



KOMMISSION DER EUROPÄISCHEN GEMEINSCHAFTEN

Brüssel, den 26.05.1997
KOM(97) 225 endg.

97/0146 (COD)

MITTEILUNG DER KOMMISSION
zu einem Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des
Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit

Vorschlag für einen
BESCHLUSS DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES RATES
zur Annahme eines Programms der Gemeinschaft
betreffend seltene Krankheiten
innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen
Gesundheit
1999-2003

(von der Kommission vorgelegt)

MITTEILUNG DER KOMMISSION

zu einem Aktionsprogramm der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des
Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit

INHALT

I.	EINLEITUNG	3
II.	WICHTIGE ASPEKTE SELTENER KRANKHEITEN	5
III.	DEFINITION SELTENER KRANKHEITEN	7
IV.	ÜBERBLICK ÜBER IN DEN MITGLIEDSTAATEN UND AUF INTERNATIONALER EBENE IM BEREICH DER ÖFFENTLICHEN GESUNDHEIT DURCHGEFÜHRTE MASSNAHMEN BETREFFEND SELTENE KRANKHEITEN	9
V.	ÜBERBLICK ÜBER MASSNAHMEN DER GEMEINSCHAFT BETREFFEND SELTENE KRANKHEITEN	10
VI.	AKTIONSPLAN DER GEMEINSCHAFT	11
VII.	KONSULTATION, BEWERTUNG UND BERICHTE	15

I. Einleitung

1. In ihrer Mitteilung vom 24. November 1993 über den Aktionsrahmen im Bereich der öffentlichen Gesundheit¹ definierte die Kommission die Ziele des Gesundheitsschutzes entsprechend Artikel 3 Buchstabe o und 129 des Vertrages zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft. Die Aufgabe der Gemeinschaft besteht in der Unterstützung der Bemühungen der Mitgliedstaaten im Bereich der öffentlichen Gesundheit, der Formulierung und Umsetzung von Zielsetzungen und Strategien und in dem Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus innerhalb der Gemeinschaft, wobei als Zielvorgabe die besten Ergebnisse festgesetzt werden sollen, die irgendwo in der Gemeinschaft bereits erzielt wurden.
2. Mit der Einleitung von Maßnahmen in Übereinstimmung mit Artikel 129 muß sich die Gemeinschaft mit der Verhütung von Krankheiten, insbesondere mit weitverbreiteten schwerwiegenden Krankheiten und dem Schutz der Gesundheit auseinandersetzen. Nach den in der Kommissionsmitteilung festgeschriebenen Kriterien gelten seltene Krankheiten als Schwerpunktbereich für die Tätigkeit der Gemeinschaft.
3. Der Bereich der öffentlichen Gesundheit befaßt sich, wie der Begriff schon sagt, mit den Gesundheitsbedürfnissen der gesamten Bevölkerung. Dies bedeutet, daß verfügbare Gesundheitsdienstleistungen und -mittel, insbesondere Präventionsmaßnahmen, zum Nutzen möglichst vieler Menschen eingesetzt werden sollten. Dieser Grundsatz trifft auf die von seltenen Krankheiten Betroffenen genauso zu wie auf die von weitverbreiteten schwerwiegenden Krankheiten Betroffenen. Allerdings kann die Tatsache, daß selten vorkommende Krankheiten und Krankheitszustände eben selten sind und es folglich an einschlägigen Informationen mangelt, dazu führen, daß viele von diesen Krankheitszuständen Betroffene nicht die Mittel und Gesundheitspflege erhalten, die sie benötigen. Die Ursache hierfür kann ein konkreter Mangel an einschlägigen Informationen und einschlägigem Fachwissen sowie fehlende Übereinstimmung über die einer bestimmten seltenen Krankheit angemessenen Maßnahme sein.
4. In der Rahmenmitteilung der Kommission über die öffentliche Gesundheit werden mehrere Kriterien zur Festlegung von Schwerpunktbereichen der Gemeinschaft vorgestellt. Diese Kriterien sind die Auswirkungen einer Krankheit in bezug auf Morbidität und Mortalität, die sozialen und wirtschaftlichen Auswirkungen einer Krankheit, die Frage, inwieweit sich eine Krankheit für die Durchführung wirksamer Präventionsmaßnahmen eignet und ob sie von besonderer Bedeutung ist, und die Frage, ob mit Hilfe von Gemeinschaftsmaßnahmen die Arbeiten der Mitgliedstaaten ergänzt werden können und ob auf diese Weise ein zusätzlicher Nutzen erzielt werden kann.
5. Natürlich erfüllen seltene Krankheiten nicht das Kriterium der Bedeutung für die gesamte Bevölkerung. Aber für den einzelnen und für die betroffenen Familien stellen sie eine wichtige Ursache für frühzeitige Morbidität, Mortalität oder für die Einbuße eines Lebens frei von Behinderungen dar. Die Frage, ob seltene Krankheiten vermeidbar sind, wird bei den tausenden von seltenen Krankheiten jeweils unterschiedlich beantwortet. Bei einigen ist

¹ KOM(93)559 endg.

dies heute schon der Fall, bei anderen kann es in der Zukunft der Fall sein. Aber in bezug auf das letzte Kriterium, dem der Erzielung eines Gemeinschaftsmehrwerts, kommt seltenen Krankheiten eine besondere Bedeutung zu.

6. Seltene Krankheiten oder Krankheiten mit einer geringen Häufigkeit wirken sich natürlich nur begrenzt auf die Gesellschaft als Ganzes aus und sind nur in sehr geringem Umfang für Morbidität und Mortalität verantwortlich zu machen. Sie können deshalb nicht als weitverbreitete schwerwiegende Krankheiten eingestuft werden. Aus wirtschaftlicher Sicht sind sie jedoch keineswegs unbedeutend, denn wirksame Ratschläge, Diagnose- und Gesundheitsvorsorgemaßnahmen sind bei seltenen Krankheiten oftmals unverhältnismäßig teurer als die gleichen Maßnahmen bei weiter verbreiteten Erkrankungen.
7. Die Gemeinschaft hat in diesem Bereich viel zu bieten. Die Durchführung von Arbeiten auf Gemeinschaftsebene kann eine Reihe wichtiger Vorteile mit sich bringen. Vor allem die Tatsache, daß die Gemeinschaft als Ganzes eine sehr viel größere Bevölkerung hat, führt dazu, daß Einzelfälle zu einer größeren Gruppe von Patienten mit denselben Merkmalen aggregiert werden können. Auf diese Weise können sehr viel breiter gefächerte Maßnahmen ergriffen und koordinierte Maßnahmen mit Patienten eingeleitet werden, die ansonsten isoliert wären oder bei denen eine falsche Diagnose gestellt würde.
8. Die Bedeutung seltener Krankheiten für die öffentliche Gesundheit kann auch aus einem anderen Blickwinkel betrachtet werden. Seltene Krankheiten können manchmal in bestimmten Regionen und in bestimmten Bevölkerungsgruppen, wie beispielsweise ethnischen Gemeinschaften, häufiger auftreten als in der nationalen Bevölkerung als Ganzes. Die Auswirkungen auf nationaler Ebene mögen demnach geringfügig sein, aber für die betroffene Region oder Gruppe können sie eine beträchtliche Bedeutung erlangen. Dies trifft vor allem für genetische Krankheiten zu.
9. Darüber hinaus sollte nicht vergessen werden, daß bestimmte Krankheiten zwar in der Europäischen Gemeinschaft selten sein mögen, daß sie jedoch andernorts in der Welt häufig sind. Wir könnten unser Fachwissen dafür einsetzen, im Kampf gegen Tropenkrankheiten zu helfen, die in unseren Breiten selten, aber in den Entwicklungsländern die Ursache für großes Leid und für zahlreiche Todesfälle sind.
10. Außerdem können sich Krankheiten, die zur Zeit nicht häufig vorkommen, in der Zukunft zu weitverbreiteten schwerwiegenden Krankheiten entwickeln. Dies ist zum Beispiel dann möglich, wenn die Krankheiten eine unbekannte Ursache haben, wie es bei HIV/AIDS oder in jüngster Zeit bei der bovinen spongiformen Enzephalopathie/Creutzfeldt-Jakob-Erkrankung (BSE/CJD) der Fall war. In gleicher Weise kann sich ein neu eingeführtes Medikament auswirken. Thalidomide ist hierfür ein eindeutiges Beispiel. Ein auf Gemeinschaftsebene eingeleiteter koordinierter Ansatz bietet eine wirksame Möglichkeit zur Lösung dieser potentiell großen Gesundheitsprobleme.
11. Einige Krankheiten und insbesondere übertragbare Krankheiten, die wie zum Beispiel Poliomyelitis einmal weit verbreitet waren, sind aufgrund wirksamer Präventionsmaßnahmen, vor allem Impfungen bei Kindern, in der Gemeinschaft selten geworden. Diese Krankheiten können jedoch wieder auftreten, und das tun sie ja auch,

wenn zum Beispiel die Immunität der Bevölkerung zurückgeht. Aus diesem Blickwinkel kann das plötzliche Auftreten von Fällen solcher Krankheiten in einem Land anderen Ländern als frühzeitiger Warnhinweis darauf dienen, daß ihre Impfstoffe oder sonstigen Präventionsmaßnahmen an Wirksamkeit verlieren könnten. Mit auf Gemeinschaftsebene durchgeführten Maßnahmen können einzelne Mitgliedstaaten dabei unterstützt werden, derartige Probleme zu einem frühen Zeitpunkt zu erkennen und ihre Reaktionen zu koordinieren.

12. Die Ätiologie zahlreicher Krankheiten und vor allem seltener Krankheiten ist unbekannt. Präventionsmaßnahmen sind von diesen grundlegenden Kenntnissen abhängig. Die Tatsache, daß es tausende seltener Krankheiten oder Krankheitszustände gibt, daß sie nicht häufig auftreten und daß die Möglichkeiten und Mittel für die Erforschung ihrer Ätiologie begrenzt sind, legt die Vermutung nahe, daß nicht von einer raschen Entwicklung bei der Behandlung und Heilung dieser Krankheiten ausgegangen werden kann. Aus diesem Grund kann mit Hilfe einer Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten und dem Tätigwerden der Gemeinschaft in diesem Bereich ein zusätzlicher Nutzen für die Maßnahmen einzelner Mitgliedstaaten gewonnen werden.
13. Die im Gesundheitswesen verfügbaren begrenzten Mittel werden hauptsächlich und notwendigerweise für die weitverbreiteten schwerwiegenden Krankheiten eingesetzt, so daß den selten vorkommenden Krankheiten in den einzelnen Mitgliedstaaten vermutlich nur begrenzt Aufmerksamkeit gewidmet wird. Es gehört zur Politik der Gemeinschaft im Bereich der öffentlichen Gesundheit, den Mitgliedstaaten dabei zu helfen, den größten Nutzen aus den in diesem Bereich verwendeten Mitteln zu ziehen. Unter diesen Umständen können durch die Zusammenführung des begrenzten nationalen Fachwissens und der begrenzten nationalen Mittel auf Gemeinschaftsebene echte Skaleneffekte erzielt werden.
14. Aus diesen Gründen hat die Kommission beschlossen, innerhalb ihres Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit seltene Krankheiten zum Schwerpunktbereich zu erklären.

II. WICHTIGE ASPEKTE SELTENER KRANKHEITEN

INFORMATION

15. Eine unbekannte Zahl von Europäern leidet unter seltenen Krankheiten. Bei vielen dieser selten auftretenden Krankheiten gibt es keine spezielle Organisation, die die Patienten unterstützt, und auch keine Stelle, die sich mit Forschung, Prävention, Diagnose oder Behandlung dieser Krankheiten befaßt. Es fehlt an allen möglichen Informationen für Patienten und ihre Familien, für Ärzte, Forscher, Gesundheitsbehörden und für die allgemeine Bevölkerung oder die vorhandenen Informationen sind nicht ausreichend verbreitet.
16. Bei seltenen Krankheiten stehen nur begrenzt oder gar keine Möglichkeiten für angemessene Entdeckung, Erkennung und medizinische Behandlung zur Verfügung. Eine wirksame Prävention und Behandlung ist kaum oder gar nicht möglich. Patienten und ihren Familien kann vielleicht nur wenig über den weiteren Verlauf der Krankheit, über

Möglichkeiten zur Vermeidung von Risiken und über eine gesundheitsfördernde Anpassung des Umfelds und der Lebensweise gesagt werden.

17. Die nationale Kommission der Vereinigten Staaten für selten auftretende Krankheiten hat eine ausführliche Untersuchung über die Probleme der Menschen in den Vereinigten Staaten durchgeführt, die von diesen seltenen Erkrankungen betroffen sind. Bei dieser Untersuchung wurde festgestellt, daß ein Drittel der Betroffenen zwischen einem und fünf Jahren benötigte, um eine richtige Diagnose zu erhalten, und 15 % der Betroffenen blieben sechs Jahre oder länger ohne Diagnose. Darüber hinaus sind die wirtschaftlichen und menschlichen Belastungen dieser Krankheitszustände sehr hoch. Die Hälfte der Patienten gab an, daß ihre Krankheiten ihnen und ihren Familien große finanzielle Lasten aufbürdeten und sie aufgrund ihrer Krankheiten nicht arbeiten oder zur Schule gehen könnten.

PATIENTENUNTERSTÜTZUNGSGRUPPEN

18. Patientenunterstützungsgruppen können im Zusammenhang mit seltenen Krankheiten eine Schlüsselrolle übernehmen. In den vergangenen Jahrzehnten sind zahlreiche dieser Gruppen entstanden, die sich mit vielen seltenen Krankheiten beschäftigen. Dies geschah manchmal aus dem Gefühl heraus, daß die öffentlichen Stellen diesen Erkrankungen nicht genügend Aufmerksamkeit widmeten. Darüber hinaus besteht eine recht intensive, oftmals auf die unterschiedlichen Gruppen von Krankheiten bezogene Zusammenarbeit zwischen diesen Gruppen auf regionaler und nationaler und auch internationaler Ebene. Außerdem gibt es mehrere internationale Dachorganisationen, wie zum Beispiel die EAGS (= European Alliance of Genetic Support Groups = Europäischer Verband genetischer Unterstützungsgruppen). Diese Organisationen für Patienten und Eltern verfügen aufgrund ihrer Erfahrungen mit einer Krankheit über ein großes Fachwissen. Dies ist besonders wertvoll in Anbetracht der häufigen Verzögerungen bei der Diagnosestellung, der begrenzten Kenntnisse der Berufsgruppen des Gesundheitswesens, des Mangels an Arzneimitteln und der Probleme mit der Krankenversicherung.

CLUSTER

19. Im Zusammenhang mit der Erörterung seltener, nicht häufig auftretender Krankheiten und Krankheitszustände ist eine Betrachtung der Cluster sinnvoll. Cluster können als zeitliche und örtliche Häufung der Vorkommen einer seltenen Krankheit definiert werden. Eine andere Möglichkeit ist die Beschreibung der Cluster als auffällig gehäuftes Auftreten von Fällen einer seltenen Krankheit in einem bestimmten Gebiet während eines bestimmten Zeitraums im Vergleich zu den Vorhersagen, die von einer bestimmten Grundlinie aus gemacht werden, oder im Vergleich zu der erwarteten Zahl von Fällen mit dieser Erkrankung. Der Grund für die Notwendigkeit einer wirksamen Vorgehensweise bei Cluster (d. h. Ermittlung eines realen Anstiegs, der Ursachen, Bewertung der Auswirkungen und Beruhigung der Öffentlichkeit) liegt auf der Hand, denn ein spezifischer lokaler Faktor könnte die Ursache sein oder könnte zur Ursache beigetragen haben, und dieser Faktor muß aufgespürt werden.
20. Bei der Vorgehensweise im Falle von Cluster sollte eine bestimmte Reihenfolge eingehalten werden: erstens, Erkennung eines Clusters, beispielsweise über ein Frühwarnsystem;

zweitens, Einsatz von Kontroll- und Überwachungssystemen zur Anstellung eines Vergleichs mit den bekannten Grundlinien der jeweiligen Krankheiten (Allerdings kann sich dieses Vorgehen bei seltenen Krankheiten als nicht durchführbar erweisen, weil eventuell die benötigten epidemiologischen Daten fehlen.); drittens, der Besorgnis in der Bevölkerung muß mit einer möglichst genauen Unterrichtung über die mit den Cluster verbundenen Risiken begegnet werden. Eine wirksame Vorgehensweise bei Cluster wirkt sich sehr vorteilhaft auf die öffentliche Gesundheit aus. Der Grund hierfür ist nicht nur die Tatsache, daß ein rasches und angemessenes Vorgehen bei einem bestimmten Problem dazu beitragen kann, die mögliche Ausweitung eines spezifischen Clusters zu vermeiden, sondern allgemeiner gesehen auch die Tatsache, daß eine wirksame Herangehensweise in der Öffentlichkeit Vertrauen in die Fähigkeit der Behörden schafft, die Gesundheit sicherzustellen.

KLASSIFIKATION SELTENER KRANKHEITEN

21. Die falsche Klassifikation selten auftretender Krankheiten und die fehlende offizielle Anerkennung machen eine Erkennung, Entdeckung, Behandlung und Prävention dieser Krankheiten schwierig. Die WHO hat die Diagnosen in ihrer Internationalen Klassifikation der Krankheiten, Verletzungen und Todesursachen, ICD-10, (ICD = International Classification of Diseases) nach den Organen in 23 Hauptkategorien eingeteilt, die wiederum in 470 diagnosebezogene Untergruppen unterteilt sind. In manchen Fällen werden einzelne Krankheiten innerhalb dieser Gruppen nicht besonders berücksichtigt.
22. Darüber hinaus ist die Gültigkeit und der Nutzen dieser Klassifikationen für selten auftretende Krankheiten begrenzt. In vielen Fällen werden diese Krankheiten in herkömmlichen Klassifikationssystemen, beispielsweise in der ICD und in der Systematik des britischen Verbandes für Kinderheilkunde, die Geburtsfehler klassifiziert, nicht erfaßt. In anderen Fällen ist ihre Einstufung unpassend oder unangemessen: so ordnet die ICD-Systematik das Marfan-Syndrom zum Beispiel mit 20 anderen Krankheitszuständen unter einer Nummer ein.
23. Zu den seltenen Krankheiten oder den selten auftretenden Krankheiten gehören vielleicht über 5.000 unterschiedliche Krankheitszustände oder Krankheiten. Für die Definition des Wesens einer seltenen Krankheit scheint sich kein gemeinsamer Nenner zu finden. Einige basieren auf Syndromen (Kombination zusammenhängender Symptome oder Mängel) oder auf einzelnen Mängeln oder unzusammenhängenden Zuständen. Dies macht deutlich, daß für ein Tätigwerden auf Gemeinschaftsebene Prioritäten gesetzt werden müssen.

III. DEFINITION SELTENER KRANKHEITEN

PROBLEME EINER NUMERISCHEN DEFINITION

24. Eine Definition seltener Krankheiten oder selten auftretender Krankheiten auf der Grundlage der Zahl der Fälle mag sich als eindeutige Lösung anbieten. Im Falle seltener Krankheiten gibt es jedoch entweder keine Daten oder, wenn es doch Daten gibt, so

handelt es sich bei den im Zuge routinemäßiger Datenerfassungen gesammelten Zahlen um grobe Schätzungen, die die tatsächlichen Werte vermutlich unterschätzen.

25. Die Schwierigkeiten bei der Feststellung präziser Vorkommen und Inzidenzraten können verschiedene Gründe haben, zum Beispiel unterschiedliche Definitionen einer Krankheit, Mangel an spezifischen Verfahren zur Überwachung von Patienten, die an diesen selten auftretenden Krankheiten leiden, geringe Diagnosegenauigkeit, insbesondere bei weniger schwerwiegenden Krankheiten, und schließlich Verzerrungen der Information zwischen Datenerfassung und Datenanalyse.
26. Gut bekannte Krankheiten lassen sich klassifizieren und mehrfach in Untergruppen einteilen. Die Krebsarten zum Beispiel werden oft nach pathologischen Klassifikationen unterschieden, so daß eine Zahl den numerischen Kriterien für seltene Krebsarten gerecht werden würde. Die Klassifikation weniger bekannter Krankheiten erfolgt auf der anderen Seite oftmals auf der Grundlage der Symptome, wobei in der Tat mehrere Krankheiten zusammengefaßt werden. Auf diese Art und Weise können spezielle selten auftretende Krankheiten in größeren Einheiten eingeschlossen sein.

DEFINITION NACH FESTGELEGTEN ZAHLEN ODER GRENZWERTEN

27. Eine Möglichkeit, die mit der Verwendung einer festgelegten Zahl als Definition verbundenen Probleme zu beseitigen, ist die Festsetzung von Grenzwerten. Die Dienststellen der Kommission haben diese Frage mit nationalen Sachverständigen erörtert. Hierbei wurden mehrere Möglichkeiten der Festsetzung von Grenzwerten diskutiert. Einmal eine Mortalitätsrate, die eine vorgegebene bestimmte Zahl in einer bestimmten Zahl von Ländern der Gemeinschaft nicht übersteigt, oder eine Inzidenz, die nicht über einen vorgegebenen bestimmten Wert hinausgeht, oder eine gemeldete Häufigkeit unter den Bürgern der Gemeinschaft, die einen bestimmten Wert nicht übersteigt. Eine weitere Möglichkeit könnte das Kriterium sein, daß die Erkrankung nicht unter die 100 häufigsten Ursachen für Morbidität und Mortalität in der Europäischen Gemeinschaft fällt.

VORSCHLAG FÜR EINE DEFINITION

28. Für die Zwecke dieses Programms werden seltene Krankheiten als lebensbedrohende oder chronisch behindernde Krankheiten definiert, deren Inzidenz derart gering ist, daß besondere gemeinsame Bemühungen erforderlich sind. Es sind Krankheiten, deren Vorkommen in der gesamten Bevölkerung der Gemeinschaft nach allgemein anerkannten Maßstäben weniger als 5 von 10.000 Einwohnern betrifft. Darüber hinaus werden im Rahmen dieses Programms diejenigen Krankheiten speziell untersucht, für die besondere gemeinsame Bemühungen notwendig sind, um sicherzustellen, daß sich für den einzelnen keine signifikante pränatale und frühzeitige Morbidität oder Mortalität, kein erheblicher Verlust an Lebensqualität oder an sozialen und wirtschaftlichen Möglichkeiten ergeben.

VERWANDTE THEMEN

29. Bei der Erörterung von auf seltene Krankheiten ausgerichteten Maßnahmen müssen auch andere hiermit verbundene Tätigkeitsgebiete der Gemeinschaft, wie zum Beispiel

Forschung und die Entwicklung und Vermarktung von Erzeugnissen, u. a. Arzneimitteln, berücksichtigt werden, die hauptsächlich für seltene Krankheiten bestimmt sind. In Anbetracht der Tatsache, daß es bei seltenen Krankheiten nur wenige Fälle von Betroffenen gibt, ist es notwendig, eine Population zusammenzubringen, die groß genug ist, um Forschungsarbeiten, wie zum Beispiel Klinikuntersuchungen, durchführen zu können. Hier kann die Gemeinschaft tätig werden. Auch ist das kommerzielle Interesse der Industrie an der Entwicklung medizinischer Erzeugnisse für eine kleine Zahl möglicher Patienten begrenzt. Aus diesem Grunde müssen Investitionen im Rahmen der Industriepolitik der Gemeinschaft gefördert werden. Maßnahmen in diesen Gebieten können auch die Arbeit im Bereich der öffentlichen Gesundheit gut ergänzen.

30. Auf dem Gebiet der medizinischen Erzeugnisse, die für selten auftretende Krankheiten bestimmt sind, ist auf der Ebene der Gemeinschaft bereits viel geleistet worden. So hat die Kommission zum Beispiel kürzlich Studien unterstützt, bei denen dieser Aspekt im Hinblick auf die Formulierung einer Politik der Gemeinschaft untersucht wurde. Im Februar 1995 trat eine aus Kommissionsbeamten und Sachverständigen von Mitgliedstaaten und Drittstaaten bestehende Sachverständigengruppe zusammen, um die Ergebnisse der Studien zu diskutieren und Schlußfolgerungen zu ziehen. Im Laufe des Jahres 1995 wurde dieses Thema weiter untersucht, und am 20. Dezember 1995 nahm der Rat eine Entschließung an, in der die Kommission aufgefordert wurde, weitere Maßnahmen, vor allem zur Entwicklung und Vermarktung von Erzeugnissen zur Behandlung selten auftretender Krankheiten zu ergreifen.

IV. ÜBERBLICK ÜBER IN DEN MITGLIEDSTAATEN UND AUF INTERNATIONALER EBENE IM BEREICH DER ÖFFENTLICHEN GESUNDHEIT DURCHGEFÜHRTE MASSNAHMEN BETREFFEND SELTENE KRANKHEITEN

MITGLIEDSTAATEN

31. Eine Reihe von Mitgliedstaaten ist derzeit im Zusammenhang mit besonders seltenen Krankheiten in Hinblick auf Information, Entdeckung, Erkennung, Eingreifen und Prävention tätig. Hierzu gehört auch die Unterstützung von Patienten- und Elterngruppen. Im Vereinigten Königreich zum Beispiel wurde ein Programm für das Creutzfeld-Jakob-Syndrom aufgestellt; in Frankreich wurde ein Informationszentrum für genetische Krankheiten eingerichtet, und hier gibt es bereits gut eingeführte Zentren zur Kontrolle und Überwachung von Geburtsfehlern, und in Portugal besteht ein besonderes Interesse an Paramyloidose, die hier auch zum Gegenstand von Maßnahmen gemacht wird.
32. Die aus den Mitgliedstaaten eingegangenen Informationen zeigen, daß sich nur wenige Mitgliedstaaten, nämlich Frankreich, Schweden und Italien, wo eine europäische Schule für seltene Krankheiten eingerichtet wurde, darum bemühen, das Problem der seltenen Krankheiten systematisch zu untersuchen.

INTERNATIONALE MASSNAHMEN

33. Die Vereinigten Staaten unternehmen im Zusammenhang mit seltenen Krankheiten die größten Anstrengungen. Im Jahre 1983 wurde ein Gesetz für Arzneimittel, die für die Behandlung seltener Krankheiten bestimmt sind, erlassen, um die Entwicklung und Vermarktung solcher Erzeugnisse zu beschleunigen. Ebenfalls im Jahre 1983 wurde die "National Organisation for Rare Disorders" (Nationale Organisation für seltene Krankheiten) eingerichtet; sie führt die Freiwilligenorganisationen zusammen und hilft ihnen dabei, Menschen mit seltenen Krankheiten zu unterstützen. 1985 wurde ein nationaler Ausschuß für seltene Krankheiten mit dem Ziel eingerichtet, die einschlägige Politik des Landes zu überprüfen. Er erstattete 1989 Bericht. Seine wichtigste Schlußfolgerung lautete, daß für die Förderung der Entwicklung, Erforschung und Vermarktung von Erzeugnissen zur Behandlung seltener Krankheiten eine zentrale Anlaufstelle eingerichtet werden müßte. Darüber hinaus wurde ein Büro für seltene Krankheiten in den National Institute of Health (Nationale Gesundheitinstitute) eingerichtet.
- Im Rahmen der Zusammenarbeit mit Drittstaaten und im Anschluß an den vor kurzem beschlossenen gemeinsamen Aktionsplan EU/US wurde u.a. die Einsetzung einer Task Force vereinbart, die ein wirksames globales Warnsystem und ein Reaktionsnetzwerk für übertragbare Krankheiten sowie seltene Krankheiten planen und verwirklichen soll. Außerdem ist eine Zusammenarbeit bei einschlägigen Programmen über Gesundheitsfragen sowie im Bereich der Forschung vorgesehen.

V. ÜBERBLICK ÜBER MASSNAHMEN DER GEMEINSCHAFT BETREFFEND SELTENE KRANKHEITEN

RAT

34. In ihrer Entschlieûung vom 20. Dezember 1995² forderten der Rat und die im Rat vereinigten Gesundheitsminister die Kommission dazu auf, eine Bestandsaufnahme der in den Mitgliedstaaten, der Gemeinschaft und in internationalen Organisationen verfügbaren Kenntnisse und Erfahrungen in enger Zusammenarbeit mit den zuständigen Behörden der Mitgliedstaaten vorzunehmen und die Lage im Hinblick auf Arzneimittel für die Behandlung seltener Krankheiten zu prüfen.

EUROPÄISCHES PARLAMENT

35. In seiner Entschlieûung A4-0311/95³ über das mittelfristige sozialpolitische Aktionsprogramm 1995-1997 forderte das Parlament die Kommission dazu auf, das in der Rahmenmitteilung der Kommission über den Bereich der öffentlichen Gesundheit vorgesehene Aktionsprogramm für seltene Krankheiten in Übereinstimmung mit den entsprechenden Verfahren vorzustellen.

² Abl. Nr. C 350 v. 30.12.95, S. 3

³ Abl. Nr. C 032 vom 5. 2. 1996, S. 15-24

WIRTSCHAFTS- UND SOZIALAUSSCHUSS

36. In seiner weitreichenden Stellungnahme vom 6. Juli 1994 zur Rahmenmitteilung der Kommission über den Bereich der öffentlichen Gesundheit drängte der Wirtschafts- und Sozialausschuß die Kommission dazu, einen breiten Ansatz zu wählen, und er betonte die Bedeutung der seltenen Krankheiten.

VI. AKTIONSPLAN DER GEMEINSCHAFT

INFORMATION DER EUROPÄISCHEN GEMEINSCHAFT ÜBER SELTENE KRANKHEITEN

37. Präzise Informationen sind für die Sicherstellung wirksamer Maßnahmen in bezug auf seltene Krankheiten von entscheidender Bedeutung. Am dringlichsten ist für den von einer seltenen Krankheit Betroffenen eine präzise Diagnose, und sofort danach ist für ihn die Behandlung und Unterstützung wichtig. Steht erst einmal die Diagnose fest, bemühen sich die Patienten und ihre Familien intensiv darum, alles herauszufinden, was über die Krankheit bekannt ist, und sie werden auf diese Weise oft zu Sachverständigen. Sie möchten Informationen über Ursache, Prognose, (gegebenenfalls) genetische Grundlage und weitere Manifestationen der Krankheit, über die Verfügbarkeit wirksamer therapeutischer Maßnahmen und, wenn es diese nicht gibt, darüber, wie sie die Krankheit in den Griff bekommen können und wie der Stand der Forschung ist. Auch über Unterstützungsgruppen und Behandlungszentren oder Anlaufstellen möchten die Patienten unterrichtet werden.
38. Alle diese Informationen sind, sofern es sie überhaupt gibt, weit verstreut. Darüber hinaus ist es möglich, daß sich die verfügbaren Informationen auf eine Krankheit allgemein oder auf eine Gruppe von Personen beziehen. Sie können aber auch ganz spezifisch für eine Einzelperson gelten, weshalb in geeigneter Weise Vertraulichkeit gewährleistet sein muß. Ein weiteres Problem ist die Tatsache, daß außer den direkt an einem Einzelfall Beteiligten mehrere verschiedene Gruppen Informationen benötigen, die jeweils unterschiedlich detailliert sein müssen. Hierzu gehören Ärzte und Forscher, Regierungsstellen, Patientenunterstützungsgruppen und die Pharmaindustrie.
39. In Anbetracht der bedeutenden Fortschritte in der Genetik und der oben beschriebenen derzeit auftretenden Schwierigkeiten bei der Beschaffung aktueller Informationen über seltene Krankheiten besteht dringender Bedarf an einer Datenbank der Gemeinschaft mit Informationen über seltene Krankheiten und an einem System zur Erfassung und Verbreitung von Daten.
40. Die Entwicklung eines solchen Gemeinschaftssystems muß in enger Zusammenarbeit mit den Telematikprogrammen der Gemeinschaft erfolgen. Dies könnte sich als hilfreich für die Feststellung der technischen Erfordernisse bezüglich der Datenbank und des Systems erweisen und für die Feststellung der wirksamsten Verfahren zur Verbreitung der Informationen an die verschiedenen Interessengruppen und die zuständigen Stellen in den Mitgliedstaaten. Mit einem Telematiknetz, das diejenigen miteinander verbindet, die auf diesem Gebiet tätig sind, würde auch ein Instrument zur Bekanntmachung der

einschlägigen Forschungsarbeiten und Forscher und für den Austausch von Informationen geschaffen.

41. Als Ziel der Tätigkeit der Gemeinschaft könnte die Bereitstellung besserer Informationen über seltene Krankheiten, vor allem für Patienten, Berufsgruppen des Gesundheitswesens und Forscher, festgelegt werden.
42. Zur Umsetzung dieses Zieles sind unter anderem die nachstehenden Maßnahmen einzuleiten:
 - Förderung und Unterstützung der Einrichtung einer europäischen Datenbank für seltene Krankheiten, wobei die Einträge folgende Angaben enthalten: Bezeichnung der Krankheit, Synonyme, allgemeine Beschreibung des Leidens, Symptome, Ursachen, verfügbare Diagnoseverfahren, betroffene Population, Standardbehandlung, (gegebenenfalls) im Rahmen von Forschungen durchgeführte Behandlungen und eine Liste der Stellen, bei denen weitere Informationen über das Leiden eingeholt werden können;
 - Förderung des Zugangs zu Informationen und Koordinierung vorhandener Informationssysteme und Informationsdienste mit Hilfe der Einrichtung und Unterstützung von Netzen auf lokaler, regionaler, nationaler und europäischer Ebene; und
 - Veranstaltung von Tagungen, bei denen die Berufsgruppen des Gesundheitswesens mit dem Ziel zusammengebracht werden, Frühentdeckung, Erkennung, geeignete Maßnahmen und Prävention in bezug auf seltene Krankheiten zu verbessern.

PATIENTEN- UND FAMILIENUNTERSTÜTZUNGSGRUPPEN

43. Derartige Gruppen haben ein breites Aktionsfeld. Sie unterstützen die Erfassung, Verbreitung und den Austausch von Fachwissen und Erfahrungen, schärfen das Bewußtsein der Öffentlichkeit, regen Forschungsarbeiten an und werfen ethische Fragen auf. Außerdem bieten sie Einzelpersonen Beratung an und sorgen dafür, daß die Interessen der Patienten gewahrt werden, beispielsweise in bezug auf die Vertraulichkeit und die Unterrichtung bei der Zustimmung zu klinischen Verfahren. Die Gründung solcher Patientenunterstützungsgruppen muß gefördert werden, damit in allen Regionen der Gemeinschaft geeignete Hilfen zur Verfügung stehen. Auch die Zusammenarbeit dieser Gruppen auf regionaler, nationaler und europäischer Ebene muß gefördert werden. Die Einrichtung einer oder mehrerer Dachorganisationen auf Gemeinschaftsebene ist erforderlich, welche die Aufgabe eines clearinghouses, einer Verbindungs- und Unterstützungsstelle übernehmen kann. Es gibt bereits einzelne Organisationen, wie zum Beispiel die EAGS (European Alliance of Genetic Support Groups), die ihre Tätigkeit in diese Richtung weiterentwickeln könnte.
44. Eines der Ziele der Gemeinschaftsaktionen könnte in der Einrichtung, Förderung und Unterstützung von Freiwilligenorganisationen bestehen, die Menschen helfen, die direkt oder indirekt von seltenen Krankheiten, wie zum Beispiel den verschiedenen neurodegenerativen Leiden, betroffen sind.
45. Zur Umsetzung dieses Zieles sind unter anderem die nachstehenden Maßnahmen einzuleiten:

- Förderung der Gründung von Gruppen, in denen sich Personen mit gleichen seltenen Krankheitszuständen oder Personen, die beruflich damit zu tun haben, zusammenfinden, um Erfahrungen auszutauschen, die Ausbildung zu erleichtern und ihre Maßnahmen auf nationaler und europäischer Ebene zu koordinieren;
- Förderung der Zusammenarbeit und der Vernetzung dieser Gruppen sowie Einrichtung und Unterstützung von Dachorganisationen, die sich vor allem mit der Förderung einer kontinuierlichen Arbeit und grenzüberschreitenden Zusammenarbeit befassen.

BEHANDLUNG VON CLUSTER SELTENER KRANKHEITEN

46. Für eine wirksame Vorgehensweise bei Cluster von Fällen ist eine Analyse, Bewertung und Handhabung des Problems sowie die offene Kommunikation mit der Öffentlichkeit erforderlich. Ein solches Vorgehen ist sowohl notwendig als auch schwierig. Notwendig zweifellos deshalb, weil eventuell vorhandene, verursachende oder mitverursachende lokale Faktoren festgestellt werden müssen. Aber auch schwierig, weil es zahlreiche Gründe für eine Feststellung eines Clusters gibt und alle Möglichkeiten erörtert und geprüft werden müssen, bevor ein bestimmter kausaler Zusammenhang angegeben werden kann. Allerdings kommen Cluster in einer bestimmten Region nur sehr selten vor. Es ist also kaum wahrscheinlich, daß diejenigen, die mit einem Einzelfall befaßt sind, die notwendigen Erfahrungen machen können.
47. In Anbetracht dieser Lage wäre es sinnvoll, innerhalb der Gemeinschaft Reaktionsgruppen für Cluster seltener Krankheiten (Rare Disease Cluster Response Teams) einzurichten, an denen diejenigen beteiligt werden, die über entsprechendes Fachwissen verfügen und den betroffenen lokalen Behörden Hilfestellung geben könnten. Die kürzlich mit dem Creutzfeld-Jakob-Syndrom gemachten Erfahrungen lehren, daß eine solche Vorgehensweise notwendig ist, um die geringen Fachkenntnisse bezüglich Risikoeinschätzung und Risikomanagement bestmöglich zu nutzen.
48. Im Falle der Cluster seltener Krankheiten ist es erforderlich, Netze von Anlaufstellen für bestimmte seltene Krankheiten oder für Gruppen verwandter Krankheiten zu schaffen, die dazu beitragen könnten, rechtzeitig auf mögliche Probleme hinzuweisen, die Erforschung der Cluster zu koordinieren und den Reaktionsgruppen einschlägige Informationen bereitzustellen, beispielsweise über die zu erwartende Häufigkeit. Diese Anlaufstellen benötigen eine sehr umfassende Sachkenntnis im Bereich der Epidemiologie und der Statistik sowie die epidemiologischen Informationen, die aus auf europäischer sowie nationaler und regionaler Ebene durchgeführten Kontroll- und Überwachungsprogrammen in bezug auf selten auftretende Krankheiten zur Verfügung stehen.
49. Wie weiter oben ausgeführt, gibt es derzeit keine umfassenden epidemiologischen Daten über seltene Krankheiten. Die Gewinnung solcher Daten hängt von wirksamen Kontroll- und Überwachungsprogrammen ab. Die Mehrzahl der seltenen Krankheiten sind angeborene Leiden, und dieser Aspekt wird in einem Beobachtungs- und Überwachungsprogramm (EUROCAT = Konzertierte Aktion der Europäischen Wirtschaftsgemeinschaft auf dem Gebiet der Registrierung angeborener Abnormitäten) behandelt. Bei dieser konzertierten Aktion untersuchen hauptsächlich Teilnehmer aus den Mitgliedstaaten auf lokaler und manchmal auf regionaler Ebene eine Population sowie die

Mitgliedstaaten auf lokaler und manchmal auf regionaler Ebene eine Population sowie die Anzahl, die Art und die möglichen Ursachen von Geburtsfehlern, um solchen angeborenen Mißbildungen vorzubeugen. Die Gemeinschaft kofinanziert das Programm EUROCAT. In den Mitgliedstaaten gibt es weitere auf Geburtsfehler ausgerichtete Kontrollprogramme. Eine Zusammenarbeit mit diesen Programmen und mit Programmen, die zur Kontrolle sonstiger (Gruppen von) seltenen Krankheiten aufgestellt wurden, ist notwendig, damit die verfügbaren Daten optimal genutzt und analysiert werden können.

50. Das Ziel der Tätigkeit der Gemeinschaft ist die wirksame Vorgehensweise bei dem Problem der Cluster, die im Zusammenhang mit seltenen Krankheiten von entscheidender Bedeutung ist.
51. Zur Umsetzung dieses Zieles sind unter anderem die folgenden Maßnahmen einzuleiten:
- Unterstützung der Kontrolle seltener Krankheiten einschließlich der Geburtsfehler, der genetischen Leiden oder der Erkrankungen der einzelnen Organe und die angemessenen Techniken für Krankheiten mit niedriger Verbreitung um auf der einen Seite der Anforderung im Hinblick auf Diagnose, Behandlung und Forschung zu genügen, und auf der anderen Seite die Anforderung im Hinblick auf die relevante statistische Überwachung zu erfüllen ;
 - Förderung der Einrichtung von Reaktionsgruppen für seltene Krankheiten und von speziellen Lehrgängen für den Personenkreis, der mit der Untersuchung der Cluster befaßt ist;
 - Einrichtung von Überwachungssystemen und rechtzeitige Ermittlung von Cluster und
 - Förderung des Austausches von Fachwissen über Bewertung, Einschätzung, Kommunikation und Vorgehensweise in bezug auf Cluster seltener Krankheiten, die mit äußeren Ursachen in Verbindung gebracht werden.

ARZNEIMITTEL FÜR DIE BEHANDLUNG SELTENER KRANKHEITEN

52. Im Rahmen der Tätigkeit der Gemeinschaft in bezug auf die Kontrolle und Genehmigung von Arzneimitteln ist ein Legislativvorschlag in Vorbereitung, der auf die Schaffung rechtlicher Rahmenbedingungen für "medizinische Erzeugnisse zur Behandlung selten auftretender Krankheiten" abzielt und die folgenden Bereiche abdeckt: Benennung medizinischer Erzeugnisse zur Behandlung selten auftretender Krankheiten, Unterstützung der Forschung, Marktzugang und Kontrolle, einschließlich Arzneimittelüberwachung. Als Teil dieses Vorschlags beabsichtigt die Kommission eine Definition dieser Erzeugnisse anzuregen, die in etwa wie folgt lautet: Jede Substanz oder Kombination von Substanzen, die als gesetzlich geschütztes Medikament vorgestellt wird und für die folgendes gilt:
- zur Behandlung, Prävention oder Diagnose lebensbedrohender oder chronisch behindernder Krankheiten des Menschen bestimmt;
 - für Krankheiten bestimmt, die nicht mehr als 5 von 10.000 Einwohner in der Europäischen Gemeinschaft betreffen, und
 - der finanzielle Gewinn ist unzureichend.

FORSCHUNGEN IN DER EUROPÄISCHEN GEMEINSCHAFT ÜBER SELTENE KRANKHEITEN UND ARZNEIMITTEL FÜR DIE BEHANDLUNG SELTENER KRANKHEITEN

53. Das Vierte Rahmenprogramm (1994 - 1998) im Bereich der Forschung und technologischen Entwicklung⁴, und zwar das Programm Biomedizin und Gesundheitswesen (Biomed 2), Thema 1 "Pharmazeutische Forschung" und Thema 4.6 "Forschung im Bereich seltener Krankheiten" umfaßt die Forschungstätigkeit zur Entwicklung von Arzneimitteln für die Behandlung seltener Krankheiten.
54. Im Bereich der seltenen Krankheiten umfaßt die Forschungstätigkeit die Bestimmung von Kriterien für die Diagnosestellung, Ursachen, genetischen Aspekten und Verhütungsmaßnahmen. Der Schwerpunkt soll liegen bei der Schaffung europäischer epidemiologischer Beobachtungsstellen, von Informationsnetzen und Registern über Patienten mit seltenen Krankheiten, um mehr Informationen über seltene Krankheiten zusammenzutragen.
55. Im Zusammenhang mit der Erforschung von Arzneimitteln lautet das Ziel: Unterstützung der Forschungsarbeiten bezüglich der Behandlung seltener Krankheiten, u. a. Methodiken für beschleunigte Verfahren bei der Entwicklung von Arzneimitteln zur Behandlung seltener Krankheiten und für Lager dieser Arzneimittel in Europa.

VII. KONSULTATION, BEWERTUNG UND BERICHTE

KONSULTATION

56. Die im Rahmen dieses Programms einzuleitenden Maßnahmen werden in enger Zusammenarbeit mit den Mitgliedstaaten, insbesondere was die Koordinierung ihrer Politiken und Programme anbelangt, ergriffen. Um dieses Vorhaben zu vereinfachen, schlägt die Kommission die Einrichtung eines beratenden Ausschusses vor, der sich aus Vertretern der Mitgliedstaaten zusammensetzt. Zur WHO, sonstigen einschlägigen internationalen Organisationen und Drittstaaten werden nach Maßgabe der Erfordernisse der Maßnahmen des Programms ebenfalls in geeigneter Form Verbindungen aufrechterhalten.

BEWERTUNGSBERICHTE

57. Das Programm wird in zwei Berichten bewertet:
 - In einem Zwischenbericht, der dem Rat, dem Europäischen Parlament, dem Wirtschafts- und Sozialausschuß und dem Ausschuß der Regionen vorgelegt wird. Der Zweck des Zwischenberichts ist es sicherzustellen, daß die Institutionen der Gemeinschaft und über diese alle Beteiligten über die Fortschritte bei den Maßnahmen umfassend auf dem

⁴ (Beschuß Nr. 1110/94/EG vom 26.04.1994, ABl. Nr. L 126 vom 18.05.94, S. 1, in der durch den Beschuß Nr. 616/96/EG vom 25.03.1996, ABl. Nr. L 86 vom 04.04.96, S. 69. geänderten Fassung

ALLGEMEINE INFORMATIONSTÄTIGKEIT

58. Die Kommission wird sicherstellen, daß die Berichte über die durchgeführten Maßnahmen allen Beteiligten und der Öffentlichkeit zur Verfügung gestellt werden.
59. Die Gemeinschaft muß bei ihrer zukünftigen Tätigkeit im Bereich der öffentlichen Gesundheit betreffend seltene Krankheiten die vorhandenen umfangreichen Arbeiten berücksichtigen, insbesondere die Arbeiten, die in Übereinstimmung mit den Artikeln 129 und 130 Buchstabe f) des Vertrages zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft eingeleitet wurden. In Übereinstimmung mit Artikel 129 des Vertrages wird die Gemeinschaft zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus des Menschen beitragen durch Förderung der Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten, durch Unterstützung ihrer Tätigkeit und die in enger Zusammenarbeit mit den Mitgliedstaaten vorgenommene Förderung der Koordinierung ihrer Politiken und Programme sowie durch Förderung der Zusammenarbeit mit Drittländern und internationalen Organisationen, die im Bereich der öffentlichen Gesundheit tätig sind.

Vorschlag für einen
BESCHLUSS DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES RATES
zur Annahme eines Programms der Gemeinschaft
betreffend seltene Krankheiten
innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen
Gesundheit
1999-2003

BEGRÜNDUNG

1. In ihrer Mitteilung KOM(93)559 vom 24. November 1993 über den Aktionsrahmen im Bereich der öffentlichen Gesundheit legte die Kommission die Grundsätze und die Strategie dar, nach denen sich die Durchführung von Maßnahmen der Gemeinschaft zur Umsetzung der in Artikel 3 Buchstabe o und Artikel 129 des Vertrages zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft festgeschriebenen Zielsetzungen richten soll.
2. Die Aufgabe der Gemeinschaft besteht darin, die Bemühungen der Mitgliedstaaten im Bereich der öffentlichen Gesundheit zu unterstützen, bei der Formulierung und Umsetzung der Zielsetzungen und Strategien zu helfen und zur Sicherstellung des Gesundheitsschutzes in der gesamten Gemeinschaft beizutragen, wobei als Zielvorgabe die besten Ergebnisse gesetzt werden sollen, die in einem bestimmten Bereich bereits irgendwo in der Gemeinschaft erzielt wurden.
3. In Übereinstimmung mit Artikel 129 legt die Kommission zur Annahme durch das Europäische Parlament und den Rat Vorschläge über Anreizmaßnahmen vor, mit denen ein Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus geleistet werden soll.
4. In der vorgenannten Kommissionsmitteilung werden die Kriterien für die Auswahl von Schwerpunktbereichen für Aktionsprogramme der Gemeinschaft dargelegt. In Übereinstimmung mit diesen Kriterien wurden seltene Krankheiten als ein solcher Schwerpunktbereich festgestellt.
5. Der vorliegende, auf Artikel 129 basierende und bereits im Jahresprogramm für die Tätigkeit der Kommission angekündigte Kommissionsvorschlag fällt unter den Grundsatz der gemeinsamen Zuständigkeit von Gemeinschaft und Mitgliedstaaten und hat zum Ziel, die Informationen über seltene Krankheiten zu verbessern, Patientenunterstützungsgruppen sowie Risikoanalyse und Risikomanagement bei Cluster seltener Krankheiten zu unterstützen. Bei dieser Tätigkeit wird die Gemeinschaft die Grundsätze der Subsidiarität und der Verhältnismäßigkeit wahren.
6. Entsprechend dem Grundsatz der Subsidiarität müssen Maßnahmen in Bereichen, für die nicht ausschließlich die Gemeinschaft zuständig ist, wie etwa Maßnahmen bei seltenen Krankheiten, nur dann auf Gemeinschaftsebene ergriffen werden, wenn aufgrund ihres Umfangs oder ihrer Auswirkungen ein Vorgehen auf Gemeinschaftsebene sich empfiehlt.
7. Unter seltenen Krankheiten sind solche Krankheiten zu verstehen, von denen nach allgemein anerkannten Maßstäben in der gesamten Bevölkerung der Gemeinschaft weniger als 5 von 10.000 Einwohner betroffen sind. Dieses Programm ist speziell auf diejenigen Krankheiten abgestellt, für die besondere gemeinsame Anstrengungen erforderlich sind, um sicherzustellen, daß sich für den einzelnen keine signifikante pränatale und frühzeitige Morbidität oder Mortalität, kein erheblicher Verlust an Lebensqualität oder an sozialen und wirtschaftlichen Möglichkeiten ergeben.

8. Mit dem vorgeschlagenen Fünfjahresaktionsprogramm sollen die derzeit laufenden Arbeiten in den Mitgliedstaaten durch Maßnahmen ergänzt werden, die sich an die Öffentlichkeit, die Berufsgruppen des Gesundheitswesens und die Behörden richten.
9. In Anbetracht der begrenzten verfügbaren Mittel ist es nicht praktikabel, alle zirka 5.000 seltenen Krankheiten und alle Aspekte seltener Krankheiten in einem Programm der Gemeinschaft im Bereich der öffentlichen Gesundheit zu behandeln.
10. Bei der Auswahl der Zielsetzungen und bei der Definition der Maßnahmen, die in das Programm aufgenommen werden sollen, ist die gegenwärtige Situation in dem vom Programm abgedeckten Bereich in den Mitgliedstaaten und auf Gemeinschaftsebene berücksichtigt worden. Das Programm zielt darauf ab, den Informationsaustausch zu beschleunigen und wirksamer zu gestalten, Patientengruppen und Dachorganisationen zu unterstützen, Reaktionsgruppen für Cluster in wirksamer Art und Weise einzurichten und die Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten zu verbessern. Auf diese Weise wird unnötige Doppelarbeit vermieden und die Annahme der bestmöglichen Lösung für die allen Mitgliedstaaten gemeinsamen Probleme im Zusammenhang mit diesen Krankheiten beschleunigt.
11. Schließlich hat das Kriterium der Beibringung eines Mehrwerts auf Gemeinschaftsebene im Zusammenhang mit seltenen Krankheiten besondere Bedeutung, denn alle diesbezüglichen Maßnahmen sind von so einzigartigem Umfang und von so einzigartiger Wirkung, daß alle Mitgliedstaaten einen zusätzlichen Nutzen aus ihnen ziehen werden.
12. Dieses Programm wird auf der Grundlage eines Beschlusses des Europäischen Parlaments und des Rates nach Artikel 129 durchgeführt. Es fällt nicht unter die ausschließliche Zuständigkeit der Gemeinschaft und erfordert nicht die Harmonisierung der einschlägigen nationalen Vorschriften.
13. Es ist vorgesehen, die im Rahmen dieses Programms durchgeführten Maßnahmen in zwei Berichten zu bewerten. In einem Zwischenbericht werden die Fortschritte überprüft, und in einem Schlußdokument wird über die Durchführung des Programms berichtet. In diesen Berichten werden Angaben über die Verwendung von Mitteln der Gemeinschaft in den verschiedenen Tätigkeitsfeldern sowie die Ergebnisse der Bewertung enthalten sein. Sie werden dem Rat und dem Europäischen Parlament sowie dem Wirtschafts- und Sozialausschuß und dem Ausschuß der Regionen übermittelt.

**Vorschlag für einen
BESCHLUSS DES EUROPÄISCHEN PARLAMENTS UND DES RATES
zur Annahme eines Programms der Gemeinschaft
betreffend seltene Krankheiten
innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen
Gesundheit
1999-2003**

DAS EUROPÄISCHE PARLAMENT UND DER RAT DER EUROPÄISCHEN UNION

gestützt auf den Vertrag zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft, insbesondere auf Artikel 129,

auf Vorschlag der Kommission¹,

nach Stellungnahme des Wirtschafts- und Sozialausschusses²,

nach Stellungnahme des Ausschusses der Regionen³,

in Übereinstimmung mit den Verfahren nach Artikel 189 Buchstabe b des Vertrages:

1. Aufgrund der Tatsache, daß selten auftretende Krankheiten und Erkrankungen eben selten sind, und aufgrund der sich hieraus ergebenden mangelhaften Informationen über diese Krankheiten kann es dazu kommen, daß Betroffene nicht die zur Behandlung benötigten Mittel und Leistungen erhalten.
2. Für die Zwecke des Programms werden seltene Krankheiten als lebensbedrohende oder chronisch behindernde Krankheiten definiert, deren Häufigkeit derart gering ist, daß besondere gemeinsame Anstrengungen zur Bekämpfung dieser Krankheiten erforderlich sind.
3. In Übereinstimmung mit Buchstabe (o) des Artikels 3 des Vertrages werden die Maßnahmen der Gemeinschaft u.a. zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus beitragen.
4. Nach Artikel 129 ist die Gemeinschaft für diesen Bereich ausdrücklich zuständig, insofern als sie einen Beitrag dazu leistet, indem sie die Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten fördert, und erforderlichenfalls deren Tätigkeit unterstützt, die Koordinierung ihrer Politiken und Programme fördert und die Zusammenarbeit mit Drittländern und internationalen Organisationen, die im Bereich der öffentlichen Gesundheit tätig sind, begünstigt. Die Tätigkeit der Gemeinschaft soll auf die Prävention von Krankheiten und die Förderung der Erziehung und Information im Bereich der Gesundheit ausgerichtet sein.

¹ Abl.Nr.

² Abl. Nr.

³ Abl. Nr.

5. Seltene Krankheiten sind als Schwerpunktbereich für die Tätigkeit der Gemeinschaft innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit⁴ eingestuft worden.
6. Das Europäische Parlament hat die Kommission in seiner Entschließung (A4-0311/95) über das mittelfristige sozialpolitische Aktionsprogramm 1995-1997⁵ dazu aufgefordert, das in der Rahmenmitteilung der Kommission über die öffentliche Gesundheit vorgesehene Aktionsprogramm für seltene Krankheiten in Übereinstimmung mit den entsprechenden Verfahren vorzustellen.
7. In Übereinstimmung mit dem Grundsatz der Subsidiarität dürfen Maßnahmen in Bereichen, die nicht in die ausschließliche Zuständigkeit der Gemeinschaft fallen, wie beispielsweise Maßnahmen betreffend seltene Krankheiten, von der Gemeinschaft nur dann durchgeführt werden, wenn aufgrund ihres Umfangs oder ihrer Auswirkungen sich ein Vorgehen auf Gemeinschaftsebene empfiehlt.
8. Die Gemeinschaft kann den Maßnahmen der Mitgliedstaaten im Bereich seltener Krankheiten einen Mehrwert verleihen, indem sie einzelstaatliche Maßnahmen koordiniert, Informationen und Erfahrungen weitergibt, gemeinsame Prioritäten festlegt, jedesmal wenn zweckmäßig Netze aufbaut, gemeinschaftsweite Projekte auswählt und alle Beteiligten motiviert und mobilisiert.
9. Die Zusammenarbeit mit internationalen Organisationen, die im Bereich der öffentlichen Gesundheit zuständig sind, und mit Drittländern ist zu fördern.
10. Das Programm trägt mit der Unterstützung von Maßnahmen zur Erlangung eines besseren Kenntnisstandes und eines besseren Verständnisses sowie zur weiteren Verbreitung von Informationen im Zusammenhang mit seltenen Krankheiten und mit der Erarbeitung von Maßnahmen in Ergänzung zu bestehenden Programmen und Maßnahmen der Gemeinschaft unter Vermeidung unnötiger Doppelarbeit zur Umsetzung der in Artikel 129 dargelegten Ziele der Gemeinschaft bei.
11. Zur Erhöhung des Nutzens und zur Verstärkung der Auswirkungen des Programms werden die Maßnahmen im Hinblick auf ihre Wirksamkeit und die Umsetzung der Ziele sowie im Hinblick auf eventuell notwendige Anpassungen fortlaufend bewertet.
12. Dieses Programm sollte eine Laufzeit von fünf Jahren haben, um einen ausreichend langen Zeitraum zur Durchführung der Maßnahmen und damit zur Umsetzung der Ziele zu ermöglichen.
13. Die Einführung spezieller Vorkehrungen auf Gemeinschaftsebene stellt sicher, daß alle Mitgliedstaaten in einem Notfall rasch informiert werden, damit auf diese Weise der Schutz der Bevölkerung gewährleistet ist.

⁴ KOM(93)559 endg.

⁵ Abl. Nr. C 032 vom 5. 2. 1996, S. 15 - 24

14. Die den Mitgliedstaaten aus den Verträgen oder aus bilateralen und multilateralen Abkommen erwachsenden Rechte und Pflichten bleiben von diesen auf Gemeinschaftsebene vorzunehmenden Vorkehrungen für einen raschen Informationsaustausch unberührt.
15. Am 20. Dezember 1994 wurde zwischen dem Europäischen Parlament, dem Rat und der Kommission in bezug auf die Maßnahmen zur Umsetzung von Gesetzen, die nach dem in Artikel 189 Buchstabe b des Vertrages angenommen werden, eine Vereinbarung über einen modus vivendi getroffen.
16. Der Beschluß legt für die gesamte Laufzeit des Programms einen Finanzrahmen fest, der gemäß Punkt 1 der Entschließung des Europäischen Parlaments, des Rates und der Kommission vom 6. März 1995 beim jährlichen Haushaltsverfahren als Hauptbezugspunkt für die Haushaltsbehörde gilt.
17. Die finanzielle Vorausschau der Gemeinschaft ist bis 1999 gültig und muß für die Zeit danach überprüft werden.
18. Der Finanzrahmen für die letzten vier Jahre der Programmlaufzeit (2000-2003) wird nach Maßgabe der künftigen finanziellen Vorausschauen festgelegt.

BESCHLIESSEN:

Artikel 1

Aufstellung des Programms

1. Ein Aktionsprogramm der Gemeinschaft für seltene Krankheiten, im folgenden "das Programm" genannt, wird mit diesem Beschluß für die Zeit zwischen dem 1. Januar 1999 und dem 31. Dezember 2003 innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit angenommen.
2. Das Ziel des Programms ist es, im Hinblick auf seltene Krankheiten einen Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus zu leisten. Dies geschieht über die Bereitstellung von Fachwissen über diese Krankheiten, über die Förderung und Unterstützung von Patientenunterstützungsgruppen und über die Förderung der Einrichtung von Reaktionsgruppen im Falle von Cluster.
3. Die im Rahmen dieses Programms einzuleitenden Maßnahmen und ihre spezifischen Zielsetzungen werden im Anhang unter den folgenden Überschriften vorgestellt:
 1. Maßnahmen betreffend Informationen der Gemeinschaft über seltene Krankheiten
 2. Maßnahmen zur Unterstützung von Patienten- und Familienunterstützungsgruppen
 3. Maßnahmen betreffend die Vorgehensweise bei Cluster seltener Krankheiten

Artikel 2

Durchführung

1. Die Kommission stellt die Durchführung der im Anhang vorgestellten Maßnahmen in enger Zusammenarbeit mit den Mitgliedstaaten sicher.
2. Die Kommission arbeitet mit Einrichtungen und Organisationen zusammen, die im Bereich seltener Krankheiten tätig sind.

Artikel 3

Haushalt

1. Der Finanzrahmen für die Durchführung des Programms im Jahre 1999 beträgt 1,3 Mio. ECU entsprechend der derzeitigen finanziellen Vorausschau. Der Finanzrahmen für die letzten vier Jahre des Programms (2000-2003) wird im einzelnen festgelegt, nachdem die künftige Vorausschau vorliegt.
2. Die jährlichen Mittel werden in Übereinstimmung mit den finanziellen Vorausschauen von der Haushaltsbehörde festgesetzt.

Artikel 4

Kohärenz und Komplementarität

Die Kommission trägt Sorge dafür, daß die im Rahmen des Programms einzuleitenden Gemeinschaftsmaßnahmen mit den übrigen einschlägigen Programmen und Maßnahmen der Gemeinschaft in Einklang stehen und diese ergänzen.

Artikel 5

Ausschuß

1. Die Kommission wird bei der Durchführung dieses Aktionsplans von einem Ausschuß mit beratender Funktion, im folgenden "der Ausschuß" genannt, unterstützt, der sich aus den Vertretern der Mitgliedstaaten zusammensetzt und in dem der Vertreter der Kommission den Vorsitz führt.
2. Der Vertreter der Kommission unterbreitet dem Ausschuß einen Entwurf der zu treffenden Maßnahmen für folgendes:
 - a) die Kriterien und Verfahren, die für die Auswahl und die Finanzierung der im Rahmen des Programms durchzuführenden Maßnahmen angewandt werden;
 - b) das Bewertungsverfahren.

Der Ausschuß gibt - gegebenenfalls durch Abstimmung - seine Stellungnahme zu diesem Entwurf innerhalb einer Frist ab, die der Vorsitzende unter Berücksichtigung der Dringlichkeit der betreffenden Frage festsetzen kann.

Die Stellungnahme wird in das Protokoll aufgenommen. Darüber hinaus hat jeder Mitgliedstaat das Recht zu verlangen, daß sein Standpunkt im Protokoll festgehalten wird.

Die Kommission berücksichtigt so weit wie möglich die Stellungnahme des Ausschusses. Sie unterrichtet den Ausschuß darüber, inwieweit sie seine Stellungnahme berücksichtigt hat.

Der Vertreter der Kommission wird den Ausschuß regelmäßig über Vorschläge oder Initiativen der Gemeinschaft und die Umsetzung von Programmen in anderen politischen Bereichen, die für die Erreichung der Ziele des Programms von Bedeutung sind, auf dem laufenden halten.

Artikel 6

Internationale Zusammenarbeit

1. Im Zuge der Durchführung des Programms wird die Zusammenarbeit mit Drittländern und mit internationalen Organisationen, die im Bereich der öffentlichen Gesundheit tätig sind, gefördert.
2. Das Programm steht den assoziierten Ländern Mitteleuropas (MEI) im Einklang mit den Voraussetzungen offen, die in den Assoziationsabkommen oder dazugehörigen Zusatzprotokollen betreffend die Teilnahme an Gemeinschaftsprogrammen erwähnt werden. Dieses Programm steht Zypern und Malta auf der Grundlage zusätzlicher Mittel gemäß mit diesen Ländern zu vereinbarenden Verfahren nach denselben Maßgaben wie den für die EFTA-Länder geltenden offen.

Artikel 7

Überwachung und Bewertung

1. Bei der Durchführung dieses Beschlusses ergreift die Kommission alle erforderlichen Maßnahmen zur Sicherstellung der Überwachung und ständigen Bewertung des Programms unter Berücksichtigung der allgemeinen und spezifischen Ziele in Artikel 1 und im Anhang.
2. Im dritten Jahr der Laufzeit des Programms legt die Kommission dem Europäischen Parlament und dem Rat einen Bewertungsbericht vor.
3. Bei Beendigung des Programms übermittelt die Kommission dem Europäischen Parlament und dem Rat einen Schlußbericht.
4. Die Kommission wird in den zwei Berichten über die Finanzierung der unterschiedlichen Tätigkeitsfelder durch die Gemeinschaft und über die Komplementarität mit den übrigen in Artikel 4 genannten Maßnahmen sowie über die Ergebnisse der Bewertungen unterrichten.

Sie wird diese Berichte auch dem Wirtschafts- und Sozialausschuß und dem Ausschuß der Regionen übermitteln.

Geschehen zu Brüssel,

Im Namen des Europäischen Parlaments
Der Präsident

Im Namen des Rates
Der Präsident

ANHANG

SPEZIFISCHE ZIELE UND MASSNAHMEN

I. MASSNAHMEN BETREFFEND INFORMATIONEN DER GEMEINSCHAFT ÜBER SELTENE KRANKHEITEN

Ziel: Erlangung von Kenntnissen über seltene Krankheiten vor allem für Patienten, Berufsgruppen des Gesundheitswesens und Forscher

1. Förderung und Unterstützung der Einrichtung einer europäischen Datenbank für seltene Krankheiten, wobei die Einträge folgende Angaben enthalten: Bezeichnung der Krankheit, Synonyme, allgemeine Beschreibung des Leidens, Symptome, Ursachen, betroffene Bevölkerung, Standardbehandlung, (gegebenenfalls) im Rahmen von Forschungen durchgeführte Behandlungen und eine Liste der Stellen, bei denen weitere Informationen über das Leiden eingeholt werden können;
2. Förderung des Zugangs zu Informationen und Koordinierung vorhandener Informationssysteme und Informationsdienste mit Hilfe der Einrichtung und Unterstützung von Netzen auf lokaler, regionaler, nationaler und europäischer Ebene;
3. Veranstaltung von Tagungen, bei denen die Berufsgruppen des Gesundheitswesens mit dem Ziel zusammengebracht werden, Frühentdeckung, Erkennung, geeignete Maßnahmen und Prävention seltener Krankheiten zu verbessern.

II. MASSNAHMEN ZUR UNTERSTÜTZUNG VON PATIENTEN- UND FAMILIENUNTERSTÜTZUNGSGRUPPEN

Ziel: Einrichtung, Förderung und Unterstützung von Freiwilligenorganisationen, die sich mit der Unterstützung von Personen befassen, die direkt oder indirekt von seltenen Krankheiten betroffen sind

4. Förderung der Gründung von Gruppen, in denen sich Personen mit den gleichen seltenen Krankheitszuständen oder Personen, die beruflich damit zu tun haben, zusammenfinden, um ihre Erfahrungen auszutauschen, die Ausbildung zu erleichtern und ihre Maßnahmen auf nationaler und europäischer Ebene zu koordinieren.
5. Förderung der Zusammenarbeit und der Vernetzung dieser Gruppen sowie Einrichtung und Unterstützung von Dachorganisationen, die sich vor allem mit der Förderung einer kontinuierlichen Arbeit und grenzüberschreitenden Zusammenarbeit befassen.

III. MASSNAHMEN BETREFFEND DIE VORGEHENSWEISE BEI CLUSTER SELTENER KRANKHEITEN

Ziel: Sicherstellung einer wirksamen Vorgehensweise bei dem Problem der Cluster, die für seltene Krankheiten von entscheidender Bedeutung ist.

6. Unterstützung der Kontrolle seltener Krankheiten, u. a. Geburtsfehler, genetischer Leiden oder organischer Krankheiten; einzelnen Organe und die angemessenen Techniken für Krankheiten mit niedriger Verbreitung um auf der einen Seite der Anforderung im Hinblick auf Diagnose, Behandlung und Forschung zu genügen, und auf der anderen Seite die Anforderung im Hinblick auf die relevante statistische Überwachung zu erfüllen,
7. Förderung der Einrichtung von Reaktionsgruppen für seltene Krankheiten und von speziellen Lehrgängen für den Personenkreis, der mit der Untersuchung der Cluster befaßt ist;
8. Unterstützung der Überwachung und Unterstützung von Frühwarnsystemen für Cluster; und
9. Förderung des Austausches von Fachwissen über die Bewertung, Einschätzung, Kommunikation und Vorgehensweise in bezug auf Cluster seltener Krankheiten, die mit äußeren Ursachen in Verbindung gebracht werden.

FINANZBOGEN

1 BEZEICHNUNG DER MASSNAHME

Vorschlag für einen Beschluß des Europäischen Parlaments und des Rates zur Annahme eines Aktionsprogramms der Gemeinschaft betreffend seltene Krankheiten innerhalb des Aktionsrahmens im Bereich der öffentlichen Gesundheit

2 HAUSHALTSLINIE

B3-...

3 RECHTSGRUNDLAGE

Artikel 3 Buchstabe o und Artikel 129 des Vertrages zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft

4 BESCHREIBUNG DER MASSNAHME

4.1 Allgemeines Ziel der Maßnahme

Einen Beitrag zu leisten zur Umsetzung der im Vertrag festgeschriebenen Zielsetzungen:

- nach Artikel 3 Buchstabe o soll die Gemeinschaft einen Beitrag zur Erzielung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus leisten;
- nach Artikel 129 soll die Gemeinschaft einen Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Gesundheitsschutzniveaus leisten, insbesondere durch die Förderung der Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten, und erforderlichenfalls, durch Unterstützung ihrer Tätigkeit, durch die Förderung einer Koordinierung ihrer Politiken und Programme und der Zusammenarbeit mit dritten Ländern und den für das Gesundheitswesen zuständigen internationalen Organisationen. Die Tätigkeit der Gemeinschaft ist auf die Verhütung von Krankheiten, insbesondere der weitverbreiteten schwerwiegenden Krankheiten gerichtet; dabei sollen die Erforschung der Ursachen und der Übertragung dieser Krankheiten sowie die Gesundheitsinformation und -erziehung gefördert werden.

Das allgemeine Ziel dieses Aktionsprogramms ist es, einen hohen Schutz der Gesundheit vor seltenen Krankheiten sicherzustellen.

Zur Umsetzung dieses Zieles sind nachstehende Maßnahmen einzuleiten:

- Ermöglichung der Durchführung einer breiteren Palette von Maßnahmen und Einleitung von Projekten mit Patienten, die andernfalls isoliert wären oder bei denen eine falsche Diagnose gestellt würde,
- Bereitstellung von Informationen über seltene Krankheiten,
- Unterstützung der Organisation und der Einrichtung von Patienten- und Familienunterstützungsgruppen,

- Durchsetzung der Einrichtung von Reaktionsgruppen, die sich mit der Vorgehensweise bei Cluster seltener Krankheiten befassen.

4.2 Dauer der Maßnahmen und ggf. Bestimmungen über ihre Erneuerung oder Verlängerung

- 5 Jahre: 01. 01. 1999 bis 31. 12. 2003
- Ein Bericht über die Durchführung soll dem Rat und dem Europäischen Parlament im Laufe des dritten Jahres der Dauer des Programms vorgelegt werden.
- Nach Abschluß des Programms wird Rat und Europäischem Parlament ein Bericht vorgelegt, in dem auch die Ergebnisse der Bewertungen enthalten sind.

5 EINSTUFUNG DER AUSGABEN/EINNAHMEN

- Nichtobligatorische Ausgaben
- Getrennte Mittel

6 ART DER AUSGABEN/EINNAHMEN

Zuschuß zwecks Kofinanzierung mit anderen öffentlichen und/oder privaten Geldgebern (übersteigt einen bestimmten Prozentsatz der Gesamtkosten der vorgeschlagenen Projekte nicht).

Die Höhe der bewilligten Mittel hängt von dem Umfang der zu finanzierenden Maßnahme ab und davon, inwieweit sich das Aktionsprogramm in den verschiedenen geplanten Maßnahmen niederschlägt. Diese Mittel werden 70 % des gesamten für die vorgeschlagenen Projekte vorgesehenen Haushalts nicht übersteigen, mit Ausnahme der Netze und der von der Kommission in Auftrag gegebenen Arbeiten und solcher Arbeiten, die für die Kommission von unmittelbarem Nutzen sind. In diesen Fällen beläuft sich die Beihilfe auf 100 %.

7 FINANZIELLE AUSWIRKUNGEN

7.1 Berechnungsweise für die Gesamtkosten der Maßnahme (Angabe der Kosten je Einheit)

Die Berechnungsweise resultiert aus den bei früheren Tätigkeiten im Bereich der öffentlichen Gesundheit gemachten Erfahrungen. Dies umfaßt die verschiedenen Arten von Gemeinschaftsaktionen in Tabelle 4 der Mitteilung der Kommission KOM(93) 559 endg. vom 24. November 1993 und stellt 10 Jahre des Know-how bei der Finanzierung gemeinsamer Maßnahmen mit den Mitgliedstaaten und den NRO dar, bei denen Informationen zusammengetragen, geprüft und verbreitet wurden, Netzwerke geschaffen wurden, der Nutzen von Kampagnen, wie etwa von Europäischen Wochen, geprüft wurde, Mechanismen und Verfahren festgelegt wurden für die Konsultation und Zusammenarbeit im Hinblick auf die Festlegung gemeinsamer Ziele und die Koordinierung der Politik und für die Formulierung und Erarbeitung von Strategien auf Gemeinschaftsebene. Die spezifischen Kostenschätzungen basieren auf der Annahme, daß die Hälfte der im Rahmen dieses Programms durchzuführenden Maßnahmen zu 100 %, die andere Hälfte zu 50 %

finanziert werden müssen und daß die meisten oder alle Mitgliedstaaten an den durchzuführenden Maßnahmen beteiligt sein werden. Es wird davon ausgegangen, daß für die Durchführung dieser Tätigkeiten im Jahre 1999 1,3 Mio. ECU benötigt werden. Der neue Haushaltsrahmen für die letzten vier Jahre wird im Jahre 2000 unter Berücksichtigung der künftigen finanziellen Vorausschau der Gemeinschaft festgelegt. Über die jährlichen Zuweisungen wird im Rahmen der normalen Haushaltsverfahren entschieden.

7.1.1 Datenbank über seltene Krankheiten für Patienten, Angehörige der Gesundheitsberufe und Forscher

Einrichtung einer Datenbank für seltene Krankheiten in Europa, wobei die Einträge folgende Angaben enthalten sollen: Bezeichnung der Krankheit, Synonyme, eine allgemeine Beschreibung des Leidens, Symptome, Ursachen, betroffene Population, Standardbehandlung, (gegebenenfalls) Behandlung im Rahmen von Forschungsarbeiten und eine Liste der Stellen, bei denen weitere Informationen über die Erkrankung eingeholt werden können. Für die Schaffung der Datenbank im Jahre 1999 sind 600 000 ECU vorgesehen.

Die Veranstaltung im Jahre 1999 von Konsenstagungen über seltene Krankheiten, die sich an Angehörige der Gesundheitsberufe wenden, wird 100 000 ECU beanspruchen.

7.1.2 Gründung von Freiwilligenorganisationen für seltene Krankheiten

Sitzungen zur Förderung der Gründung von Freiwilligenorganisationen für die Unterstützung von Menschen mit seltenen Krankheiten im Jahre 1999: 200 000 ECU.

7.1.3 Wirksamer Umgang mit Cluster seltener Krankheiten

Die Einrichtung von Stellen zur Überwachung seltener Krankheiten wird 1999 300 000 ECU beanspruchen.

Die Gründung von "Reaktionsteams" und die Veranstaltung von Kursen zur Untersuchung von Cluster wird 1999 100 000 ECU beanspruchen.

7.2 Aufschlüsselung nach Kostenelementen (in Mio. ECU) - voraussichtliche Planung

ZIEL	MASSNAHMENBEREICH	JAHRE					
		1999	2000	2001	2002	2003	INSGES AMT
Erlangung von Kenntnissen über seltene Krankheiten vor allem für Patienten, Berufsgruppen des Gesundheitswesens und Forscher	Förderung und Unterstützung der Einrichtung einer europäischen Datenbank für seltene Krankheiten, wobei die Einträge folgende Angaben enthalten: Bezeichnung der Krankheit, Synonyme, eine allgemeine Beschreibung des Leidens, Symptome, Ursachen, betroffene Population, Standardbehandlung, (gegebenenfalls) Behandlung im Rahmen von Forschungsarbeiten und eine Liste der Stellen, bei denen weitere Informationen über die Erkrankung eingeholt werden können.	0,6	-	-	-	-	0,6
	Förderung des Zugangs zu Informationen und Koordinierung vorhandener Informationssysteme und Informationsdienste mit Hilfe der Einrichtung und Unterstützung von Netzen auf lokaler, regionaler, nationaler oder europäischer Ebene	-	-	-	-	-	-
	Veranstaltung von Tagungen, bei denen die Berufsgruppen des Gesundheitswesens zusammengebracht werden sollen mit dem Ziel, die Frühentdeckung, Einschätzung, geeignete Maßnahmen und Prävention seltener Krankheiten zu verbessern.	0,1	-	-	-	-	0.1

Einrichtung, Förderung und Unterstützung von Freiwilligenorganisationen, die sich mit der Unterstützung von Personen befassen, die direkt oder indirekt von seltenen Krankheiten betroffen sind	Förderung der Gründung von Gruppen, in denen sich Personen mit den gleichen seltenen Krankheitszuständen oder Personen, die beruflich damit zu tun haben, zusammenfinden, um ihre Erfahrungen auszutauschen, die Ausbildung zu erleichtern und ihre Maßnahmen auf nationaler und europäischer Ebene zu koordinieren.	-	-	-	-	-	-
	Förderung der Zusammenarbeit und der Vernetzung dieser Gruppen sowie Einrichtung und Unterstützung von Dachorganisationen, die sich vor allem mit der Förderung einer kontinuierlichen Arbeit und grenzüberschreitenden Zusammenarbeit befassen.	0,2	-	-	-	-	0,2
Sicherstellung einer wirksamen Vorgehensweise bei dem Problem der Cluster, die für seltene Krankheiten von entscheidender Bedeutung ist	Unterstützung der Kontrolle seltener Krankheiten, u. a. Geburtsfehler, genetischer Leiden oder organischer Krankheiten einzelnen Organe und die angemessenen Techniken für Krankheiten mit niedriger Verbreitung um auf der einen Seite der Anforderung im Hinblick auf Diagnose, Behandlung und Forschung zu genügen, und auf der anderen Seite die Anforderung im Hinblick auf die relevante statistische Überwachung zu erfüllen	0,3	-	-	-	-	0,3
	Förderung der Einrichtung von Reaktionsgruppen für seltene Krankheiten und von speziellen Lehrgängen für den Personenkreis, der mit der Untersuchung der Cluster befaßt ist	0,1	-	-	-	-	0,1
	Unterstützung der Überwachung und Unterstützung von Frühwarnsystemen für Cluster		-	-	-	-	-
	Förderung des Austausches von Fachwissen über Bewertung, Einschätzung, Kommunikation und Vorgehensweise bei Cluster seltener Krankheiten, die mit äußeren Ursachen in Verbindung gebracht werden		-	-	-	-	-
	INSGESAMT	1,3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

7.3 Indikativer Fälligkeitsplan für Verpflichtungs- und Zahlungsermächtigungen (in Mio. ECU)

	1999	2000	2001	2002	2003	Insgesamt
Verpflichtungs-ermächtigungen	1,3	-	-	-	-	1,3
Zahlungsermächtigungen						
1999	0,78					0,78
2000	0,52	-				0,52
2001	-	-	-			-
2002		-	-	-		-
2003			-	-	-	-
Folgejahre				-	-	-
Insgesamt	1.3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

8 VORGESEHENE BETRUGSBEKÄMPFUNGSMASSNAHMEN; ERGEBNISSE BEREITS DURCHGEFÜHRTER MASSNAHMEN

In den Antragsformularen für die Beihilfe werden Angaben über die Identität und die Art der potentiellen Begünstigten verlangt, so daß ihre Zuverlässigkeit vorab geprüft werden kann.

Betrugsbekämpfungsmaßnahmen (Prüfungen, Zwischenberichte, Schlußbericht) gehören zu den zwischen der Kommission und den Begünstigten geschlossenen Abkommen oder Verträgen. Die Kommission wird die Berichte prüfen und dafür sorgen, daß die Arbeiten ordnungsgemäß durchgeführt wurden, bevor Zwischenzahlungen und Abschlußzahlungen getätigt werden.

Darüber hinaus nimmt die Kommission Ad-hoc-Prüfungen in bezug auf die Verwendung der Mittel vor. In anderen Haushaltslinien für den Bereich der öffentlichen Gesundheit sind bereits in bezug auf die Haushaltsjahre 1991 und 1995 Prüfungen vorgenommen worden und haben sich als wirksam erwiesen.

9 ANGABEN ZUR KOSTEN-WIRKSAMKEITSANALYSE

9.1 Quantifizierbare Einzelziele

Die von der Gemeinschaft durchgeführten Maßnahmen haben zum Ziel, einen Beitrag zur Sicherstellung eines hohen Schutzes der Gesundheit vor seltenen Krankheiten zu leisten. Dies geschieht, indem insbesondere Patienten, Angehörigen der Gesundheitsberufe und Forschern Kenntnisse über seltene Krankheiten bereitgestellt werden, indem Freiwilligenorganisationen eingerichtet, gefördert und unterstützt werden, die sich mit der Unterstützung von Personen befassen, die direkt oder indirekt von seltenen Krankheiten betroffen sind, und indem eine wirksame Vorgehensweise beim Problem der Cluster sichergestellt wird, die für seltene Krankheiten von entscheidender Bedeutung ist. Dies geschieht über die Umsetzung der nachstehenden konkreten Ziele:

Die Indikatoren, die erkennen lassen, ob diese Ziele erreicht worden sind oder nicht, werden folgende Art von Maßnahmen umfassen:

- Bereitstellung von Informationen über seltene Krankheiten für Patienten, Angehörige der Gesundheitsberufe und Forscher;
- Einrichtung einer europäischen Datenbank für seltene Krankheiten;
- Verfügbarkeit von Konsensunterlagen über die Ermittlung, die Erkennung, das Eingreifen und die Verhütung seltener Krankheiten und das Ergreifen einschlägiger Maßnahmen;
- Vorhandensein aktiver Patientenorganisationen im Bereich der seltenen Krankheiten auf lokaler, regionaler, nationaler und gemeinschaftlicher Ebene;
- Vorhandensein von Dachorganisationen auf Gemeinschaftsebene zur Förderung der Zusammenarbeit bei mehreren seltenen Krankheiten;
- Bestehen von Reaktionsgruppen für seltene Krankheiten sowie einschlägiger Überwachungs- und Frühwarnsysteme bei Cluster seltener Krankheiten.

Zielgruppe

1. Für den Bereich der öffentlichen Gesundheit zuständige öffentliche Stellen der Mitgliedstaaten auf nationaler, regionaler und lokaler Ebene und internationale Organisationen;
2. Patientenunterstützungsgruppen, Angehörige der Gesundheitsberufe, Gesundheits- und Arztverbände, wissenschaftliche Institutionen, usw.
3. NRO und sonstige an Fragen der Gesundheit interessierte Organe und die allgemeine Bevölkerung.

9.2 Begründung der Maßnahme

Mit der Einleitung von Maßnahmen in Übereinstimmung mit Artikel 129 muß die Gemeinschaft sich der Vermeidung von Krankheiten und dem Schutz der Gesundheit widmen. In der Kommissionsmitteilung über den Aktionsrahmen im Bereich der öffentlichen Gesundheit¹ werden die Kriterien für die Bestimmung von Schwerpunktbereichen für Gemeinschaftsprogramme dargelegt. In Übereinstimmung mit diesen Kriterien werden in der Rahmenmitteilung verschiedene

¹ KOM(93)559 endg. vom 23. 11. 1993

verschiedene Arten von Gemeinschaftsaktionen. Unter Zugrundelegung der in der Mitteilung enthaltenen Kriterien wurden acht prioritäre Bereiche ausgewählt, von denen seltene Krankheiten einer ist.

Für die Zwecke dieses Programms werden seltene Krankheiten als lebensbedrohende oder chronisch behindernde Krankheiten definiert, deren Inzidenz derart gering ist, daß besondere gemeinsame Bemühungen erforderlich sind, die sich aus einer Ex-ante-Bewertung ergeben.

Das Programm zielt darauf ab, den Austausch von Informationen und Erfahrungen zu beschleunigen und wirksamer zu gestalten, in der gesamten Gemeinschaft das Verständnis für die Schlüsselthemen und die Schlüsselfragen im Zusammenhang mit der Behandlung seltener Krankheiten zu verbessern, die Zusammenarbeit zwischen den Mitgliedstaaten zu verbessern, um auf diese Weise unnötige Doppelarbeit zu vermeiden und die Annahme der bestmöglichen Lösung für die allen Mitgliedstaaten gemeinsamen Probleme im Zusammenhang mit diesen Krankheiten zu beschleunigen. Dieser in Artikel 129 des Vertrags für die Gemeinschaft und die Kommission vorgesehene Beitrag bietet ein klares gemeinsames Regelwerk.

Was die Interventionsmethoden und die Mittelzuweisung anbelangt, gilt folgendes:

- Anwendung des Grundsatzes der Subsidiarität bei der Feststellung von Maßnahmen, die durchgeführt und kofinanziert werden müssen;
- Benennung und Auswahl von Projekten im Bereich der seltenen Krankheiten für eine Kofinanzierung;
- Erbringung eines Gemeinschaftsmehrwerts, der insbesondere durch die Koordinierung nationaler Maßnahmen, die Verbreitung von Informationen und Fachwissen, die Festlegung von Prioritäten, gegebenenfalls die Einrichtung von Netzen, die Auswahl europäischer Projekte und die Motivation und Mobilisierung aller Beteiligten zu gewährleisten ist.

Zur Durchführung des Programms werden zwei Methoden herangezogen. Zum einen werden Projekte unterstützt, die auf der Ebene der Mitgliedstaaten und der der Gemeinschaft durchgeführt werden. Die Auswahl vorrangiger Projekte erfolgt im großen und ganzen auf der Grundlage allgemeiner und indirekter Ziele, und die Umsetzung der Maßnahmen selbst hängt von der Qualität und Wirksamkeit der Projekte ab, die dem zuständigen Referat im Laufe des Jahres vorgelegt werden. Zum anderen werden spezifische Maßnahmen ergriffen, die erforderlich sind, um die Zielsetzungen dieses Programms umzusetzen, und die vollständig über das Programm finanziert werden.

Bei der Auswahl der Projekte werden die nachstehenden Kriterien angelegt:

- Vereinbarkeit mit den Zielsetzungen und Übereinstimmung mit mindestens einem der festgeschriebenen Zielsetzungen;
- Prüfung des Gemeinschaftsmehrwerts der Projekte (grenzübergreifende Teilnahme, Entwicklung eines Modells, das auch in anderen Mitgliedstaaten angewendet werden kann, Informationen, die auch in anderen Mitgliedstaaten genutzt werden können, usw.);
- Angenommene Wirksamkeit und angenommener Wert;
- Eindeutigkeit und Berechtigung der Anforderungen;
- Bedeutung der ausgewählten Methodik;

- Organisatorische Kompetenz und organisatorische Erfahrungen;
- Eignung der Mittel für die Ziele;
- Unterstützung der Projekte nationaler Partner;
- Objektive Bewertung;
- Stellungnahme des zuständigen beratenden Ausschusses.

Die für das erste Jahr der Laufzeit des Programms veranschlagten Haushaltsmittel in Höhe von 1,3 Mio. ECU entsprechen den gleichzeitig vorgeschlagenen Mitteln für die Aktionsprogramme der Gemeinschaft betreffend die Verhütung von Verletzungen und die durch Umweltverschmutzung bedingte Krankheiten. Dies läßt erkennen, daß diesen Aktionsbereichen die gleiche Priorität gegeben wird, die in der Mitteilung der Kommission über den Aktionsrahmen im Bereich der öffentlichen Gesundheit von 1993 angeführt wurde; diese Bewertung ist immer noch aktuell. Die veranschlagten Mittel sind ein Minimum, um mit dem Programm beginnen zu können.

9.3 Follow-up und Bewertung der Maßnahme

9.3.1 Follow-up der Maßnahme

Die Überwachung wird auf Gemeinschaftsebene von der Kommission vorgenommen, die nach der Hälfte der Laufzeit des Programms einen Zwischenbericht erstellen wird und nach Abschluß des Programms einen Schlußbericht. Diese werden dem Rat, dem Europäischen Parlament, dem Wirtschafts- und Sozialausschuß und dem Ausschuß der Regionen vorgelegt. Für diese Berichte werden sowohl einzelstaatliche Berichte als auch Bewertungen von im Rahmen des Programms durchgeführten Maßnahmen und von Einzelprojekten herangezogen.

9.3.2 Bewertung

Die Bewertung wird wie folgt vorgenommen:

- Bewertung der wichtigsten Maßnahmen und subventionierter Projekte, wobei erforderlichenfalls unabhängige Sachverständige beteiligt werden;
- Bewertungsbericht im dritten Jahr;
- Gesamtbericht über die Qualität und Wirksamkeit der im Rahmen des Aktionsplans durchgeführten Projekte, der den übrigen Gemeinschaftsinstitutionen nach Abschluß des Programms von der Kommission übermittelt wird.

Für diese Bewertung wurden folgende Erfolgsindikatoren ausgewählt:

- Bewertung der Projekte durch Beamte der Kommission und/oder Personen/Einrichtungen, die mit ihnen zusammenarbeiten;
- Analyse der Zwischenberichte über geplante und finanzierte Maßnahmen, aufgrund der nach Möglichkeit Änderungen vorgenommen werden können;
- Untersuchungen der Auswirkungen durch externe Organe;
- Bedeutung der von den Organisatoren verwendeten Methodik;
- Eignung der Mittel für die Ziele;
- Kenntnisse und Erfahrung der Organe;

- Verbreitung der Ergebnisse.

Verfahren und Termine für die Bewertung:

- Erarbeitung von Zwischenberichten und Schlußberichten über die verschiedenen in diesem Bereich durchgeführten Maßnahmen;
- Entwicklung eines "Standard"-Bewertungsformulars für die Maßnahme, das allen Begünstigten zusammen mit ihren Schlußberichten zugeschickt werden kann, und Prüfung dieser Unterlagen durch Beamte entweder von der Kommission oder aus dem jeweiligen Bereich.

10 VERWALTUNGS-AUSGABEN (TEIL A DES HAUSHALTSPLANS)

Die tatsächliche Auszahlung der erforderlichen Verwaltungsmittel ist an die jährliche Entscheidung der Kommission über die Zuweisung der Mittel gebunden, wobei insbesondere von der Haushaltsbehörde zugestandene zusätzliche Mitarbeiter und zusätzliche Mittel berücksichtigt werden.

10.1 Auswirkung auf den Personalbestand

Personalkategorie	Personal für die Durchführung der Maßnahmen		Herkunft des Personals		Dauer
	Ständiges Personal	Zeitkräfte	Aus GD oder Dienststelle	Zusätzliches Personal	
Beamte oder Zeitkräfte					
A					
B	1	0	1	0	
C	1	0	1	0	
	1	0	1	0	
Sonstige Mittel					
Insgesamt	3	0	3	0	

10.2 Finanzielle Auswirkungen des zusätzlichen Personals

10.3 Durch die Maßnahme verursachte Erhöhung sonstiger laufender Kosten

Haushaltslinie	Beträge	Berechnungsweise
Sitzungen A2510	104.250 ECU	2 Sitzungen des beratenden Ausschusses pro Jahr, 1 Vertreter/Mitgliedstaat = 2 Sitzungen/Jahr x 15 Vertreter x 695 ECU/Vertreter x 5 Jahre = 104.250 ECU

Die für die Deckung der untenstehenden Ausgaben für den Zeitraum von fünf Jahren benötigten Mittel werden durch die Neueinsetzung vorhandener Finanzmittel aufgebracht, und der Einsatz zusätzlicher Mittel ist nicht notwendig.

- a) Personalausgaben (Stufe A1, A2 und A5)
 $3 \times 100.000 \text{ ECU} \times 5 \text{ Jahre} = 1.500.000 \text{ ECU}$
- b) Verwaltungsausgaben
Kosten für Sitzungen (A-250)
 $2 \text{ Sitzungen/Jahr} \times 15 \text{ Sachverständige} \times 825 \text{ ECU/Sachverständiger} \times 5 \text{ Jahre} = 123.750 \text{ ECU}$
Reisekosten (A-130)
 $24 \text{ Reisen/Jahr nach Brüssel/Luxemburg} \times 200 \text{ ECU/Reise} \times 5 \text{ Jahre} = 24.000 \text{ ECU}$
 $60 \text{ Reisen/Jahr in die Mitgliedstaaten} \times 1000 \text{ ECU/Reise} \times 5 \text{ Jahre} = 300.000 \text{ ECU}$
- c) Gesamtkosten: 1.947.750 ECU

ISSN 0254-1467

KOM(97) 225 endg.

DOKUMENTE

DE

05

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

ISBN 92-78-19710-6

Amt für amtliche Veröffentlichungen der Europäischen Gemeinschaften

L-2985 Luxemburg