



EUROPEISKA GEMENSKAPERNAS KOMMISSION

Bryssel den 26.05.1997
KOM(97) 225 slutlig

97/0146 (COD)

MEDDELANDE FRÅN KOMMISSIONEN

om ett program för gemenskapsåtgärder för ovanliga sjukdomar inom ramen för
insatser på folkhälsoområdet

Förslag till
EUROPAPARLAMENTETS OCH RÅDETS BESLUT

om godkännande av ett program för gemenskapsåtgärder 1999-2003 för ovanliga
sjukdomar inom ramen för insatser på folkhälsoområdet

(framlagt av Kommissionen)

MEDDELANDE FRÅN KOMMISSIONEN

om ett program för gemenskapsåtgärder för ovanliga sjukdomar inom ramen för insatser
på folkhälsoområdet

INNEHÅLL

I.	INLEDNING	3
II.	VIKTIGA SÄRDRAG HOS OVANLIGA SJUKDOMAR	5
III.	DEFINITION AV OVANLIGA SJUKDOMAR	7
IV.	ÖVERSIKT ÖVER ÅTGÄRDER INOM FOLKHÄLSOOMRÅDET I MEDLEMSSTATENA OCH INTERNATIONELLT AVSEENDE OVANLIGA SJUKDOMAR	8
V.	ÖVERSIKT ÖVER VIKTIGA GEMENSKAPSÅTGÄRDER AVSEENDE OVANLIGA SJUKDOMAR	9
VI.	GEMENSKAPENS HANDLINGSPLAN	9
VII.	KONSULTATION, UTVÄRDERING OCH RAPPORTER	13

I. INLEDNING

- 1 I sitt meddelande av den 24 november 1993 om en ram för gemenskapsåtgärder på folkhälsoområdet¹ utformade kommissionen målsättningar för hälsoskydd enligt artiklarna 3 o och 129 i Fördraget om upprättandet av Europeiska gemenskapen. Gemenskapens roll skall vara att stödja medlemsstaternas insatser på folkhälsoområdet, bistå vid utformning och genomförande av mål och strategier, samt bidra till att en hög hälsoskyddsnivå uppnås inom gemenskapen. Målsättningen är att uppnå de bästa resultaten från ett bestämt område var som helst inom gemenskapen.
- 2 Gemenskapen skall när man vidtar åtgärder enligt artikel 129 inrikta sig på att förebygga sjukdomar, i synnerhet de stora folksjukdomarna, och att säkerställa hälsan. Ovanliga sjukdomar har prioriterats för gemenskapsåtgärder utifrån kriterierna i detta meddelande.
- 3 Folkhälsofrågor handlar definitionsmässigt om hela befolkningens hälsa. Detta betyder att tillgängliga hälsovårdstjänster och resurser, och i synnerhet förebyggande åtgärder bör användas så att de gagnar så många som möjligt. Denna princip gäller i lika stor grad för dem som drabbats av ovanliga sjukdomar som för dem som drabbats av de stora folksjukdomarna. Emellertid leder just det faktum att sjukdomarna och tillstånden är ovanliga till att det inte finns någon information om dem till att många av dem som drabbats inte alltid får de resurser och den omsorg de behöver. Detta beror på att det ibland råder en särskild brist på relevant information och sakkunskap samt att det råder oenighet om vad som är lämpliga behandlingsåtgärder för en viss ovanlig sjukdom.
- 4 Kommissionens rammeddelande om folkhälsa fastställer flera kriterier för gemenskapens prioriteringar. De är sjukdomens effekter vad gäller sjukdoms- och dödlighetsfrekvens, dess socioekonomiska följder, i vilken utsträckning sjukdomen går att förebygga och i synnerhet i vilken utsträckning gemenskapsåtgärder kan komplettera och ge ett mervärde till medlemsstaternas insatser.
- 5 Det är tydligt att ovanliga sjukdomar inte uppfyller kriterierna på befolkningsnivå. Men på individ- och på familjenivå leder ovanliga sjukdomar till ökad sjuklighet, för tidig död eller invaliditet. Av de tusentals ovanliga sjukdomar som finns kan vissa förebyggas nu, medan andra kanske kan förebyggas i framtiden. Men det sista kriteriet om att ge ett mervärde på gemenskapsnivå har särskild relevans för ovanliga sjukdomar.
- 6 Det är uppenbart att ovanliga eller sällsynt förekommande sjukdomar har en begränsad inverkan på samhället som helhet och att de leder till en relativt liten andel sjuklighet och dödlighet. De kan därför inte anses vara stora folksjukdomar. Men de är inte oviktiga ekonomiskt, eftersom god rådgivning, diagnostisering och hälsovårdsåtgärder tenderar att kosta oproportionerligt mycket mer än liknande åtgärder vid vanligare sjukdomar.

¹ KOM(93) 559 slutlig

- 7 Gemenskapen har mycket att erbjuda inom detta område. Arbete på gemenskapsnivå kan medföra en rad viktiga fördelar. I synnerhet gäller att individuella fall kan sammanföras till en större grupp med samma kännetecken, mot bakgrund av gemenskapens betydligt större befolkning. Detta ger möjlighet att vidta mera omfattande åtgärder och att samordna åtgärder för patienter som annars kanske skulle isoleras eller feldiagnostiseras.
- 8 Man kan också se på folkhälsa och ovanliga sjukdomar på ett annat sätt. Ibland förekommer ovanliga sjukdomar oftare i vissa regioner och hos vissa befolkningsgrupper, såsom etniska grupper, än hos den nationella befolkningen som helhet. Konsekvenserna kan således vara begränsade på nationell nivå, samtidigt som de är betydande på regional eller gruppnivå. Detta gäller i synnerhet för genetiska sjukdomar.
- 9 Man skall inte heller glömma den större frågan om sjukdomar som är ovanliga inom Europeiska gemenskapen, men vanliga på andra håll i världen. Vi skulle kunna använda vårt kunnande för att stödja kampen mot tropiska sjukdomar, som är ovanliga hos oss, men som orsakar stort lidande och många dödsoffer i tredje världen.
- 10 Dessutom kan en del sjukdomar som nu är sällsynta bli stora folksjukdomar i framtiden. Detta gäller t. ex. om sjukdomens orsak är okänd, som var fallet med HIV/AIDS eller mera nyligen med bovin spongiform encefalopati/Creutzfeldt-Jacobs sjukdom (BSE/CJD). En liknande effekt kan orsakas av ett nytt läkemedel, där neurosedyn är ett uppenbart exempel. En samordnad insats på gemenskapsnivå är ett effektivt sätt att angripa dessa eventuellt omfattande hälsoproblem.
- 11 En del sjukdomar och i synnerhet smittsamma sjukdomar som en gång var mycket vanliga, såsom polio, har blivit ovanliga inom EU som en följd av effektiva förebyggande åtgärder, främst vaccinationer av barn. Sådana sjukdomar kan återkomma och gör det med säkerhet om t. ex. befolkningens immunförsvar minskar. I det här sammanhanget kan en plötslig förekomst av sådana sjukdomsfall i ett land förvarna andra länder om att deras vaccinationer eller andra förebyggande åtgärder kanske håller på att bli ineffektiva. En insats på gemenskapsnivå kan hjälpa enskilda medlemsstater att på ett tidigt stadium bli medvetna om sådana problem och samordna sitt agerande.
- 12 Etiologin är okänd för många sjukdomar och i synnerhet för de ovanliga sjukdomarna. Förebyggande åtgärder är beroende av denna grundläggande kunskap. Tusentals ovanliga sjukdomar eller tillstånd, deras sällsynthet och begränsade medel och begränsad budget för att forska i deras etiologi, medför att det är föga troligt att någon snabb förbättring av behandlingen eller botandet av dem kommer att ske. Därför kan samarbete mellan medlemsstaterna och arbete på gemenskapsnivå ge ett mervärde till de enskilda medlemsstaternas insatser på detta område.
- 13 Hälsovårdssystemens begränsade resurser riktas främst, och av nödvändighet mot de stora folksjukdomarna, och kan därför troligen endast i begränsad omfattning inriktas på ovanliga sjukdomar i de enskilda medlemsstaterna. Därför ligger det

inom ramen för EU:s strategi för folkhälsa att hjälpa medlemsstaterna att utnyttja sina resurser inom detta område på bästa sätt. Under dessa förhållanden kan det finnas reella stordriftsfördelar genom att man kan kombinera den begränsade nationella sakkunskapen med resurser på gemenskapsnivå.

- 14 Det är av dessa anledningar som kommissionen har beslutat att prioritera ovanliga sjukdomar inom ramen för insatser på folkhälsoområdet.

II. VIKTIGA SÄRDRAG HOS OVANLIGA SJUKDOMAR

INFORMATION

- 15 Ett okänt antal europeer lider av ovanliga sjukdomar. För många sällsynt förekommande sjukdomar finns det ingen organisation för stöd till patienter eller något organ för forskning, förebyggande, diagnostisering eller behandling. Informationen till patienter och deras familjer, läkare, forskare, hälsovårdsmyndigheter och allmänhet är bristfällig eller dåligt spridd.
- 16 För ovanliga sjukdomar gäller att källorna till upptäckt, erkännande och medicinsk vård är begränsade eller obefintliga. Det finns lite eller inget för att effektivt förebygga och behandla dessa sjukdomar. Det finns föga information att ge patienten och hans familj om hur sjukdomen kommer att utvecklas och hur man undviker risker och skapar en miljö och en livsstil som bidrar till god hälsa.
- 17 Den amerikanska kommissionen för ovanliga sjukdomar, (*U.S. National Commission on Orphan Diseases*), har gjort en ingående undersökning av vilka problem som amerikaner som lider av ovanliga sjukdomstillstånd har. Undersökningen visar att det tog mellan ett och fem år för en tredjedel av de drabbade att få rätt diagnos och 15 % gick utan diagnos sex år eller längre. Kostnaderna för dessa sjukdomar är enorma, både i monetära och humana termer. Hälften av patienterna uppgav att deras sjukdom försatte dem och deras familjer i ekonomiskt trångmål och att deras sjukdomar förhindrade dem att arbeta eller gå i skolan.

PATIENTSTÖDGRUPPER

- 18 Patientstödgrupper kan spela en nyckelroll vid ovanliga sjukdomar. En mängd sådana grupper har bildats för många ovanliga sjukdomar under de senaste årtiondena. Ibland har orsaken varit att man ansett att de ansvariga myndigheterna inte tillräckligt uppmärksammar dessa sjukdomar. Det finns dessutom ett omfattande samarbete mellan dessa grupper både regionalt, nationellt och internationellt och samarbetet gäller ofta olika sorters sjukdomar. Det finns också flera internationella paraplyorganisationer som *European Alliance of Genetic Support Groups* (EAGS). Dessa patient- och föräldraorganisationer besitter stor kunskap genom sina egna erfarenheter av en viss sjukdom. Detta är extra värdefullt eftersom det ofta tar lång tid innan diagnoser ställs, hälsovårdsinrättningar ofta har begränsad kunskap om sjukdomen, läkemedel saknas för sjukdomen och eftersom patienterna ofta får problem med sjukförsäkringen.

KLUSTER

- 19 Det är lämpligt att aktualisera frågan om kluster när man talar om ovanliga och sällsynt förekommande sjukdomar. Ett kluster kan definieras som en anhopning i tid och rum av ovanliga sjukdomar. Ett annat sätt att beskriva kluster på är att det under en viss tid och på en viss plats förekommit anmärkningsvärt fler sjukdomsfall än vad som var förväntat från "baslinjen", eller det förväntade antalet fall av denna sjukdom. Det finns ett uppenbart behov av att kunna bemästra kluster (d. v. s. identifiera en faktisk ökning, finna orsakande faktorer, bedöma implikationer och mildra allmänhetens oro) - det kan finnas en särskild lokal orsak som måste identifieras.
- 20 Åtgärderna vid kluster bör ske i en viss ordning. Först skall klusterna identifieras genom exempelvis ett system för förvarningar; sedan skall övervakningssystem användas för att få till stånd en jämförelse mellan de fastställda baslinjerna för de relevanta sjukdomarna. (Detta kan emellertid vara omöjligt för ovanliga sjukdomar, eftersom nödvändiga epidemiologiska uppgifter kanske saknas). För det tredje behöver man mildra allmänhetens oro genom att så noga som möjligt informera om riskerna. En effektiv hantering av kluster har stora fördelar för folkhälsan. Detta beror inte enbart på att en snabb reaktion på ett visst problem kan medföra att ett visst kluster inte utvecklas till ett större problem, utan också mera generellt, eftersom det underlättar för att ge allmänheten förtroende för myndigheternas förmåga att säkerställa hälsan.

KLASSIFIKATION AV OVANLIGA SJUKDOMAR

- 21 Felaktig klassifikation av sällsynt förekommande sjukdomar och avsaknad av officiellt erkännande ger upphov till problem när det gäller erkännande, upptäckt, behandling och förebyggande av dessa sjukdomar. Diagnoserna i Världshälsoorganisationens internationella klassifikation av sjukdomar (ICD 10) är indelade i 23 huvudkategorier baserat på organsystem, och dessa är i sin tur indelade i 470 diagnosrelaterade subkategorier. I en del fall läggs ingen tonvikt på enskilda sjukdomar i dessa grupper.
- 22 Validiteten och användbarheten av dessa klassifikationer är begränsade för ovanliga sjukdomar. Det finns flera fall där dessa sjukdomar inte inkluderas i konventionella klassifikationssystem, som ICD och brittiska barnläkarföreningens klassifikationer av medfödda missbildningar. I andra fall är sällsynt förekommande sjukdomar olämpligt eller otillräckligt klassificerade: ICD:s klassifikationskod för Marfans syndrom är t.ex. den samma som för mer än 20 andra sjukdomar.
- 23 Termerna ovanliga sjukdomar eller sällsynt förekommande sjukdomar omfattar kanske mer än 5 000 olika åkommor eller sjukdomar. Det förefaller inte finnas någon gemensam nämnare för att definiera vad som är en sällsynt sjukdom. Vissa sjukdomar baseras på syndrom (en kombination av flera symptom eller defekter), andra på enstaka defekter eller andra besvär. Det är uppenbart att prioriteringar måste göras när åtgärder skall vidtas på gemenskapsnivå.

III. DEFINITION AV OVANLIGA SJUKDOMAR

PROBLEM MED EN NUMERISK DEFINITION

- 24 Det kan förefalla som om en definition av ovanliga eller sällsynt förekommande sjukdomar skulle vara enkel att göra utifrån antalet sjukdomsfall. Men antingen saknas denna statistik, och om det finns statistik så utgår den från insamlade rutinuppgifter och är uppskattningar som ofta tenderar att vara tilltagna i underkant.
- 25 Svårigheter med att få fram exakta siffror för utbredning och förekomst kan uppstå av flera anledningar: olika sätt att definiera en sjukdom, brist på specifika metoder för att övervaka patienter med dessa sjukdomar; oklara diagnoser, i synnerhet för de mindre allvarliga sjukdomarna, och slutligen att informationen förvanskas mellan datainsamling och analys.
- 26 Kända sjukdomar kan ständigt klassificeras och subklassificeras. Cancer differentieras t. ex. ofta genom patologiska klassifikationer så att en klassifikationskod kan täcka ovanliga former av cancer. Klassifikation av mindre kända sjukdomar baseras ibland på symptom som faktiskt för samman flera olika sjukdomar. Sällsynt förekommande sjukdomar kan därigenom infogas i större kategorier.

DEFINITION GENOM BESTÄMDA FASTA SIFFERBETECKNINGAR ELLER GRÄNSVÄRDEN

- 27 Ett sätt att övervinna problemen som uppstår med att använda en viss siffra för att definiera ovanliga sjukdomar är att införa gränsvärden. Kommissionen har diskuterat detta med nationella experter. Man diskuterade flera möjligheter: en dödlighetsfrekvens som inte överstiger ett givet värde i ett visst antal medlemsstater, eller rapporterad förekomst inom gemenskapen som inte överstiger ett givet värde. En annan möjlighet kan vara ett kriterium som säger att sjukdomen inte är en av de 100 vanligaste sjukdoms- och dödlighetsorsakerna inom Europeiska gemenskapen.

FÖRESLAGEN DEFINITION

- 28 Ovanliga sjukdomar kommer för detta program att definieras som livshotande eller kroniskt tärande sjukdomar som är så pass ovanliga att särskilda gemensamma åtgärder behövs. Dessa sjukdomar har en allmänt accepterad förekomst på färre än 5 per 10 000 personer inom hela gemenskapen. Sjukdomarna som i synnerhet kommer att behandlas inom detta program är sådana som kräver särskilda gemensamma åtgärder för att säkerställa att det inte förekommer någon anmärkningsvärd prenatal och prematur sjuklighet och dödlighet, någon avsevärt minskad livskvalitet eller avsevärt minskade socioekonomiska möjligheter för individen.

RELATERADE FRÅGOR

- 29 När man vidtar åtgärder för ovanliga sjukdomar måste man räkna med andra relaterade områden där gemenskapen är verksam, som forskning, utveckling, och

marknadsföring av säräkemedel som huvudsakligen används vid ovanliga sjukdomar. Det finns med anledning av det begränsade antalet sjukdomsfall ett behov av att kunna utgå ifrån en befolkning som är tillräckligt stor för forskning om ovanliga sjukdomar, som t. ex. kliniska tester. Gemenskapen kan verka för detta. Det kommersiella intresset för att tillverka läkemedel för ett litet antal potentiella patienter är begränsat. Det finns därför behov av att främja investeringar inom ramen för EU:s industripolitik. Åtgärder inom dessa områden kan utgöra ett komplement till åtgärder inom hälsoområdet.

- 30 Ett avsevärt antal åtgärder har vidtagits på gemenskapsnivå när det gäller säräkemedel. Kommissionen har t. ex. nyligen gett sitt stöd till undersökningar för att utforma en gemenskapsstrategi för detta område. En expertgrupp bestående av kommissionens tjänstemän och experter från medlemsstaterna och andra länder sammankallades i februari 1995 för att diskutera resultaten från dessa undersökningar och dra slutsatser. Arbetet fortsatte under 1995 och en resolution från rådet som uppmanade kommissionen att utvidga sitt arbete med att få till stånd utveckling och marknadsföring av säräkemedel antogs den 20 december 1995.

IV. ÖVERSIKT ÖVER ÅTGÄRDER INOM FOLKHÄLSOOMRÅDET I MEDLEMSSTATERNA OCH INTERNATIONELLT AVSEENDE OVANLIGA SJUKDOMAR

MEDLEMSSTATERNA

- 31 Ett antal medlemsstater arbetar för att informera, upptäcka, erkänna, ingripa och förebygga speciella ovanliga sjukdomar och stödja patient- och föräldragrupper. Förenade kungariket har t. ex. inrättat ett program för Creutzfeldt-Jacobs sjukdom, Frankrike har inrättat ett informationscenter för genetiska sjukdomar och har en del väletablerade center för övervakning av medfödda missbildningar, och Portugal har ett särskilt intresse för paramyloidos och vidtar åtgärder mot sjukdomen.
- 32 Om man ser till information från medlemsstaterna så förefaller det som om bara ett fåtal medlemsstater arbetar systematiskt med ovanliga sjukdomar. Bland annat har Frankrike, Sverige och Italien inrättat ett institut, (*European School for Rare Diseases*).

INTERNATIONELL VERKSAMHET

- 33 USA är det land som kommit längst på detta område. En lag om säräkemedel antogs 1983 för att påskynda utveckling och försäljning av säräkemedel. Samma år bildades *National Organisation for Rare Disorders* som samlar och ger stöd till de frivilliga organ som stöder personer med ovanliga sjukdomar. *National Commission on Orphan Diseases* bildades 1985 för att se över den nationella politiken inom detta område. Denna kommission lämnade sin rapport 1989. Dess huvudsakliga rekommendationer var att man skulle verka för att gynna utveckling, forskning och försäljning av säräkemedel. Vidare planerade man att inrätta en enhet för ovanliga sjukdomar vid de nationella hälsoinstituten och lagförslag om detta ligger för närvarande hos kongressen för beslut.

De två parterna har sinsemellan inom ramen för samarbete med tredje land och som en följd av den gemensamma handlingsplanen för EU-USA bland annat förbundit sig att inrätta en arbetsgrupp som skall utveckla och genomföra ett effektivt globalt varningssystem och ett nätverk för att hantera överförbara sjukdomar, inklusive ovanliga sjukdomar, samtidigt som man skall samarbeta om respektive program för hälsorelaterade frågor och inom forskning.

V. ÖVERSIKT ÖVER VIKTIGA GEMENSKAPSÅTGÄRDER AVSEENDE OVANLIGA SJUKDOMAR

RÅDET

- 34 I sin resolution av den 20 december 1995² uppmanade rådet (hälso- och sjukvårdsministrarna) kommissionen att i nära samarbete med behöriga myndigheter i medlemsstaterna granska tillgänglig kunskap och erfarenhet inom medlemsstaterna och hos de internationella organisationerna samt se över situationen för läkemedel i Europa i förhållande till ovanliga sjukdomar.

EUROPAPARLAMENTET

- 35 I sin resolution A4-0311/95³ om det medelfristiga sociala handlingsprogrammet för 1995-1997 uppmanade parlamentet kommissionen att under lämpliga omständigheter lägga fram det handlingsprogram för ovanliga sjukdomar som planerats i kommissionens rammeddelande för insatser på folkhälsoområdet.

EKONOMISKA OCH SOCIALA KOMMITTÉN

- 36 Kommittén uppmanar i sitt omfattande yttrande av den 6 juli 1994 om kommissionens meddelande om ramprogrammet kommissionen att anta en bred strategi i frågan och betonade vikten av de ovanliga sjukdomarna.

VI. GEMENSKAPENS HANDLINGSPLAN

INFORMATION OM OVANLIGA SJUKDOMAR INOM EUROPEISKA GEMENSKAPEN

- 37 Ordentlig information är viktig för att man skall kunna säkerställa en effektiv behandling vid ovanliga sjukdomar. Viktigast för en patient som lider av en ovanlig sjukdom är att få en riktig diagnos, och nästan lika viktigt är behovet av behandling och stödtjänster. Sedan diagnosen ställts vill patienterna och deras familjer veta allt om sjukdomen och de blir ofta experter på den. De vill ha information om orsak, prognos, genetisk ursprung (i förekommande fall) och framtida manifestation av sjukdomen, möjligheter till effektiva behandlingar, eller vid avsaknad av dessa, hur man klarar av sjukdomen. De vill även ha information om forskningsläget och om stödgrupper och behandlingscenter eller resurscenter.

² EGT nr C 350 30.12.95, s.3

³ EGT nr C 032 05.02.96, s. 15-24

- 38 All känd information om detta är vida spridd. Tillgänglig information kan hänföras till en sjukdom i allmänhet eller en grupp människor, men den kan även vara specifik för en viss individ, vilket kräver lämpliga åtgärder för konfidentialitet. Ännu ett problem är att flera olika grupper utöver dem som är direkt inblandade i ett individuellt fall behöver information på olika detaljnivåer. Det gäller bl. a. läkare och forskare, myndigheter, patientstödgrupper och läkemedelsindustrin.
- 39 Det finns mot bakgrund av de stora framsteg som gjorts inom genetiken och mot bakgrund av de nuvarande svårigheterna att få aktuell information om ovanliga sjukdomar ett akut behov av en gemenskapsdatabas med information om ovanliga sjukdomar samt av ett system för att samla in och sprida information.
- 40 Ett sådant system måste utvecklas i nära samarbete med gemenskapens telematikprogram. Telematikprogrammet skulle kunna bidra till att fastställa de tekniska kraven för databasen och systemet samt ta fram de mest effektiva mekanismerna för att sprida informationen till de olika intressegrupperna och till lämpliga organ i medlemsstaterna. Ett telematiknätverk mellan de verksamma inom området skulle bli ett forum för att fastställa relevant forskning och forskare och för att utbyta information.
- 41 Gemenskapsåtgärderna skulle kunna ha som mål att erbjuda bättre information om ovanliga sjukdomar till patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare.
- 42 Följande åtgärder skulle kunna vidtas för att uppnå detta mål:
- Uppmuntra och stödja upprättandet av en europeisk databas över ovanliga sjukdomar, där posterna skulle bestå av sjukdomens namn, synonymer, en allmän beskrivning, symptom, orsaker, tillgängliga diagnostiska test, drabbad population, standardbehandling, experimentella behandlingar (i tillämpliga fall) samt en förteckning över resurser som kan kontaktas för ytterligare information om sjukdomen.
 - Främja tillgången till information och samordna tillgängliga informationssystem och tjänster genom att stödja upprättandet och stärkandet av nätverk på lokal, regional, nationell och gemenskapsnivå.
 - Anordna konsensussmöten mellan yrkesverksamma inom vården för att förbättra tidig upptäckt, erkännande, behandling och förebyggande av ovanliga sjukdomar.

PATIENT- OCH FAMILJESTÖDGRUPPER

- 43 Dessa organisationer har en omfattande roll. De stöder insamlandet, spridningen och utbytet av kunskap och erfarenheter. De utvecklar allmänhetens medvetenhet, främjar forskning och tar upp etiska frågor. De ger också råd till enskilda och ser till att patienternas intresse tillvaratas, t. ex. vad beträffar konfidentialitet och samtycke till kliniska förfaranden. Det finns ett behov att främja utveckling av dessa patientstödgrupper så att alla delar av gemenskapen omfattas och deras samarbete på regional, nationell och europeisk nivå bör uppmuntras. Det finns också ett behov av att en eller flera paraplyorganisationer upprättas på gemenskapsnivå som centralt kan verka för att stödja och sammanlänka de olika patientstödgrupperna. Det finns redan en del

organisationer, som t. ex. *European Alliance of Genetic Support Groups* (EAGS) som kan komma att utveckla sin verksamhet i denna riktning.

- 44 Ett av målen för gemenskapsåtgärderna skulle kunna vara att upprätta, gynna och stärka frivilligorganisationer som ger stöd åt personer som är direkt eller indirekt drabbade av ovanliga sjukdomar, t. ex. olika neurodegenerativa sjukdomar.
- 45 Följande åtgärder skulle kunna vidtas för att uppnå detta mål:
- Främja upprättandet av grupper för personer som har samma ovanliga sjukdom eller för dem som i sitt yrke arbetar med ovanliga sjukdomar för att sprida deras erfarenheter, underlätta utbildning och samordna deras verksamhet på nationell nivå och gemenskapsnivå.
 - Främja gruppernas samarbete och nätverk samt inrätta paraplyorganisationer med särskild inriktning på att uppmuntra det fortsatta arbetet och samarbetet mellan länderna.

KLUSTER AV OVANLIGA SJUKDOMAR

- 46 Ett effektivt arbete med kluster innebär att problemet analyseras, utvärderas och bemästras och att allmänheten informeras. Sedan skall allmänheten få tydlig information. Det är ett nödvändigt och svårt arbete. Behovet är uppenbart, eftersom alla eventuellt orsakande eller bidragande lokala faktorer måste identifieras. Svårigheten ligger i att det finns många anledningar att identifiera ett kluster, och alla möjligheter måste övervägas och undersökas innan man föreslår ett visst orsakssamband. Emellertid uppkommer kluster bara sällan i någon särskild region. Detta medför att det finns få möjligheter för de inblandade i ett enskilt fall att få den nödvändiga erfarenheten.
- 47 Det skulle i detta sammanhang vara värdefullt att inom gemenskapen inrätta särskilda team för kluster av ovanliga sjukdomar, (*Rare Disease Cluster Response Teams*), där sakkunniga skulle kunna bistå de lokala myndigheterna. Nyvunna erfarenheter av Creutzfeldt-Jacobs sjukdom visar på behovet av en sådan insats för att man på bästa sätt skall kunna utnyttja den knappa sakkunskapen när det gäller.
- 48 Det finns ett behov av att inrätta ett nätverk av resurscenter för vissa ovanliga sjukdomar eller grupper av ovanliga sjukdomar. Dessa skulle hjälpa till med att på ett tidigt stadium varna för möjliga problem och samordna klusterutredningsarbetet och ge relevant information till teamen t. ex om förväntade utbredningsnivåer. Dessa resurscenter kommer att behöva sakkunskap på hög nivå inom epidemiologi och statistik, samt tillgänglig epidemiologisk information om ovanliga sjukdomar från övervakningsprogram, både på gemenskapsnivå och från nationella och regionala program.
- 49 De epidemiologiska uppgifterna är för närvarande inte särskilt omfattande för ovanliga sjukdomar. Sådana uppgifter beror på effektiviteten i övervakningsprogrammen. Flertalet ovanliga sjukdomar är medfödda sjukdomar och det finns ett övervakningsprogram inom detta område, EUROCAT, som kommissionen finansierar. Detta är en gemensam insats med deltagare huvudsakligen från medlemsstaterna, vilka lokalt och ibland regionalt studerar en population och utreder antal, typ och möjlig orsak till missbildningar för att kunna förebygga dem. Det finns i medlemsstaterna även andra övervakningsprogram i

för medfödda missbildningar och det behövs ett samarbete mellan dessa program och övervakningsprogram för andra grupper av ovanliga sjukdomar för att optimera användningen och analysen av tillgängliga uppgifter.

- 50 Målet för gemenskapsåtgärderna skulle kunna vara att säkerställa en effektiv hantering av problemet med kluster, vilket är mycket viktigt för ovanliga sjukdomar.
- 51 Följande åtgärder skulle kunna vidtas för att uppnå detta mål:
- Stödja övervakningen av ovanliga sjukdomar, inklusive medfödda missbildningar, genetiska sjukdomar och sjukdomar i olika organsystem.
 - Främja skapandet av särskilda team för hantering av ovanliga sjukdomar och av specialiserade kurser för dem som undersöker kluster.
 - Inrätta övervaknings- och förvarningssystem för att i god tid upptäcka möjliga kluster.
 - Uppmuntra kunskapsutbyte vid utvärdering, analys och hantering av kluster av ovanliga sjukdomar, som har exogena orsaker.

SÄRLÄKEMEDEL

- 52 Ett lagförslag för att ge sär läkemedel en rättslig status förbereds inom ramen för gemenskapens arbete för kontroll och försäljningsgodkännande av läkemedel. Lagförslaget kommer att omfatta följande områden: märkning av sär läkemedel, forskningsstöd, tillträde till marknaden, och övervakning, inklusive läkemedelsövervakning.
- Kommissionen ämnar i detta förslag föreslå en definition av sär läkemedel som ett ämne eller en kombination av ämnen som företes som farmaceutisk specialitet och som
- används för att behandla, förebygga eller diagnostisera en livshotande eller kroniskt tärande sjukdom hos människor,
 - då sjukdomen inte drabbar fler än 5 per 10 000 personer inom Europeiska gemenskapen, och
 - då den kommersiella avkastningen är otillräcklig.

EUROPEISKA GEMENSKAPENS FORSKNING OM OVANLIGA SJUKDOMAR OCH SÄRLÄKEMEDEL

- 53 Det fjärde ramprogrammet (1994 - 1998) för forskning och teknisk utveckling⁴ nämligen programmet för biomedicin och hälsa (Biomed 2). Område 1 "Läkemedelsforskning" och område 4.6 "Forskning om ovanliga sjukdomar" omfattar forskning om utveckling av sär läkemedel och stöder grundforskning och klinisk forskning om ovanliga sjukdomar.

⁴ Beslut 94/1110/EG av den 26.4.1994, EGT nr L 126 av den 18.5.94, s.1, ändrat genom beslut 96/616/EG av den 25.3.1996, EGT nr L 86 av den 4.4.96. s.69

- 54 Forskningsuppgifterna för ovanliga sjukdomar innefattar bestämning av kriterier för diagnos, orsaker, genetiska aspekter, metoder för förebyggande med tyngdpunkten lagd vid inrättande av europeiska epidemiologiska övervakningsorgan, nätverk för information, och register över patienter med ovanliga sjukdomar för att öka den tillgängliga informationen om ovanliga sjukdomar.
- 55 Syftet med området "Läkemedelsforskning" är att stödja forskning om behandling av ovanliga sjukdomar, inklusive metodik för att snabbt utveckla säräkemedel och förråd av tillgängliga säräkemedel i Europa.

VII. KONSULTATION, UTVÄRDERING OCH RAPPORTER

KONSULTATION

- 56 Åtgärderna i detta program kommer att genomföras i nära samarbete med medlemsstaterna, särskilt vad gäller samordning av deras riktlinjer och program. Kommissionen föreslår att det inrättas en rådgivande kommitté bestående av medlemsstaternas företrädare. Lämpliga kontakter kommer också att upprätthållas med Europeiska miljöbyrån, WHO, andra relevanta internationella organisationer och tredje land i enlighet med kraven på programmets åtgärder.

UTVÄRDERINGSRAPPORTER

- 57 Bedömningen av programmet kommer att göras i två rapporter:
- En delrapport i mitten av programperioden till rådet, Europaparlamentet, Ekonomiska och sociala kommittén och Regionkommittén. Syftet med denna rapport är att säkerställa att gemenskapsinstitutionerna, och genom dessa, alla berörda parter får fullständig information om hur de vidtagna åtgärderna framskrider. Rapporten kommer också att innehålla information om de projekt som främjas genom de olika åtgärderna.
 - En slutrapport om programmets genomförande, som också innehåller en utvärdering av de åtgärder som vidtagits kommer att lämnas till ovan nämnda institutioner av kommissionen efter programmets slutförande.

ALLMÄN INFORMATIONSVERKSAMHET

- 58 Kommissionen kommer att säkerställa att allmänheten och alla berörda parter får tillgång till rapporter om genomförda åtgärder.
- 59 Gemenskapens framtida åtgärder inom folkhälsoområdet vad gäller ovanliga sjukdomar måste beakta det omfattande arbete som redan utförts, och i synnerhet de åtgärder som vidtagits i enlighet med artikel 129 och 130 f i Fördraget om upprättandet av Europeiska gemenskapen. Enligt artikel 129 i fördraget skall gemenskapen bidra till att säkerställa en folkhälsa på hög nivå genom att främja samarbetet mellan medlemsstaterna och stödja deras insatser och i nära kontakt med dem samordna deras politik och deras program, och främja samarbetet med tredje land och behöriga internationella organisationer på folkhälsoområdet.

**Förslag till
EUROPAPARLAMENTETS OCH RÅDETS BESLUT**

**om godkännande av ett program för gemenskapsåtgärder 1999-2003 för ovanliga
sjukdomar inom ramen för insatser på folkhälsoområdet**

MOTIVERING

1. I sitt meddelande av den 24 november 1993 KOM(93) 559 slutlig om en ram för gemenskapsåtgärder på folkhälsoområdet beskrev kommissionen principerna och strategin för gemenskapsåtgärder för att uppfylla målsättningarna för hälsoskydd enligt artiklarna 3 o och 129 i Fördraget om upprättandet av Europeiska gemenskapen.
2. Gemenskapens roll skall vara att stödja medlemsstaternas insatser på folkhälsoområdet, bistå vid utformning och genomförande av mål och strategier, samt bidra till att en hög hälsoskyddsnivå uppnås inom gemenskapen. Målsättningen är att uppnå de bästa resultaten från ett bestämt område var som helst inom gemenskapen.
3. I enlighet med artikel 129 lägger kommissionen fram förslag till inledande åtgärder som skall bidra till att säkerställa ett hälsoskydd på hög nivå som Europaparlamentet och rådet skall godkänna.
4. Kommissionens meddelande som nämndes ovan fastställer kriterier för hur prioriterade områden för gemenskapens handlingsprogram skall bestämmas. I enlighet med dessa kriterier fastställdes det att ovanliga sjukdomar utgör ett sådant prioriterat område.
5. Kommissionens nuvarande förslag som grundar sig på artikel 129 och som redan har tillkännagivits i kommissionens arbetsprogram för 1996 inordnar sig under principen för delad behörighet mellan gemenskapen och medlemsstaterna och strävar efter att förbättra informationen om ovanliga sjukdomar, stödet till patientgrupper och riskanalys och riskhantering vid kluster av ovanliga sjukdomar. Denna gemenskapsåtgärd kommer att följa principerna för subsidiaritet och proportionalitet.
6. I enlighet med subsidiaritetsprincipen får åtgärder på områden där gemenskapen inte ensam har behörighet, såsom åtgärder vad gäller ovanliga sjukdomar, vidtas av gemenskapen endast när dessa, på grund av deras omfattning och verkningar, bättre kan uppnås på gemenskapsnivå.
7. Ovanliga sjukdomar är sjukdomar som har en allmänt accepterad förekomst på mindre än 5 per 10 000 personer inom hela gemenskapen. De sjukdomar som särskilt åsyftas i detta program är sådana som kräver särskilda gemensamma åtgärder för att säkerställa att det inte förekommer någon anmärkningsvärd prenatal och prematur sjuklighet och dödlighet, avsevärt minskad livskvalitet eller avsevärt minskade socioekonomiska möjligheter för individen.
8. Det föreslagna femåriga handlingsprogrammet skall vara ett komplement till medlemsstaternas pågående arbete genom åtgärder för allmänheten, yrkesverksamma inom vården och myndigheter.

- 9 Det skulle med de tillgängliga begränsade resurserna vara omöjligt för ett gemenskapsprogram för folkhälsa att omfatta alla de uppskattningsvis 5 000 ovanliga sjukdomarna och alla aspekter av ovanliga sjukdomar.
- 10 Vid val av mål och fastställande av åtgärder som skall ingå i programmet har den nuvarande situationen i medlemsstaterna och på gemenskapsnivå beaktats inom det område som programmet täcker. Programmet har som målsättning att i allt högre grad förbättra och på ett effektivare sätt sprida informationen och stödja patientgrupperna och paraplyorganisationerna, och att upprätta team för kluster och att öka samarbetet mellan medlemsstaterna för att undvika onödigt dubbelarbete och påskynda godkännandet av de bästa lösningarna på problem som är gemensamma för alla medlemsstater när det gäller sådana sjukdomar.
- 11 När det gäller kriteriet om att det tillförs mervärde på gemenskapsnivå har en särskild relevans när det gäller ovanliga sjukdomar, eftersom insatserna får en omfattning och en verkan som är så unik att de ger mervärde till alla medlemsstaterna.
- 12 Detta program genomförs på grundval av ett beslut fattat av Europaparlamentet och rådet enligt artikel 129. Det hör inte till gemenskapens exklusiva kompetensområde och strävar inte efter eller förutsätter harmonisering av nationella bestämmelser på det berörda området.
- 13 En utvärdering av de åtgärder som vidtas inom programmet kommer att göras i två rapporter: en delrapport som granskar framskridandet och en slutrapport om programmets genomförande. I dessa rapporter kommer det att ingå information om gemenskapens finansiering av de olika åtgärdsområdena samt om utvärderingsresultaten. De kommer att överlämnas till rådet och Europaparlamentet samt Ekonomiska och sociala kommittén och Regionkommittén.

**Förslag till
EUROPAPARLAMENTETS OCH RÅDETS BESLUT**

**om godkännande av ett program för gemenskapsåtgärder 1999-2003 för ovanliga
sjukdomar inom ramen för insatser på folkhälsoområdet**

EUROPAPARLAMENTET OCH EUROPEISKA UNIONENS RÅD HAR BESLUTAT
FÖLJANDE

med beaktande av Fördraget om upprättandet av Europeiska gemenskapen, särskilt artikel 129 i detta,

med beaktande av kommissionens förslag¹,

med beaktande av Ekonomiska och sociala kommitténs yttrande²,

med beaktande av Regionkommitténs yttrande³,

i enlighet med de förfaranden som anges i artikel 189b i fördraget, och

med beaktande av följande:

1. Det faktum att sjukdomarna och tillstånden är ovanliga, samt att det inte finns någon information om dem, leder till att många av dem som drabbats inte alltid får de resurser och den omsorg de behöver.
2. Ovanliga sjukdomar kommer att för detta program definieras som livshotande eller kroniskt tärande sjukdomar som är så pass ovanliga att särskilda gemensamma åtgärder behövs för att bekämpa dem.
3. I enlighet med artikel 3 o i fördraget skall gemenskapens verksamhet inbegripa insatser som syftar till att uppnå en hög hälsoskyddsnivå.
4. I artikel 129 fastställs uttryckligen gemenskapens behörighet inom detta område, såtillvida att gemenskapen bidrar till att främja samarbete mellan medlemsstaterna och vid behov stödja deras verksamhet, samt att främja samordning av deras verksamhetsområden och program och gynnande av samarbete på folkhälsoområdet mellan behöriga internationella organisationer och tredje land. Gemenskapsåtgärder bör vara inriktade på förebyggande av sjukdomar och främjande av hälsofostran och information.

¹ EGT nr

² EGT nr

³ EGT nr

5. Det har fastställts att ovanliga sjukdomar utgör ett prioriterat område för gemenskapsåtgärder inom ramen för åtgärder på folkhälsoområdet⁴.
6. I sin resolution A4-0311/95 om det medelfristiga sociala handlingsprogrammet för 1995-1997⁵ uppmanade parlamentet kommissionen att genom lämpligt förfarande lägga fram det handlingsprogram för ovanliga sjukdomar som planerats i kommissionens rammeddelande för insatser på folkhälsoområdet.
7. I enlighet med subsidiaritetsprincipen får åtgärder på områden där gemenskapen inte ensam har kompetens, såsom åtgärder vad gäller ovanliga sjukdomar, endast vidtas av gemenskapen när dessa, på grund av deras omfattning och verkningar, bättre kan uppnås på gemenskapsnivå.
8. Gemenskapen kan ge ett mervärde till medlemsstaternas insatser för ovanliga sjukdomar. Detta sker genom samordning av nationella åtgärder, spridning av information och erfarenheter, gemensamt fastställande av prioriteringar, utveckling av lämpliga nätverk, val av europeiska projekt och motivering och mobilisering av alla involverade.
9. Samarbetet på folkhälsoområdet med behöriga internationella organisationer och tredje land bör utvecklas.
10. Genom att undvika onödigt dubbelarbete kommer programmet att bidra till att gemenskapens mål som anges i artikel 129 uppnås med hjälp av stöd för att förbättra kunskaperna om och förståelsen för ovanliga sjukdomar och genom att utveckla åtgärder som kompletterar gemenskapens befintliga program och åtgärder.
11. För att öka programmets värde och effekter bör en fortlöpande granskning ske av de åtgärder som vidtagits, särskilt när det gäller deras effektivitet och huruvida de uppställda målen uppfyllts, och vid behov bör nödvändiga ändringar göras.
12. Detta program bör ha en varaktighet av fem år för att man skall ha tillräcklig tid att genomföra de åtgärder genom vilka de uppställda målen skall nås.
13. Införandet av särskilda gemenskapsåtgärder kommer att bidra till att säkerställa att alla medlemsstater snabbt informeras vid en nödsituation så att de kan skydda sin befolkning.
14. Dessa gemenskapsåtgärder för ett snabbt informationsutbyte påverkar inte medlemsstaternas rättigheter och skyldigheter enligt fördrag eller bilaterala och multilaterala konventioner.
15. Den 20 december 1994 enades Europaparlamentet, rådet och kommissionen om ett modus vivendi avseende genomförandeåtgärder för de rättsakter som antas enligt förfarandet i artikel 189b i fördraget.

⁴ KOM (93) 559 slutlig

⁵ EGT nr C 32 5.2.96, s. 15-24

16. Detta beslut föreskriver för hela den tidsperiod som programmet pågår en
finansiell ram som utgör den viktigaste utgångspunkten för den
budgetansvariga myndigheten under det årliga budgetförfarandet enligt
punkt 1 i Europaparlamentets, rådets och kommissionens deklaration av
den 6 mars 1995.
17. Gemenskapens budgetplan är giltig fram till 1999 och kommer därefter att
revideras.
18. Den nya budgetramen för de sista fyra åren av programmet (2000-2003) skall
bestämmas efter det att framtida finansiella mål upprättats.

HÄRIGENOM FÖRESKRIVS FÖLJANDE:

Artikel 1

Programmets upprättande

1. Ett program för gemenskapsåtgärder för ovanliga sjukdomar, nedan kallat "detta program", antas härmed för perioden 1 januari 1999 till 31 december 2003 inom ramen för insatser på folkhälsoområdet.
2. Programmets mål skall vara att bidra till säkerställandet av en hög hälsoskyddsnivå för ovanliga sjukdomar samt förmedla kunskap om dessa sjukdomar genom att främja och befästa patientstödgrupper och främja skapandet av särskilda team för hantering av ovanliga sjukdomar.
3. De åtgärder som skall genomföras inom ramen för detta program och deras specifika mål anges i bilagan under följande rubriker:
 - 1) Åtgärder för gemenskapsinformation om ovanliga sjukdomar
 - 2) Åtgärder för att stödja patient- och familjestödgrupper
 - 3) Åtgärder för att hantera kluster av ovanliga sjukdomar

Artikel 2

Genomförande

1. Kommissionen skall i nära samarbete med medlemsstaterna säkerställa att de åtgärder som anges i bilagan genomförs.
2. Kommissionen skall samarbeta med institutioner och organisationer som är aktiva på området avseende ovanliga sjukdomar.

Artikel 3

Budget

1. Finansieringsramen för genomförande av detta program för 1999 skall i enlighet med nuvarande finansiella mål vara 1,3 miljoner ecu. Finansieringsramen för programmets fyra sista år (2000 - 2003) skall avgöras i detalj efter det att framtida finansiella mål upprättats.
2. De årliga anslagen skall fastslås av budgetmyndigheten i enlighet med de finansiella målen.

Artikel 4

Överensstämmelse och komplementaritet

Kommissionen skall säkerställa att det råder överensstämmelse och komplementaritet mellan de åtgärder som skall genomföras inom ramen för detta program och andra relevanta gemenskapsprogram och gemenskapsinitiativ.

Artikel 5

Kommitté

- 1 Vid genomförandet av detta handlingsprogram skall kommissionen bistås av en rådgivande kommitté, i det följande kallad "kommittén", som består av företrädare från medlemsstaterna. Ordförande är en företrädare för kommissionen.
2. Kommissionens företrädare skall förelägga kommittén förslag till åtgärder som skall vidtas, särskilt avseende
 - a) kriterier och förfaranden för urval och finansiering av projekt inom ramen för detta program,
 - b) utvärderingsförfarande.

Kommittén skall yttra sig över förslaget inom den tid som ordföranden bestämmer med hänsyn till hur brådskande frågan är, om nödvändigt genom omröstning.

Yttrandet skall protokollföras och dessutom har varje medlemsstat rätt att begära att få sin uppfattning tagen till protokollet.

Kommissionen skall ta största hänsyn till det yttrande som kommittén avgett. Den skall underrätta kommittén om det sätt på vilket dess yttrande har beaktats.

Kommissionens företrädare skall regelbundet informera kommittén om förslag från kommissionen eller gemenskapsinitiativ och genomförande av program inom andra områden som är av betydelse för att målen i detta program skall uppnås.

Artikel 6

Internationellt samarbete

1. Vid genomförande av detta program skall samarbete med tredje land och behöriga internationella organisationer på folkhälsområdet utvecklas.

2. I detta program skall de associerade länderna i Centraleuropa kunna delta i enlighet med de villkor som fastställs i associeringsavtalen eller tilläggsprotokollen om medverkan i gemenskapsprogram. I detta program skall Cypern och Malta kunna delta med stöd av tilläggsanslag enligt samma regler som tillämpas för EFTA-länderna, i enlighet med förfaranden som skall fastställas i samråd med dessa länder.

Artikel 7

Kontroll och utvärdering

1. Kommissionen skall vid genomförandet av detta beslut vidta nödvändiga åtgärder för att säkerställa övervakning och fortlöpande utvärdering av programmet och i samband med detta beakta de allmänna och särskilda mål som anges i artikel 1 och i bilagan.
2. Kommissionen skall under programmets tredje år lägga fram en utvärdering till Europaparlamentet och rådet
3. Kommissionen skall lämna in en slutrapport till Europaparlamentet och rådet, när hela programmet genomförts.
4. Dessa rapporter skall innehålla information om gemenskapsfinansiering inom olika verksamhetsområden, om komplettering med övriga åtgärder som anges i artikel 4, samt om utvärderingsresultat. Kommissionen skall också sända dessa rapporter till Ekonomiska och sociala kommittén och Regionkommittén.

Utfärdat i Bryssel den

På Europaparlamentets vägnar
Ordförande

På rådets vägnar
Ordförande

BILAGA

SPECIFIKA MÅL OCH ÅTGÄRDER

I. ÅTGÄRDER FÖR ATT FÖRBÄTTRA INFORMATIONEN OM OVANLIGA SJUKDOMAR

Mål: att tillhandahålla bättre information om ovanliga sjukdomar för patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare.

1. Uppmuntra och stödja upprättandet av en europeisk databas över ovanliga sjukdomar, där posterna skulle bestå av sjukdomens namn, synonymer, en allmän beskrivning, symptom, orsaker, drabbad population, normala behandlingsformer, experimentella behandlingar (i tillämpliga fall) samt en förteckning över resurser som kan kontaktas för ytterligare information om sjukdomen.
2. Främja tillgången till information och samordna tillgängliga informationssystem och tjänster genom att stödja upprättandet och stärkandet av nätverk på lokal, regional, nationell och gemenskapsnivå.
3. Anordna konsensusmöten mellan yrkesverksamma inom vården för att förbättra tidig upptäckt, erkännande, behandling och förebyggande av ovanliga sjukdomar.

II. ÅTGÄRDER FÖR ATT STÖDJA PATIENT- OCH FAMILJESTÖDGRUPPER

Målsättning: att upprätta, gynna och stärka frivilligorganisationer som ger stöd åt personer som är direkt eller indirekt drabbade av ovanliga sjukdomar.

4. Främja upprättandet av grupper för personer som har samma ovanliga sjukdom eller för den som i sitt yrke arbetar med ovanliga sjukdomar för att sprida deras erfarenheter, underlätta utbildning och samordna deras verksamhet på nationell nivå och gemenskapsnivå.
5. Främja gruppernas samarbete och nätverk samt inrätta parplyorganisationer med särskild inriktning på att uppmuntra det fortsatta arbetet och samarbetet mellan länderna.

III. ÅTGÄRDER FÖR ATT HANTERA KLUSTER AV OVANLIGA SJUKDOMAR

Målsättning: att säkerställa en effektiv hantering av problemet med kluster, vilket är mycket viktigt för ovanliga sjukdomar.

6. Stödja övervakningen av ovanliga sjukdomar, inklusive medfödda missbildningar, genetiska sjukdomar och organiska sjukdomar.
7. Främja skapandet av särskilda team för hantering av ovanliga sjukdomar och av specialiserade kurser för dem som undersöker kluster.
8. Stödja övervaknings- och förvarningssystem vid kluster.
9. Uppmuntra kunskapsutbyte vid utvärdering, analys och hantering av kluster av ovanliga sjukdomar som har exogena orsaker.

FINANSIERINGSÖVERSIKT

1 ÅTGÄRDENS BETECKNING

Förslag till Europaparlaments och rådets beslut om godkännande av ett program för gemenskapsåtgärder för ovanliga sjukdomar inom ramen för insatser på folkhälsoområdet.

2 BERÖRDA BUDGETPOSTER

B3-.....

3 RÄTTSLIG GRUND

Artikel 3 o och artikel 129 i Fördraget om upprättandet av Europeiska gemenskapen.

4 BESKRIVNING AV ÅTGÄRDEN

4.1 Allmänt mål

Att bidra till att målen som fastställts i fördraget uppnås:

- Enligt artikel 3 o skall gemenskapen bidra till att uppnå en hög hälsoskyddsnivå.
- Enligt artikel 129 skall gemenskapen bidra till att säkerställa en hög hälsoskyddsnivå för människor, särskilt genom att främja samarbetet mellan medlemsstaterna och vid behov stödja deras insatser, främja samordning av deras politik och program och främja samarbetet med tredje land och behöriga internationella organisationer på folkhälsoområdet. Gemenskapens insatser skall inriktas på att förebygga sjukdomar, särskilt de stora folksjukdomarna genom att främja forskning om deras orsaker och överföring samt hälsouppllysning och hälsoundervisning.

Handlingsprogrammets allmänna mål är att bidra till att en hög hälsoskyddsnivå för ovanliga sjukdomar uppnås inom gemenskapen.

Följande metoder skulle kunna användas för att uppnå detta mål:

- Ge möjlighet att vidta mycket mera omfattande åtgärder och ta initiativ till samordnade insatser för patienter som annars skulle isoleras eller feldiagnostiseras.
- Ge information om ovanliga sjukdomar.
- Stödja organisation och inrättandet av patient- och familjestödgrupper.
- Med kraft främja skapandet av särskilda team för hantering av kluster av ovanliga sjukdomar.

4.2 Period som omfattas av åtgärden och bestämmelser om förnyelse eller förlängning

- Fem år: 1.1.1999–31.12.2003
- En rapport om genomförande skall lämnas till rådet och Europaparlamentet under programmets tredje år för att tillkännage ändringsbehov.
- En rapport lämnas till rådet och Europaparlamentet tillsammans med utvärderingsresultaten efter att programmet har avslutats.

5 KLASSIFICERING AV UTGIFTER OCH INKOMSTER

- Icke-obligatoriska utgifter
- Differentierade anslag

6 TYP AV UTGIFTER OCH INKOMSTER

Bidrag till samfinansiering med andra finansieringskällor inom den offentliga eller privata sektorn (får inte överskrida ett visst procenttal av det föreslagna projektets totala kostnader).

Nivån på beviljade anslag beror på vilken omfattning som åtgärderna som skall finansieras har och på i vilken utsträckning som handlingsprogrammet återspeglas i olika planerade verksamheter. Anslag av detta slag kommer inte att överskrida 70 % av den totala budget som har öronmärkts för de planerade projekten, förutom när det gäller nätverk och arbeten, som har beställts av kommissionen eller som kommissionen har direkt nytta av, varvid bidragen kan gå upp till 100 %.

7 BUDGETKONSEKVENSER

7.1 Metod för att beräkna åtgärdens totala kostnad (definition av kostnad per enhet)

Kalkyleringsmetoden är ett resultat av de erfarenheter som har erhållits av tidigare verksamhet med anknytning till hälsofrågor i miljösammanhang. Detta omfattar de olika typer av gemenskapsåtgärder som listas i tabell 4 i kommissionens meddelande KOM(93)559 slutlig av den 24 november 1993. Metoden representerar 10 års kunnande om finansieringssamarbete med medlemsstaterna och icke-statliga organisationer inom insamling, analys och spridande av information, nätverk, kvalitetsutvärdering av olika kampanjer såsom Europaveckor, inrättande av mekanismer och förfaranden för rådfrågning och samarbete för inrättande av gemensamma mål, och för att samordna insatser, och för att utarbeta och utveckla strategier på gemenskapsnivå. De särskilda kostnadsberäkningarna grundar sig på antagandet att hälften av den verksamhet som skall genomföras inom detta program kommer att fordra bidrag till 100 %, medan den andra hälften kommer att fordra bidrag till 50 % och att den

verksamhet som kommer att genomföras inbegriper de flesta eller alla medlemsstaterna. Ett belopp på 1,3 miljoner ecu har bedömts som nödvändigt för dessa åtgärder under 1999. Den nya budgetramen för de sista fyra åren kommer att upprättas under år 2000 med beaktande av den framtida gemenskapens finansiella mål. De årliga anslagen kommer att beslutas i enlighet med de normala budgetförfarandena.

7.1.1 Databas över ovanliga sjukdomar för patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare.

Upprätta en europeisk databas över ovanliga sjukdomar, där posterna består av sjukdomens namn, synonymer, en allmän beskrivning, symtom, orsaker, drabbad population, normala behandlingar, experimentella behandlingar (i tillämpliga fall) samt en förteckning över resurser som kan kontaktas för ytterligare information om sjukdomen. Upprättandet av denna databas 1999 har beräknats kosta 600 000 ecu.

Anordnande av konsensusmöten mellan yrkesverksamma inom vården om ovanliga sjukdomar under 1999 kommer att kosta 100 000 ecu.

7.1.2 Inrätta frivilligorganisationer för ovanliga sjukdomar

Möten för att främja inrättandet av frivilligorganisationer som ger stöd åt personer som är drabbade av ovanliga sjukdomar under 1999 : 200 000 ecu.

7.1.3 Effektivt hanterande av kluster av ovanliga sjukdomar

Inrättandet av övervakningssystem vid kluster kommer att kosta 300 000 ecu för 1999.

Skapandet av arbetslag för ovanliga sjukdomar och inrättandet av kurser för att utreda kluster kommer att kosta 100 000 ecu för 1999.

7.2 Kostnadernas fördelning mellan åtgärdens olika delar (i miljoner ecu) - vägledande planer

MÅL	VERKSAMHETSOMRÅDE	ÅR					
		1999	2000	2001	2002	2003	TOT.
Att tillhandahålla bättre information om ovanliga sjukdomar för patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare	Uppmuntra och stödja upprättandet av en europeisk databas över ovanliga sjukdomar, där posterna skulle bestå av sjukdomens namn, synonymer, en allmän beskrivning, symptom, orsaker, drabbad befolkning, standardbehandling, experimentella behandlingar (i tillämpliga fall) samt en förteckning över resurser som kan kontaktas för ytterligare information om sjukdomen.	0,6	=	=	=	=	0,6
	Främja tillgången till information och samordna tillgängliga informationssystem och tjänster genom att stödja upprättandet och stärkandet av nätverk på lokal, regional, nationell och gemenskapsnivå.	=	=	=	=	=	=
	Anordna konsensusmöten mellan yrkesverksamma inom vården för att förbättra tidig upptäckt, erkännande, behandling och förebyggande av ovanliga sjukdomar.	0,1	=	=	=	=	0,1

Att upprätta, gynna och stärka frivilligorganisationer som ger stöd åt personer som är direkt eller indirekt drabbade av ovanliga sjukdomar.	Främja upprättandet av grupper för personer som har samma ovanliga sjukdom eller för den som i sitt yrke arbetar med ovanliga sjukdomar för att sprida deras erfarenheter, underlätta utbildning och samordna deras verksamhet på nationell nivå och gemenskapsnivå.	=	=	=	=	=	=
	Främja gruppernas samarbete och nätverk samt inrätta parflyorganisationer med särskild inriktning att uppmuntra det fortsatta arbetet och samarbetet mellan länderna.	0,2	=	=	=	=	0,2
Att säkerställa en effektiv hantering av problemet med kluster, vilket är mycket viktigt för ovanliga sjukdomar.	Stödja övervakningen av ovanliga sjukdomar, inklusive medfödda missbildningar, genetiska sjukdomar eller organiska sjukdomar.	0,3	=	=	=	=	0,3

	Främja skapandet av särskilda team för hantering av ovanliga sjukdomar och av specialiserade kurser för dem som undersöker kluster.	0,1	=	=	=	=	0,1
	Stödja övervaknings- och förvarningssystem vid kluster.		=	=	=	=	=
	Uppmuntra kunskapsutbyte vid utvärdering, analys och hantering av kluster av ovanliga sjukdomar som har exogena orsaker.		=	=	=	=	=
	T O T A L T	1,3	p.m	p.m	p.m	p.m	1,3

7.3 Vägledande tidsplan över anslag (i miljoner ecu)

	1999	2000	2001	2002	2003	TOTALT
Åtagandebe- myndiganden	1,3	=	=	=	=	1,3
Betalningsbe- myndiganden						
1999	0,78	=	=	=	=	0,78
2000	0,52	=	=	=	=	0,52
2001	=	=	=			=
2002	=	=	=	=	=	=
2003	=	=	=	=	=	=
Följande budgetår	=	=	=	=	=	=
TOTALT	1,3	p.m	p.m	p.m	p.m	1,3

8 BESTÄMMELSER OM BEDRÄGERIBEKÄMPNING. RESULTAT AV ÅTGÄRDER

På ansökningsblanketterna för stöd skall eventuella stödmottagare ange kontaktuppgifter och organisationens slag för att deras tillförlitlighet skall kunna fastställas på förhand.

Bestämmelser om bedrägeribekämpning (checkar, delrapporter, slutrapporter) ingår i avtalen eller kontrakten mellan kommissionen och stödmottagarna. Kommissionen kommer att kontrollera rapporterna och försäkra sig om att arbetet har genomförts väl innan del- och slutbetalningarna görs.

Dessutom gör kommissionen stickprov för att kontrollera hur medlen har använts. Kontroller har redan genomförts av andra budgetposter för folkhälsoområdet i samband med budgetåren 1991 till 1995 och har påvisat deras effektivitet.

9 ANALYS AV KOSTNADSEFFEKTIVITET

9.1 Särskilda och kvantifierbara mål

Gemenskapsåtgärderna strävar till att säkerställa en hög hälsoskyddsnivå mot ovanliga sjukdomar genom att tillhandahålla information om ovanliga sjukdomar för patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare, och upprätta, stödja och stärka frivilligorganisationer som ger stöd åt personer som är direkt eller indirekt drabbade av ovanliga sjukdomar, och säkerställa en effektiv hantering av problemet med kluster, vilket är mycket viktigt för ovanliga sjukdomar. Detta skall ske genom att följande mål uppfylls:

- Spridande av information om ovanliga sjukdomar till patienter, yrkesverksamma inom vården och forskare.
- Inrättande av en europeisk databas över ovanliga sjukdomar.
- Tillgängliggörande av konsensusdokument om upptäckt, erkännande, behandling och förebyggande av ovanliga sjukdomar,
- Fungerande patientorganisationer som på lokal, regional och gemenskapsnivå verkar inom området ovanliga sjukdomar.
- närvaro av paraplyorganisationer på gemenskapsnivå för att främja samarbete om ovanliga sjukdomar.
- Närvaro av särskilda team för hantering av ovanliga sjukdomar och av specialiserade kurser, samt övervaknings- och förvarningssystem för ovanliga sjukdomar.

Målgrupp

1. Behöriga hälso- och sjukvårdsmyndigheter i medlemsstaterna på nationell, regional och lokal nivå samt behöriga internationella organisationer på folkhälsoområdet.

2. Patientstödgrupper, yrkesverksamma inom vården och deras föreningar, högskoleinstitutioner o.s.v.
3. Icke-statliga organisationer och andra organ som verkar inom folkhälsoområdet, samt allmänheten.

9.2 Skäl för åtgärden

När verksamhet enligt artikel 129 påbörjas skall gemenskapen delta i förebyggande av sjukdomar och i hälsoskydd. Kommissionens meddelande¹ om ramen för insatser på folkhälsoområdet fastställer kriterier för prioritering av områden i gemenskapsprogrammen. I enlighet med dessa kriterier utvärderade rammeddelandet 1993 de olika möjligheterna som finns för att bekämpa sjukdomar i synnerhet de stora folksjukdomarna och deras bakomliggande orsaker, genom olika slags gemenskapsåtgärder samt bibehöll på grundval av de kriterier som fastställdes i detta meddelande åtta prioriterade områden där ovanliga sjukdomar var ett.

Ovanliga sjukdomar definieras i detta program som livshotande eller kroniskt tärande sjukdomar som är så pass ovanliga att särskilda gemensamma åtgärder behövs, vilket visats i en utvärdering *ex ante*.

Programmet har som målsättning att få till stånd ett ökat och effektiviserat utbyte av kunskap och erfarenheter, ökad förståelse av de viktigaste problemen vid ovanliga sjukdomar inom hela gemenskapen och ett ökat samarbete mellan medlemsstaterna, så att onödigt dubbelarbete kan undvikas och den bästa lösningen kan uppnås för de vanliga problem som medlemsstaterna har vid sådana sjukdomar. Gemenskapens och kommissionens bidrag till detta genom artikel 129 i fördraget erbjuder tydliga gemensamma regler.

Vad gäller metoder för ingripande och anslag gäller följande:

- Särskild tillämpning av subsidiaritetsprincipen vid fastställande av åtgärder som skall vidtas och samfinansieras.
- Fastställande av kriterier och val av projekt för samfinansiering avseende ovanliga sjukdomar.
- Mervärde för gemenskapen, som i även i fortsättningen kommer att uppnås särskilt genom samordning av nationella åtgärder, spridning av information och erfarenheter, fastställande av prioriteringar, utveckling av lämpliga nätverk, val av europeiska projekt och motivering och mobilisering av alla involverade.

Två metoder kommer att användas vid genomförandet av programmet. Den ena är att stödja projekt som genomförs i medlemsstaterna och på gemenskapsnivå. Valet av projekt som prioriteras grundar sig i stor utsträckning på allmänna mål och mål på medellång sikt. Genomförandet av själva åtgärderna beror på hurudan kvalitet och effektivitet projekten som föreläggs den behöriga avdelningen under året har. Den

¹ KOM (93) 559 slutlig av den 23 november 1993

andra metoden är att vidta särskilda åtgärder som är nödvändiga för att uppnå programmets mål, som helt och hållet kommer att finansieras av programmet.

Projektens urvalskriterier är följande:

- Förenlighet med målen och överensstämmelse med åtminstone ett av de uppställda målen.
- Granskning av "mervärde för gemenskapen" i projekten (gränsöverskridande deltagande, utveckling av en mall som är tillämplig i andra medlemsstater, information som är användbar i andra medlemsstater osv.).
- Förmodad effektivitet och lönsamhet.
- Klara och motiverade bestämmelser.
- Den valda metodikens relevans.
- Organisatorisk behörighet och erfarenhet.
- Lämplig budget för målen.
- Stöd för nationella samarbetspartners projekt.
- Objektiv bedömning.
- Yttrande av den involverade rådgivande kommittén.

Den budget på 1,3 miljoner ecu som har föreslagits för programmets första år svarar mot den budget som samtidigt har föreslagits för programmen för ovanliga sjukdomar och sjukdomar orsakade av miljöförorening. Detta återspeglar att varje område i kommissionens meddelande från 1993 ges samma prioritet, vilket fortfarande gäller. Det föreslagna beloppet utgör den minsta möjliga summa som behövs för att inleda programmet.

9.3 Uppföljning och utvärdering av åtgärderna

9.3.1 Övervakning av åtgärderna

Kommissionen skall övervaka genomförandet på gemenskapsnivå och överlämna en rapport till rådet, Europaparlamentet, Ekonomiska och sociala kommittén och Regionkommittén då halva programmet har genomförts samt en slutrapport efter att programmet har avslutats, med utgångspunkt i nationella rapporter samt utvärderingar av programåtgärder och enskilda projekt.

9.3.2 Utvärdering

Utvärderingen sker på följande sätt:

- En utvärdering av huvudåtgärderna och subventionerade projekt, i vilken i förekommande fall oberoende experter medverkar.
- En utvärdering under det tredje året.
- En övergripande rapport om kvaliteten och effektiviteten på projekten som har genomförts inom handlingsplanen, vilken skall överlämnas av kommissionen till de övriga gemenskapsinstitutionerna efter att programmet har slutförts.

Följande resultatindikatorer har valts för denna utvärdering:

- Kommissionens tjänstemän eller deras samarbetspartner utvärderar projekten.
- Analysering av delrapporter om planerade och finansierade åtgärder, i vilka en variation av tyngdpunkten tillåts där det är möjligt.
- Externa organ undersöker verkningarna.
- Den av anordnarna använda metodikens relevans.
- Lämplig budget för målen.
- Organens kunskaper och erfarenhet.
- Spridning av resultaten.

Utvärderingarnas form och frekvens är följande:

- Utarbetande av del- och slutrapporter om olika åtgärder som vidtagits på området.
- Utvecklande av en "standardiserad" utvärderingsblankett för åtgärder, som stödmottagarna lämnar in tillsammans med sina slutrapporter. Dessa dokument kontrolleras antingen av kommissionens tjänstemän eller av tjänstemän på området.

10 ADMINISTRATIVA UTGIFTER (DEL A I BUDGETEN)

Den faktiska avsättningen av nödvändiga administrativa medel kommer att baseras på kommissionens årliga beslut om fördelning av medel, med hänsyn till vilket antal tjänster och vilka ytterligare medel som beviljas av den budgetansvariga myndigheten.

10.1 Konsekvenser för antalet tjänster

Typ av tjänster		Erforderlig personal för att förvalta åtgärder		varav		period
		Fasta tjänster	Tillfälliga tjänster	Befintliga tjänster inom berört GD eller berörd enhet	Ytterligare tjänster	
Fast anställda eller tillfällig personal	A	1	0	1	0	
	B	1	0	1	0	
	C	1	0	1	0	
Andra tjänster						
Totalt		3	0	3	0	

10.2 Budgetkonsekvens av ytterligare personal

10.3 Ökning av andra administrativa utgifter till följd av åtgärden

Budgetpost	Belopp	Beräkningsmetod
Möten A2510	104,250 ecu	2 möten för rådgivande kommittén/år, 1 representanter/medlemsstat = 2 möten/år x 15 repr. x 695 ecu/repr. x 5 år = 104 250 ecu

De medel som behövs för att täcka utgifterna nedan under femårsperioden kommer att erhållas genom att befintliga finansiella resurser omplaceras och genom att tilläggsresurser inte kommer att behövas.

a) Personalutgifter (Avdelning A1, A2 och A5)

$3 \times 100\,000 \text{ ecu} \times 5 \text{ år} = 1\,500\,000 \text{ ecu}$

b) Driftsutgifter

Utgifter för möten (A-250)

$2 \text{ möten/år} \times 15 \text{ experter} \times 825 \text{ ecu/expert} \times 5 \text{ år} = 123\,750 \text{ ecu}$

Reseutgifter (A-130)

$24 \text{ tjänsteresor/år Bryssel-Luxemburg} \times 200 \text{ ecu/tjänsteresor} \times 5 \text{ år} = 24\,000 \text{ ecu}$

$60 \text{ tjänsteresor/år för medlemsstater} \times 1000 \text{ ecu/tjänsteresor} \times 5 \text{ år} = 300\,000 \text{ ecu}$

c) Totalt: 1 947 750 ecu

ISSN 1024-4506

KOM(97) 225 slutlig

DOKUMENT

SV

05

Katalognummer : CB-CO-97-217-SV-C

ISBN 92-78-19718-1

Byrån för Europeiska gemenskapernas officiella publikationer

L-2985 Luxemburg