

# EVROPSKI PARLAMENT

2004



2009

*Dokument zasedanja*

**A6-0231/2009**

3. 4. 2009

**\***

## **POROČILO**

o predlogu priporočila Sveta o evropskem ukrepanju na področju redkih  
bolezni  
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS))

Odbor za okolje, javno zdravje in varnost hrane

Poročevalec: Antonios Trakatellis

### ***Oznake postopkov***

- \* Postopek posvetovanja  
*večina oddanih glasov*
- \*\*I Postopek sodelovanja (prva obravnava)  
*večina oddanih glasov*
- \*\*II Postopek sodelovanja (druga obravnava)  
*večina oddanih glasov za odobritev skupnega stališča*  
*absolutna večina poslancev Parlamenta za zavrnitev ali*  
*spremembo skupnega stališča*
- \*\*\* Postopek privolitve  
*absolutna večina poslancev Parlamenta, razen v primerih,*  
*navedenih v členih 105, 107, 161 in 300 Pogodbe ES in členu 7*  
*Pogodbe EU*
- \*\*\*I Postopek soodločanja (prva obravnava)  
*večina oddanih glasov*
- \*\*\*II Postopek soodločanja (druga obravnava)  
*večina oddanih glasov za odobritev skupnega stališča*  
*absolutna večina poslancev Parlamenta za zavrnitev ali*  
*spremembo skupnega stališča*
- \*\*\*III Postopek soodločanja (tretja obravnava)  
*večina oddanih glasov za odobritev skupnega besedila*

(Vrsta postopka je odvisna od pravne podlage, ki jo predlaga Komisija.)

### ***Spremembe zakonodajnega besedila***

Pri spremembah, ki jih predlaga Parlament, je spremenjeno besedilo označeno s ***kreplekim poševnim tiskom***. Pri aktih o spremembi je besedilo, ki povzema obstoječo določbo, ki jo Parlament želi spremeniti, medtem ko je Komisija ni spremenila, označeno s ***kreplekim tiskom***. Morebitni izbrisi tovrstnega besedila so označeni z [...]. Besedilo, zapisano v *navadnem poševnem tisku*, označuje tehničnim službam namenjeni del zakonodajnega besedila s predlaganimi popravki, ki se upoštevajo pri pripravi končnega besedila (na primer, očitne napake ali izpustitve v zadevni jezikovni različici). O teh popravkih odločajo pristojne tehnične službe.

## VSEBINA

	<b>Stran</b>
OSNUTEK ZAKONODAJNE RESOLUCIJE EVROPSKEGA PARLAMENTA .....	5
OBRAZLOŽITEV .....	22
OBRAZLOŽITEV .....	22
MNENJE ODBORA ZA INDUSTRIJO, RAZISKAVE IN ENERGETIKO .....	24
POSTOPEK .....	33



## OSNUTEK ZAKONODAJNE RESOLUCIJE EVROPSKEGA PARLAMENTA

o predlogu priporočila Sveta o evropskem ukrepanju na področju redkih bolezni  
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS))

(Postopek posvetovanja)

*Evropski parlament,*

- ob upoštevanju predloga Komisije Svetu (KOM(2008)0726),
  - ob upoštevanju drugega pododstavka člena 152(4) pogodbe ES, v skladu s katerim se je Svet posvetoval s Parlamentom (C6 0455/2008),
  - ob upoštevanju člena 51 svojega poslovnika,
  - ob upoštevanju poročila Odbora za okolje, javno zdravje in varnost hrane in mnenja Odbora za industrijo, raziskave in energetiko (A6-0231/2009),
1. odobri predlog Komisije, kakor je bil spremenjen;
  2. poziva Komisijo, naj ustrezno spremeni svoj predlog, na podlagi člena 250(2) pogodbe ES;
  3. poziva Svet, naj obvesti Parlament, če namerava odstopati od besedila, ki ga je Parlament odobril;
  4. poziva Svet, naj se ponovno posvetuje s Parlamentom, če namerava bistveno spremeniti predlog Komisije;
  5. naroči svojemu predsedniku, naj stališče Parlamenta posreduje Svetu in Komisiji.

### **Predlog spremembe 1**

#### **Predlog priporočila**

##### **Uvodna izjava 1**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(1) Redke bolezni ogrožajo zdravje evropskih državljanov, če so smrtno nevarne ali kronično izčrpavajoče bolezni z nizko stopnjo prevalence in visoko ravniyo zapletenosti.

*Predlog spremembe*

(1) Redke bolezni ogrožajo zdravje evropskih državljanov, če so smrtno nevarne ali kronično izčrpavajoče bolezni z nizko stopnjo prevalence in visoko ravniyo zapletenosti, **ker pa obstaja tako veliko različnih vrst redkih bolezni, je skupno število prizadetih oseb precej veliko.**

## **Predlog spremembe 2**

### **Predlog priporočila Uvodna izjava 2**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(2) Akcijski program Skupnosti glede redkih bolezni, vključno z genetskimi boleznimi, je bil sprejet za obdobje od 1. januarja 1999 do 31. decembra 2003. Glede na opredelitev prevalence v tem programu so redke bolezni opredeljene kot bolezni, ki ne prizadenejo več kot 5 na 10 000 oseb v Evropski uniji.

*Predlog spremembe*

(2) Akcijski program Skupnosti glede redkih bolezni, vključno z genetskimi boleznimi, je bil sprejet za obdobje od 1. januarja 1999 do 31. decembra 2003. Glede na opredelitev prevalence v tem programu so redke bolezni opredeljene kot bolezni, ki ne prizadenejo več kot 5 na 10 000 oseb v Evropski uniji, **to število pa je treba vrednotiti na statistični podlagi, ki mora biti predmet strokovne presoje.**

*Obrazložitev*

*Da bi se izognili dilemam, ki nastanejo pri boleznih z incidenco 5,1 ali 5,2 na 10 000 oseb, je potrebna večja prožnost.*

## **Predlog spremembe 3**

### **Predlog priporočila Uvodna izjava 2 a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(2a) Da bi ugotavljali potrebo po morebitnih dopolnitvah, mora strokovni odbor na podlagi statistične incidence natančno razvrščati in redno pregledovati redke bolezni.**

*Obrazložitev*

*Nujno je treba sestaviti katalog redkih bolezni v Evropski uniji.*

## Predlog spremembe 4

### Predlog priporočila Uvodna izjava 4

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(4) Po ocenah danes obstaja med 5 000 in 8 000 različnih redkih bolezni, ki prizadenejo med 6 % in 8 % prebivalstva v času njihovega življenja. Z drugimi besedami **to pomeni** med 27 in 36 milijoni ljudi v Evropski uniji. Večina trpi za bolj redko pojavljajočimi se boleznimi, ki prizadenejo 1 na 100 000 oseb ali manj.

*Predlog spremembe*

(4) Po ocenah danes obstaja med 5 000 in 8 000 različnih redkih bolezni, ki prizadenejo med 6 % in 8 % prebivalstva v času njihovega življenja. Z drugimi besedami, **klub temu, da je značilnost redkih bolezni nizka prevalenca posamezne izmed njih, je skupno število prizadetih ljudi precej visoko, saj se giblje** med 27 in 36 milijoni ljudi v Evropski uniji. Večina trpi za bolj redko pojavljajočimi se boleznimi, ki prizadenejo 1 na 100 000 oseb ali manj.

## Predlog spremembe 5

### Predlog priporočila Uvodna izjava 5

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(5) Redke bolezni zaradi svoje nizke prevalence in specifičnosti zahtevajo globalen pristop, ki temelji na prizadevanjih na posameznih področjih ter skupnih prizadevanjih za preprečitev znatne obolevnosti ali prezgodnje umrljivosti, ki se ji je mogoče izogniti, in za izboljšanje kakovosti življenja ter socialno-ekonomskih možnosti prizadetih oseb.

*Predlog spremembe*

(5) Redke bolezni zaradi svoje nizke prevalence in specifičnosti **ter visokega končnega števila primerov** zahtevajo globalen pristop, ki temelji na prizadevanjih na posameznih področjih **ter skupnih prizadevanjih, vključno s partnerstvi s tretjimi državami, kot so ZDA**, za preprečitev znatne obolevnosti ali prezgodnje umrljivosti, ki se ji je mogoče izogniti, in za izboljšanje kakovosti življenja ter socialno-ekonomskih možnosti prizadetih oseb **v razvitih državah in državah v razvoju.**

### *Obrazložitev*

*Specifičnost redkih bolezni, kot so omejeno število bolnikov in pomanjkanje ustreznega strokovnega znanja in izkušenj, pomeni, da sodelovanje z državami zunaj EU lahko prinaša koristi ne le EU, temveč tudi izmenjavi izkušenj z revnejšimi državami in državami v razvoju.*

## Predlog spremembe 6

### Predlog priporočila Uvodna izjava 8

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(8) Za izboljšanje usklajevanja in povezovanja nacionalnih, regionalnih in lokalnih pobud, ki se nanašajo na redke bolezni, je treba vse ustrezne nacionalne ukrepe na področju redkih bolezni vključiti v nacionalne načrte za redke bolezni.

*Predlog spremembe*

(8) Za izboljšanje usklajevanja in povezovanja nacionalnih, regionalnih in lokalnih pobud **ter sodelovanja med izobraževalnimi centri**, ki se nanašajo na redke bolezni, je treba vse ustrezne nacionalne ukrepe na področju redkih bolezni vključiti v nacionalne načrte za redke bolezni.

## Predlog spremembe 7

### Predlog priporočila Uvodna izjava 13

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(13) Dodana vrednost Skupnosti evropskih referenčnih mrež je še posebej visoka za redke bolezni zaradi redkosti pojavljanja takšnih stanj, kar pomeni omejeno število bolnikov in pomanjkanje strokovnega znanja in izkušenj v posamezni državi. Zbiranje strokovnega znanja in izkušenj na evropski ravni je zato izjemnega pomena za zagotavljanje enakega dostopa do visokokakovostne oskrbe bolnikom z redko boleznijo.

*Predlog spremembe*

(13) Dodana vrednost Skupnosti evropskih referenčnih mrež je še posebej visoka za redke bolezni zaradi redkosti pojavljanja takšnih stanj, kar pomeni omejeno število bolnikov in pomanjkanje strokovnega znanja in izkušenj v posamezni državi. Zbiranje strokovnega znanja in izkušenj na evropski ravni je zato izjemnega pomena za zagotavljanje enakega dostopa do **točne informacije, ustrezne in pravočasne diagnoze in** visokokakovostne oskrbe bolnikom z redko boleznijo.

## Predlog spremembe 8

### Predlog priporočila Uvodna izjava 14 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(14a) Farmaceutski forum je 12. oktobra 2008 sprejel končno poročilo, v katerem predlaga smernice, da bi lahko države**



**članice, zainteresirane strani in Komisija okrepile svoja prizadevanja za zagotovitev lažjega in hitrejšega dostopa do zdravil sirot v Evropski uniji.**

*Obrazložitev*

*Države članice so se ob upoštevanju sklepov farmacevtskega foruma politično zavzele, da bodo odpravile težave pri dostopanju do zdravil sirot prek postopka odobritve Skupnosti. V predlogu priporočila morajo biti konkretno opredeljene smernice iz končnega poročila farmacevtskega foruma.*

**Predlog spremembe 9**

**Predlog priporočila**  
**Uvodna izjava 20**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(20) Zato morajo biti bolniki in njihovi predstavniki vključeni na vsaki stopnji postopka oblikovanja politike in odločanja. Njihove dejavnosti je treba aktivno spodbujati in podpirati, tudi finančno, v vsaki državi članici.

*Predlog spremembe*

(20) Zato morajo biti bolniki in njihovi predstavniki vključeni na vsaki stopnji postopka oblikovanja politike in odločanja. Njihove dejavnosti je treba aktivno spodbujati in podpirati, tudi finančno, v vsaki državi članici, ***kot tudi na ravni Evropske unije prek vseevropskih mrež pomoči bolnikom s posebnimi redkimi boleznimi.***

*Obrazložitev*

*Ker so te bolezni redke, mnogo organizacij bolnikov delujejo v vseevropskih mrežah za komuniciranje in vzajemno podporo v EU 27.*

**Predlog spremembe 10**

**Predlog priporočila**  
**Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – uvodni del**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

1. vzpostavijo nacionalne načrte za redke bolezni, da bolnikom z redkimi boleznimi zagotovijo univerzalen dostop do visokokakovostne oskrbe, vključno z diagnostiko, zdravljenjem in zdravili

*Predlog spremembe*

1. vzpostavijo nacionalne načrte za redke bolezni, da bolnikom z redkimi boleznimi zagotovijo univerzalen dostop do visokokakovostne oskrbe, vključno z diagnostiko, zdravljenjem in zdravili

sirotami po njihovem celotnem ozemlju, po načelu enakosti in solidarnosti po vsej EU in zlasti, da:

sirotami **ter rehabilitacijo in navajanjem na življenje z boleznijo**, po njihovem celotnem ozemlju, po načelu enakosti in solidarnosti po vsej EU in zlasti, da:

#### *Obrazložitev*

*Treba je poudariti, da se mora mnogo bolnikov z redkimi boleznimi naučiti živeti mnogo let s svojo boleznijo. Zato morajo biti dejavnosti in raziskave na področju redkih bolezni usmerjene tudi v vključevanje bolnikov z redkimi boleznimi v družbo v skladu s členom 25 konvencije Združenih narodov o ljudeh s posebnimi potrebami.*

### **Predlog spremembe 11**

#### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 1**

##### *Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(1) do konca leta **2011** oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni;

##### *Predlog spremembe*

(1) do konca leta **2010** oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni;

#### *Obrazložitev*

*Pomembno je, da države članice do konca leta 2010 oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni.*

### **Predlog spremembe 12**

#### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 3**

##### *Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(3) v okviru nacionalnega načrta za redke bolezni določijo omejeno število prednostnih ukrepov s konkretnimi cilji, jasno določenimi roki, strukturami za upravljanje in rednim poročanjem;

##### *Predlog spremembe*

(3) v okviru nacionalnega načrta za redke bolezni določijo omejeno število prednostnih ukrepov s konkretnimi cilji, jasno določenimi roki, **obsežnim in jasno določenim financiranjem**, strukturami za upravljanje in rednim poročanjem;

## Predlog spremembe 13

### Predlog priporočila Odstavek 1 – točka 3 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

***(3a) izjavijo, ali imajo specializirane centre, in sestavijo katalog strokovnjakov;***

## Predlog spremembe 14

### Predlog priporočila Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 5

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(5) v nacionalne načrte vključijo določbe, oblikovane za zagotavljanje enakega dostopa do visokokakovostne oskrbe, vključno z diagnostiko, zdravljenjem in zdravili sirotami, **za vse bolnike** z redkimi boleznimi po vsem ozemlju njihove države, da bi tako končno na podlagi pravičnosti in solidarnosti dosegli pravičen dostop do kakovostne oskrbe po vsej Evropski uniji;

(5) v nacionalne načrte vključijo določbe, oblikovane za zagotavljanje enakega dostopa do visokokakovostne oskrbe, vključno z diagnostiko, **primarnimi preventivnimi ukrepi**, zdravljenjem in zdravili sirotami **ter rehabilitacijo in navajanje na življenje z boleznijo v korist vseh bolnikov** z redkimi boleznimi po vsem ozemlju njihove države, da bi tako na podlagi pravičnosti in solidarnosti dosegli pravičen dostop do kakovostne oskrbe po vsej Evropski uniji, **v skladu z načeli iz dokumenta z naslovom „Izboljšanje dostopa do zdravil sirot za vse obolele državljane EU“, ki ga je sprejel farmacevtski forum na visoki ravni.**

### *Obrazložitev*

*Treba je poudariti, da se mora mnogo bolnikov z redkimi boleznimi naučiti živeti mnogo let s svojo boleznijo. Zato morajo biti dejavnosti in raziskave na področju redkih bolezni usmerjene tudi v vključevanje bolnikov z redkimi boleznimi v družbo, v skladu s členom 25 konvencije Združenih narodov o ljudeh s posebnimi potrebami.*

## Predlog spremembe 15

**Predlog priporočila**  
**Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 5 a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(5a) spodbujajo prizadevanja za preprečevanje dednih redkih bolezni, kar bo na koncu privedlo do njihovega izkoreninjenja**

**(a) z genetskim svetovanjem staršem, ki so prenašalci bolezni; in**

**(b) z izborom zdravih zarodkov pred vsaditvijo – po potrebi, če ni v nasprotju z obstoječo nacionalno zakonodajo in vedno na prostovoljni podlagi.**

**Predlog spremembe 16**

**Predlog priporočila**  
**Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 5 b (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(5b) v nacionalnih načrtih o dajanju na voljo medicinskih proizvodov brez dovoljenja za trženje zagotovijo izjemne ukrepe, po katerih se bolnikom z redkimi boleznimi omogoči dostop do teh zdravil, ko obstaja realna javna potreba po tem, in če v državi članici ni drugih možnosti ustreznega in razpoložljivega zdravljenja, ocena iz poročila o koristih/tveganjih pa je predvidoma pozitivna.**

*Obrazložitev*

*V nacionalnih načrtih je treba predvideti tudi možnost za zagotovitev in povračilo stroškov začasnega dostopa do zdravljenj ali zdravil, ki so v postopku pridobitve dovoljenja za trženje ali tega dovoljenja niso prejela, v zelo posebnih primerih, ko bi lahko koristila bolnikom z redkimi boleznimi.*

*To omogoča postopek za odobritev začasne uporabe.*

**Predlog spremembe 17**

## **Predlog priporočila**

### **Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 5 c (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(5c) ustanovijo večstranske svetovalne skupine na nacionalni ravni, v katere bodo vključene vse zainteresirane strani in ki bodo vodile vlade pri zasnovi in izvajanju nacionalnih akcijskih načrtov za redke bolezni. Zagotoviti morajo, da so vlade dobro informirane in da sklepi, sprejeti na nacionalni ravni, odražajo mnenje in potrebe družbe.**

*Obrazložitev*

*Da bi se čim bolj zmanjšalo tveganje izgube strokovnosti pri posebnih vprašanjih zaradi sprememb v vladi in upravi, je treba ustanoviti stalne odbore, v katerih bodo zastopane vse zainteresirane in strokovne strani, kot so zdravniki, plačniki, znanstveniki in industrija. Vsi ti udeleženci bi morali usmerjati akterje, ki sprejemajo politične odločitve in oblikujejo politiko vzpostavljanja in izvajanja nacionalnih akcijskih načrtov.*

## **Predlog spremembe 18**

### **Predlog priporočila**

### **Priporočilo državam članicam – odstavek 1 – točka 5 d (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(5d) spodbujajo nacionalno financiranje zdravljenja redkih bolezni. Če država članica ne želi ali ne more ustanoviti centrov odličnosti, je treba uporabiti ta nacionalni sklad za zagotavljanje pacientom, da lahko potujejo v tak center v drugi državi. Vendar je tudi bistveno, da se ta proračun letno pregleduje in prilagaja na osnovi znanj o pacientih, ki potrebujejo zdravljenje v tem letu, in o morebitnih zdravljenjih, ki jih je treba dodati. To je treba narediti ob udeležbi večstranskih svetovalnih odborov.**

*Obrazložitev*

*Bolnice in zdravstvene centre bi treba spodbujati, da postavljajo diagnoze in začnejo z*

zdravljenjem bolnikov z redkimi boleznimi. Če morajo računati le na svoja sredstva za kritje stroškov, mogoče ne bodo mogli nositi tega finančnega bremena. Da bi se bolnikom omogočil dostop do ustreznega zdravljenja je treba zagotoviti financiranje na nacionalni ravni.

## **Predlog spremembe 19**

### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 2 – točka 1**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(1) v Evropski uniji uporabljajo skupno opredelitev redkih bolezni kot bolezni, ki prizadenejo največ 5 na 10 000 oseb;

*Predlog spremembe*

(1) v Evropski uniji uporabljajo skupno opredelitev redkih bolezni kot bolezni, ki prizadenejo največ 5 na 10 000 oseb, **kot število, ki velja za celotno Evropsko unijo, pri čemer je zelo pomembno poznati natančno razširjenost bolezni za vsako državo članico posebej;**

## **Predlog spremembe 20**

### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 2 – točka 4**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(4) na nacionalni in regionalni ravni podpirajo posebne informacijske mreže, registre in zbirke podatkov o boleznih.

*Predlog spremembe*

(4) na **evropski**, nacionalni in regionalni ravni **zlasti finančno** podpirajo posebne informacijske mreže, registre in zbirke podatkov o boleznih, **ki vključujejo sproti posodobljene informacije, ki so za javnost dostopne na internetu.**

## **Predlog spremembe 21**

### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 3 – točka 3**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(3) spodbujajo udeležbo nacionalnih raziskovalcev in laboratorijev pri raziskovalnih projektih za redke bolezni, ki so financirani na ravni Skupnosti;

*Predlog spremembe*

(3) spodbujajo udeležbo nacionalnih raziskovalcev in laboratorijev pri raziskovalnih projektih za redke bolezni, ki so financirani na ravni Skupnosti, **ter**

*izkoristijo možnosti, ki jih nudi Uredba (ES) št. 141/2000 o zdravilih sirotah;*

## **Predlog spremembe 22**

### **Predlog priporočila**

**Priporočilo državam članicam – odstavek 3 – točka 3 a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

*(3a) spodbujajo izmenjavo znanja ter sodelovanje med raziskovalci, laboratoriji in raziskovalnimi projekti v Evropski uniji ter podobnimi ustanovami v tretjih državah, da bodo imele poleg EU splošne koristi tudi revnejše države in države v razvoju, ki so v slabšem položaju glede zagotavljanja sredstev za raziskave redkih bolezni;*

*Obrazložitev*

*Specifičnost redkih bolezni, kot so omejeno število bolnikov in pomanjkanje ustreznega strokovnega znanja in izkušenj, pomeni, da sodelovanje z državami zunaj EU lahko prinaša koristi ne le EU, temveč tudi izmenjavi izkušenj z revnejšimi državami in državami v razvoju.*

## **Predlog spremembe 23**

### **Predlog priporočila**

**Priporočilo državam članicam – odstavek 3 – točka 4**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(4) v nacionalne načrte za redke bolezni vključijo določbe, katerih cilj je spodbujanje raziskav, vključno z raziskavami v okviru javnega zdravja, in socialnimi raziskavami na področju redkih bolezni, zlasti z namenom, da se oblikujejo orodja, kot so transverzalne infrastrukture, ter projekti, ki so specifični za posamezne bolezni;

(4) v nacionalne načrte za redke bolezni vključijo določbe, katerih cilj je spodbujanje raziskav, vključno z raziskavami v okviru javnega zdravja, in socialnimi raziskavami na področju redkih bolezni, zlasti z namenom, da se oblikujejo orodja, kot so transverzalne infrastrukture, ter projekti, ki so specifični za posamezne bolezni, **programi za rehabilitacijo ter programi za navajanje na življenje z redko boleznijo, kot tudi raziskave o diagnostičnih testih in orodjih;**

## Obrazložitev

Treba je poudariti, da se mora mnogo bolnikov z redkimi boleznimi naučiti živeti mnogo let s svojo boleznijo. Zato morajo biti dejavnosti in raziskave na področju redkih bolezni usmerjene tudi v vključevanje bolnikov z redkimi boleznimi v družbo, v skladu s členom 25 konvencije Združenih narodov o ljudeh s posebnimi potrebami.

### Predlog spremembe 24

#### Predlog priporočila

#### Priporočilo državam članicam – odstavek 3 – točka 4 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

***(4a) zagotovijo ustrezen mehanizem dolgoročnega financiranja, na primer prek javno-zasebnih partnerstev, za podpiranje raziskav na nacionalni in evropski ravni, da se zagotovi njihova trajnost;***

### Predlog spremembe 25

#### Predlog priporočila

#### Odstavek 4 – točka 1

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(1) do konca leta 2011 določijo nacionalne in regionalne strokovne centre po vsem nacionalnem ozemlju in tam, kjer strokovnih centrov ni, spodbujajo njihovo ustanovitev z vključitvijo določb o ustanovitvi nacionalnih in regionalnih strokovnih centrov v nacionalni načrt za redke bolezni ;

(1) do konca leta 2011 določijo nacionalne in regionalne strokovne centre po vsem nacionalnem ozemlju in tam, kjer strokovnih centrov ni, spodbujajo njihovo ustanovitev z vključitvijo določb o ustanovitvi nacionalnih in regionalnih strokovnih centrov v nacionalni načrt za redke bolezni ; ***pomagajo sestaviti kataloge redkih bolezni in strokovnjakov za redke bolezni;***

### Predlog spremembe 26



**Predlog priporočila**  
**Priporočilo državam članicam – odstavek 4 – točka 3**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(3) organizirajo poti zdravstvene oskrbe za bolnike z vzpostavitvijo sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine; kadar je to potrebno za zagotovitev univerzalnega dostopa do posebne zdravstvene oskrbe, podpirajo čezmejno zdravstveno varstvo, vključno z mobilnostjo bolnikov, zdravstvenih delavcev in izvajalcev storitev ter zagotavljanje storitev prek informacijskih in komunikacijskih tehnologij;

*Predlog spremembe*

(3) organizirajo **evropske** poti zdravstvene oskrbe za bolnike **z redkimi boleznimi** z vzpostavitvijo sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine; kadar je to potrebno za zagotovitev univerzalnega dostopa do posebne zdravstvene oskrbe, podpirajo čezmejno zdravstveno varstvo, vključno z mobilnostjo bolnikov **in strokovnega znanja prek prenosa podatkov**, zdravstvenih delavcev in izvajalcev storitev ter zagotavljanje storitev prek informacijskih in komunikacijskih tehnologij;

*Obrazložitev*

*Organizirati je treba poti zdravstvene oskrbe za bolnike z redkimi boleznimi, in sicer prek sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine.*

**Predlog spremembe 27**

**Predlog priporočila**  
**Priporočilo državam članicam – odstavek 4 – točka 5**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(5) zagotovijo, da nacionalni in regionalni strokovni centri upoštevajo standarde, ki so jih opredelile evropske referenčne mreže za redke bolezni, ter pri tem upoštevajo potrebe in pričakovanja bolnikov in strokovnjakov.

*Predlog spremembe*

(5) zagotovijo, da nacionalni in regionalni strokovni centri upoštevajo standarde, ki so jih opredelile evropske referenčne mreže za redke bolezni, ter pri tem upoštevajo potrebe in pričakovanja bolnikov in strokovnjakov **ter bolnike vključijo dejavnosti teh centrov**;

## Predlog spremembe 28

### Predlog priporočila Odstavek 4 – točka 5 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(5a) spodbujajo strokovne centre in specializirane bolnišnice, da, če je mogoče s pomočjo financiranja ali sofinanciranja Evropske unije, uvedejo posebno usposabljanje strokovnih delavcev za nekatere redke bolezni in jim omogočijo pridobitev ustreznega strokovnega znanja in izkušenj;**

*Obrazložitev*

*Za uspešen boj proti redkim boleznim je bistvenega pomena usposobiti več strokovnih delavcev na tem področju.*

## Predlog spremembe 29

### Predlog priporočila Priporočilo državam članicam – odstavek 5 – točka 1 – podtočka b

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(b) evropskih smernic za presejanje prebivalstva in diagnostične teste;

(b) evropskih smernic za presejanje prebivalstva in diagnostične teste,  **vključno z genetskimi testi, kot je presejalni test heterozigotnosti in diagnoza z biopsijo polarnega telesa, ki zagotavljajo poskuse na visoki kakovostni ravni in ustrezno genetsko svetovanje, ob upoštevanju različnih etičnih stališč držav članic;**

## Predlog spremembe 30

### Predlog priporočila Priporočilo državam članicam – odstavek 5 – točka 1 – podtočka c

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(c) **porazdelitve priprave** poročil o oceni terapevtske dodane vrednosti zdravil sirot na ravni EU *med države članice*, da

(c) **priprave** poročil *držav članic* o oceni klinične dodane vrednosti zdravil sirot na ravni EU **v okviru Evropske agencije za**

skrajšajo roki dostopa do zdravil sirot za bolnike z redkimi boleznimi;

*zdravila, ki združuje evropsko znanje na tem področju*, da se skrajšajo roki dostopa do zdravil sirot za bolnike z redkimi boleznimi;

### **Predlog spremembe 31**

#### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 5 – točka 1 – podtočka c a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

*(ca) strukturne podpore za naložbe v zbirko podatkov Orphanet, da bi se zagotovil lahek dostop do informacij o redkih boleznih;*

### **Predlog spremembe 32**

#### **Predlog priporočila**

#### **Priporočilo državam članicam – odstavek 6**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

6. Povečanje odgovornosti organizacij bolnikov

(1) sprejmejo ukrepe za zagotovitev ustreznih posvetovanj z bolniki in predstavniki bolnikov na vseh stopnjah oblikovanja politike in odločanja na področju redkih bolezni, vključno z vzpostavitvijo in upravljanjem strokovnih centrov in evropskih referenčnih mrež ter oblikovanjem nacionalnih načrtov;

(2) podpirajo dejavnosti organizacij bolnikov, kot so ozaveščanje, vzpostavljanje zmogljivosti in usposabljanje, izmenjava informacij in dobrih praks, povezovanje v mreže, doseganje zelo izoliranih bolnikov;

6. Povečanje odgovornosti **neodvisnih** organizacij bolnikov

(1) sprejmejo ukrepe za zagotovitev ustreznih posvetovanj z bolniki in **neodvisnimi** predstavniki bolnikov na vseh stopnjah oblikovanja politike in odločanja na področju redkih bolezni, vključno z vzpostavitvijo in upravljanjem strokovnih centrov in evropskih referenčnih mrež ter oblikovanjem nacionalnih načrtov;

(2) podpirajo dejavnosti **neodvisnih** organizacij bolnikov, kot so ozaveščanje, vzpostavljanje zmogljivosti in usposabljanje, izmenjava informacij in dobrih praks, povezovanje v mreže, doseganje zelo izoliranih bolnikov;

*(2a) organizacijam pacientov zagotovijo sredstva, ki niso neposredno vezana na farmacevtske družbe;*

*(2b) bolnikom omogočijo lažji dostop do*

(3) v nacionalne načrte za redke bolezni vključijo določbe o podpori organizacijam bolnikov in posvetovanju z njimi, kakor je navedeno v odstavkih (1) in (2);

*informacij na evropski ravni o zdravilih, zdravljenju ali centrih za zdravljenje v državah članicah ali tretjih državah, ki nudijo medicinsko oskrbo, posebej prilagojeno njihovi bolezni;*

(3) v nacionalne načrte za redke bolezni vključijo določbe o podpori *neodvisnim* organizacijam bolnikov in posvetovanju z njimi, kakor je navedeno v odstavkih (1) in (2); *zagotovijo, da sta v nacionalnih načrtih predvideni določitev nacionalnih ali regionalnih strokovnih centrov in sestava katalogov strokovnjakov za redke bolezni;*

#### *Obrazložitev*

*Bolnikom je treba omogočiti lažji dostop do informacij na evropski ravni o zdravilih, zdravljenju ali centrih za zdravljenje v državah članicah ali tretjih državah, ki nudijo medicinsko oskrbo, posebej prilagojeno njihovi bolezni.*

### **Predlog spremembe 33**

#### **Predlog priporočila Priporočila Komisiji – odstavek -1 (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

*(-1) trajnostno podpre Orphanet, evropsko spletno stran, na kateri bodo na enem mestu združene informacije o:*

- (a) obstoju posebnih raziskav o redkih boleznih, njihovih rezultatih in dosegljivosti za bolnike,*
- (b) zdravilih, ki so na voljo za posamezne redke bolezni,*
- (c) zdravljenju, ki ga posamezna država članica ponuja za posamezno redko bolezen,*
- (d) specialističnih zdravstvenih centrih v državah članicah ali tretjih državah za posamezno redko bolezen.*

### **Predlog spremembe 34**

**Predlog priporočila**  
**Priporočila Komisiji – odstavek 1**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

1. najpozneje ob koncu **petega leta po sprejetju tega priporočila** na podlagi informacij, ki jih predložijo države članice, pripravi poročilo o izvajanju tega priporočila, naslovljeno na Svet, Evropski parlament, Evropski ekonomsko-socialni odbor in Odbor regij, da se proučita učinkovitost predlaganih ukrepov in potreba po nadaljnjem ukrepanju;

*Predlog spremembe*

1. na podlagi informacij, ki jih predložijo države članice, pripravi poročilo o izvajanju tega priporočila, naslovljeno na Svet, Evropski parlament, Evropski ekonomsko-socialni odbor in Odbor regij, **najpozneje ob koncu leta 2012, ki je leto, v katerem se bodo predložile dejavnosti za izvajanje, ki med drugim zajemajo: a) proračunske ukrepe za učinkovitost programa Skupnosti za redke bolezni; b) ustvarjanje ustreznih mrež strokovnih centrov; c) zbiranje epidemioloških podatkov o redkih boleznih; d) mobilnost strokovnjakov in strokovnih delavcev; e) mobilnost pacientov; in f) upoštevanje potreb po dodatnih dejavnostih, da bi se izboljšalo življenje pacientov z redkimi boleznimi in njihovih družin.**

## OBRAZLOŽITEV

### Splošni uvod in ocena predloga priporočila Sveta

Priporočilo Sveta je dobrodošlo, saj je usklajeno delovanje na področju redkih bolezni na ravni Evropske unije in na nacionalni ravni **nujno potrebno**. Razlog za to je, da je kljub zelo nizki incidenci posamezne redke bolezni v Evropski uniji prizadetih na milijone ljudi, saj je teh bolezni na tisoče.

Res pa je, da je predlog, takšen kot je, nezadosten, in da na njegovi podlagi ni mogoče pripraviti programa, ki bi imel možnosti za uspeh, to pa zato, ker v predlogu nista razčlenjena, tudi v grobih obrisih ne, **nujno financiranje** s strani EU in sofinanciranje s strani EU in držav članic. Zaradi tega ni mogoče učinkovito promovirati nekaterih bistvenih vidikov, povezanih z redkimi boleznimi, na primer **vzpostavitve strokovnih centrov, razvrstitve bolezni, potrebe po specializiranih raziskavah itd.**

Besedilo vsebuje poziv Komisiji, naj pet let po sprejetju pripravi predlog o izvajanju: gre za dolgo obdobje, v katerem ni mogoče v praksi narediti ničesar, saj ni predvidenih nobenih sredstev.

Poročevalec zato predlaga, da se zaprosi Komisijo, naj **ponudi predlog o izvajanju** najkasneje do konca leta 2012, saj bodo do takrat že na voljo zahtevani podatki iz držav članic o strokovnih centrih in strokovnem znanju in izkušnjah glede redkih bolezni (2011).

V predlogu o izvajanju morata biti posebej omenjena financiranje in sofinanciranje na naslednjih področjih:

- a) zbiranje epidemioloških podatkov in sestava kataloga redkih bolezni, oboje je namreč potrebno, če želimo imeti jasno sliko stanja glede teh bolezni v Evropski uniji;
- b) vzpostavitev ustreznih mrež;
- c) ustanovitev strokovnih centrov v državah članicah, kjer takšnih centrov še ni;
- d) uvedba specializiranega usposabljanja v obstoječih centrih za strokovne delavce, da pridobijo strokovno znanje in izkušnje;
- e) pritegnitev strokovnjakov in strokovnih delavcev, da se ustvarijo pogoji, potrebni za nadgradnjo obstoječega znanja;
- f) raziskave na področju orodja za diagnostiko in diagnostičnih testov za redke bolezni, zlasti za genske bolezni.

Predlog priporočila Sveta bi morali obravnavati kot načrt za vzpostavitev ugodnih razmer na področju redkih bolezni, razumeti pa bi morali tudi, da je predlog splošen. Rad bi ponovno poudaril, da bi moral biti predlog bolj natančen in določen glede časovnega načrta (let).

## **Pomembni vidiki, ki jih mora vsebovati predlog Komisije o izvajanju**

1. Iz priporočila Sveta izhaja, da področje redkih bolezni v Evropski uniji **ni dobro opredeljeno**, in sicer ne v obliki registra, v katerem bi bile po vrsti navedene redke bolezni, ne kar se tiče natančnosti statističnih podatkov. To je razvidno iz velike **razlike** pri številu bolnikov (27 do 36 milijonov ljudi) in pri številu redkih bolezni (5 000 do 10 000 redkih bolezni).
2. Pomembno je tudi omeniti, da se je treba te problematike lotiti **prožno**, saj je opredelitev redke bolezni kot bolezni, ki prizadene manj kot 5 oseb na 10.000 prebivalcev, **preveč restriktivna**, številke so namreč lahko malenkost višje in že se postavlja vprašanje, ali bolezni, katere razširjenost je na primer 5,1 na 10.000 prebivalcev, obravnavati kot redko bolezni. Poleg tega je neka redka bolezen v različnih državah članicah lahko različno razširjena.
3. Zaradi visokega števila prizadetih oseb ob nizki incidenci za posamezno bolezen je v Evropski uniji nujno potrebno usklajeno delovanje. Zato menim, da bi bilo primerno, če bi v okviru končnega predloga za izvajanje poskusili **popisati specializirane centre in bolnišnice** za nekatere od teh bolezni, ter **strokovno znanje in izkušnje**, ki so na voljo v posameznih državah, ter vse skupaj **združiti v mrežo**.
4. Očitno je tudi, da je treba za zdravljenje redkih bolezni urediti **mobilnost bolnikov**, saj posamezne države članice nimajo na voljo vsega strokovnega znanja in izkušenj. Dokler ne bo na voljo strokovnega znanja in izkušenj ter centrov, kjer bodo poskrbeli za bolnike, bo treba to kompenzirati z mobilnostjo le-teh. Državam članicam je treba prepustiti v razmislek vprašanje, kako to financirati.
5. Naslednji pomembni vidik je **mobilnost strokovnih delavcev** in sicer
  - a.) mobilnost strokovnjakov v Evropski uniji, s katero bi pomagali ustanavljati nove centre v drugih državah članicah,
  - b.) mobilnost strokovnih delavcev, s pomočjo katere bi v obstoječih centrih po Evropski uniji pridobivali strokovno znanje in izkušnje. Ta ukrep terja uvajanje usposabljanja in klinične prakse, da bi na področju teh bolezni usposobili več strokovnjakov. Namen teh centrov torej ne bi bil le zdravljenje redkih bolezni, ampak ustvarjanje okolja, potrebnega za prenos znanja.
6. In končno, glede na to, da je veliko redkih bolezni dednih, so za **povečanje diagnostičnih sposobnosti s pomočjo genskega testiranja** nujno potrebne **raziskave in inovacije**.
7. V nekaterih primerih bi lahko z uporabo genskih testov v **predimplantacijskih postopkih** preprečili pojav teh bolezni v zarodkih in s tem izkoreninili nekatere od teh bolezni. To bi moralo potekati v okviru usklajenega delovanja s pomočjo genskega svetovanja in podatkovnih mrež. Takšno prakso v nekaterih državah članicah že uporabljajo pri nekaterih boleznih, zato bi jo bilo treba preučiti in upoštevati, saj bi izvajanje takšnih ukrepov pripomoglo k dokončnemu izkoreninjenju nekaterih od teh bolezni.

10. 3. 2009

## **MNENJE ODBORA ZA INDUSTRIJO, RAZISKAVE IN ENERGETIKO**

za Odbor za okolje javno zdravje in varnost hrane

o predlogu priporočila Sveta o evropskem ukrepanju na področju redkih bolezni

(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(COD))

Poročevalka: Françoise Grossetête

### **KRATKA OBRAZLOŽITEV**

Redke bolezni prizadenejo skoraj 30 milijonov Evropejcev, vsaka od njih pa prizadene le peščico ljudi, včasih celo manj kot deset v neki državi. V povprečju za redko boleznijo zbolí ena oseba na 2000 prebivalcev. Danes jih poznamo več kot 7000, v medicinskih objavah pa sta vsak teden opisani dve novi. 80 % redkih bolezni je genetske, 65 % pa pediatrične narave.

Zato morajo biti redke bolezni v Evropi prednostna naloga, da se bodo bolj upoštevale potrebe več milijonov državljanov, ki so žrtve napačnega diagnosticiranja ter zaradi tega ne prejemajo ustreznega zdravljenja.

Za razliko od drugih tematik na področju javnega zdravja in raziskav tu ne gre za to, da bi nadoknadili zamujeno zaradi zanemarjenja redkih bolezni, temveč je treba vzpostaviti orodja ali trajno ureditev, da se bodo posebnosti teh bolezni odslej vedno ustrezno upoštevale.

Te bolezni zaradi svoje redkosti predstavljajo izzive z znanstvenega, pa tudi ekonomskega in organizacijskega vidika, s katerimi se ni mogoče spoprijeti z običajnimi ukrepi. Zato je na tem področju potreben splošen, dosleden in trajnosten pristop, ki ga je mogoče doseči le, če ga bodo hkrati izvajali vsi zainteresirani akterji, namreč politiki, institucije, združenja pacientov, zdravstveni delavci, združenja bolnikov, negovalci, raziskovalci ter zdravstvena industrija.

Ker bolnikov ni veliko, zdravljenje zanje ni zagotovljeno na lokalni ali regionalni ravni, same bolezni pa so preveč številne, da bi se o njih izobraževali zdravstveni delavci, zaradi česar je tudi strokovno znanje redko. Ker se nobena država članica Evropske unije ne more sama boriti proti redkim boleznim, je treba dostop do informacij, diagnostiko, nego in raziskave urediti v obliki skladne in usklajene mreže metodologij ter skupnih pristopov na nacionalni in



evropski ravni, ki bi jo uporabljali vsi zainteresirani akterji. Zato je vseevropski pristop nujen za organiziran boj proti redkim boleznim ter za združenje virov in sredstev, pa tudi za njihov razvoj.

Evropski parlament in Svet ministrov sta 16. decembra 1999 sprejela Uredbo (ES) št. 141/2000 o zdravilih sirotah, ki spodbuja farmacevtsko in biotehnološko industrijo k razvoju in trženju zdravil sirot (davčne spodbude, pomoč pri protokolu, podelitev certifikata o desetletnem obdobju tržne ekskluzivnosti itd.). Evropska agencija za zdravila (EMA) je ustanovila odbor za zdravila sirote (COMP), zadolžen za pregled vlog za določitev in pomoč Komisiji pri razpravah o teh zdravilih.

Oktober 2008 je bil status zdravila sirote podeljen za 569 zdravil v Evropi, med katerimi jih je že 54 pridobilo dovoljenje za promet v Skupnosti, kar zadeva skoraj 3 milijone evropskih pacientov.

S sprejetjem evropske uredbe o zdravilih sirotah je bil vzpostavljen ugoden okvir za podjetja, ki razvijajo zdravila sirote, saj zagotavlja davčne spodbude, desetletno obdobje tržne ekskluzivnosti itd., poleg tega pa tudi močno spodbuja razvijanje zdravil sirot.

## PREDLOGI SPREMEMB

Odbor za industrijo, raziskave in energetiko poziva Odbor za industrijo, raziskave in energetiko kot pristojni odbor, da v svoje poročilo vključi naslednje predloge sprememb:

### Predlog spremembe 1

#### Predlog priporočila

#### Uvodna izjava 5

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(5) Redke bolezni zaradi svoje nizke prevalence in specifičnosti zahtevajo globalen pristop, ki temelji na prizadevanjih na posameznih področjih ter skupnih prizadevanjih za preprečitev znatne obolevnosti ali prezgodnje umrljivosti, ki se ji je mogoče izogniti, in za izboljšanje kakovosti življenja ter socialno-ekonomskih možnosti prizadetih oseb.

*Predlog spremembe*

(5) Redke bolezni zaradi svoje nizke prevalence in specifičnosti zahtevajo globalen pristop, ki temelji na prizadevanjih na posameznih področjih ter skupnih prizadevanjih, ***vključno s partnerstvi s tretjimi državami, kot so ZDA***, za preprečitev znatne obolevnosti ali prezgodnje umrljivosti, ki se ji je mogoče izogniti, in za izboljšanje kakovosti življenja ter socialno-ekonomskih možnosti prizadetih oseb ***v razvitih državah in državah v razvoju***.

## Obrazložitev

*Specifičnost redkih bolezni, kot so omejeno število bolnikov in pomanjkanje ustreznega strokovnega znanja in izkušenj, pomeni, da sodelovanje z državami zunaj EU lahko prinaša koristi ne le EU, temveč tudi izmenjavi izkušenj z revnejšimi državami in državami v razvoju.*

### **Predlog spremembe 2**

#### **Predlog priporočila**

#### **Uvodna izjava 14 a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

***(14a) Farmaceutski forum je 12. oktobra 2008 sprejel končno poročilo, v katerem predlaga smernice, da bi lahko države članice, zainteresirane strani in Komisija okrepile svoja prizadevanja za zagotovitev lažjega in hitrejšega dostopa do zdravil sirot v Evropski uniji.***

## Obrazložitev

*Države članice so se ob upoštevanju sklepov farmacevtskega foruma politično zavzele, da bodo odpravile težave pri dostopanju do zdravil sirot prek postopka odobritve Skupnosti. V predlogu priporočila morajo biti konkretno opredeljene smernice iz končnega poročila farmacevtskega foruma.*

### **Predlog spremembe 3**

#### **Predlog priporočila**

#### **Priporočila državam članicam – odstavek 1 – točka 1**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

(1) do konca leta **2011** oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni;

(1) do konca leta **2010** oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni;

## Obrazložitev

*Pomembno je, da države članice do konca leta 2010 oblikujejo in sprejmejo celovito strategijo, katere cilj je usmerjanje in oblikovanje vseh ustreznih ukrepov na področju redkih*

*bolezni v obliki nacionalnega načrta za redke bolezni.*

#### **Predlog spremembe 4**

##### **Predlog priporočila**

##### **Priporočila državam članicam – odstavek 1 – točka 3**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(3) v okviru nacionalnega načrta za redke bolezni določijo omejeno število prednostnih ukrepov s konkretnimi cilji, jasno določenimi roki, strukturami za upravljanje in rednim poročanjem;

*Predlog spremembe*

(3) v okviru nacionalnega načrta za redke bolezni določijo omejeno število prednostnih ukrepov s konkretnimi cilji, jasno določenimi roki, **obsežnim in ustrezno določenim financiranjem**, strukturami za upravljanje in rednim poročanjem;

#### **Predlog spremembe 5**

##### **Predlog priporočila**

##### **Priporočila državam članicam – odstavek 1 – točka 5 a (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

***(5a) v nacionalnih načrtih predvidijo izjemne ukrepe za zagotavljanje zdravil brez dovoljenja za trženje, ko se pojavi resnična potreba za javno zdravje. Če v državi članici ni drugih možnosti ustreznega in razpoložljivega zdravljenja, ocena iz poročila o koristih/tveganjih pa je predvidoma pozitivna, se bolnikom z redkimi boleznimi omogoči dostop do teh zdravil.***

##### *Obrazložitev*

*V nacionalnih načrtih je treba predvideti tudi možnost za zagotovitev in povračilo stroškov začasnega dostopa do zdravljenj ali zdravil, ki so v postopku pridobitve dovoljenja za trženje ali tega dovoljenja niso prejela, v zelo posebnih primerih, ko bi lahko koristila bolnikom z redkimi boleznimi. To omogoča postopek za odobritev začasne uporabe.*

## Predlog spremembe 6

### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 2 – točka 4

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(4) na nacionalni in regionalni ravni podpirajo posebne informacijske mreže, registre in zbirke podatkov o boleznih.

*Predlog spremembe*

(4) na **ravni Skupnosti** ter nacionalni in regionalni ravni podpirajo posebne informacijske mreže, registre in zbirke podatkov o boleznih, **zlasti s finančnimi sredstvi**.

## Predlog spremembe 7

### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 3 – točka 3 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(3a) vzpostavijo ustrezen mehanizem dolgoročnega financiranja, na primer prek javno-zasebnih partnerstev, za podpiranje raziskav na nacionalni in evropski ravni, da se zagotovi njihova trajnost;**

## Predlog spremembe 8

### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 3 – točka 3 b (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

**(3b) spodbujajo izmenjavo znanja ter sodelovanje med raziskovalci, laboratoriji in raziskovalnimi projekti v Evropski uniji ter podobnimi ustanovami v tretjih državah, da bodo imele poleg EU splošne koristi tudi revnejše države in države v razvoju, ki so v slabšem položaju glede zagotavljanja sredstev za raziskave redkih bolezni;**

## Obrazložitev

*Specifičnost redkih bolezni, kot so omejeno število bolnikov in pomanjkanje ustreznega strokovnega znanja in izkušenj, pomeni, da sodelovanje z državami zunaj EU lahko prinaša koristi ne le EU, temveč tudi izmenjavi izkušenj z revnejšimi državami in državami v razvoju.*

### Predlog spremembe 9

#### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 4 – točka 3

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(3) organizirajo poti zdravstvene oskrbe za bolnike z vzpostavitvijo sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine; kadar je to potrebno za zagotovitev univerzalnega dostopa do posebne zdravstvene oskrbe, podpirajo čezmejno zdravstveno varstvo, vključno z mobilnostjo bolnikov, zdravstvenih delavcev in izvajalcev storitev ter zagotavljanje storitev prek informacijskih in komunikacijskih tehnologij;

*Predlog spremembe*

(3) organizirajo **evropske** poti zdravstvene oskrbe za bolnike **z redkimi boleznimi**, z vzpostavitvijo sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine; kadar je to potrebno za zagotovitev univerzalnega dostopa do posebne zdravstvene oskrbe, podpirajo čezmejno zdravstveno varstvo, vključno z mobilnostjo bolnikov, zdravstvenih delavcev in izvajalcev storitev ter zagotavljanje storitev prek informacijskih in komunikacijskih tehnologij;

## Obrazložitev

*Organizirati je treba poti zdravstvene oskrbe za bolnike z redkimi boleznimi, in sicer prek sodelovanja z ustreznimi strokovnjaki v državi ali po potrebi iz tujine.*

### Predlog spremembe 10

#### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 4 – točka 5

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(5) zagotovijo, da nacionalni in regionalni strokovni centri upoštevajo standarde, ki so jih opredelile evropske referenčne mreže za redke bolezni, ter pri tem upoštevajo potrebe in pričakovanja bolnikov in strokovnjakov.

*Predlog spremembe*

(5) zagotovijo, da nacionalni in regionalni strokovni centri upoštevajo standarde, ki so jih opredelile evropske referenčne mreže za redke bolezni, ter pri tem upoštevajo potrebe in pričakovanja bolnikov in strokovnjakov **ter bolnike vključijo v dejavnosti, upravljanje in ocenjevanje centrov.**

## Predlog spremembe 11

### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 5 – točka 1 – točka c

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

(c) porazdelitve priprave poročil o oceni **terapevtske** dodane vrednosti zdravil sirot na ravni EU med države članice, da skrajšajo roki dostopa do zdravil sirot za bolnike z redkimi boleznimi;

*Predlog spremembe*

(c) porazdelitve priprave poročil o oceni **klinične** dodane vrednosti zdravil sirot na ravni EU med države članice **v okviru Evropske agencije za zdravila, ki združuje evropsko znanje na tem področju**, da se skrajšajo roki dostopa do zdravil sirot za bolnike z redkimi boleznimi;

*Obrazložitev*

*Evropska agencija za zdravila je najustreznejša platforma za zmanjšanje čakalnih rokov in centraliziranje poročil o oceni.*

## Predlog spremembe 12

### Predlog priporočila

#### Priporočila državam članicam – odstavek 6 – točka 2 a (novo)

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

**(2a) bolnikom omogočijo lažji dostop do informacij na evropski ravni o zdravilih, zdravljenju ali centrih za zdravljenje v državah članicah ali tretjih državah, ki nudijo medicinsko oskrbo, posebej prilagojeno njihovi bolezni;**

*Predlog spremembe*

*Obrazložitev*

*Bolnikom je treba omogočiti lažji dostop do informacij na evropski ravni o zdravilih, zdravljenju ali centrih za zdravljenje v državah članicah ali tretjih državah, ki nudijo medicinsko oskrbo, posebej prilagojeno njihovi bolezni.*

## **Predlog spremembe 13**

### **Predlog priporočila Priporočila Komisiji – odstavek -1 (novo)**

*Besedilo, ki ga predlaga Komisija*

*Predlog spremembe*

*(-1) trajnostno podpre „Orphanet“, evropsko spletno stran, na kateri bodo na enem mestu združene informacije o:*

- (a) obstoju posebnih raziskav o redkih boleznih, njihovih rezultatih in dosegljivosti za bolnike,*
- (b) zdravilih, ki so na voljo za posamezne redke bolezni,*
- (c) zdravljenju, ki ga posamezna država članica ponuja za posamezno redko bolezen,*
- (d) specialističnih zdravstvenih centrih v državah članicah ali tretjih državah za posamezno redko bolezen.*

## POSTOPEK

<b>Naslov</b>	Evropsko ukrepanje na področju redkih bolezni
<b>Referenčni dokumenti</b>	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
<b>Pristojni odbor</b>	ENVI
<b>Mnenje pripravil</b> Datum razglasitve na zasedanju	ITRE 4.12.2008
<b>Pripravljavec/-ka mnenja</b> Datum imenovanja	Françoise Grossetête 2.12.2008
<b>Obravnava v odboru</b>	11.2.2009
<b>Datum sprejetja</b>	9.3.2009
<b>Izid končnega glasovanja</b>	+: 43 –: 0 0: 0
<b>Poslanci, navzoči pri končnem glasovanju</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>Namestniki, navzoči pri končnem glasovanju</b>	Alexander Alvaro, Pilar Ayuso, Ivo Belet, Françoise Grossetête, Marie-Noëlle Lienemann, Erika Mann, Vittorio Prodi, Esko Seppänen, Vladimir Urutchev, Lambert van Nistelrooij
<b>Namestniki (člen 178(2)), navzoči pri končnem glasovanju</b>	Elisabetta Gardini, Ulrike Rodust



## POSTOPEK

<b>Naslov</b>	Evropsko ukrepanje na področju redkih bolezni
<b>Referenčni dokumenti</b>	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
<b>Datum posvetovanja z EP</b>	13.11.2008
<b>Pristojni odbor</b> Datum razglasitve na zasedanju	ENVI 4.12.2008
<b>Odbori, zaprošeni za mnenje</b> Datum razglasitve na zasedanju	ITRE 4.12.2008
<b>Poročevalec/-ka</b> Datum imenovanja	Antonios Trakatellis 4.12.2008
<b>Obravnavava v odboru</b>	10.2.2009
<b>Datum sprejetja</b>	31.3.2009
<b>Izid končnega glasovanja</b>	+: 42 -: 7 0: 0
<b>Poslanci, navzoči pri končnem glasovanju</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>Namestniki, navzoči pri končnem glasovanju</b>	Nicodim Bulzesc, Christofer Fjellner, Milan Gaľa, Johannes Lebech, Miroslav Mikolášik, Hartmut Nassauer, Alojz Peterle, Bart Staes, Robert Sturdy
<b>Namestniki (člen 178(2)), navzoči pri končnem glasovanju</b>	Søren Bo Søndergaard
<b>Datum predložitve</b>	3.4.2009