

# EUROPA-PARLAMENTET

2004



2009

---

*Mødedokument*

**A6-0231/2009**

3.4.2009

**\***

## **BETÆNKNING**

om forslag til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme  
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS))

Udvalget om Miljø, Folkesundhed og Fødevarerikkerhed

Ordfører: Antonios Trakatellis

### ***Tegnforklaring***

- \* Høringsprocedure  
*flertal af de afgivne stemmer*
- \*\*I Samarbejdsprocedure (førstebehandling)  
*flertal af de afgivne stemmer*
- \*\*II Samarbejdsprocedure (andenbehandling)  
*flertal af de afgivne stemmer for at godkende den fælles holdning  
flertal blandt Parlamentets medlemmer for at forkaste eller ændre  
den fælles holdning*
- \*\*\* Samstemmende udtalelse  
*flertal blandt Parlamentets medlemmer undtagen i de tilfælde, der  
omhandles i EF-traktatens artikel 105, 107, 161 og 300 og i EU-  
traktatens artikel 7*
- \*\*\*I Fælles beslutningsprocedure (førstebehandling)  
*flertal af de afgivne stemmer*
- \*\*\*II Fælles beslutningsprocedure (andenbehandling)  
*flertal af de afgivne stemmer for at godkende den fælles holdning  
flertal blandt Parlamentets medlemmer for at forkaste eller ændre  
den fælles holdning*
- \*\*\*III Fælles beslutningsprocedure (tredjebehandling)  
*flertal af de afgivne stemmer for at godkende det fælles udkast*

(Den angivne procedure er baseret på det af Kommissionen foreslåede retsgrundlag)

### ***Ændringsforslag til en lovgivningsmæssig tekst***

I Parlamentets ændringsforslag markeres de tekstdele, der ønskes ændret, med **fede typer og kursiv**. Når der er tale om en ændringsretsakt, markeres tekstdele, der er overtaget uændret fra en eksisterende bestemmelse, som Parlamentet ønsker at ændre, men som Kommissionen ikke har ændret, med **fede typer**. Hvis der udelades tekst i sådanne passager, indsættes [...]. *Kursivering uden fede typer* er en oplysning til de tekniske tjenestegrene, som vedrører elementer i den lovgivningsmæssige tekst, der foreslås rettet med henblik på den endelige tekst (f.eks. materielle fejl eller manglende tekst i en sprogversion). De foreslåede rettelser skal godkendes af de berørte tekniske tjenestegrene.

## INDHOLD

	<b>Side</b>
FORSLAG TIL EUROPA-PARLAMENTETS LOVGIVNINGSMÆSSIGE BESLUTNING 5	
BEGRUNDELSE.....	22
UDTALELSE FRA UDVALGET OM INDUSTRI, FORSKNING OG ENERGI .....	25
PROCEDURE.....	35



## FORSLAG TIL EUROPA-PARLAMENTETS LOVGIVNINGSMÆSSIGE BESLUTNING

**om forslag til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme  
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS))**

**(Høringsprocedure)**

*Europa-Parlamentet,*

- der henviser til Kommissionens forslag til Rådet (KOM(2008)0726),
  - der henviser til EF-traktatens artikel 152, stk. 4, andet afsnit, der danner grundlag for Rådets høring af Parlamentet (C6-0455/2008),
  - der henviser til forretningsordenens artikel 51,
  - der henviser til betænkning fra Udvalget om Miljø, Folkesundhed og Fødevarerikkerhed og udtalelse fra Udvalget om Industri, Forskning og Energi (A6-0231/2009),
1. godkender Kommissionens forslag som ændret;
  2. opfordrer Kommissionen til at ændre sit forslag i overensstemmelse hermed, jf. EF-traktatens artikel 250, stk. 2;
  3. opfordrer Rådet til at underrette Parlamentet, hvis det ikke agter at følge den tekst, Parlamentet har godkendt;
  4. anmoder Rådet om fornyet høring, hvis det agter at ændre Kommissionens forslag i væsentlig grad;
  5. pålægger sin formand at sende Parlamentets holdning til Rådet og Kommissionen.

### **Ændringsforslag 1**

#### **Forslag til henstilling Betragtning 1**

*Kommissionens forslag*

(1) Sjældne sygdomme er en trussel mod europæiske borgeres sundhed, for det er livstruende eller kronisk invaliderende sygdomme med lav prævalens og af stor kompleksitet.

*Ændringsforslag*

(1) Sjældne sygdomme er en trussel mod europæiske borgeres sundhed, for det er livstruende eller kronisk invaliderende sygdomme med lav prævalens og af stor kompleksitet, ***men da der er så mange forskellige typer sjældne sygdomme, er det samlede antal berørte personer ganske stort.***

## Ændringsforslag 2

### Forslag til henstilling Betragtning 2

#### *Kommissionens forslag*

(2) Der blev vedtaget et EF-handlingsprogram vedrørende sjældne sygdomme, herunder genetiske sygdomme, for perioden 1. januar 1999-31. december 2003. I programmet defineres prævalensen for en sjælden sygdom som højst 5 ud af 10 000 personer i EU.

#### *Ændringsforslag*

(2) Der blev vedtaget et EF-handlingsprogram vedrørende sjældne sygdomme, herunder genetiske sygdomme, for perioden 1. januar 1999-31. december 2003. I programmet defineres prævalensen for en sjælden sygdom som højst 5 ud af 10 000 personer i EU, ***et tal som skal vurderes på et statistisk grundlag, der er omfattet af en videnskabelig undersøgelse.***

#### *Begrundelse*

*For at undgå at der opstår dilemmaer i forhold til sygdomme med en forekomst på 5,1 eller 5,2 osv. ud af 10 000 personer, kræves der mere fleksibilitet.*

## Ændringsforslag 3

### Forslag til henstilling Betragtning 2 a (ny)

#### *Kommissionens forslag*

#### *Ændringsforslag*

***(2a) Grundet denne statistiske forekomst skal de sjældne sygdomme omhyggeligt katalogiseres og revideres regelmæssigt af et videnskabeligt udvalg for at fastslå nødvendigheden af mulige tilføjelser.***

#### *Begrundelse*

*Det er en absolut nødvendighed at udarbejde et katalog over sjældne sygdomme i EU.*

## Ændringsforslag 4

### Forslag til henstilling Betragtning 4

#### *Kommissionens forslag*

(4) Det skønnes, at der i dag findes mellem 5 000 og 8 000 forskellige sjældne sygdomme, som rammer 6-8 % af befolkningen i løbet af livet. Det vil med andre ord sige 27-36 millioner mennesker i EU. De fleste af dem lider af mindre hyppigt forekommende sygdomme, som rammer højst 1 ud af 100 000 personer.

#### *Ændringsforslag*

(4) Det skønnes, at der i dag findes mellem 5 000 og 8 000 forskellige sjældne sygdomme, som rammer 6-8 % af befolkningen i løbet af livet. Det vil med andre ord sige, **at selvom alle sjældne sygdomme er karakteriseret ved lav prævalens, er det samlede antal berørte personer ganske stort, mellem 27-36 millioner mennesker i EU.** De fleste af dem lider af mindre hyppigt forekommende sygdomme, som rammer højst 1 ud af 100 000 personer.

## Ændringsforslag 5

### Forslag til henstilling Betragtning 5

#### *Kommissionens forslag*

(5) Sjældne sygdomme kræver på grund af deres lave prævalens **og** særtræk en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats for at forebygge høj sygelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale.

#### *Ændringsforslag*

(5) Sjældne sygdomme kræver på grund af deres lave prævalens, særtræk **og deres samlet set store antal forekomster** en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats, **herunder partnerskaber med tredjelande såsom USA**, for at forebygge høj sygelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale **i udviklede lande og udviklingslande.**

#### *Begrundelse*

*De særlige karakteristika ved sjældne sygdomme - begrænset antal patienter og mangel på relevant viden og ekspertise - betyder, at samarbejdet med lande uden for EU kan være en fordel ikke kun for EU, men også for videndelingen med fattigere udviklingslande.*

## Ændringsforslag 6

### Forslag til henstilling Betragtning 8

#### *Kommissionens forslag*

(8) For at sikre en bedre koordinering og sammenhæng mellem nationale, regionale og lokale initiativer vedrørende sjældne sygdomme bør alle relevante nationale tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme integreres i nationale planer vedrørende sjældne sygdomme.

#### *Ændringsforslag*

(8) For at sikre en bedre koordinering og sammenhæng mellem nationale, regionale og lokale initiativer vedrørende sjældne sygdomme **og for at fremme samarbejdet mellem uddannelsescentrene på området** bør alle relevante nationale tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme integreres i nationale planer vedrørende sjældne sygdomme.

## Ændringsforslag 7

### Forslag til henstilling Betragtning 13

#### *Kommissionens forslag*

(13) EF-merværdien ved europæiske referencenetværk er særlig stor i forbindelse med sjældne sygdomme på grund af disse lidelsers sjældne forekomst, som både indebærer, at der er et begrænset antal patienter og knaphed på ekspertise i de enkelte lande. Det er derfor helt afgørende at samle ekspertise på europæisk plan for at sikre lige adgang til behandling og pleje af høj kvalitet for patienter med sjældne sygdomme.

#### *Ændringsforslag*

(13) EF-merværdien ved europæiske referencenetværk er særlig stor i forbindelse med sjældne sygdomme på grund af disse lidelsers sjældne forekomst, som både indebærer, at der er et begrænset antal patienter og knaphed på ekspertise i de enkelte lande. Det er derfor helt afgørende at samle ekspertise på europæisk plan for at sikre lige adgang til **nøjagtig information, behørig og rettidig diagnosticering og til** behandling og pleje af høj kvalitet for patienter med sjældne sygdomme.

## Ændringsforslag 8

### Forslag til henstilling Betragtning 14 a (ny)

#### *Kommissionens forslag*

#### *Ændringsforslag*

**(14a) Lægemiddelforummet vedtog den**



**12. oktober 2008 sin endelige rapport, som indeholder forslag til retningslinjer for, hvordan medlemsstaterne, de berørte parter og Kommissionen kan forbedre deres indsats med henblik på at sikre lettere og hurtigere adgang til lægemidler til sjældne sygdomme i EU.**

#### *Begrundelse*

*I lægemiddelforummets konklusioner forpligtede medlemsstaterne sig politisk til at fjerne flaskehalsene i forbindelse med adgang til lægemidler til sjældne sygdomme gennem Fællesskabets godkendelsesprocedure. Forslaget til henstilling skal omsætte de retningslinjer, der blev fastlagt i lægemiddelforummets endelige rapport, til praksis.*

### **Ændringsforslag 9**

#### **Forslag til henstilling Betragtning 20**

##### *Kommissionens forslag*

(20) Patienter og patientrepræsentanter bør derfor inddrages på alle stadier i den politiske beslutningsproces. Deres aktiviteter bør fremmes ved en aktiv indsats og støttes, også finansielt, i de enkelte medlemsstater.

##### *Ændringsforslag*

(20) Patienter og patientrepræsentanter bør derfor inddrages på alle stadier i den politiske beslutningsproces. Deres aktiviteter bør fremmes ved en aktiv indsats og støttes, også finansielt, i de enkelte medlemsstater, **men også på EU-plan, i form af EU-dækkende patientstøttenetværk for specifikke sjældne sygdomme.**

#### *Begrundelse*

*Fordi disse sygdomme er så sjældne, deltager mange patientorganisationer i fælleseuropæiske netværk for at kommunikere og støtte hinanden inden for EU 27.*

### **Ændringsforslag 10**

#### **Forslag til henstilling Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – indledning**

##### *Kommissionens forslag*

1. at udarbejde nationale planer for sjældne sygdomme for at sikre patienter med

##### *Ændringsforslag*

1. at udarbejde nationale planer for sjældne sygdomme for at sikre patienter med

sjældne sygdomme universel adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme inden for deres nationale område på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU, og navnlig at

sjældne sygdomme universel adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme **samt revalidering og undervisning i at leve med sygdom** inden for deres nationale område på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU, og navnlig at

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at fremhæve, at mange patienter, som lider af sjældne sygdomme, må lære at leve med deres sygdom i årevis. Derfor bør aktiviteter og forskning vedrørende sjældne sygdomme også sigte på social integration af patienter med sjældne sygdomme, jf. artikel 26 i FN-konventionen om personer med særlige behov.*

### **Ændringsforslag 11**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstiller til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 1**

##### *Kommissionens forslag*

(1) udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af **2011**, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme

##### *Ændringsforslag*

1) udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af **2010**, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt for medlemsstaterne at udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af 2010, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme.*

### **Ændringsforslag 12**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 3**

##### *Kommissionens forslag*

(3) definere et begrænset antal prioriterede tiltag inden for den nationale plan for sjældne sygdomme, med konkrete mål,

##### *Ændringsforslag*

3) definere et begrænset antal prioriterede tiltag inden for den nationale plan for sjældne sygdomme, med konkrete mål,

tydelige frister, ledelsesstrukturer og regelmæssige rapporter

tydelige frister, **omfattende og klart identificeret finansiering**, ledelsesstrukturer og regelmæssige rapporter

### Ændringsforslag 13

#### Forslag til henstilling punkt 1 – nr. 3 a (nyt)

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**3a) meddele, hvorvidt de har specialiserede centre og udarbejde et katalog over eksperter**

### Ændringsforslag 14

#### Forslag til henstilling Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 5

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

(5) indføre bestemmelser i de nationale planer, som skal sikre lige adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme, til alle patienter med sjældne sygdomme inden for deres nationale område med henblik på at sikre lige adgang til kvalitetspleje på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU,

5) indføre bestemmelser i de nationale planer, som skal sikre lige adgang til behandling og pleje af høj kvalitet, herunder diagnostik, **primære forebyggelsesforanstaltninger**, behandling og lægemidler til sjældne sygdomme **samt revalidering og undervisning i at leve med sygdom til glæde for** alle patienter med sjældne sygdomme inden for deres nationale område med henblik på at sikre lige adgang til kvalitetspleje på grundlag af princippet om lighed og solidaritet i hele EU **i overensstemmelse med principperne i dokumentet "Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens" fra lægemiddelforummet på højt plan,**

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at fremhæve, at mange patienter, som lider af sjældne sygdomme, må lære at leve med deres sygdom i årevis. Derfor bør aktiviteter og forskning vedrørende sjældne sygdomme også sigte på social integration af patienter med sjældne sygdomme, jf. artikel 26 i*

*FN-konventionen om personer med særlige behov.*

## **Ændringsforslag 15**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 5 a (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**5a) støtte bestræbelserne på at undgå sjældne arvelige sygdomme for endeligt at udrydde disse sygdomme gennem**

**a) genetisk rådgivning af forældre, som er smittebærere og**

**b) når det er relevant og ikke i modstrid med gældende national lovgivning og altid på frivilligt grundlag, gennem udvælgelse af sunde embryoer forud for implantation,**

## **Ændringsforslag 16**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 5 b (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**5b) fastsætte ekstraordinære foranstaltninger i de nationale planer med hensyn til at give adgang til lægemidler, som ikke har fået nogen markedsføringstilladelse, når der er et reelt folkesundhedsbehov herfor, og, hvis ikke der findes noget egnet behandlingsalternativ i en medlemsstat, og når forholdet mellem fordele og risici menes at være positivt, sikre, at patienter med sjældne sygdomme får adgang til lægemidlerne,**

#### *Begrundelse*

*De nationale planer skal også give mulighed for at give og refundere midlertidig adgang til behandlinger eller lægemidler, for hvilke ansøgningen om markedsføringstilladelse er under behandling, eller for hvilke der ikke er blevet udstedt nogen markedsføringstilladelse, i meget*

*særlige tilfælde, hvor en sådan anvendelse kan gavne de patienter, der lider af en sjælden sygdom. Denne mulighed findes via proceduren for tilladelse til midlertidig anvendelse af et ikkeregistreret præparat.*

## **Ændringsforslag 17**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 5 c (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

***5c) oprette nationale multiinteressent-rådgivningsgrupper bestående af samtlige interessenter, der skal vejlede regeringerne ved udformning og gennemførelse af nationale handlingsplaner for sjældne sygdomme; dette skal sikre, at regeringerne er velunderrettede, og at afgørelser, der træffes på nationalt plan, afspejler samfundets synspunkter og behov,***

#### *Begrundelse*

*For at minimere risikoen for at miste ekspertviden på et så specifikt område i tilfælde af regerings- og administrationsskift bør der nedsættes stående udvalg bestående af alle berørte og erfarne parter som f.eks. patienter, behandlende læger, betalere, akademiske kredse og industrien. Disse parter bør vejlede de politiske beslutningstagere i forbindelse med udformning og gennemførelse af nationale handlingsplaner.*

## **Ændringsforslag 18**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 1 – nr. 5 d (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

***5d) tilskynde til, at behandling af sjældne sygdomme finansieres på nationalt plan; i tilfælde, hvor medlemsstaterne ikke ønsker eller er i stand til at oprette ekspertcentre, bør en sådan central national fond anvendes til at sikre, at patienter kan rejse til et center i et andet land; det er dog også vigtigt, at dette separate budget gennemgås hvert år og***

*tilpasses på grundlag af den forhåndenværende viden om patienter, der har behov for behandling i det pågældende år, og om eventuelle nye behandlingsformer, der bør tilføjes; dette bør ske med bidrag fra multiinteressent-rådgivningsgrupperne,*

#### *Begrundelse*

*Behandlingscentre eller hospitaler bør tilskyndes til at diagnosticere og behandle patienter med sjældne sygdomme. Hvis de skal afholde udgifterne over deres eget budget, vil de måske ikke være i stand til at bære den økonomiske byrde. Finansiering på nationalt plan kan give patienterne mulighed for at få adgang til en hensigtsmæssig lægebehandling.*

### **Ændringsforslag 19**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 2 – nr. 1**

##### *Kommissionens forslag*

*(1) indføre en fælles EU-definition af sjældne sygdomme som sygdomme, der rammer højst 5 ud af 10 000 personer*

##### *Ændringsforslag*

*1) indføre en fælles EU-definition af sjældne sygdomme som sygdomme, der rammer højst 5 ud af 10 000 personer **i gennemsnit i hele EU; det er imidlertid yderst vigtigt at kende den nøjagtige fordeling på hver medlemsstat***

### **Ændringsforslag 20**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 2 – nr. 4**

##### *Kommissionens forslag*

*(4) støtte særlige sygdomsinformationsnetværk, registre og databaser på nationalt eller regionalt plan,*

##### *Ændringsforslag*

*4) støtte, **især med økonomiske midler**, særlige sygdomsinformationsnetværk, registre og databaser på **europæisk**, nationalt eller regionalt plan, **herunder regelmæssigt ajourført information, der gøres tilgængelig for offentligheden på internettet,***

### **Ændringsforslag 21**

**Forslag til henstilling**  
**Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 3 – nr. 3**

*Kommissionens forslag*

(3) fremme nationale forskeres og laboratoriers deltagelse i forskningsprojekter vedrørende sjældne sygdomme, som finansieres på fællesskabsplan

*Ændringsforslag*

3) fremme nationale forskeres og laboratoriers deltagelse i forskningsprojekter vedrørende sjældne sygdomme, som finansieres på fællesskabsplan **og udnytte de muligheder, der ligger i forordning (EF) nr. 141/2000 om lægemidler til sjældne sygdomme**

**Ændringsforslag 22**

**Forslag til henstilling**  
**Henstiller til medlemsstaterne – punkt 3 – stk. 3 a (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**3a) fremme videndeling og samarbejde mellem forskere, laboratorier og forskningsprojekter i Den Europæiske Union og lignende institutioner i tredjelande, som kan give globale fordele ikke kun for Den Europæiske Union, men også for fattigere lande og udviklingslande, som har dårligere forudsætninger for at sikre midler til forskning i sjældne sygdomme;**

*Begrundelse*

*De særlige karakteristika ved sjældne sygdomme - begrænset antal patienter og mangel på relevant viden og ekspertise - betyder, at samarbejdet med lande uden for EU kan være en fordel ikke kun for EU, men også for videndelingen med fattigere udviklingslande.*

**Ændringsforslag 23**

**Forslag til henstilling**  
**punkt 3 – nr. 4**

*Kommissionens forslag*

(4) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme, som tager

*Ændringsforslag*

4) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme, som tager

sigte på at fremme forskning, herunder folkesundheds- og socialforskning, i forbindelse med sjældne sygdomme, navnlig med henblik på at udvikle redskaber, som f.eks. tværgående infrastrukturer samt sygdomsspecifikke projekter,

sigte på at fremme forskning, herunder folkesundheds- og socialforskning, i forbindelse med sjældne sygdomme, navnlig med henblik på at udvikle redskaber, som f.eks. tværgående infrastrukturer samt sygdomsspecifikke projekter, **revalideringsprogrammer og programmer med sigte på at lære patienterne at leve med en sjælden sygdom, samt forskning vedrørende diagnostiske test og diagnoseredskaber;**

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at fremhæve, at mange patienter, som lider af sjældne sygdomme, må lære at leve med deres sygdom i årevis. Derfor bør aktiviteter og forskning vedrørende sjældne sygdomme også sigte på social integration af patienter med sjældne sygdomme, jf. artikel 26 i FN-konventionen om personer med særlige behov.*

#### **Ændringsforslag 24**

##### **Forslag til henstilling**

##### **Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 3 – nr. 4 a (nyt)**

###### *Kommissionens forslag*

###### *Ændringsforslag*

**4a) indføre en passende, langsigtet finansiering, navnlig gennem offentlige og private partnerskaber, med henblik på at støtte forskningsarbejdet på nationalt og europæisk plan og sikre dets bæredygtighed**

#### **Ændringsforslag 25**

##### **Forslag til henstilling**

##### **Punkt 4 – nr. 1**

###### *Kommissionens forslag*

###### *Ændringsforslag*

*(1) identificere nationale eller regionale ekspertisecentre inden for deres nationale område inden udgangen af 2011 og fremme oprettelse af ekspertisecentre på steder, hvor de ikke findes, navnlig ved at indføre bestemmelser i den nationale plan*

*1) identificere nationale eller regionale ekspertisecentre inden for deres nationale område inden udgangen af 2011 og fremme oprettelse af ekspertisecentre på steder, hvor de ikke findes, navnlig ved at indføre bestemmelser i den nationale plan*



for sjældne sygdomme om oprettelse af nationale eller regionale ekspertisecentre

for sjældne sygdomme om oprettelse af nationale eller regionale ekspertisecentre;  
***hjælpe med at udarbejde kataloger over sjældne sygdomme og over eksperter i sjældne sygdomme;***

## Ændringsforslag 26

### Forslag til henstilling Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 4 – nr. 3

#### *Kommissionens forslag*

(3) organisere behandlingsmuligheder for patienter gennem samarbejde med relevante eksperter fra *selve landet* eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt; der bør ydes støtte til sundhedsydelse på tværs af grænser, herunder *til patientmobilitet*, ansatte inden for sundhedsvæsenet samt tjenesteydere og -ydelser, ved brug af informations- og kommunikationsteknologi, hvis *det* er nødvendigt for at sikre universel adgang til de særlige sundhedsydelser, der er behov for

#### *Ændringsforslag*

3) organisere ***europæiske*** behandlingsmuligheder for ***de*** patienter, ***der lider af sjældne sygdomme***, gennem samarbejde med relevante eksperter fra *det pågældende land* eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt; der bør ydes støtte til sundhedsydelser på tværs af grænser, herunder ***mobilitet for patienter og ekspertise ved fremme af data mobilitet***, for ansatte inden for sundhedsvæsenet samt for tjenesteydere og -ydelser ved brug af informations- og kommunikationsteknologi, hvis *dette* er nødvendigt for at sikre universel adgang til de særlige sundhedsydelser, der er behov for

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at organisere behandlingsmuligheder for de patienter, der lider af sjældne sygdomme, gennem samarbejde med relevante eksperter fra selve landet eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt.*

## Ændringsforslag 27

### Forslag til henstilling Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 4 – nr. 5

#### *Kommissionens forslag*

(5) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre overholder de standarder, der er defineret af de europæiske

#### *Ændringsforslag*

5) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre overholder de standarder, der er defineret af de europæiske

referencenetværk for sjældne sygdomme, under korrekt hensyntagen til patienters og ansattes behov og forventninger,

referencenetværk for sjældne sygdomme, under korrekt hensyntagen til patienters og ansattes behov og forventninger **og ved at involvere patienterne i disse centres aktiviteter,**

## Ændringsforslag 28

### Forslag til henstilling Punkt 4 – nr. 5 a (nyt)

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**5a) tilskynde, eventuelt med EU-finansiering eller samfinansiering, ekspertisecentre og -hospitaller til at etablere særlige uddannelsesstilbud for ansatte inden for visse sjældne sygdomme og give dem mulighed for at opnå den relevante ekspertise;**

### *Begrundelse*

*For at bekæmpe sjældne sygdomme effektivt er det afgørende at uddanne flere ansatte på dette område.*

## Ændringsforslag 29

### Forslag til henstilling Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 5 – nr. 1 – litra b

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

b) europæiske retningslinjer for populationsscreening og diagnostiske test

b) europæiske retningslinjer for populationsscreening og diagnostiske test, **herunder genetiske test som heterozygoti-test og pollegemediagnostik, og dermed sikre prøvning af høj kvalitet og relevant genetisk rådgivning under hensyntagen til de etiske forskelle i medlemsstaterne**

## Ændringsforslag 30

### Forslag til henstilling

#### Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 5 – nr. 1 – litra c

##### *Kommissionens forslag*

c) **udveksling** af de enkelte medlemsstaters vurderingsrapporter om den **behandlingsmæssige** merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme på EU-niveau for at minimere den tid, der går, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme,

##### *Ændringsforslag*

c) **udarbejdelse** af de enkelte medlemsstaters vurderingsrapporter om den **kliniske** merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme på EU-niveau **inden for EMEA, hvor den relevante europæiske viden og ekspertise er samlet**, for at minimere den tid, der går, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme,

## Ændringsforslag 31

### Forslag til henstilling

#### Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 5 – nr. 1 – litra c a (nyt)

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

**ca) strukturstøtte til og investeringer i databasen Orphanet, for at lette adgangen til oplysninger om sjældne sygdomme**

## Ændringsforslag 32

### Forslag til henstilling

#### Henstillinger til medlemsstaterne – punkt 6

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

6. at styrke patientforeningers indflydelse, og navnlig at

(1) tage skridt til at sikre, at patienter og patientrepræsentanter konsulteres behørigt på alle trin i den politiske beslutningsproces i forbindelse med sjældne sygdomme, herunder i forbindelse med oprettelse og ledelse af ekspertisecentre og europæiske referencenetværk og udarbejdelse af

6. at styrke **uafhængige** patientforeningers indflydelse, og navnlig at

1) tage skridt til at sikre, at patienter og **uafhængige** patientrepræsentanter konsulteres behørigt på alle trin i den politiske beslutningsproces i forbindelse med sjældne sygdomme, herunder i forbindelse med oprettelse og ledelse af ekspertisecentre og europæiske referencenetværk og udarbejdelse af

nationale planer

(2) støtte patientforeningers aktiviteter, f.eks. oplysningskampagner, kapacitetsopbygning og uddannelse, udveksling af informationer og eksempler på bedste praksis, opbygning af netværk, opsøgende arbejde i forbindelse med meget isolerede patienter

(3) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme om støtte til og høring af patientforeninger, jf. punkt 1 og 2,

nationale planer

2) støtte **uafhængige** patientforeningers aktiviteter, f.eks. oplysningskampagner, kapacitetsopbygning og uddannelse, udveksling af informationer og eksempler på bedste praksis, opbygning af netværk, opsøgende arbejde i forbindelse med meget isolerede patienter

**2a) sikre, at der ydes økonomisk støtte til patientorganisationer, som ikke er direkte knyttet til enkelte medicinalfirmer**

**2b) fremme patienters adgang til foreliggende oplysninger på europæisk plan om medicin, behandling eller behandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande, som skal sikre lægebehandling, der er særligt egnet til deres sygdom;**

3) indføre bestemmelser i de nationale planer for sjældne sygdomme om støtte til og høring af **uafhængige** patientforeninger, jf. punkt 1 og 2; **sikre, at der i de nationale planer sker en identifikation af nationale og regionale ekspertisecentre samt udarbejdes et katalog over eksperter i sjældne sygdomme,**

#### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at fremme patienters adgang til foreliggende oplysninger på europæisk plan om medicin, behandling eller behandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande, som skal sikre lægebehandling, der er særligt egnet til deres sygdom.*

### **Ændringsforslag 33**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstillinger til Kommissionen – punkt -1 (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

**-1) støtte "Orphanet", europæisk websted og kvikskranke, på en bæredygtig måde, med oplysninger:**

**a) om eksisterende specifik forskning i sjældne sygdomme, resultater deraf og**

*tilgængeligheden for patienter*  
*b) om tilgængelig medicin for de enkelte sjældne sygdomme*  
*c) om behandling i medlemsstaterne af de enkelte sjældne sygdomme*  
*d) om eksisterende specialbehandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande for de enkelte sjældne sygdomme;*

## Ændringsforslag 34

### Forslag til henstilling Henstillinger til Kommissionen – punkt 1

#### *Kommissionens forslag*

1. udarbejde en *gennemførelsesrapport* om denne henstilling til Rådet, Europa-Parlamentet, Det Europæiske Sociale og Økonomiske Udvalg og Regionsudvalget på grundlag af oplysninger fra medlemsstaterne senest inden udgangen af *det femte år efter denne henstillings vedtagelsesdato, at vurdere, i hvilket omfang de i henstillingen omhandlede foranstaltninger er effektive, og at overveje, om der er behov for yderligere indsats, og*

#### *Ændringsforslag*

1. udarbejde en *rapport om gennemførelsen af* denne henstilling til Rådet, Europa-Parlamentet, Det Europæiske Sociale og Økonomiske Udvalg og Regionsudvalget på grundlag af oplysninger fra medlemsstaterne senest inden udgangen af *2012, hvor der vil blive foreslået gennemførelse af tiltag, der dækker bl.a.: a) de fornødne budgetforanstaltninger for EF-handlingsprogrammet for sjældne sygdomme; b) oprettelse af relevante netværk af ekspertisecentre; c) indsamling af epidemiologiske data om sjældne sygdomme; d) ekspertmobilitet og mobilitet af ansatte; e) patientmobilitet; og f) overvejelser om behovet for yderligere tiltag med henblik på at øge livskvaliteten for patienter med sjældne sygdomme og deres familier,*

## BEGRUNDELSE

### Generel introduktion og evaluering af forslaget til Rådets henstilling

Denne henstilling fra Rådet hilses velkommen, da en fælles indsats på området sjældne sygdomme på EU plan og nationalt plan er en **absolut nødvendighed**. Grunden hertil er, at skønt forekomsten for hver sygdom er meget lav, er millioner af mennesker på tværs af hele EU ramt, fordi disse sygdomme måles i tusinder.

**Imidlertid** er det pågældende forslag meget utilstrækkeligt i dets nuværende form, og det er ikke muligt at udarbejde et realistisk program herudfra. Grunden hertil er, at forslaget generelt set ikke beskriver den **nødvendige finansiering** fra EU og samfinansieringen fra EU og medlemsstaterne eller andre organisationer. Af den grund kan man ikke effektivt fremme visse afgørende aspekter vedrørende sjældne sygdomme f.eks. **oprettelse af netværk for ekspertisecentre, katalogisering af sygdomme, nødvendig specialforskning osv.**

I teksten anmodes Kommissionen om at fremsætte et forslag om gennemførelse fem år efter vedtagelsen, hvilket er en lang periode, hvor intet praktisk talt kan udføres, eftersom der ikke er bevilget finansiering.

Som ordfører foreslår jeg derfor, at Kommissionen bliver bedt om at **fremsætte et forslag om gennemførelse** senest inden udgangen af 2012, eftersom de nødvendige data fra medlemsstaterne vedrørende ekspertisecentre og ekspertise inden for sjældne sygdomme vil foreligge inden det tidspunkt (2011).

I dette forslag til gennemførelse skal der specifikt nævnes finansiering/samfinansiering osv. på følgende områder:

- a) indsamling af epidemiologisk data og udarbejdelse af et katalog over sjældne sygdomme, idet der er behov for at skabe et klart overblik over disse sygdomme i EU;
- b) etablering af relevante netværk;
- c) oprettelse af ekspertisecentre i medlemsstater, som mangler sådanne centre;
- d) oprettelse af særlige uddannelsesstilbud for ansatte i de eksisterende centre for at opnå ekspertise;
- e) ekspertmobilitet og mobilitet af ansatte for at skabe de nødvendige forhold til udvikling af den eksisterende viden;
- f) forskning i diagnoseredskaber og diagnostiske test af sjældne sygdomme, særligt af genetiske sygdomme.

Vi skal betragte dette forslag til Rådets henstilling som en køreplan, der skaber nyttige forhold for sjældne sygdomme, og vi skal være klar over dets generelle karakter, men jeg vil understrege endnu engang, at en effektiv og vellykket anvendelse af forslaget forudsætter, at det angiver et mere præcist og klart tidsperspektiv (år) for gennemførelsen.

## Vigtige aspekter som skal nævnes i Kommissionens forslag om gennemførelse

1. Som det fremgår af Rådets henstilling er området sjældne sygdomme i EU **ikke tilstrækkeligt defineret**:

- hverken som et register, der katalogiserer sygdommene én for én,
- eller hvad angår nøjagtigheden af det pågældende statistiske materiale.

Det ses tydeligt af den store **spredning** i antallet af patienter (27-36 millioner personer) og antallet af sjældne sygdomme (5 000-10 000 sjældne sygdomme).

2. Det er ligeledes vigtigt at fremhæve, at vi skal gribe sagen an med **fleksibilitet**, da en definition af en sjælden sygdom, som en sygdom der rammer mindre end 5 personer ud af 10 000, er **for restriktiv**, idet man kan have tal, der ligger en smule over denne ratio og dermed blive konfronteret med dilemmaet om ikke at anse en sygdom for sjælden, hvis ratioen f.eks. er 5,1. En sjælden sygdom kan ligeledes have en anden fordeling fra en medlemsstat til en anden.

3. På grund af det store antal berørte personer, men lave prævalens for hver sygdom, er en fælles indsats på EU-plan en absolut nødvendighed.

Af den grund mener jeg, at det vil være hensigtsmæssigt, om man i det endelige forslag om gennemførelse forsøger at **samle specialiserede centre og hospitaler** for en række af disse sygdomme samt den eksisterende **ekspertise** i hvert land og **knytte dem sammen i et netværk**.

4. Det er ligeledes indlysende, at det ved bekæmpelse af sjældne sygdomme er nødvendigt at regulere **patientmobiliteten**, da hver enkelt medlemsstat ikke besidder alle former for ekspertise.

Så længe der ikke er ekspertise og centre, der kan tage sig af patienterne, skal det derfor afhjælpes ved hjælp af deres mobilitet. Her skal spørgsmålet om finansiering overlades til medlemsstaternes overvejelse.

5. **Mobilitet af ansatte** er et andet vigtigt aspekt, f.eks.:

a) ekspertmobilitet på tværs af EU for at bistå med oprettelsen af nye centre i andre medlemsstater.

b) mobilitet af ansatte med henblik på at opnå ekspertise om visse sjældne sygdomme i eksisterende centre i hele EU. Dette tiltag kræver etablering af uddannelses tilbud og praktisk klinisk erfaring for at uddanne flere eksperter inden for disse sygdomme.

Missionen for disse centre er derfor ikke kun at bekæmpe sjældne sygdomme men ligeledes at skabe de nødvendige rammer for videndeling.

6. Slutteligt skal det nævnes, at da mange af de sjældne sygdomme er af arvelig natur, er der ligeledes stor behov for **forskning og innovation** for at styrke de **diagnostiske færdigheder gennem generiske test**.

7. I nogle tilfælde findes der generiske test, der kan anvendes ved **præimplantation** for at undgå disse sygdomme i fostre og dermed udrydde nogle af disse sygdomme. Dette skal gøres ved en fælles indsats med genetisk rådgivning og informationsnetværk. Denne praksis benyttes i visse medlemsstater for visse sygdomme, og den bør overvejes og tages til

efterretning, eftersom anvendelsen af disse handlinger i sidste ende vil udrydde nogle af disse sygdomme.



10.3.2009

## **UDTALELSE FRA UDVALGET OM INDUSTRI, FORSKNING OG ENERGI**

til Udvalget om Miljø, Folkesundhed og Fødevarerikkerhed

om forslag til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme (KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(COD))

Rådgivende ordfører: Françoise Grossetête

### **KORT BEGRUNDELSE**

Næsten 30 mio. europæere lider af sjældne sygdomme. De enkelte sygdomme rammer kun et lille antal mennesker, nogle gange under 10 på nationalt plan. I gennemsnit rammes en ud af 2.000. Der findes i dag over 7.000 sjældne sygdomme, og hver uge beskrives der to nye patologier i den lægevidenskabelige litteratur. 80 % af de sjældne sygdomme er genetiske sygdomme, og 65 % af dem er børnesygdomme.

Det er således afgørende, at de sjældne sygdomme prioriteres højt på europæisk plan for at sikre en bedre hensyntagen til behovene hos de flere millioner borgere, der lider under fejlagnostisering og ikke får nogen form for behandling for at helbrede deres sygdom.

I modsætning til andre områder inden for folkesundhed og forskning gælder det ikke blot om at indhente en forsinkelse inden for et område, der er blevet forsømt, men om at udvikle værktøjer eller permanente ordninger, der gør det muligt at tage varig højde for disse sygdommes særtræk.

Deres sjældenhed genererer således specifikke udfordringer ud fra såvel et videnskabeligt som et økonomisk og organisatorisk synspunkt, og disse udfordringer kan ikke tackles med de almindeligt anvendte værktøjer. Der er derfor behov for en global, sammenhængende og vedvarende tilgang. Det er kun muligt at tage disse udfordringer op ved at mobilisere alle de berørte aktører samtidig, det være sig de politiske og institutionelle aktører samt patientforeningerne, sundhedspersonalet, sygeforeningerne, plejepersonalet, forskerne og industrivirksomhederne.

Der er for få syge til, at udfordringerne kan tages op lokalt eller regionalt, sygdommene er for mange til, at sundhedspersonalet kan undervises i dem, og ekspertisen er sparsom. Eftersom ingen europæisk medlemsstat er i stand til at udkæmpe kampen mod de sjældne sygdomme alene, skal adgangen til oplysninger, diagnostisering, pleje og forskning nødvendigvis

organiseres i et sammenhængende, koordineret netværk, som er letforståeligt for samtlige aktører, med fælles metoder og tilgange på nationalt og europæisk plan. Dette tilsnit er således nødvendigt og en absolut forudsætning for at udkæmpe denne kamp og for at fordele ressourcerne og midlerne og få dem til at vokse.

Den 16. december 1999 vedtog Europa-Parlamentet og Rådet forordning (EF) nr. 141/2000 om lægemidler til sjældne sygdomme. I denne forordning opfordres den farmaceutiske og den bioteknologiske industri til at udvikle og markedsføre lægemidler til sjældne sygdomme (skatteincitament, protokolbistand, 10 års eksklusivret osv.). Udvalget for Lægemidler til Sjældne Sygdomme (COMP), som er nedsat under Det Europæiske Lægemiddelagentur (EMA), har til opgave at undersøge ansøgningerne om udpegelse af et lægemiddel som lægemiddel til sjældne sygdomme og at bistå Kommissionen i drøftelserne om lægemidler til sjældne sygdomme.

I oktober 2008 var 569 lægemidler udpeget som lægemidler til sjældne sygdomme i Europa. Blandt disse har 54 allerede fået tilladelse til at blive markedsført på fællesmarkedet, og de hjælper knap 3 mio. europæiske patienter.

Vedtagelsen af den europæiske forordning om lægemidler til sjældne sygdomme har gjort det muligt at opstille gunstige rammer for de virksomheder, der udvikler disse lægemidler, med skatteincitament, eksklusivret osv. Forordningen har sat skub i udviklingen af lægemidler til sjældne sygdomme.

Lægemidler til sjældne sygdomme er lægemidler, som den farmaceutiske industri ikke vil være tilbøjelig til at udvikle på normale markedsvilkår. Nogle sygdomme er så sjældne, at udgifterne til udvikling og markedsføring af et lægemiddel aldrig vil kunne afskrives.

Der findes adskillige eksempler på fremskridt, der er blevet gjort med udgangspunkt i sjældne sygdomme, og som i vid udstrækning er og vil være til gavn for mere hyppige patologier. Behandlingsmulighederne bliver flere og flere: gen- og celleterapi, nye molekyler, a la carte-behandlinger osv. De nyskabende terapier, der udvikles til sjældne sygdomme, foregriber fremtidens lægevidenskab - en videnskab, der bliver mere og mere personaliseret.

De mange nye muligheder for klinisk udvikling inden for området sjældne sygdomme åbner nye perspektiver set ud fra et økonomisk synspunkt. Også på det område er det på europæisk plan, at midlerne til at udforske alle de nye muligheder skal koordineres. Hver for sig er disse sygdomme ikke rentable markeder. På trods af de europæiske foranstaltninger til fremme af udviklingen af lægemidler til sjældne sygdomme udviser den farmaceutiske industri endnu større tilbageholdenhed med at tage risici i de indledende faser af udviklingen (fra den prækliniske fase til fase II), end når det gælder udviklingen af lægemidler til hyppige sygdomme.

For industrivirksomhederne bliver forholdet mellem den økonomiske risiko og rentabilitetsmulighederne i forbindelse med udviklingen af en ny behandling først interessant sent i udviklingsprocessen. Fra konceptbeviset og investeringen af de nødvendige omfattende private midler til opnåelsen af en markedsføringstilladelse skal de sjældne sygdomme gennem en "dødens dal", som er meget længere, end det er tilfældet med de hyppige sygdomme, hvis markedspotentiale er langt større.

Det er således nødvendigt på den ene side at udvikle tilpassede udviklingsværktøjer og optimere behandlingsudviklingscyklussen for at minimere de hermed forbundne omkostninger og på den anden side at opfinde nye værktøjer til deling af risiciene mellem private og offentlige investorer, som gør det muligt at finansiere disse faser. På europæisk plan er udviklingen af netværker og intensivering af samarbejdet uden tvivl en effektiv drivkraft med henblik på at nå dette mål. Hvis ikke der hurtigt bliver truffet en række foranstaltninger, er der stor risiko for, at nogle behandlinger ikke vil se dagens lys, og at de behandlinger, der kommer på markedet, kommer fra USA og vil blive markedsført til uoverkommelige priser.

Forslaget til Rådets henstilling om et europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme spiller en særdeles vigtig rolle for udarbejdelsen og vedtagelsen af nationale strategier og planer for sjældne sygdomme. De bør have den samme indvirkning i samtlige medlemsstater og koordineres mellem de forskellige lande med en sammenhængende og effektiv tilgang inden for rammerne af fællesskabspolitikkerne.

## ÆNDRINGSFORSLAG

Udvalget om Industri, Forskning og Energi opfordrer Udvalget om Miljø, Folkesundhed og Fødevarerikkerhed, som er korresponderende udvalg, til at optage følgende ændringsforslag i sin betænkning:

### Ændringsforslag 1

#### Forslag til henstilling Betragtning 5

##### *Kommissionens forslag*

(5) Sjældne sygdomme kræver på grund af deres lave prævalens og særtræk en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats for at forebygge høj sygelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale.

##### *Ændringsforslag*

(5) Sjældne sygdomme kræver på grund af deres lave prævalens og særtræk en global tilgang baseret på en særlig, kombineret indsats, **herunder partnerskaber med tredjelande såsom USA**, for at forebygge høj sygelighed eller for tidlig død og for at forbedre de berørtes livskvalitet og socioøkonomiske potentiale **i udviklede lande og udviklingslande**.

##### *Begrundelse*

*De særlige karakteristika ved sjældne sygdomme - begrænset antal patienter og mangel på relevant viden og ekspertise - betyder, at samarbejdet med lande uden for EU kan være en fordel ikke kun for EU, men også for videndelingen med fattigere udviklingslande.*

## Ændringsforslag 2

### Forslag til henstilling Betragtning 14 a (ny)

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

***(14a) Lægemiddelforummet vedtog den 12. oktober 2008 sin endelige rapport, som indeholder forslag til retningslinjer for, hvordan medlemsstaterne, de berørte parter og Kommissionen kan forbedre deres indsats med henblik på at sikre lettere og hurtigere adgang til lægemidler til sjældne sygdomme i EU.***

*Begrundelse*

*I lægemiddelforummets konklusioner forpligtede medlemsstaterne sig politisk til at fjerne flaskehalsene i forbindelse med adgang til lægemidler til sjældne sygdomme gennem Fællesskabets godkendelsesprocedure. Forslaget til henstilling skal omsætte de retningslinjer, der blev fastlagt i lægemiddelforummets endelige rapport, til praksis.*

## Ændringsforslag 3

### Forslag til henstilling Henstiller til medlemsstaterne – punkt 1 – stk. 1

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

(1) udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af **2011**, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme

(1) udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af **2010**, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme

*Begrundelse*

*Det er vigtigt for medlemsstaterne at udarbejde og vedtage en samlet integreret strategi inden udgangen af 2010, som skal fungere som rettesnor for og strukturere alle relevante tiltag i forbindelse med sjældne sygdomme i form af en national plan for sjældne sygdomme.*

## Ændringsforslag 4

### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 1 – afsnit 3

##### *Kommissionens forslag*

3) definere et begrænset antal prioriterede tiltag inden for den nationale plan for sjældne sygdomme, med konkrete mål, tydelige frister, ledelsesstrukturer og regelmæssige rapporter

##### *Ændringsforslag*

3) definere et begrænset antal prioriterede tiltag inden for den nationale plan for sjældne sygdomme, med konkrete mål, tydelige frister, **omfattende og klart identificeret finansiering**, ledelsesstrukturer og regelmæssige rapporter

## Ændringsforslag 5

### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 1 – afsnit 5 a (nyt)

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

**5a) fastsætte ekstraordinære foranstaltninger i de nationale planer med henblik på adgang til lægemidler, som ikke har fået nogen markedsføringstilladelse, når der er et reelt folkesundhedsbehov herfor; hvis ikke der findes noget egnet behandlingsalternativ i en medlemsstat, og når forholdet mellem fordele og risici menes at være positivt, gives patienter med sjældne sygdomme adgang til lægemidlerne,**

##### *Begrundelse*

*De nationale planer skal også give mulighed for at give og refundere midlertidig adgang til behandlinger eller lægemidler, for hvilke ansøgningen om markedsføringstilladelse er under behandling, eller for hvilke der ikke er blevet udstedt nogen markedsføringstilladelse, i meget særlige tilfælde, hvor en sådan anvendelse kan gavne de patienter, der lider af en sjælden sygdom. Denne mulighed findes via proceduren for tilladelse til midlertidig anvendelse af et ikkeregistreret præparat.*

## Ændringsforslag 6

### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 2 – afsnit 4

##### *Kommissionens forslag*

4) støtte særlige sygdomsinformationsnetværk, registre og databaser på nationalt eller regionalt plan,

##### *Ændringsforslag*

4) støtte, **især økonomiske midler**, særlige sygdomsinformationsnetværk, registre og databaser på **europæisk**, nationalt eller regionalt plan,

## Ændringsforslag 7

### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 3 – afsnit 3 a (nyt)

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

**3a) indføre en passende, langsigtet finansiering, for eksempel gennem offentligt/private partnerskaber, med henblik på at støtte forskningsarbejdet på nationalt og europæisk plan og sikre dets bæredygtighed**

## Ændringsforslag 8

### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 3 – stk. 3 a (nyt)

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

**(3a) fremme videndeling og samarbejde mellem forskere, laboratorier og forskningsprojekter i Den Europæiske Union og lignende institutioner i tredjelande, som kan give globale fordele ikke kun for Den Europæiske Union, men også for fattigere lande og udviklingslande, som har dårligere forudsætninger for at sikre midler til forskning i sjældne sygdomme;**

## Begrundelse

*De særlige karakteristika ved sjældne sygdomme - begrænset antal patienter og mangel på relevant viden og ekspertise - betyder, at samarbejdet med lande uden for EU kan være en fordel ikke kun for EU, men også for videndelingen med fattigere udviklingslande.*

### Ændringsforslag 9

#### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 4 – stk. 3

##### *Kommissionens forslag*

(3) organisere behandlingsmuligheder for patienter gennem samarbejde med relevante eksperter fra selve landet eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt; der bør ydes støtte til sundhedsydelse på tværs af grænser, herunder til patientmobilitet, ansatte inden for sundhedsvæsenet samt tjenesteydere og –ydelser, ved brug af informations- og kommunikationsteknologi, hvis det er nødvendigt for at sikre universel adgang til de særlige sundhedsydelser, der er behov for

##### *Ændringsforslag*

(3) organisere **europæiske** behandlingsmuligheder for **de** patienter, **der lider af sjældne sygdomme**, gennem samarbejde med relevante eksperter fra selve landet eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt; der bør ydes støtte til sundhedsydelser på tværs af grænser, herunder til patientmobilitet, ansatte inden for sundhedsvæsenet samt tjenesteydere og –ydelser, ved brug af informations- og kommunikationsteknologi, hvis det er nødvendigt for at sikre universel adgang til de særlige sundhedsydelser, der er behov for

## Begrundelse

*Det er vigtigt at organisere behandlingsmuligheder for de patienter, der lider af sjældne sygdomme, gennem samarbejde med relevante eksperter fra selve landet eller fra udlandet, hvis det er nødvendigt.*

### Ændringsforslag 10

#### Forslag til henstilling

#### Henstiller til medlemsstaterne – punkt 4 – afsnit 5

##### *Kommissionens forslag*

5) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre overholder de standarder, der er defineret af de europæiske referencenetværk for sjældne sygdomme, under korrekt hensyntagen til patienters og

##### *Ændringsforslag*

5) sikre, at nationale eller regionale ekspertisecentre overholder de standarder, der er defineret af de europæiske referencenetværk for sjældne sygdomme, under korrekt hensyntagen til patienters og ansattes behov og forventninger **og ved at**

ansattes behov og forventninger,

*inddrage patienterne i aktiviteterne, forvaltningen og vurderingen af disse centre,*

## **Ændringsforslag 11**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstiller til medlemsstaterne – punkt 5 – afsnit 1 – litra c**

##### *Kommissionens forslag*

c) udveksling af *de enkelte medlemsstaters* vurderingsrapporter om den *behandlingsmæssige* merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme på EU-niveau for at minimere den tid, der går, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme,

##### *Ændringsforslag*

c) udveksling af *medlemsstaternes* vurderingsrapporter om den *kliniske* merværdi ved lægemidler til sjældne sygdomme på EU-niveau *inden for rammerne af Det Europæiske Lægemiddeldelagentur, som er samlingssted for den europæiske ekspertise inden for dette område*, for at minimere den tid, der går, inden der gives adgang til lægemidler til patienter med sjældne sygdomme,

##### *Begrundelse*

*EMEA er den bedst egnede platform til at minimere ventetiden og centralisere vurderingsrapporterne.*

## **Ændringsforslag 12**

### **Forslag til henstilling**

#### **Henstiller til medlemsstaterne – punkt 6 – stk. 2 a (nyt)**

##### *Kommissionens forslag*

##### *Ændringsforslag*

*(2a) fremme patienters adgang til foreliggende oplysninger på europæisk plan om medicin, behandling eller behandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande, som skal sikre lægebehandling, der er særligt egnet til deres sygdom;*

##### *Begrundelse*

*Det er vigtigt at fremme patienters adgang til foreliggende oplysninger på europæisk plan om*



*medicin, behandling eller behandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande, som skal sikre lægebehandling, der er særligt egnet til deres sygdom.*

### **Ændringsforslag 13**

#### **Forslag til henstilling**

#### **Henstiller til medlemsstaterne – punkt -1 (nyt)**

*Kommissionens forslag*

*Ændringsforslag*

***(-1) På bæredygtig måde støtte "Orphanet", europæisk websted og kvikskranke med følgende oplysninger:***

- a) om eksistensen af specifik forskning i sjældne sygdomme, resultater deraf og tilgængeligheden for patienter,***
- b) om tilgængelig medicin for de enkelte sjældne sygdomme,***
- c) om behandling i medlemsstaterne af de enkelte sjældne sygdomme,***
- d) om eksisterende specialbehandlingscentre i medlemsstaterne eller tredjelande for de enkelte sjældne sygdomme;***

## PROCEDURE

<b>Titel</b>	Europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme
<b>Referencer</b>	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
<b>Korresponderende udvalg</b>	ENVI
<b>Udtalelse fra</b> Dato for meddelelse på plenarmødet	ITRE 4.12.2008
<b>Rådgivende ordfører</b> Dato for valg	Françoise Grossetête 2.12.2008
<b>Behandling i udvalg</b>	11.2.2009
<b>Dato for vedtagelse</b>	9.3.2009
<b>Resultat af den endelige afstemning</b>	+ :           43 - :           0 0 :           0
<b>Til stede ved den endelige afstemning – medlemmer</b>	Jan Březina, Giles Chichester, Dragoş 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
<b>Til stede ved den endelige afstemning – stedfortrædere</b>	Alexander Alvaro, Pilar Ayuso, Ivo Belet, Françoise Grossetête, Marie-Noëlle Lienemann, Erika Mann, Vittorio Prodi, Esko Seppänen, Vladimir Urutchev, Lambert van Nistelrooij
<b>Til stede ved den endelige afstemning – stedfortrædere, jf. art. 178, stk. 2</b>	Elisabetta Gardini, Ulrike Rodust

## PROCEDURE

<b>Titel</b>	Europæisk tiltag vedrørende sjældne sygdomme
<b>Referencer</b>	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
<b>Dato for høring af EP</b>	13.11.2008
<b>Korresponderende udvalg</b> Dato for meddelelse på plenarmødet	ENVI 4.12.2008
<b>Rådgivende udvalg</b> Dato for meddelelse på plenarmødet	ITRE 4.12.2008
<b>Ordfører</b> Dato for valg	Antonios Trakatellis 4.12.2008
<b>Behandling i udvalg</b>	10.2.2009
<b>Dato for vedtagelse</b>	31.3.2009
<b>Resultat af den endelige afstemning</b>	+: 42 -: 7 0: 0
<b>Til stede ved den endelige afstemning – medlemmer</b>	Adamos Adamou, Georgs Andrejevs, Margrete Auken, Liam Aylward, Pilar Ayuso, Irena Belohorská, Maria Berger, Johannes Blokland, John Bowis, Frieda Brepoels, Martin Callanan, Magor Imre Csibi, Chris Davies, Avril Doyle, Edite Estrela, Jill Evans, Anne Ferreira, Karl-Heinz Florenz, Matthias Groote, Françoise Grossetête, Gyula Hegyi, Dan Jørgensen, Christa Kläß, Eija-Riitta Korhola, Urszula Krupa, Peter Liese, Jules Maaten, Marios Matsakis, Linda McAvan, Péter Olajos, Miroslav Ouzký, Vittorio Prodi, Dagmar Roth-Behrendt, Guido Sacconi, María Sornosa Martínez, Antonios Trakatellis, Thomas Ulmer, Åsa Westlund, Glenis Willmott
<b>Til stede ved den endelige afstemning – stedfortrædere</b>	Nicodim Bulzesc, Christofer Fjellner, Milan Gaľa, Johannes Lebech, Miroslav Mikolášik, Hartmut Nassauer, Alojz Peterle, Bart Staes, Robert Sturdy
<b>Til stede ved den endelige afstemning – stedfortrædere, jf. art. 178, stk. 2</b>	Søren Bo Søndergaard