

EUROOPAN PARLAMENTTI

2004



2009

Teollisuus-, tutkimus- ja energiavaliokunta

2008/0218(COD)

10.3.2009

LAUSUNTO

teollisuus-, tutkimus- ja energiavaliokunnalta

ympäristön, kansanterveyden ja elintarvikkeiden turvallisuuden valiokunnalle

ehdotuksesta neuvoston suositukseksi Euroopan toimista harvinaisten
sairauksien alalla
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(COD))

Valmistelija: Françoise Grossetête

PA_Legam

LYHYET PERUSTELUT

Lähes 30 miljoonaa eurooppalaista kärsii harvinaisista sairauksista. Jokainen näistä sairauksista koskettaa vain pientä osaa väestöstä, joskus alle kymmentä henkilöä kansallisella tasolla. Keskimäärin kyseessä on yksi henkilö kahdestatuhannesta. Toistaiseksi tunnetaan yli 7000 harvinaista sairautta, ja lääketieteellisessä kirjallisuudessa kuvaillaan joka viikko kaksi uutta sairautta. Harvinaisista sairauksista 80 prosenttia on perinnöllisiä ja 65 prosenttia lastentauteja.

On siis välttämätöntä asettaa harvinaiset sairaudet ensisijaiseksi tavoitteeksi Euroopan tasolla, jotta voitaisiin paremmin huomioida miljoonien ihmisten tarpeet, joille on tehty virhediagnoosi tai jotka eivät saa hoitoa parantuakseen sairaudestaan.

Toisin kuin muissa kansanterveyden tai tutkimuksen aiheissa panoksena ei ole ainoastaan kuroa umpeen viivästystä laiminlyödyssä aiheessa vaan suunnitella pysyviä välineitä ja laitteita, jotka mahdollistavat näiden sairauksien erikoispiirteiden kestävän huomioimisen.

Niiden harvinaisuus synnyttää niin tieteellisiä, taloudellisia kuin organisaatioon liittyviä haasteita, joihin ei voida vastata tavallisesti käytössä olevilla välineillä. Tarvitaan siis kokonaisvaltaista, yhteen sovitettua ja kestävästä lähestymistapaa. Tämä täytöntöönpano voi toteutua vain ottamalla samanaikaisesti mukaan kaikki osapuolet: poliittiset ja institutionaaliset toimijat, potilasyhdistykset, terveydenhoidon ammattilaiset, sairausyhdistykset, hoitohenkilökunta, tutkijat ja teolliset toimijat.

Potilaita on liian vähän, jotta asiaa voitaisiin käsitellä paikallisena tai alueellisena haasteena, ja sairauksia on liikaa, jotta niitä voitaisiin opettaa terveydenalan ammattilaisille, minkä vuoksi asiantuntemus on harvinaista. Koska yksikään jäsenvaltio ei voi yksin voittaa harvinaisia sairauksia, tietojen, diagnoosien, hoitojen ja tutkimuksien saatavuus on välttämättä järjestettävä yhtenäiseen ja koordinoituun menetelmien ja kansallisten ja EU-tason lähestymistapojen verkostoon, joka on selkeä kaikille osapuolille. Sairauksien torjunnan järjestämisen sekä voimavarojen ja keinojen yhdistämisen ja kehittämisen kannalta tämä taso on siis tarpeellinen ja välttämätön.

Euroopan parlamentti ja ministerineuvosto antoivat 16. joulukuuta 1999 asetuksen (EY) N:o 141/2000 harvinaislääkkeistä. Asetus kannustaa lääke- ja bioteknolomiteollisuutta muun muassa verohelpotuksilla, tutkimussuunnitelmaa koskevalla avulla ja 10 vuoden yksinoikeudella kehittelemään ja kaupallistamaan harvinaislääkkeitä. Euroopan lääkevirastoon (EMA) perustetun harvinaislääkkeitä käsittelevän komitean (COMP) tehtävänä on tutkia pyynnöt nimeämisestä varten ja avustaa komissiota harvinaislääkkeitä koskevissa keskusteluissa.

Vuoden 2008 lokakuussa 569 lääkettä nimettiin "harvinaisiksi" Euroopassa. Näistä lääkkeitä 54 on jo saanut yhteisön markkinoille saattamista koskevan luvan, ja näin lähes 3 miljoonaa eurooppalaista saa elää.

Äänestämällä eurooppalaisesta harvinaislääkkeitä koskevasta asetuksesta on voitu luoda harvinaislääkkeiden kehittelyyn sitoutuneille yrityksille suosiollinen viitekehys, johon kuuluu

muun muassa verohelpotuksia ja kaupallinen yksinoikeus. Siitä on tullut tehostin harvinaislääkkeiden kehittälyssä.

Lääketeollisuus on vastahakoinen kehittämään harvinaislääkkeitä tavanomaisissa markkinaolosuhteissa. Jotkut sairaudet ovat niin harvinaisia, ettei niiden hoitamiseen käytettävien lääkkeiden kehittämisestä ja markkinoille saattamisesta aiheutuvia kustannuksia saada koskaan katetuksi.

Useista harvinaisten sairauksien yhteydessä saavutetuista edistyksistä hyödytään laajasti tavallisempien sairauksien hoidossa. Hoitomenetelmät lisääntyvät: geeni- ja soluhoito, uudet molekyyli-, "à la carte" -hoidot... Harvinaisten tautien yhteydessä pitkälle kehitetyt terapiat enteilevät tulevaisuuden lääketiedettä, josta muodostuu yhä potilaskohtaisempaa.

Harvinaisten sairauksien alalla räjähdysmäisesti kasvaneet kliinisen tutkimuksen mahdollisuudet tuovat mukanaan uusia taloudellisia näkymiä. Myös tässä tapauksessa eri välineiden käyttömahdollisuuksia tulee koordinoita Euroopan tasolla. Nämä sairaudet eivät yksittäisinä tapauksina ole taloudellisesti kannattavia. EU:n harvinaislääkkeiden kehittälyä suosivista toimista huolimatta lääketeollisuus on vielä vastahakoisempi ottamaan riskejä hoitomuotojensa kehittelyn ensivaiheissa (esikliinisestä vaiheesta vaiheeseen II) kuin yleisten sairauksien tapauksessa.

Teollisuudelle uuden hoidon kehittelyyn liittyvän taloudellisen riskin ja kannattavuusnäköymien välinen suhde muuttuu kiinnostavaksi vasta kehittelyn loppuvaiheessa. Vaikka lääkkeen teho on todistettu, sille on vaikea löytää merkittävää yksityistä rahoitusta, joka on välttämätöntä markkinoille saattamisluvan saamiseksi; siten harvinaiset sairaudet joutuvat kulkemaan paljon pidemmän "kuoleman laakson" läpi kuin yleisemmät sairaudet, joilla on suuremmat markkinamahdollisuudet.

On tärkeää toisaalta valmistaa sopivia kehittämisvälineitä, optimoida hoitojen kehityksen kesto kulujen vähentämiseksi ja toisaalta löytää uusia yksityisten ja julkisten rahastojen välisiä riskinjakovälineitä näiden vaiheiden rahoittamiseksi. Verkkojen kehittäminen ja yhteistyön tehostaminen Euroopan tasolla ovat epäilemättä tehokkaita keinoja päämäärän saavuttamiseksi. Jos toimenpiteitä ei toteuteta nopeasti, on riski että tietyt hoitomuodot eivät koskaan näe päivänvaloa ja markkinoille päätyvät vain Yhdysvalloista peräisin olevat kohtuuttoman hintaiset hoidot.

Ehdotus neuvoston suositukseksi EU:n toimista harvinaisten sairauksien alalla on erityisen tärkeä osa kansallisten harvinaisiin sairauksiin liittyvien strategioiden ja suunnitelmien luomisessa ja toteuttamisessa. Niillä tulisi olla sama soveltamisala kaikissa jäsenvaltioissa ja ne tulisi yhteensovittaa eri jäsenmaiden välillä ja liittää johdonmukaisesti ja tehokkaasti yhteisön toimintaperiaatteisiin.

TARKISTUKSET

Teollisuus-, tutkimus- ja energiavaliokunta pyytää asiasta vastaavaa ympäristön, kansanterveyden ja elintarvikkeiden turvallisuuden valiokuntaa sisällyttämään mietintöönsä seuraavat tarkistukset:

Tarkistus 1

Ehdotus suositukseksi Johdanto-osan 5 kappale

Komission teksti

(5) Alhaisen esiintyvyytensä ja erityisluonteensa vuoksi harvinaiset sairaudet edellyttävät yhteisiin erityistoimiin perustuvaa kokonaisvaltaista toimintamallia, jotta voitaisiin ehkäistä huomattavaa sairastuvuutta tai vältettävissä olevaa ennen aikaista kuolleisuutta ja parantaa sairastuneiden henkilöiden elämänlaatua ja sosioekonomisia mahdollisuuksia.

Tarkistus

(5) Alhaisen esiintyvyytensä ja erityisluonteensa vuoksi harvinaiset sairaudet edellyttävät yhteisiin erityistoimiin perustuvaa kokonaisvaltaista toimintamallia, ***mukaan luettuna kumppanuus kolmannen maan kuten Yhdysvaltojen kanssa***, jotta voitaisiin ehkäistä huomattavaa sairastuvuutta tai vältettävissä olevaa ennen aikaista kuolleisuutta ja parantaa sairastuneiden henkilöiden elämänlaatua ja sosioekonomisia mahdollisuuksia ***kehittyneissä maissa ja kehitysmaissa***.

Perustelu

Harvinaisten sairauksien erityispiirteiden vuoksi – potilaiden rajallinen määrä sekä asiaa koskevan tiedon ja asiantuntemuksen vähäisyys – yhteistyö EU:n ulkopuolisten maiden kanssa voi hyödyttää EU:n lisäksi köyhiä maita ja kehitysmaita myös tiedonjaon alalla.

Tarkistus 2

Ehdotus suositukseksi Johdanto-osan 14 a kappale (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

(14 a) Lääkefoorumi hyväksyi 12. lokakuuta 2008 loppukertomuksensa, jossa ehdotetaan suuntaviivoja, jotta jäsenvaltiot, eri sidosryhmät ja komissio voisivat tehostaa pyrkimyksiään

***harvinaislääkkeiden saatavuuden
helpottamiseksi ja nopeuttamiseksi
Euroopan unionissa.***

Perustelu

Lääkefoorumissa esitetyissä päätelmissä jäsenvaltiot sitoutuivat poliittisesti poistamaan harvinaislääkkeiden saatavuuteen liittyvät pullonkaulat yhteisön hyväksymismenettelyllä. Suositusehdotuksen on ilmaistava konkreettisesti lääkefoorumin loppukertomuksessa määritellyt suuntaviivat.

Tarkistus 3

Ehdotus suositukseksi

Suosituksset jäsenvaltioille – 1 kohta – 1 alakohta

Komission teksti

(1) laativat ja hyväksyvät vuoden **2011** loppuun mennessä kattavan ja yhdennetyn strategian, jolla pyritään ohjaamaan ja organisoimaan kaikki harvinaisten sairauksien alaan kuuluvat merkitykselliset toimet harvinaisia sairauksia koskevaksi kansalliseksi suunnitelmaksi;

Tarkistus

(1) laativat ja hyväksyvät vuoden **2010** loppuun mennessä kattavan ja yhdennetyn strategian, jolla pyritään ohjaamaan ja organisoimaan kaikki harvinaisten sairauksien alaan kuuluvat merkitykselliset toimet harvinaisia sairauksia koskevaksi kansalliseksi suunnitelmaksi;

Perustelu

On tärkeätä, että jäsenvaltiot laativat ja hyväksyvät vuoden 2010 loppuun mennessä kattavan ja yhdennetyn strategian, jolla pyritään ohjaamaan ja organisoimaan kaikki harvinaisten sairauksien alaan kuuluvat merkitykselliset toimet harvinaisia sairauksia koskevaksi kansalliseksi suunnitelmaksi.

Tarkistus 4

Ehdotus suositukseksi

Suosituksset jäsenvaltioille – 1 kohta – 3 alakohta

Komission teksti

(3) määrittävät harvinaisia sairauksia koskevassa kansallisessa suunnitelmassaan rajallisen määrän ensisijaisia toimia, joille asetetaan konkreettiset tavoitteet, selkeät määräajat ja hallintorakenteet ja joista on esitettävä säännölliset raportit;

Tarkistus

(3) määrittävät harvinaisia sairauksia koskevassa kansallisessa suunnitelmassaan rajallisen määrän ensisijaisia toimia, joille asetetaan konkreettiset tavoitteet, selkeät määräajat, ***selkeät ja tarkoin määritellyt rahoitukset*** ja hallintorakenteet ja joista on

Tarkistus 5

Ehdotus suositukseksi

Suositukset jäsenvaltioille – 1 kohta – 5 a alakohta (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

(5 a) määräävät kansallisten suunnitelmien yhteydessä kansanterveyden niin vaatiessa poikkeustoimenpiteitä sellaisten lääkkeiden luovuttamisesta, joilla ei ole markkinoille saattamista koskevaa lupaa, mutta jos jäsenvaltiossa ei ole tarjolla asianmukaista hoitovaihtoehtoa, ja hyöty-riskisuhteen ollessa oletetusti positiivinen, lääkkeiden tulee olla harvinaisista sairauksista kärsivien henkilöiden saatavilla.

Perustelu

Kansallisten suunnitelmien tulee erityisissä olosuhteissa antaa mahdollisuus tarjota ja korvata sellaisten hoitojen ja lääkkeiden väliaikainen saatavuus, joiden markkinoille saattamislupaa koskeva menettely on käynnissä tai joilla ei tätä lupaa ole, jos näiden lääkkeiden käytöstä voisi olla hyötyä harvinaisista sairauksista kärsiville potilaille. Tämä on mahdollista erikoisluvallisella käytöllä (väliaikainen käyttö lupa).

Tarkistus 6

Ehdotus suositukseksi

Suositukset jäsenvaltioille – 2 kohta – 4 alakohta

Komission teksti

Tarkistus

(4) tukevat valtakunnallisesti tai alueellisesti sairauskohtaisia tietoverkkoja, rekistereitä ja tietokantoja.

(4) tukevat **etenkin taloudellisesti Euroopan tasolla**, valtakunnallisesti tai alueellisesti sairauskohtaisia tietoverkkoja, rekistereitä ja tietokantoja.

Tarkistus 7

Ehdotus suositukseksi

Suositukset jäsenvaltioille – 3 kohta – 3 a alakohta (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

**(3 a) ottavat käyttöön
tarkoituksenmukaisen ja pitkäaikaisen
rahoituksen esimerkiksi julkisen ja
yksityisen sektorin yhteistyöllä tukeakseen
tutkimusta kansallisella ja Euroopan
tasolla ja taatakseen näin sen
kannattavuuden;**

Tarkistus 8

Ehdotus suositukseksi

Suositukset jäsenvaltioille – 3 kohta – 3 b alakohta (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

**(3 b) edistävät tiedonvaihtoa ja yhteistyötä
tutkijoiden, laboratorioiden ja
tutkimushankkeiden välillä Euroopan
unionissa sekä vastaavissa instituutioissa
kolmansissa maissa, jotta voidaan
hyödyttää Euroopan unionin lisäksi myös
köyhiä maita ja kehitysmaita, joilla ei ole
niin hyviä mahdollisuuksia myöntää
resursseja harvinaisten sairauksien
tutkimukseen;**

Perustelu

Harvinaisten sairauksien erityispiirteiden vuoksi – potilaiden rajallinen määrä sekä asiaa koskevan tiedon ja asiantuntemuksen vähäisyys – yhteistyö EU:n ulkopuolisten maiden kanssa voi hyödyttää EU:n lisäksi köyhiä maita ja kehitysmaita myös tiedonjaon alalla.

Tarkistus 9

Ehdotus suositukseksi
Suosituksset jäsenvaltioille – 4 kohta – 3 alakohta

Komission teksti

(3) järjestävät potilaille terveydenhoidon väyliä käynnistämällä yhteistyötä kaikkien tarvittavien, omassa maassa tai mahdollisesti ulkomailla toimivien asiantuntijoiden kanssa; rajatylittävää terveydenhuoltoa – myös potilaiden, terveydenhuoltoalan ammattilaisten sekä palvelujen tarjoajien ja tarjonnan liikkuvuutta – olisi tarvittaessa edistettävä tieto- ja viestintätekniikan avulla, jotta kaikki ihmiset saavat tarvitsemaansa erikoishoitoa;

Tarkistus

(3) järjestävät **harvinaisista sairauksista kärsiville** potilaille eurooppalaisen terveydenhoidon väyliä käynnistämällä yhteistyötä kaikkien tarvittavien, omassa maassa tai mahdollisesti ulkomailla toimivien asiantuntijoiden kanssa; rajatylittävää terveydenhuoltoa – myös potilaiden, terveydenhuoltoalan ammattilaisten sekä palvelujen tarjoajien ja tarjonnan liikkuvuutta – olisi tarvittaessa edistettävä tieto- ja viestintätekniikan avulla, jotta kaikki ihmiset saavat tarvitsemaansa erikoishoitoa;

Perustelu

On tärkeätä järjestää harvinaisista sairauksista kärsiville potilaille eurooppalaisen terveydenhoidon väyliä käynnistämällä yhteistyötä kaikkien tarvittavien, omassa maassa tai mahdollisesti ulkomailla toimivien asiantuntijoiden kanssa.

Tarkistus 10

Ehdotus suositukseksi
Suosituksset jäsenvaltioille – 4 kohta – 5 alakohta

Komission teksti

(5) varmistavat, että kansalliset tai alueelliset osaamiskeskukset noudattavat harvinaisia sairauksia käsittelevien eurooppalaisten osaamisverkostojen määrittelemiä normeja ottaen asianmukaisesti huomioon potilaiden ja alan ammattilaisten tarpeet ja odotukset.

Tarkistus

(5) varmistavat, että kansalliset tai alueelliset osaamiskeskukset noudattavat harvinaisia sairauksia käsittelevien eurooppalaisten osaamisverkostojen määrittelemiä normeja ottaen asianmukaisesti huomioon potilaiden ja alan ammattilaisten tarpeet ja odotukset **ja ottamalla potilaat mukaan keskusten toimintaan, hallintaan ja arviointiin.**

Tarkistus 11

Ehdotus suositukseksi

suositukset jäsenvaltioille – 5 kohta – 1 alakohta – c alakohta

Komission teksti

(c) harvinaislääkkeiden **terapeuttisesta** lisäarvosta jäsenvaltioissa laadittujen arviointiraporttien jakaminen EU-tasolla, jotta minimoidaan viivästykset potilaiden harvinaiseen sairauteensa tarvitsemien harvinaislääkkeiden saannissa.

Tarkistus

(c) harvinaislääkkeiden **kliinisestä** lisäarvosta jäsenvaltioissa laadittujen arviointiraporttien jakaminen EU-tasolla **ja Euroopan lääkevirastossa, jossa kokoontuvat tämän alan eurooppalaiset asiantuntijat**, jotta minimoidaan viivästykset potilaiden harvinaiseen sairauteensa tarvitsemien harvinaislääkkeiden saannissa.

Perustelu

Euroopan lääkevirasto on sopivin perusta odotusaikojen lyhentämiselle ja arviointiraporttien keskittämiseksi.

Tarkistus 12

Ehdotus suositukseksi

Suositukset jäsenvaltioille – 6 kohta – 2 a alakohta (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

(2 a) helpottavat potilaiden pääsyä Euroopan tasolla olemassa oleviin tietoihin, jotka koskevat lääkkeitä, hoitoja tai hoitokeskuksia jäsenvaltioissa tai kolmansissa maissa, jotka tarjoavat erityisesti heidän sairauteensa sopivaa lääkinnällistä hoitoa;

Perustelu

On tärkeätä helpottaa potilaiden pääsyä Euroopan tasolla olemassa oleviin tietoihin, jotka koskevat lääkkeitä, hoitoja tai hoitokeskuksia jäsenvaltioissa tai kolmansissa maissa, jotka tarjoavat erityisesti heidän sairauteensa sopivaa lääkinnällistä hoitoa.

Tarkistus 13

Ehdotus suositukseksi

Suosituksen jäsenvaltioille – -1 kohta (uusi)

Komission teksti

Tarkistus

(-1) tukevat kestäväällä tavalla eurooppalaista "Orphanet"- verkkosivustoa ja "keskitettyä palvelua", josta saa tiedot

(a) harvinaisia sairauksia koskevasta erityistutkimuksesta, tutkimustuloksista ja potilaiden oikeudesta tutustua niihin,

(b) kuhunkin harvinaiseen sairauteen käytettävissä olevista lääkkeistä,

(c) kutakin harvinaista sairautta koskevasta nykyisestä hoidosta kussakin jäsenvaltiossa,

(d) kutakin harvinaista sairautta hoitavista asiantuntijoiden hoitokeskuksista jäsenvaltioissa tai kolmansissa maissa.

ASIAN KÄSITTELY

Otsikko	Euroopan unionin toimet harvinaisten sairauksien alalla						
Viiteasiakirjat	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)						
Asiasta vastaava valiokunta	ENVI						
Lausunnon antanut valiokunta Ilmoitettu istunnossa (pvä)	ITRE 4.12.2008						
Valmistelija Nimitetty (pvä)	Françoise Grossetête 2.12.2008						
Valiokuntakäsittely	11.2.2009						
Hyväksytty (pvä)	9.3.2009						
Lopullisen äänestyksen tulos	<table> <tr> <td>+</td><td>43</td></tr> <tr> <td>–</td><td>0</td></tr> <tr> <td>0:</td><td>0</td></tr> </table>	+	43	–	0	0:	0
+	43						
–	0						
0:	0						
Lopullisessa äänestyksessä läsnä olleet jäsenet	Jan Březina, Giles Chichester, Dragoș Florin David, Pilar del Castillo Vera, Den Dover, Lena Ek, Norbert Glante, Umberto Guidoni, Fiona Hall, David Hammerstein, Rebecca Harms, Erna Hennicot-Schoepges, Mary Honeyball, Romana Jordan Cizelj, Werner Langen, Anne Laperrouze, Pia Elda Locatelli, Eluned Morgan, Reino Paasilinna, Atanas Paparizov, Francisca Pleguezuelos Aguilar, Anni Podimata, Herbert Reul, Teresa Riera Madurell, Paul Rübig, Andres Tarand, Catherine Trautmann, Claude Turmes, Nikolaos Vakalis, Adina-Ioana Vălean, Dominique Vlasto						
Lopullisessa äänestyksessä läsnä olleet varajäsenet	Alexander Alvaro, Pilar Ayuso, Ivo Belet, Françoise Grossetête, Marie-Noëlle Lienemann, Erika Mann, Vittorio Prodi, Esko Seppänen, Vladimir Urutchev, Lambert van Nistelrooij						
Lopullisessa äänestyksessä läsnä olleet sijaiset (178 art. 2 kohta)	Elisabetta Gardini, Ulrike Rodust						