitusjärjestelmän avulla; toiseksi olisi käytettävä seuranta- ja tarkkailujärjestelmiä, jotta tilannetta verrattaisiin kyseisten sairauksien vakiintuneisiin esiintymistiheyksiin. (Harvinaisten sairauksien kohdalla tämä menetelmä ei kenties kuitenkaan ole mahdollinen, koska tarvittavaa epidemiologista tietoa ei ehkä ole saatavilla.) Kolmanneksi on vähennettävä suuren yleisön huolestumista tiedottamalla mahdollisimman tarkasti sairauteen liittyvistä vaaroista. Tautiklusterien tehokkaasta käsittelystä on suurta etua kansanterveydelle. Tämä ei johdu vain siitä, että tietyn ongelman nopea ja riittävä hoitaminen voi auttaa välttämään tietyn tautiklusterin mahdollisen kehittymisen laajemmaksi ongelmaksi, vaan yleisemmin myös siitä, että se auttaa luomaan yleistä luottamusta viranomaisten kykyyn suojella terveyttä.

HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN LUOKITUS

- 21 Harvoin esiintyvien sairauksien epäasianmukainen luokittelu ja virallisen tunnustamisen puuttuminen aiheuttavat ongelmia näiden sairauksien tunnistamisessa, havaitsemisessa, hoidossa ja ehkäisyssä. WHO:n kansainvälisessä tautiluokituksessa (ICD 10) yksilöidyt sairaudet on jaettu 23 suurempaan luokkaan elinjärjestelmien perusteella; nämä luokat on jaettu edelleen 470:een diagnoosiin perustuvaan ryhmään. Joissakin tapauksissa näissä ryhmissä ei juurikaan painoteta yksittäisiä sairauksia.

- 22 Lisäksi harvoin esiintyvien sairauksien kohdalla näiden luokitusten validiteetti ja käyttökelpoisuus ovat rajallisia. On useita tapauksia, joissa nämä sairaudet eivät sisälly perinteisiin luokitusjärjestelmiin, kuten ICD:hen, ja Englannin lastentautiyhdistyksen (British Paediatric Association) synnynnäisten epämuodostumien luokitukseen. Toisissa tapauksissa harvoin esiintyvät sairaudet on luokitettu epätarkoituksenmukaisesti tai riittämättömästi: esimerkiksi Marfanin oireyhtymälle ICD:ssä annettu luokitusnumero kuuluu myös yli 20 muulle tilalle.
- 23 Käsitteet, harvinaiset tai harvoin esiintyvät sairaudet, koskevat ehkä yli 5 000:ttä eri tilaa tai sairautta. Vaikuttaa siltä, että puuttuu yhteinen nimittäjä kaikkien harvinaisten sairauksien määrittelemiseksi. Jotkut perustuvat oireisiin (toisiinsa liittyvien oireiden tai vammojen yhdistelmään) tai yksittäisiin vammoihin tai toisiinsa liittymättömiin tiloihin. On selvää, että on asetettava ensisijaiset tavoitteet, kun toimenpiteet yhteisön taholla on aloitettava.

III. HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN MÄÄRITELMÄ

NUMEERISEEN MÄÄRITTELEMISEEN LIITTYVÄT ONGELMAT

- 24 Saattaa vaikuttaa siltä, että harvinaisten tai harvoin esiintyvien sairauksien määrittäminen tapausten lukumäärien perusteella olisi suoraviivaista. Harvinaisista sairauksista näitä tietoja ei kuitenkaan joko ole olemassa tai, jos ne ovat olemassa, rutiininomaisten tietojen kokoamisen perusteella saadut luvut ovat väljiä arvioita, jotka todennäköisesti aliarvioivat todellisen määrän.
- 25 Vaikeudet tarkkojen esiintymis- ja yleisyyslukujen määrittämisessä voivat aiheutua useista syistä: eroista sairauden määrittelemisessä, erityismenetelmien puuttumisesta sellaisten potilaiden seuraamiseksi, jotka kärsivät näistä harvoin esiintyvistä sairauksista, diagnoosien huonosta tarkkuudesta erityisesti vähemmän vakavien sairauksien kohdalla ja lopuksi tietojen vääristymisestä tietojen keräämisen ja niiden analysoinnin välillä.
- 26 Tunnettuja sairauksia jaetaan luokkiin ja alaluokkiin yhä uudelleen. Esimerkiksi syövä erotetaan usein patologisiin luokitteluun, jotta luokitusnumero sopisi harvinaisten syöpätyyppien numeerisiin perusteisiin. Toisaalta vähemmän tunnettujen sairauksien luokitus perustuu usein oireisiin, jotka itse asiassa ryhmittävät useat sairaudet yhteen. Näin tietyt harvoin esiintyvät sairaudet luokitetaan suurempiin yksiköihin.

MÄÄRITTELEMINEN KIINTEÄN LUKUMÄÄRÄN TAI RAJA-ARVON AVULLA

- 27 Yksi keino voittaa ne ongelmat, jotka olennaisesti liittyvät kiinteän lukumäärän käyttämiseen harvinaisten sairauksien määrittelyssä, on raja-arvojen asettaminen. Komission yksiköt ovat keskustelleet tästä kysymyksestä kansallisten asiantuntijoiden kanssa. On keskusteltu useista mahdollisuuksista raja-arvojen määrittämiseksi: kuolleisuusaste, joka ei ylitä tiettyä annettua lukua tietyssä määrässä yhteisön jäsenvaltioita, tai esiintymistiheys, joka ei ylitä tiettyä annettua arvoa, tai sellainen ilmoitettu esiintymistiheys yhteisön asukkaiden keskuudessa, joka ei ylitä tiettyä arvoa. Toinen mahdollisuus saattaisi olla peruste, jonka mukaan tila ei ole sadan yleisimmän sairastuvuutta ja kuolleisuutta Euroopan yhteisössä aiheuttavan syyn joukossa.

EHDOTETTU MÄÄRITELMÄ

- 28 Tätä ohjelmaa varten harvinaiset sairaudet määritellään hengenvaarallisiksi tai kroonisesti heikentäviksi sairauksiksi, joiden esiintymistiheys on niin alhainen, että tarvitaan yhteisiä erityistoimia. Nämä ovat sairauksia, joiden yleisesti hyväksytty esiintymistiheys koko yhteisön väestössä on alle viisi tapausta 10 000 asukasta kohti. Lisäksi tämän ohjelman piiriin kuuluvien sairauksien on oltava sellaisia, joiden kohdalla tarvitaan erityisiä yhteisiä toimia, jotta varmistettaisiin, että ne eivät aiheuta merkittävää syntymää edeltävää tai ennen aikaista sairastuvuutta tai kuolleisuutta taikka yksilön elämänlaadun tai hänen sosiaalis-taloudellisten mahdollisuuksiensa suurta heikkenemistä.

MUUT ASIAAN LIITTYVÄT SEIKAT

- 29 Harkitessamme harvinaisia sairauksia koskevia toimenpiteitä meidän on myös otettava huomioon muut niihin liittyvät yhteisön työn alat kuten harvinaisia tuotteita koskeva tutkimus sekä niiden kehittäminen ja markkinoiminen, mukaan lukien lääkkeet, jotka on etupäässä tarkoitettu harvinaisiin sairauksiin. Kun otetaan huomioon se, että harvinaiset sairaudet koskevat vain pientä määrää ihmisiä, on tarpeen koota riittävän suuri populaatio tutkimustarkoituksiin, esimerkiksi kliinisiä kokeita varten. Yhteisö voi ryhtyä tämän osalta toimenpiteisiin. Teollisuuden taloudellinen mielenkiinto lääkkeiden kehittämiseen pienelle potilasjoukolle on myös rajallista. Tämän vuoksi on tarpeen kannustaa sijoituksia yhteisön teollisuuspolitiikan yhteydessä. Näiden alojen toimenpiteet voivat hyvin täydentää kansanterveyden alalla suoritettavaa työtä.

- 30 Harvinaisten lääkkeiden alalla yhteisön tasolla on suoritettu merkittävä määrä toimenpiteitä. Komissio on esimerkiksi vastikään tukenut tutkimuksia tämän kysymyksen selvittämiseksi yhteisön politiikan muotoilua varten. Vuoden 1995 helmikuussa kutsuttiin koolle asiantuntijaryhmä, joka koostui komission virkamiehistä ja sekä jäsenvaltioiden että muiden maiden asiantuntijoista, pohtimaan tutkimusten tuloksia ja tekemään päätelmiä. Vuoden 1995 kuluessa tätä kysymystä käsiteltiin uudelleen, ja 20 päivänä joulukuuta 1995 annettiin tätä koskeva neuvoston päätöslauselma, jossa komissiota pyydettiin ryhtymään lisätööhön erityisesti harvinaisten tuotteiden kehittämiseksi ja markkinoimiseksi.

IV. YLEISKATSAUS HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVISTA JÄSENVALTIOIDEN TOIMISTA JA KANSAINVÄLISISTÄ TOIMISTA KANSANTERVEYDEN ALALLA

JÄSENVALTIOT

- 31 Useat jäsenvaltiot työskentelevät tiettyjä harvinaisia sairauksia koskevien tietojen, näiden sairauksien havaitsemisen, tunnistamisen, hoitamisen ja ehkäisemisen alalla sekä tukeakseen potilasryhmiä ja vanhempien ryhmiä. Esimerkiksi Yhdistynyt kuningaskunta on perustanut Creutzfeldt-Jakobin tautia koskevan ohjelman, Ranska on perustanut perinnöllisiä sairauksia koskevan tietokeskuksen, ja sillä on eräitä vakiintuneita synnynnäisten epämuodostumien seuranta- ja tarkkailukeskuksia, ja Portugali on erityisen kiinnostunut *paramyloidosiksesta* ja on ryhtynyt sitä koskeviin toimiin.
- 32 Jäsenvaltioilta saatujen tietojen perusteella näyttäisi siltä, että vain muutamat jäsenvaltiot eli Ranska, Ruotsi ja Italia, joka on perustanut harvinaisten sairauksien eurooppalaisen koulun, pyrkivät käsittelemään harvinaisia sairauksia järjestelmällisesti.

KANSAINVÄLISET TOIMET

- 33 Tällä alalla hyvin monella tavoin johtava maa on Yhdysvallat. Vuonna 1983 säädettiin harvinaisia lääkkeitä koskeva laki nopeuttamaan harvinaisten tuotteiden kehittämistä ja markkinointia. Vuonna 1983 perustettiin myös harvinaisten sairauksien kansallinen järjestö (National Organisation for Rare Disorders). Tämä kokoaa yhteen harvinaisista sairauksista kärsiviä henkilöitä tukevat vapaaehtoiset tahot ja auttaa niitä. Vuonna 1985 perustettiin harvinaisten sairauksien kansallinen komissio (National Commission on Orphan Diseases) tarkastelemaan uudelleen tämän alan kansallista politiikkaa. Se julkaisi kertomuksensa vuonna 1989. Sen tärkein suositus oli, että olisi oltava keskitetty toimipiste, joka edistäisi harvinaisten tuotteiden kehittämistä, tutkimusta ja markkinointia. Lisäksi kansalliseen terveysinstituuttiin (National Institute of Health) perustettiin harvinaisten sairauksien osasto (Office of Rare Diseases).

Kolmansien maiden kanssa tehtävän yhteistyön puitteissa ja äskeisen Euroopan unionin ja Yhdysvaltojen yhteisen toimintasuunnitelman seurauksena nämä kaksi osapuolta ovat muun muassa sitoutuneet perustamaan erityisryhmän kehittämään ja toteuttamaan tehokasta maailmanlaajuista varoitusjärjestelmää ja toimenpideverkkoa tarttuvia tauteja, esimerkiksi harvinaisia sairauksia, varten samalla kuin ne tekevät yhteistyötä terveyteen liittyvissä ohjelmissa ja tutkimusalalla.

V. YLEISKATSAUS HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVISTA YHTEISÖN TOIMISTA

NEUVOSTO

- 34 20 päivänä joulukuuta 1995 antamassaan päätöslauselmassa² neuvosto ja neuvostossa kokoontuneet terveysministerit kehottivat komissiota läheisessä yhteistyössä jäsenvaltioiden toimivaltaisten viranomaisten kanssa kartoittamaan jäsenvaltioissa, yhteisössä ja kansainvälisissä järjestöissä olevan tiedon ja kokemuksen sekä tutkimaan harvinaisten lääkkeitten tilannetta Euroopassa harvinaisten sairauksien yhteydessä.

EUROOPAN PARLAMENTTI

- 35 Päätöslauselmassaan A4-0311/95³ keskipitkän ajan sosiaalisesta toimintaohjelmasta 1995 - 1997 parlamentti pyysi komissiota esittämään asianmukaisten menettelyjen mukaisesti kansanterveystyön toimintakehystä koskevassa komission tiedonannossa harvinaisia sairauksia koskevan ennakoidun toimintaohjelman.

TALOUS- JA SOSIAALIKOMITEA

- 36 Laaja-alaisessa 6 päivänä heinäkuuta 1994 antamassaan lausunnossa komission kansanterveyden toimintakehystä koskevasta tiedonannosta se kehotti komissiota omaksumaan laajan lähestymistavan aiheeseen ja korosti harvinaisten sairauksien merkitystä.

² EYVL N:o C 350, 30.12.95, s. 5

³ EYVL N:o C 32, 5.2.96, s. 15-24

VI. YHTEISÖN TOIMINTASUUNNITELMA

EUROOPAN YHTEISÖN TIEDOT HARVINAISISTA SAIRAUKSISTA

- 37 Tarkat tiedot ovat välttämättömiä, jotta voidaan varmistaa se, että harvinaisiin sairauksiin käydään tehokkaasti käsiksi. Jokainen harvinaisesta sairaudesta kärsivä tarvitsee välittömimmin tarkkaa diagnoosia, jota seuraa tiiviisti hoidon ja tukipalvelujen tarve. Kun diagnoosi on tehty, potilaat ja heidän perheensä haluavat kiihkeästi saada selville kaiken, mitä heidän sairaudestaan tiedetään, ja heistä tulee usein sen asiantuntijoita. He haluavat tietoja sairauden syystä, ennusteesta, perinnöllisestä perustasta (jos sellainen on) ja sairauden tulevista ilmenemismuodoista, tehokkaiden hoitokeinojen olemassaolosta tai, ellei sellaisia ole, tietoja siitä, miten sairauden kanssa voi tulla toimeen, samoin kuin tietoja tämänhetkisestä tutkimustyöstä. Potilaat haluavat tietoja myös tukiryhmistä sekä hoito- ja muista keskuksista.
- 38 Kaikki tällaiset tiedot ovat hyvin hajallaan, jos niitä ylipäänsä on. Olemassa olevat tiedot voivat lisäksi liittyä sairauteen yleensä tai tiettyyn ihmisryhmään, mutta ne saattavat koskea myös tiettyä yksilöä, mikä edellyttää aiheellisia luottamuksellisuuden säilyttämiseen tähtääviä suojatoimia. Lisäongelman muodostaa se, että monet muutkin ryhmät kuin ne, joita tietty yksittäinen tapaus suoraan koskee, tarvitsevat enemmän tai vähemmän yksityiskohtaisia tietoja sairaudesta. Heihin kuuluvat lääkärit ja tutkijat, valtion laitokset, potilaiden tukiryhmät ja lääketeollisuus.
- 39 Kun otetaan huomioon perinnöllisyystieteessä tapahtunut suuri edistys ja nykyiset vaikeudet ajan tasalla olevien tietojen saamisessa harvinaisista sairauksista, joista edellä on kerrottu, tarvitaan ehdottomasti yhteisön harvinaisia sairauksia koskeva tietokanta ja järjestelmä tietojen kokoamiseksi ja levittämiseksi.
- 40 Tällaisen yhteisön järjestelmän kehittämisen on tapahduttava läheisessä yhteistyössä yhteisön telematiikkaohjelman kanssa. Sen avulla voisi olla helpompi määritellä tietokannan ja järjestelmän tekniset vaatimukset sekä tehokkaimmat menetelmät tietojen levittämiseksi eri eturyhmille ja jäsenvaltioiden asianomaisille laitoksille. Telemaattinen alalla työskentelevät yhdistävä verkko tarjoaisi myös keinon yksilöidä asiaan liittyvä tutkimustyö ja tutkijat sekä vaihtaa tietoja.

- 41 Yhteisön toimien tavoitteena voisi olla parempien tietojen tarjoaminen harvinaisista sairauksista erityisesti potilaille, terveydenhoidon ammattilaisille ja tutkijoille.
- 42 Tämän tavoitteen saavuttamiseksi tehtäviin toimiin voisi sisältyä
- eurooppalaisen harvinaisia sairauksia koskevan tietokannan perustamisen edistäminen ja tukeminen; tietokantaan kirjattaisiin sairauden nimi, sen synonyymit, yleiskuvaus häiriöstä, oireet, syyt, käytettävissä olevat diagnostiset kokeet, sairauden kohteeksi joutunut väestö, vakiohoidot, tutkimukselliset hoidot (jos niitä on) ja luettelo tahoista, joihin voidaan ottaa yhteyttä lisätietojen saamiseksi kyseisestä tilasta
 - tiedonsaannin parantaminen ja olemassa olevien tietojärjestelmien ja -palvelujen yhteensovittaminen tukemalla verkostojen perustamista ja lujittamista paikallisella, alueellisella, kansallisella sekä yhteisön tasolla
 - yhteisten kokousten järjestäminen terveydenhoidon ammattilaisille harvinaisten sairauksien varhaisen havaitsemisen, tunnistamisen, hoidon ja ehkäisemisen parantamiseksi.

POTILAAN JA PERHEEN TUKIRYHMÄT

- 43 Näillä järjestöillä on laaja tehtävä. Ne tukevat tiedon ja kokemusten kokoamista, levittämistä ja vaihtamista, edistävät julkista tietoisuutta ja kannustavat tutkimustyöhön sekä nostavat esiin eettisiä kysymyksiä. Ne tarjoavat myös yksityisille henkilöille neuvoja ja huolehtivat potilaiden oikeuksien suojaamisesta esimerkiksi silloin, kun kyseessä on luottamuksellisuus tai saatujen tietojen perusteella annettu suostumus klinisiin toimenpiteisiin. Näiden potilaiden tukiryhmien kehittämistä on edistettävä niin, että ne kattavat kunnolla yhteisön kaikki alueet, ja niiden yhteistyötä on kannustettava alueellisella ja kansallisella tasolla sekä Euroopan tasolla. On myös perustettava yhteisön tasolla yksi tai useampia kattojärjestöjä, jotka voivat toimia tietokeskuksina sekä yhteys- ja tukitehtävissä. On jo olemassa joitakin järjestöjä kuten Euroopan geneettisten tukiryhmien liitto (European Alliance of Genetic Support Groups - EAGS), jotka saattaisivat pystyä kehittämään toimintaansa tällä tavoin.
- 44 Yhtenä yhteisön toimien tavoitteena voisi olla sellaisten vapaaehtoisjärjestöjen perustaminen, edistäminen ja lujittaminen, jotka tukisivat harvinaisten sairauksien, kuten erilaisten hermostollisesti rappeuttavien tilojen, suoraan tai epäsuorasti vaivaamia ihmisiä.

- 45 Tämän tavoitteen saavuttamiseksi suoritettaviin toimiin voisi sisältyä
- samoista harvinaisista tiloista kärsivien tai niiden kanssa ammatinsa puolesta tekemisissä olevien ihmisten ryhmien perustamisen edistäminen, jotta levitetäisiin näiden henkilöiden kokemuksia, helpotettaisiin koulutusta ja yhteensovitettaisiin heidän toimiaan kansallisella tasolla ja yhteisön tasolla
 - ryhmien yhteistyön ja verkottumisen edistäminen sekä yleisjärjestöjen perustaminen ja vaaliminen keskittymällä erityisesti työn jatkuvuuden ja ylikansallisen yhteistyön kannustamiseen.

HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN KLUSTERIEN KÄSITTELY

- 46 Tapausryhmien tehokas käsittely edellyttää ongelman analysointia, arviointia ja hallintaa sekä selkeää viestintää väestölle. Tällaiset toimet ovat sekä välttämättömiä että vaikeita. Niiden välttämättömyys on selvää, koska on määriteltävä kaikki paikalliset tekijät, jotka ovat saattaneet aiheuttaa tautiklusterin tai myötävaikuttaa siihen. Se on kuitenkin myös vaikeata, koska on monia syitä, joiden vuoksi tautiklusteri on tunnistettava, ja kaikkia mahdollisuuksia on harkittava ja tutkittava, ennen kuin ehdotetaan tiettyä syy-yhteyttä. Tautiklustereita ilmenee kuitenkin vain harvoin jollain tietyllä alueella. Tämä tarkoittaa sitä, että yksittäisessä tapauksessa mukana olevilla on vain vähän mahdollisuuksia hankkia tarvittavaa kokemusta.
- 47 Tässä tilanteessa olisi hyödyllistä perustaa yhteisöön "Harvinaisten sairauksien ryhmiä käsitteleviä asiantuntijaryhmiä" (Rare Disease Cluster Response Teams). Ryhmissä olisivat mukana ne, joilla on asiaan liittyvää kokemusta, joka voitaisiin asettaa käytettäväksi kulloistenkin paikallisviranomaisten avuksi. Viime aikoina Creutzfeldt-Jakobin taudista saadut kokemukset osoittavat tällaisen lähestymistavan tarvetta, jotta voidaan parhaalla mahdollisella tavalla hyödyntää riskien arvioinnista ja hallinnasta saatu vähäinen asiantuntemus.
- 48 Harvinaisten sairauksien ryhmistä on tarpeen luoda tiettyjen harvinaisten sairauksien tai toisiinsa liittyvien sairausryhmien yhteyspisteiden verkkoja, jotka voisivat auttaa varoittamalla ajoissa mahdollisista ongelmista, yhteensovittaa tautiklusterien tutkimista ja tarjota asiantuntijaryhmille aiheellisia tietoja, esimerkiksi odotettavissa olevista esiintymistasoista. Nämä yhteyspisteet tarvitsevat korkeatasoista asiantuntijuutta epidemiologiassa ja tilastotieteessä sekä harvoin esiintyvistä sairauksista saatavissa olevat epidemiologiset tiedot sekä yhteisön tasolla toimivilta että paikallisesti ja alueellisesti toteutetuilta seuranta- ja tarkkailuohjelmilta.

- 49 Kuten edellä on mainittu, harvinaisten sairauksien epidemiologiset tiedot eivät tällä hetkellä ole kattavat. Nämä tiedot riippuvat tehokkaista seuranta- ja tarkkailuohjelmista. Suurin osa harvinaisista sairauksista on synnynnäisiä häiriöitä, ja tällä alalla on perustettu seuranta- ja tarkkailuohjelma: EUROCAT. Tähän yhteiseen toimintaohjelmaan kuuluu pääasiassa jäsenvaltioista tulevia osallistujia, jotka tutkivat väestöä paikallisesti ja joskus alueellisesti ja jotka tutkivat synnynnäisten epämuodostumien määrää, tyyppiä ja mahdollisia syitä ehkäistäkseen niitä. Komissio osallistuu EUROCAT:in rahoittamiseen. Jäsenvaltioissa on muita synnynnäisten epämuodostumien seurantaohjelmia, ja yhteistyö näiden ohjelmien ja muita harvinaisten sairauksien (ryhmiä) seuraavien ohjelmien välillä on välttämätöntä, jotta saatavilla olevat tiedot saataisiin mahdollisimman hyvään käyttöön ja mahdollisimman hyvin analysoiduiksi.
- 50 Yhteisön toimien tavoitteena olisi huolehtia tautiklusteriongelman tehokkaasta käsittelystä, mikä on ratkaisevan tärkeää harvinaisten sairauksien osalta.
- 51 Tämän tavoitteen saavuttamiseksi suoritettaviin toimiin voisi sisältyä
- (erityistä huomiota vaativien) harvinaisten sairauksien, mukaan lukien synnynnäisten epämuodostumien, geneettisten häiriöiden tai eri elinjärjestelmien sairauksien seurannan tukeminen sekä harvoin esiintyviin sairauksiin liittyvien tekniikoiden tukeminen toisaalta toteamisen, hoidon ja tutkimuksen tarpeiden ja toisaalta asianmukaisen tilastollisen seurannan vaatimusten täyttämiseksi
 - harvinaisten sairauksien asiantuntijaryhmien muodostamisen edistäminen ja erikoiskoulutuksen järjestäminen tautiklusterien tutkijoille
 - tarkkailujärjestelmien perustaminen ja mahdollisten tautiklusterien varhainen toteaminen ja
 - asiantuntemuksen vaihdon kannustaminen ulkoisiin syihin yhdistettävien harvinaisten sairauksien klusterien arvioinnissa, niihin liittyvässä viestinnässä ja niiden hallinnassa.

HARVINAISET TUOTTEET

- 52 Lääketuotteiden valvontaa ja lupamenettelyä koskevan yhteisön työn yhteydessä valmistellaan lainsäädäntöehdotusta, jonka tarkoituksena on tarjota oikeudelliset puitteet "harvinaisille lääkkeille". Se kattaa seuraavat alueet: harvinaisten lääkkeiden nimeämisen, tutkimustuen, markkinoille pääsyn ja valvonnan mukaan lukien lääkeainevalvonnan.

Tämän ehdotuksen osana komissio aikoo ehdottaa näiden tuotteiden määritelmää seuraavasti: kaikki lääkevalmisteina esitetyt aineet tai aineyhdistelmät

- joita käytetään ihmisten hengenvaarallisten tai kroonisesti vammauttavien sairauksien hoitamiseen, ehkäisemiseen tai diagnosointiin
- kun kyseisen sairauden ilmeneminen vaikuttaa korkeintaan viiteen ihmiseen 10 000:sta Euroopan yhteisössä ja
- kun kaupallinen tuotto on riittämätön.

HARVINAISIA SAIRAUKSIA JA HARVINAISIA TUOTTEITA KOSKEVA EUROOPAN YHTEISÖN TUTKIMUS

- 53 Tutkimusta ja teknologista kehittämistä koskeva neljäs puiteohjelma (1994 - 1998)⁴, erityisesti biolääketieteen ja terveyden tutkimusohjelma (BIOMED 2) ja sen alue I "lääkealan tutkimus" ja alue 4.6 "harvinaisten sairauksien tutkimus", kattaa tutkimuksen harvinaisten lääkkeiden kehittämiseksi sekä tukee harvinaisia sairauksia koskevaa perustutkimusta ja kliinistä tutkimusta.
- 54 Harvinaisten sairauksien alalla tutkimustehtäviin sisältyy diagnostisten perusteiden, syiden ja perinnöllisten näkökohtien sekä ehkäisymenetelmien määrittelemineen. Tässä painotetaan Euroopan epidemiologisten havaintoasemien, tietoverkkojen ja harvinaisten sairauksista kärsivien potilaiden rekisterin perustamisessa, jotta lisättäisiin käytössä olevan harvinaisia sairauksia koskevan tiedon määrää.
- 55 Lääkealan tutkimuksen tavoitteena on tukea harvinaisten sairauksien hoitoa koskevaa tutkimusta, mukaan lukien menetelmät harvinaisten lääkkeiden nopeaksi kehittämiseksi sekä saatavilla olevien harvinaisten lääkkeiden varastot Euroopassa.

VII. NEUVOTTELUT, ARVIOINTI JA KERTOMUKSET

NEUVOTTELUT

- 56 Tämän ohjelman toimet toteutetaan läheisessä yhteistyössä jäsenvaltioiden kanssa erityisesti niiden politiikkojen ja ohjelmien yhteensovittamisen osalta. Tämän helpottamiseksi komissio ehdottaa jäsenvaltioiden edustajista koostuvan neuvoo-antavan komitean perustamista. Tarvittavia yhteyksiä pidetään yllä myös WHO:hon, muihin asiaankuuluviin kansainvälisiin järjestöihin ja kolmansiin maihin ohjelman toimien vaatimusten mukaisesti.

⁴ Päätös 94/1110/EY, 26.4.1994, EYVL N:o L 126, 18.5.1994, s.1, sellaisena kuin se on muutettuna päätöksellä 96/616/EY, 25.3.1996, EYVL N:o L 86, 4.4.1996 s.69

ARVIOINTIKERTOMUKSET

57 Ohjelman arviointi esitetään kahdessa kertomuksessa:

- keskilälin kertomus neuvostolle, Euroopan parlamentille, talous- ja sosiaalikomitealle sekä alueiden komitealle. Keskilälin kertomuksen tarkoituksena on huolehtia siitä, että yhteisön toimielimet ja niiden kautta kaikki ne, joita asia koskee, pysyvät täysimääräisesti ajan tasalla suoritettujen toimien edistymisestä. Siihen sisältyy tietoja eri toimien nojalla tuetuista hankkeista.
- ohjelman päättymisen jälkeen komissio toimittaa edellä mainituille toimielimille ohjelman toteuttamista koskevan loppukertomuksen, johon sisältyy arviointi suoritetuista toimista.

YLEISET TIEDOTUSTOIMET

- 58 Komissio huolehtii siitä, että suoritettuja toimia koskevat kertomukset ovat asianosaisten ja suuren yleisön saatavilla.
- 59 Yhteisön tulevilla harvinaisia sairauksia koskevissa kansanterveystoimissa on otettava huomioon olemassa oleva suuri työäärä, erityisesti Euroopan yhteisön perustamissopimuksen 129 ja 130 f artiklan nojalla suoritettu työ. Perustamissopimuksen 129 artiklan mukaisesti yhteisö myötävaikuttaa ihmisen terveyden korkeatasoiseen suojeluun kannustamalla jäsenvaltioiden välistä yhteistyötä, tukemalla niiden toimia sekä parantamalla läheisessä yhteistyössä niiden kanssa niiden politiikkojen ja ohjelmien yhteensovittamista sekä edistämällä yhteistyötä kolmansien maiden ja kansanterveyden alalla toimivaltaisten kansainvälisten järjestöjen kanssa.

EHDOTUS:
EUROOPAN PARLAMENTIN JA NEUVOSTON PÄÄTÖS

harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman
hyväksymisestä vuosiksi 1999-2003
kansanterveyden toimintakehyksessä

PERUSTELUT

- 1 Kansanterveyden toimintakehyksestä 24 päivänä marraskuuta 1993 KOM(93) 559 lopullinen antamassaan tiedonannossa komissio määritteli ne periaatteet ja sen strategian, joita olisi seurattava toteutettaessa yhteisön toimia Euroopan yhteisön perustamissopimuksen 3 artiklan 6 kohdassa ja 129 artiklassa määrättyjen terveyden suojelun tavoitteiden saavuttamiseksi.
- 2 Yhteisön tehtäväksi on määritetty jäsenvaltioiden kansanterveyden alalla suorittamien toimien tukeminen, avustaminen tavoitteiden ja strategioiden muotoilussa ja toteuttamisessa sekä terveyden suojelun edistäminen kaikkialla yhteisössä niin, että tavoitteena ovat yhteisön jossakin osassa tietyllä alalla jo saavutetut parhaat tulokset.
- 3 Perustamissopimuksen 129 artiklan mukaisesti komissio esittää Euroopan parlamentin ja neuvoston hyväksyttäviksi ehdotukset edistämistoimiksi, joiden tarkoituksena on osaltaan varmistaa ihmisten terveyden korkeatasoinen suojelu.
- 4 Edellä mainitussa komission tiedonannossa esitetään perusteet, joiden pohjalta määritetään yhteisön toimintaohjelmien ensisijaiset alat. Näiden perusteiden mukaisesti harvinaiset sairaudet määritettiin tällaiseksi ensisijaiseksi alaksi.
- 5 Tämä komission ehdotus, joka perustuu 129 artiklaan ja josta ilmoitettiin jo komission työohjelmassa vuodelle 1996, kuuluu yhteisön ja jäsenvaltioiden yhteistä toimivaltaa koskevan periaatteen alle, ja sillä pyritään parantamaan tietoa harvinaisista sairauksista, potilasryhmille annettavaa tukea sekä harvinaisten sairauksien klusterien riskianalyysiä ja riskien hallintaa. Tämä yhteisön toiminta noudattaa toissijaisuus- ja suhteellisuusperiaatetta.
- 6 Toissijaisuusperiaatteen mukaisesti aloilla, jotka eivät kuulu yhteisön yksinomaisen toimivallan piiriin, kuten harvinaisia sairauksia koskevat toimet, yhteisö toimii vain siinä tapauksessa ja siinä laajuudessa, kuin jäsenvaltiot eivät voi riittävällä tavalla toteuttaa suunnitellun toiminnan tavoitteita, jotka suunnitellun toiminnan laajuuden tai vaikutusten takia voidaan tämän vuoksi toteuttaa paremmin yhteisön tasolla.

- 7 Harvinaisia sairauksia ovat sairaudet, joiden yleisesti hyväksytty esiintyvyys koko yhteisön väestössä on alle viisi tapausta 10 000 asukasta kohti. Tässä ohjelmassa nimenomaisesti käsitellyt sairaudet ovat niitä, joissa tarvitaan yhteensovitettuja erityistoimenpiteitä, jotta huolehdittaisiin siitä, että ei aiheudu merkittävää syntymää edeltävää tai ennen aikaista sairastuvuutta tai kuolleisuutta eikä suurta yksilön elämänlaadun tai sosio-ekonomisten mahdollisuuksien menetystä.
- 8 Ehdotettu viisivuotinen toimintasuunnitelma pyrkii täydentämään jäsenvaltioissa meneillään olevaa työtä toimin, jotka kohdistuvat väestöön, terveydenhoidon ammattilaisiin ja viranomaisiin.
- 9 Kun otetaan huomioon käytettävissä olevat rajalliset voimavarat, ei olisi käytännöllistä, että yhteisön kansanterveysohjelma käsitelisi kaikkia noin 5 000 harvinaista sairautta ja harvinaisten sairauksien kaikkia näkökohtia.
- 10 Valittaessa ohjelmaan sisällytettäviä tavoitteita ja määriteltäessä siihen sisällytettäviä toimia on otettu huomioon tällä hetkellä jäsenvaltioissa ja yhteisön tasolla vallitseva tilanne ohjelman kattamalla alalla. Ohjelman tarkoituksena on nopeuttaa ja tehostaa tietotuen jakamista potilasryhmille ja kattojärjestöille, perustaa tehokkaat tautiklustereita käsittelevät asiantuntijaryhmät sekä lisätä jäsenvaltioiden yhteistyötä. Näin vältetään tarpeeton päällekkäinen työ ja nopeutetaan parhaan ratkaisun käyttöön ottamista näitä sairauksia koskeviin ja kaikille jäsenvaltioille yhteisiin ongelmiin.
- 11 Lopuksi perusteella lisäarvon tuomisesta yhteisön tasolla on erityistä merkitystä harvinaisten sairauksien ollessa kyseessä, koska kaikki kyseiset toimet ovat mittakaavaltaan ja vaikutukseltaan siinä määrin ainutlaatuisia, että ne tuovat lisäarvoa kaikille jäsenvaltioille.
- 12 Tämä ohjelma toteutetaan Euroopan parlamentin ja neuvoston 129 artiklan nojalla tekemän päätöksen perusteella. Se ei kuulu yhteisön yksinomaisen toimivallan piiriin eikä se vaadi ohjelman kattamalla alalla annettujen kansallisten säännösten yhdenmukaistamista.
- 13 Ohjelman nojalla suoritettujen toimien arviointi suoritetaan kahdessa kertomuksessa: edistystä tarkastelevassa keskivaiheen kertomuksessa ja lopullisessa kertomuksessa ohjelman toteuttamisesta. Näihin kertomuksiin sisältyy tietoja yhteisön rahoituksesta toimien eri aloilla samoin kuin arvioinnin tulokset. Ne toimitetaan neuvostolle ja Euroopan parlamentille sekä talous- ja sosiaalikomitealle ja alueiden komitealle.

EHDOTUS:
EUROOPAN PARLAMENTIN JA NEUVOSTON PÄÄTÖS

**harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman hyväksymisestä vuosiksi
1999-2003 kansanterveyden toimintakehyksessä**

EUROOPAN PARLAMENTTI JA EUROOPAN UNIONIN NEUVOSTO, jotka

ottavat huomioon Euroopan yhteisön perustamissopimuksen, ja erityisesti sen 129 artiklan,

ottavat huomioon komission ehdotuksen¹,

ottavat huomioon talous- ja sosiaalikomitean lausunnon²,

ottavat huomioon alueiden komitean lausunnon³,

toimivat perustamissopimuksen 189 b artiklassa tarkoitettujen menettelytapojen mukaisesti,

sekä katsovat, että

1. jo harvoin esiintyvien sairauksien ja tilojen harvinaisuus sinänsä sekä tästä aiheutuva niitä koskevien tietojen puute voi johtaa siihen, että näistä tiloista kärsivät eivät saa tarvitsemiaan terveydenhoidon voimavaroja ja terveystalvveluja,
2. tätä ohjelmaa varten harvinaiset sairaudet määritellään hengenvaarallisiksi tai kroonisesti heikentäviksi sairauksiksi, joiden esiintymistiheys on niin alhainen, että niitä varten tarvitaan yhteisiä erityistoimia,
3. perustamissopimuksen 3 artiklan o kohdan mukaisesti yhteisön toimien on myötävaikutettava terveyden korkeatasoiseen suojeluun,
4. perustamissopimuksen 129 artiklassa määrätään nimenomaisesti yhteisön toimivallasta tällä alalla siinä laajuudessa kuin yhteisö myötävaikuttaa siihen rohkaisemalla jäsenvaltioiden välistä yhteistyötä sekä tarvittaessa tukemalla niiden toimintaa, edistämällä niiden politiikkojen ja ohjelmien yhteensovittamista ja edistämällä yhteistyötä kolmansien maiden sekä kansanterveyden alalla toimivaltaisten kansainvälisten järjestöjen kanssa; yhteisön toiminnan olisi suuntauduttava tautien ehkäisemiseen sekä terveysvalistuksen ja -kasvatuksen edistämiseen,

¹ EYVL N:o

² EYVL N:o

³ EYVL N:o

5. harvinaiset sairaudet on määritelty yhteisön toiminnan ensisijaiseksi alaksi kansanterveyden toimintakehyksessä⁵,
6. päätöslauselmassaan (A4-0311/95) keskipitkän ajan sosiaalisesta toimintaohjelmasta 1995-1997⁶ parlamentti pyysi komissiota esittämään aiheellisten menettelyjen mukaisesti kansanterveyden toimintakehyksestä annetussa komission tiedonannossa ennakoidun harvinaisia sairauksia koskevan toimintaohjelman,
7. toissijaisuusperiaatteen mukaisesti aloilla, jotka eivät kuulu yhteisön yksinomaisen toimivallan piiriin, kuten harvinaisia sairauksia koskevat toimet, yhteisö toimii vain siinä tapauksessa ja siinä laajuudessa, kuin jäsenvaltiot eivät voi riittävällä tavalla toteuttaa suunnitellun toiminnan tavoitteita, jotka suunnitellun toiminnan laajuuden tai vaikutusten takia voidaan tämän vuoksi toteuttaa paremmin yhteisön tasolla,
8. yhteisö voi tuoda lisäarvoa jäsenvaltioiden harvinaisia sairauksia koskeville toimille koordinoimalla kansallisia toimenpiteitä, levittämällä tietoa ja kokemuksia, luomalla yhteiset ensisijaiset tavoitteet, kehittämällä asiaankuuluvia verkkoja ja valitsemalla eurooppalaisia yhteisönlajuisia hankkeita sekä motivoimalla ja aktivoimalla kaikkia asianosaisia,
9. yhteistyötä kansanterveyden alalla toimivaltaisten kansainvälisten järjestöjen ja kolmansien maiden kanssa olisi edistettävä,
10. tukemalla parempien tietojen ja paremman käsityksen saamista sekä laajempaa tietojen levittämistä harvinaisista sairauksista sekä kehittämällä olemassa olevia yhteisön ohjelmia ja toimia täydentävää toimintaa samalla tarpeetonta päällekkäisyyttä välttämällä ohjelmaa edistää 129 artiklassa määrättyjen yhteisön tavoitteiden saavuttamista,
11. suoritettuja toimia olisi ohjelman arvon ja vaikutuksen lisäämiseksi arvioitava jatkuvasti erityisesti toimien tehokkuuden ja asetettujen tavoitteiden saavuttamisen kannalta ja aiheellisissa tapauksissa tarvittavien mukautusten tekemiseksi,
12. ohjelman keston olisi oltava viisi vuotta, jotta olisi riittävästi aikaa toimien suorittamiselle asetettujen tavoitteiden saavuttamiseksi,
13. erityisten yhteisön järjestelyjen käyttöönotto auttaa varmistamaan sen, että kaikille jäsenvaltioille ilmoitetaan nopeasti hätätilanteesta niin, että väestönsuojelu voidaan varmistaa,
14. nämä yhteisön järjestelyt tietojen nopeaksi vaihtamiseksi eivät vaikuta jäsenvaltioiden oikeuksiin tai velvollisuuksiin perustamissopimusten tai kahdensivälisen ja monenvälisen yleissopimusten nojalla,

⁵ KOM (93) 559 lopullinen

⁶ EYVL N:o C 32 05.02.96, s. 15 - 24

15. Euroopan parlamentti, neuvosto ja komissio ovat tehneet 20 päivänä joulukuuta 1994 sopimuksen yhteistoimintatavasta EY:n perustamissopimuksen 189 b artiklassa määrätyn menettelyn mukaisesti annettujen säädösten täytäntöönpanomenettelyssä,
16. tällä päätöksellä asetetaan taloudellinen kehys, joka muodostaa pääasiallisen viitteen budjettivallan käyttäjälle vuosittaisessa talousarviomenettelyssä Euroopan parlamentin, neuvoston ja komission 6 päivänä maaliskuuta 1995 antaman julistuksen 1 kohdan merkityksessä,
17. yhteisön rahoitusnäkymät ovat voimassa vuoteen 1999, jonka jälkeen niitä on tarkistettava, ja
18. taloudellinen kehys ohjelman neljäksi viimeiseksi vuodeksi (2000-2003) määritetään sen jälkeen, kun tulevat rahoitusnäkymät on vahvistettu,

OVAT PÄÄTTÄNEET SEURAAVAA:

1 artikla

Ohjelman perustaminen

1. Täten hyväksytään harvinaisia sairauksia koskeva yhteisön ohjelma, jäljempänä 'tämä ohjelma', 1 päivästä tammikuuta 1999 31 päivään joulukuuta 2003 väliseksi ajaksi kansanterveyden toimintakehyksanterveyden toimintakehyksen yhteydessä.
2. Tämän ohjelman tarkoituksena on osaltaan taata korkeatasoinen terveyden suojelu harvinaisten sairauksien osalta antamalla tietoa näistä sairauksista, edistämällä ja lujittamalla potilaiden tukiryhmiä ja edistämällä tautiklustereita käsittelevien asiantuntijaryhmien perustamista.
3. Tämän ohjelman nojalla toteutettavat toimet ja niiden erityistavoitteet on esitetty liitteessä seuraavien otsikoiden alla:
 - 1) Toimet harvinaisia sairauksia koskevien yhteisön tietojen osalta
 - 2) Toimet potilaiden ja perheiden tukiryhmien tukemiseksi
 - 3) Toimet harvinaisten sairauksien klustereiden käsittelemiseksi

2 artikla

Täytäntöönpano

1. Komissio huolehtii läheisessä yhteistyössä jäsenvaltioiden kanssa liitteessä lueteltujen toimien täytäntöönpanosta.
2. Komissio toimii yhteistyössä harvinaisten sairauksien alalla toimivien laitosten ja järjestöjen kanssa.

3 artikla

Talousarvio

1. Tämän ohjelman täytäntöönpanon taloudellinen kehys vuodeksi 1999 on 1,3 miljoonaa ecua nykyisten rahoitusnäkyvien mukaisesti. Ohjelman neljän viimeisen vuoden (2000-2003) taloudellinen kehys määrätään yksityiskohtaisesti sen jälkeen, kun seuraavat rahoitusnäkymät on vahvistettu.
2. Budjettivallan käyttäjä määrää vuotuiset määrärahat rahoitusnäkyvien mukaisesti.

4 artikla

Yhdenmukaisuus ja täydentävyys

Komissio huolehtii siitä, että tämän ohjelman nojalla suoritettavat yhteisön toimet ja muiden asiaan liittyvien yhteisön ohjelmien ja toimien nojalla suoritettavat toimet ovat yhdenmukaisia ja täydentävät toisiaan.

5 artikla

Komitea

1. Komissiota avustaa tämän toimintasuunnitelman täytäntöönpanossa neuvoa-antava komitea, jäljempänä 'komitea', joka muodostuu jäsenvaltioiden edustajista ja jonka puheenjohtajana toimii komission edustaja.
2. Komission edustaja toimittaa komitealle ehdotuksen tarvittavista toimenpiteistä, jotka koskevat erityisesti
 - (a) perusteluja ja menettelyjä, jotka liittyvät hankkeiden valitsemiseen ja rahoittamiseen tämän ohjelman mukaisesti,
 - (b) arviointimenettelyä.

Komitea antaa, tarvittaessa äänestettyään, lausuntonsa ehdotuksesta määräajassa, jonka puheenjohtaja voi asettaa asian kiireellisuuden mukaan.

Lausunto merkitään pöytäkirjaan; lisäksi jokaisella jäsenvaltiolla on oikeus pyytää, että sen kanta merkitään pöytäkirjaan.

Komission on, niin suurelta osin kuin mahdollista, otettava huomioon komitean lausunto. Sen on ilmoitettava komitealle, millä tavoin lausunto on otettu huomioon.

Komission edustajan on ilmoitettava komitealle jatkuvasti komission ehdotuksista tai yhteisön aloitteista ja ohjelmien täytäntöönpanosta muilla politiikan aloilla, jotka ovat tärkeitä tämän ohjelman tavoitteiden saavuttamisen kannalta.

6 artikla

Kansainvälinen yhteistyö

1. Tätä ohjelmaa täytäntöönpannassa edistetään yhteistyötä kolmansien maiden sekä kansanterveyden alalla toimivaltaisten kansainvälisten järjestöjen kanssa.
2. Tähän ohjelmaan voivat osallistua Keski-Euroopan assosioituneet maat niiden ehtojen mukaisesti, joista määrätään näiden maiden yhteisön ohjelmiin osallistumista koskeissa assosiointisopimuksissa tai niihin liittyvissä lisäpöytäkirjoissa. Tähän ohjelmaan voivat osallistua Kypros ja Malta lisämäärärahojen perusteella samojen sääntöjen mukaisesti, joita sovelletaan EFTA-maihin, näiden maiden kanssa sovittavien menettelyjen mukaisesti.

7 artikla

Seuranta ja arviointi

1. Tämän päätöksen täytäntöönpanossa komissio toteuttaa tarvittavia toimenpiteitä varmistaakseen ohjelman seurannan ja jatkuvan arvioinnin ottaen huomioon 1 artiklassa ja liitteessä tarkoitetut yleiset ja erityiset tavoitteet.
2. Komissio esittää ohjelman kolmantena vuonna Euroopan parlamentille ja neuvostolle arviointikertomuksen.
3. Komissio toimittaa Euroopan parlamentille ja neuvostolle lopullisen kertomuksen tämän ohjelman päättyessä.
4. Komissio sisällyttää näihin kertomuksiin tietoja yhteisön rahoituksesta toimien eri aloilla sekä täydentävyydestä muiden 4 artiklassa tarkoitettujen toimien kanssa sekä arviointien tulokset. Se toimittaa nämä myös talous- ja sosiaalikomitealle sekä alueiden komitealle.

Tehty Brysselissä

Euroopan parlamentin puolesta
Puhemies

Neuvoston puolesta
Puheenjohtaja

LIITE

ERITYISTAVOITTEET JA -TOIMET

I. TOIMET HARVINAISIA SAIRAUKSIA KOSKEVIEN YHTEISÖN TIETOJEN OSALTA

Tavoite: hankkia tietoja harvinaisista sairauksista erityisesti potilaita, terveydenhoidon ammattilaisia ja tutkijoita varten.

1. Eurooppalaisen harvinaisia sairauksia koskevan tietokannan perustamisen edistäminen ja tukeminen; tietokantaan kirjattaisiin sairauden nimi, sen synonyymit, yleiskuvaus, oireet, syyt, sairauden kohteeksi joutunut väestö, vakiohoidot, tutkimukselliset hoidot (jos niitä on) ja luettelo tahoista, joihin voidaan ottaa yhteyttä lisätietojen saamiseksi kyseisestä tilasta.
2. Tiedonsaannin parantaminen ja olemassa olevien tietojärjestelmien ja -palvelujen yhteensovittaminen tukemalla verkostojen perustamista ja lujittamista paikallisella, alueellisella, kansallisella sekä yhteisön tasolla.
3. Yhteisten kokousten järjestäminen terveydenhoidon ammattilaisille harvinaisten sairauksien varhaisen havaitsemisen, tunnistamisen, hoidon ja ehkäisemisen parantamiseksi.

II. TOIMET POTILAAN JA PERHEEN TUKIRYHMIEN TUKEMISEKSI

Tavoite: perustaa, edistää ja lujittaa vapaaehtoisjärjestöjä, jotka tukevat harvinaisista sairauksista suoraan tai epäsuorasti kärsiviä ihmisiä.

4. Samoista harvinaisista tiloista kärsivien tai niiden kanssa ammattinsa puolesta tekemisissä olevien ihmisten ryhmien perustamisen edistäminen, jotta levitettäisiin näiden henkilöiden kokemuksia, helpotettaisiin koulutusta ja yhteensovitettaisiin heidän toimiaan kansallisella tasolla ja yhteisön tasolla.
5. Ryhmien yhteistyön ja verkottumisen edistäminen sekä sellaisten kattojärjestöjen perustaminen ja vaaliminen, jotka keskittyisivät erityisesti työn jatkuvuuden ja ylikansallisen yhteistyön kannustamiseen.

III. TOIMET HARVINAISTEN SAIRAUKSIEN KLUSTERIEN KÄSITTELEMISEKSI

Tavoite: varmistaa tautiklustereita koskevan ongelman tehokas käsittely, mikä on erittäin tärkeää harvinaisten sairauksien ollessa kyseessä.

6. (Erityistä huomiota vaativien) harvinaisten sairauksien, mukaan lukien synnynnäisten epämuodostumien, geneettisten häiriöiden tai eri elinjärjestelmien sairauksien seurannan tukeminen sekä harvoin esiintyviin sairauksiin liittyvien tekniikoiden tukeminen toisaalta

toteamisen, hoidon ja tutkimuksen tarpeiden ja toisaalta asianmukaisen tilastollisen seurannan vaatimusten täyttämiseksi.

7. Harvinaisia sairauksia käsittelevien asiantuntijaryhmien muodostamisen edistäminen ja erikois- koulutuskurssien järjestäminen tautiklusterien tutkijoille.
8. Tautiklusterien tarkkailujärjestelmän ja varhaisen varoitusjärjestelmän tukeminen.
9. Asiantuntemuksen vaihdon kannustaminen ulkoisiin syihin yhdistettävien harvinaisten sairauksien klusterien arvioinnissa, niihin liittyvässä viestinnässä ja niiden hallinnassa.

RAHOITUSSELVITYS

1 TOIMENPITEEN NIMI

Ehdotus Euroopan parlamentin ja neuvoston päätökseksi harvinaisia sairauksia koskevan yhteisön toimintaohjelman hyväksymisestä kansanterveyden toimintakehyksessä

2 BUDJETTIKOHTA

B3-.....

3 OIKEUSPERUSTA

Euroopan yhteisön perustamissopimuksen 3 artiklan o kohta ja 129 artikla.

4 TOIMENPITEEN KUVAUS

4.1. Toimenpiteen yleistavoite

Edistää perustamissopimuksessa määrättyjen tavoitteiden saavuttamista:

- 3 artiklan o kohdan nojalla yhteisön tulee myötävaikuttaa terveyden korkeatasoisen suojelun saavuttamiseen.
- 129 artiklassa yhteisön edellytetään myötävaikuttavan ihmisten terveyden korkeatasoisen suojelun toteuttamiseen erityisesti rohkaisemalla jäsenvaltioiden välistä yhteistyötä sekä tarvittaessa tukemalla niiden toimintaa, edistämällä niiden politiikkojen ja ohjelmien yhteensovittamista ja edistämällä yhteistyötä kolmansien maiden sekä kansanterveyden alalla toimivaltaisten kansainvälisten järjestöjen kanssa. Yhteisön toiminta suuntautuu tautien, erityisesti laajalle levinneiden vaarallisten sairauksien, ehkäisemiseen edistämällä niiden syiden ja leviämisen tutkimusta sekä terveysvalistusta ja -kasvatusta.

Toimintaohjelman yleisenä tavoitteena on myötävaikuttaa terveyden korkeatasoisen suojelun tason takaamiseen harvinaisten sairauksien osalta.

Menetelmä tämän tavoitteen saavuttamiseksi koostuu toimista, joilla

- tarjotaan mahdollisuus puuttua asioihin paljon monipuolisemmin ja aloittaa yhteensovitettut toimet sellaisten potilaiden kohdalla, jotka saattaisivat muutoin jäädä eristyksiin tai joille saatettaisiin tehdä väärä diagnoosi
- saada tietoa harvinaisista sairauksista
- lujitetaan potilaiden ja perheiden tukiryhmien muodostamista ja perustamista
- toteutetaan asiantuntijaryhmien perustaminen, jotka osallistuvat harvinaisten sairauksien ryhmien käsittelyyn.

4.2. Toimenpiteen säädetty kesto aika ja sen uudistamista tai pidentämistä koskevat yksityiskohtaiset säännöt

- viisi vuotta: 01.01.1999 - 31.12.2003
- Kertomus täytäntöönpanosta toimitetaan neuvostolle ja Euroopan parlamentille ohjelman kolmantena vuonna.
- Kertomus neuvostolle ja Euroopan parlamentille ohjelman päätyttyä yhdessä arviointitulosten kanssa.

5 MENOJEN JA TULOJEN LUOKITUS

- muut kuin pakolliset menot
- jaksotetut määrärahat

6 MENO-/TULOLAJI

Tuki muiden julkisen tai yksityisen alan lähteiden kanssa tapahtuvalle yhteisrahoitukselle (ei saa ylittää tiettyä prosentuaalista osuutta ehdotettujen hankkeiden kokonaiskuluista).

Myönnettävän rahoituksen taso riippuu rahoitettavan toimen laajuudesta ja siitä, missä määrin suunnitellut eri toimet heijastavat toimintasuunnitelmaa. Tällainen rahoitus ei ylitä 70 prosenttia ehdotettuja hankkeita varten varatusta kokonaistalousarviosta lukuun ottamatta verkkoja ja komission tilaamaa ja sitä suoraan hyödyttävää työtä, jolloin tuki voi olla 100 prosenttia.

7 TALOUDELLISET VAIKUTUKSET

7.1 Toimenpiteen kokonaiskustannusten laskentatapa (yksikkökustannuksen määritelmä)

Laskentamenetelmä on aikaisempien ympäristöterveyden toimien yhteydessä saadun kokemuksen tulos. Tämä sisältää 24 päivänä marraskuuta 1993¹ annetun komission lopullisen tiedonannon taulukossa 4 luetellut erityyppiset yhteisön toimet ja edustaa kymmenen vuoden osaamista jäsenvaltioiden ja valtiosta riippumattomien järjestöjen kanssa tehdyn yhteistyön rahoittamisessa; yhteistyö koskee tietojen keräämistä, analysoimista ja levittämistä, verkostojen perustamista, kampanjoiden, esimerkiksi Eurooppa- viikkojen, laadunvalvontaa sekä järjestelmien ja menettelyjen laatimista neuvoteltaessa ja tehtäessä yhteistyötä yhteisten tavoitteiden asettamiseksi ja toimintalinjojen koordinoimiseksi sekä yhteisön tason toimintasuunnitelmien muotoilemiseksi ja kehittämiseksi. Erityiskustannusarviot perustuvat oletukseen, että puoleen tämän ohjelman nojalla suoritettavista toimista tarvitaan 100 prosentin rahoitus ja toiseen puoleen tarvitaan 50 prosentin rahoitus ja että toteutettavat toimet koskevat useimpia tai kaikkia jäsenvaltioita. Vuonna 1999 toteutettaviin toimiin arvioidaan tarvittavan yhteensä 1,3 miljoonaa ecua. Neljän viimeisen vuoden uusi taloudellinen kehys vahvistetaan vuonna 2000 yhteisön seuraavien rahoitusnäköymien mukaisesti. Vuotuisista määrärahoista päätetään tavanomaisten talousarviomenettelyjen mukaisesti.

¹ KOM (93) 559 lopull.

7.1.1 Harvinaisia sairauksia koskeva tietokanta potilaille, terveydenhoidon ammattilaisille ja tutkijoille

Perustetaan eurooppalainen harvinaisia sairauksia koskeva tietokanta, johon kirjataan sairauden nimi, sen synonyymit, yleiskuvaus, oireet, syyt, sairauden kohteeksi joutunut väestö, vakiohoidot, tutkimukselliset hoidot (jos niitä on) ja luettelo tahoista, joihin voidaan ottaa yhteyttä lisätietojen saamiseksi kyseisestä tilasta. Tämän tietokannan perustamiseen vuonna 1999 lasketaan tarvittavan 600 000 ecua.

Harvinaisia sairauksia käsittelevien yhteisten kokousten järjestäminen terveydenhoidon ammattilaisille maksaa 100 000 ecua vuonna 1999.

7.1.2 Harvinaisia sairauksia koskevien vapaaehtoisjärjestöjen perustaminen

Kokouksista, joiden tarkoitus on edistää harvinaisista sairauksista kärsiviä ihmisiä tukevien vapaaehtoisjärjestöjen perustamista, aiheutuvat kustannukset vuonna 1999 ovat 200 000 ecua.

7.1.3. Harvinaisten sairauksien klusterien tehokas käsitteleminen

(Erityistä huomiota vaativien) harvinaisten sairauksien seurantamahdollisuuksien perustaminen maksaa 300 000 ecua vuonna 1999.

Harvinaisten sairauksien asiantuntijaryhmien muodostaminen ja koulutuksen järjestäminen tautiklusterien tutkimiseksi maksaa 100 000 ecua vuonna 1999.

7.2 Eritelty kustannusten jakautuminen (miljoonaa ecua) - suuntaa-antava ohjelma

TAVOITE	TOIMINTA-ALA	VUODET					
		1999	2000	2001	2002	2003	YHT.
Tietojen antaminen harvinaisista sairauksista erityisesti potilaille, terveydenhoidon ammattilaisille ja tutkijoille.	Eurooppalaisen harvinaisia sairauksia koskevan tietokannan perustamisen edistäminen ja tukeminen; tietokantaan kirjattaisiin sairauden nimi, synonyymit, yleiskuvaus häiriöstä, oireet, syyt, sairauden kohteeksi joutunut väestö, vakiohoidot, tutkimukselliset hoidot (jos niitä on) ja luettelo tahoista, joihin voidaan ottaa yhteyttä lisätietojen saamiseksi kyseisestä tilasta.	0,6	-	-	-	-	0,6
	Tiedonsaannin parantaminen ja olemassa olevien tietojärjestelmien ja -palvelujen yhteensovittaminen tukemalla verkostojen perustamista ja lujittamista paikallisella, alueellisella, kansallisella sekä yhteisön tasolla.	-	-	-	-	-	-
	Yhteisten kokousten järjestäminen terveydenhoidon ammattilaisille harvinaisten sairauksien varhaisen havaitsemisen, tunnistamisen, hoidon ja ehkäisemisen parantamiseksi.	0,1	-	-	-	-	0,1
Perustaa, edistää ja lujittaa vapaaehtoisia järjestöjä, jotka tukevat harvinaisista sairauksista suoraan tai epäsuorasti kärsiviä ihmisiä.	Edistää samoista harvinaisista tiloista kärsivien tai niiden kanssa ammattinsa puolesta tekemisissä olevien ihmisten ryhmien perustamista näiden henkilöiden kokemusten levittämiseksi, koulutuksen helpottamiseksi ja heidän toimiansa yhteensovittamiseksi kansallisella tasolla ja yhteisön tasolla.	-	-	-	-	-	-
	Ryhmien yhteistyön ja verkottumisen edistäminen sekä sellaisten yleisjärjestöjen perustaminen ja vaaliminen, jotka keskittyisivät erityisesti työn jatkuvuuden ja ylikansallisen yhteistyön edistämiseen.	0,2	-	-	-	-	0,2

Varmistaa tautiklusteriongelman tehokas käsittely.	(Erityistä huomiota vaativien) harvinaisten sairauksien, mukaan lukien synnynnäisten epämuodostumien, geneettisten häiriöiden ja elimellisten sairauksien seurannan tukeminen sekä harvoin esiintyviin sairauksiin liittyvien tekniikoiden tukeminen toisaalta toteamisen, hoidon ja tutkimuksen tarpeiden ja toisaalta asianmukaisen tilastollisen seurannan vaatimusten täyttämiseksi.	0,3	-	-	-	-	0,3
	Harvinaisia sairauksia käsittelevien asiantuntijaryhmien muodostamisen edistäminen ja erikoiskoulutuskurssien järjestämisen tukeminen tautiklusterien tutkijoille.	0,1	-	-	-	-	0,1
	Tautiklusterien tarkkailujärjestelmän ja varhaisen varoitusjärjestelmän tukeminen.	-	-	-	-	-	-
	Asiantuntemuksen vaihdon kannustaminen ulkoisiin syihin yhdistettävien harvinaisten sairauksien ryhmien arvioinnissa, niihin liittyvässä viestinnässä ja niiden hallinnassa.	-	-	-	-	-	-
	YHTEENSÄ	1,3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

7.3 Suuntaa-antava määrärahojen aikataulu (miljoonaa ecua)

	1999	2000	2001	2002	2003	YHT.
Maksusitoumus- määrärahat	1,3					1,3
Maksumäärä- rahat						
1999	0,78					0,78
2000	0,52					0,52
2001						
2002						
2003						
Seuraavat vuodet						
YHTEENSÄ	1,3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

8. TOIMENPITEET PETOSTEN EHKÄISEMISEKSI; SUORITETTUJEN TOIMENPITEIDEN TULOKSET

Tuen hakemuslomakkeissa vaaditaan tiedot mahdollisten edunsaajien yksilöinnistä ja henkilöllisyydestä, niin että heidän luotettavuutensa voidaan arvioida etukäteen.

Komission ja edunsaajien välisiin sopimuksiin sisältyy toimenpiteitä petosten ehkäisemiseksi (tarkastuksia, välikertomuksia, loppukertomus). Komissio tarkistaa kertomukset ja huolehtii siitä, että työ on suoritettu asianmukaisesti, ennen kuin välierät ja loppumaksut suoritetaan.

Lisäksi komissio suorittaa pistokokeita todentaakseen, miten varat on käytetty. Muiden kansanterveyden budjettikohtien tarkastuksia on jo suoritettu varainhoitovuosien 1991 - 1995 osalta, ja ne ovat osoittautuneet tehokkaiksi.

9. KUSTANNUSVAIKUTTAVUUSANALYYSI

9.1 Erityiset ja määrälliset tavoitteet

Yhteisön toimien tarkoituksena on myötävaikuttaa terveyden korkeatasoisen suojelun takaamiseen harvinaisten sairauksien osalta hankkimalla tietoa harvinaisista sairauksista, erityisesti potilaille, terveydenhoitoalan ammattilaisille ja tutkijoille, perustamalla, edistämällä ja vahvistamalla vapaaehtoisjärjestöjä, jotka tukevat harvinaisista sairauksista suoraan tai välillisesti kärsiviä ihmisiä ja varmistamalla, että tautiklusterien ongelmaa käsitellään tehokkaasti, sillä se on ensisijaisen tärkeä harvinaisten sairauksien kannalta.

Indikaattorit, jotka osoittavat onko nämä tavoitteet saavutettu, ovat seuraavanlaisia:

- harvinaisia sairauksia koskevan tiedon levittäminen potilaille, terveydenhoitoalan ammattilaisille ja tutkijoille
- eurooppalaisen harvinaisia sairauksia koskevan tietokannan perustaminen
- harvinaisten sairauksien havaitsemista, tunnistamista, hoitamista ja ehkäisemistä koskevien asiakirjojen käsilläolo
- paikallisten, alueellisten, kansallisten ja yhteisönlaajuisten harvinaisten sairauksien alalla toimivien potilasjärjestöjen mukanaolo ja toiminta
- yhteisön tason kattojärjestöt erilaisia harvinaisia sairauksia koskevan yhteistyön edistämiseksi
- harvinaisten sairauksien asiantuntijaryhmät ja harvinaisten sairauksien klustereihin liittyvä erityinen tietojenvaihto, seuranta ja varhaiset varoitusjärjestelmät.

Kohderyhmät

1. Jäsenvaltioiden toimivaltaiset terveystoimet kansallisella, alueellisella ja paikallisella tasolla sekä kansanterveyden alalla toimivaltaiset kansainväliset järjestöt;
2. Potilaiden tukiryhmät, terveydenhoidon ammattilaiset, kansanterveyden ja lääketieteen järjestöt, yliopistolliset laitokset jne.
3. Valtiosta riippumattomat järjestöt ja muut terveyteen liittyvistä kysymyksistä kiinnostuneet toimielimet sekä väestö yleensä.

9.2 Toimenpiteiden perustelut

Ryhtyessään toimiin 129 artiklan nojalla komission on paneuduttava sairauksien ehkäisyyn ja terveyden suojelemiseen. Komission tiedonannossa kansanterveyden toimintakehyksestä¹ määrätään perusteet, joiden nojalla määritetään yhteisön ohjelmien ensisijaiset alat. Näiden perusteiden mukaisesti puitetiedonannossa arvioitiin eri vaihtoehtoja torjua tauteja, erityisesti vaarallisia sairauksia ja niiden taustalla olevia syitä, erityyppisten yhteisön toimien avulla. Lisäksi tiedonannossa valittiin siinä mainittujen arviointiperusteiden mukaisesti kahdeksan ensisijaista alaa, joista yksi on harvinaiset sairaudet.

Tätä ohjelmaa varten harvinaiset sairaudet määritellään hengenvaarallisiksi tai kroonisesti heikentäviksi sairauksiksi, joiden esiintymistiheys on niin alhainen, että tarvitaan yhteisiä erityistoimia.

Ohjelman tavoitteena on nopeuttaa ja tehostaa tietojen ja kokemusten vaihtoa ja yhteisön laajuista harvinaisten sairauksien voittamisen kannalta olennaisten seikkojen ja kysymysten ymmärtämistä sekä lisätä jäsenvaltioiden yhteistyötä, jotta vältetään työn tarpeeton päällekkäisyys ja nopeutetaan parhaiden mahdollisten ratkaisujen löytymistä jäsenvaltioiden yhteisiin näitä sairauksia koskeviin ongelmiin. Tämä yhteisölle ja komissiolle Euroopan yhteisön perustamissopimuksen 129 artiklan mukaisesti määrätty tehtävä edellyttää selkeitä yhteisiä sääntöjä.

¹ KOM (93)559 lopull., 23.11.93

Interventiotöidenpiteiden ja varojen osoittamisen osalta noudatetaan seuraavia periaatteita:

- Sovelletaan erityisesti toissijaisuusperiaatetta yksilöitäessä suoritettavia ja yhdessä rahoitettavia toimenpiteitä.
- Harvinaisten sairauksien alalla yhdessä rahoitettavat hankkeet yksilöidään ja valikoidaan.
- Yhteisön lisäarvon käsitettä sovelletaan edelleen erityisesti sovittamalla yhteen kansallisia toimenpiteitä, levittämällä tietoa ja kokemuksia, päättämällä ensisijaisista tavoitteista, kehittämällä tarpeen mukaan verkottumista, valitsemalla eurooppalaisia hankkeita sekä motivoimalla ja saamalla liikkeelle kaikki asian parissa työskentelevät tahot.

Ohjelman täytäntöönpanemiseksi käytetään kahta menetelmää. Toinen on jäsenvaltioissa ja yhteisön tasolla toteutettavien hankkeiden tukeminen. Ensisijaisten hankkeiden valinta perustuu suurelta osin yleisiin tavoitteisiin ja välitavoitteisiin, ja toimenpiteiden itsensä toteuttaminen riippuu toimivaltaiselle osastolle vuoden aikana toimitettujen hankkeiden laadusta ja tehokkuudesta. Toinen on erityistöiden suorittaminen, jotka ovat välttämättömiä ohjelman tavoitteiden saavuttamiseksi ja jotka rahoitetaan kokonaan ohjelmasta.

Hankkeiden valintaperusteet ovat seuraavat:

- yhteensopivuus tavoitteiden kanssa ja yhdenmukaisuus ainakin yhden vakiintuneen tavoitteen kanssa
- hankkeiden "yhteisöllisen lisäarvon" tutkiminen (kansainvälinen osallistuminen, muissa jäsenvaltioissa soveltamiskelpoisen mallin kehittäminen, muissa jäsenvaltioissa käyttökelpoisen tiedon kehittäminen jne.)
- oletettu tehokkuus ja kannattavuus
- selkeys ja vaatimusten oikeutus
- valittujen menetelmien aiheellisuus
- organisatorinen kyky ja kokemus
- talousarvion soveltuvuus tavoitteisiin
- kansallisten kumppanien tuki hankkeille
- objektiivinen arviointi
- asianomaisen neuvoa-antavan komitean lausunto.

Ensimmäiseksi vuodeksi ehdotettu 1,3 miljoonan ecun talousarvio on samansuuruinen kuin samaan aikaan vammojen ehkäisyä ja saasteperäisiä sairauksia koskeville yhteisön toimintaohjelmille ehdotettu talousarvio. Tämä heijastaa näiden toiminta-alueiden yhtäläistä ensisijaisuutta, joka määriteltiin komission tiedonannossa kansanterveyden toimintakehyksestä (1993). Tämä arvio on edelleen perusteltu. Ehdotettu summa on ohjelman aloittamiseen vaadittu vähimmäismäärä.

9.3 Toimenpiteiden seuranta ja arviointi

9.3.1 Toimenpiteiden seuranta

Yhteisön tasolla seurannan suorittaa komissio, joka esittää ohjelman täytäntöönpanon puolivälissä kertomuksen ja ohjelman päätyttyä lopullisen kertomuksen neuvostolle, Euroopan parlamentille, talous- ja sosiaalikomitealle ja alueiden komitealle käyttäen pohjana kansallisia kertomuksia samoin kuin ohjelman ja yksittäisten hankkeiden arviointoja.

9.3.2 Arviointi

Arviointi tapahtuu käyttäen

- tärkeimpien toimenpiteiden ja tuettujen hankkeiden arviointia käyttäen tarvittaessa mukana riippumattomia asiantuntijoita
- kolmannen vuoden aikana tehtävää arviointikertomusta
- yleiskertomusta toimintasuunnitelman nojalla toteutettujen hankkeiden laadusta ja tehokkuudesta, jonka komissio toimittaa yhteisön muille toimielimille ohjelman päätyttyä.

Tätä arviointia varten on valittu seuraavat suoritusindikaattorit:

- komission virkamiesten tai heidän kanssaan yhteistyössä toimivien suorittama hankkeiden arviointi
- välikertomusten analysointi suunniteltujen ja rahoitettujen toimenpiteiden osalta, niin että painopisteen muutos on mahdollinen
- ulkopuolisten elinten suorittamat vaikutustutkimukset
- toimeenpanijoiden käyttämien menetelmien aiheellisuus
- talousarvion soveltuvuus tavoitteisiin
- toimielinten taidot ja kokemus
- tulosten levittäminen

Arviointimenettelyt ja niiden suoritusajat:

- Laaditaan väli- ja loppukertomukset alalla suoritetuista eri toimenpiteistä.
- Toimenpidettä varten kehitetään "vakioarviointikaavake", jonka edunsaajat toimittavat loppukertomustensa kanssa. Virkamiehet joko komissiossa tai kentällä tarkastavat nämä asiakirjat.

10 HALLINTOMENOT (TALOUSARVION KOHTA A)

Tarpeellisten hallinnollisten voimavarojen varsinainen saaminen riippuu komission vuotuisista voimavarojen kohdentamispäätöksistä, joissa otetaan huomioon erityisesti lisähenkilökunta ja budjettivallan käyttäjän käyttöön asettamat varat.

10.1 Vaikutus työntekijöiden määrään

Työntekijälaji		henkilöstö, joka suorittaa toimet		työntekijän alkuperä		kesto
		vakituiset työntekijät	määräaikaiset työntekijät	PO:sta tai yksiköstä	lisähenkilökunta	
Virkamiehet tai määräaikainen henkilöstö	A	1	0	1	0	
	B	1	0	1	0	
	C	1	0	1	0	
Muut voimavarat						
Yhteensä		3	0	3	0	

10.2 Lisähenkilöstön aiheuttamat taloudelliset vaikutukset

10.3 Toimen aiheuttamien muiden käyttökulujen lisäys

Budjettikohta	Määrät	Laskentamenetelmä
Kokoukset A2510	104 250 ecua	2 neuvoa-antavan komitean kokousta/vuosi, 1 edustaja/jäsenvaltio = 2 kokousta/vuosi x 15 edust. x 695 ecua/edust. x 5 vuotta = 104 250 ecua

Jäljempänä olevien menojen kattamiseen viiden vuoden aikana tarvittavat voimavarat saadaan ohjaamalla uudelleen olemassa olevat rahoitusvarat, eikä lisävaroja tarvita.

a) Henkilöstömenot (A1, A2 ja A5 osasto)

$$3 \times 100\,000 \text{ ecua} \times 5 \text{ vuotta} = 1\,500\,000 \text{ ecua}$$

b) Käyttökulut

Kokouskulut (A-250)

$$2 \text{ kokousta/vuosi} \times 15 \text{ asiantuntijaa} \times 825 \text{ ecua/asiantuntija} \times 5 \text{ vuotta} = 123\,750 \text{ ecua}$$

Matkakulut (A-130)

$$24 \text{ työmatkaa/vuosi Bryssel-Luxemburg} \times 200 \text{ ecua/työmatka} \times 5 \text{ vuotta} = 24\,000 \text{ ecua}$$

$$60 \text{ työmatkaa/vuosi jäsenvaltioihin} \times 1000 \text{ ecua/työmatka} \times 5 \text{ vuotta} = 300\,000 \text{ ecua}$$

c) Yhteensä:

1 947 750 ecua

ISSN 1024-4492

KOM(97) 225 lopullinen

ASIAKIRJAT

FI

05

Luettelonumero : CB-CO-97-217-FI-C

ISBN 92-78-19717-3

Euroopan yhteisöjen virallisten julkaisujen toimisto

L-2985 Luxemburg