

ЕВРОПЕЙСКИ ПАРЛАМЕНТ

2004



2009

Комисия по промишленост, изследвания и енергетика

2008/0218(CNS)

10.3.2009

СТАНОВИЩЕ

на комисията по промишленост, изследвания и енергетика

на вниманието на комисията по околна среда, обществено здраве и
безопасност на храните

относно предложението за препоръка на Съвета за европейски действия в
областта на редките заболявания
(COM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS))

Докладчик по становище: Françoise Grossetête

PA_Legam

КРАТКА ОБОСНОВКА

Редките заболявания засягат близо 30 милиона европейци. Всяка една от тези болести касае едва ограничен брой хора, понякога по-малко от десет души в национален мащаб. Средната цифра е 1 човек на 2000 души. До този момент са установени над 7000 редки заболявания, като всяка седмица 2 нови болести биват описвани в медицинската литература. 80% от редките болести имат генетичен произход, а 65% от тях засягат децата.

Следователно, е необходимо редките заболявания да се превърнат в приоритет на европейско равнище с цел по-добро отчитане на нуждите на няколко милиона граждани, които страдат от липсата на точна диагноза и не следват никакво лечение за тяхната болест.

За разлика от други теми, свързани с общественото здравеопазване, тук залогът се състои в това не само да се навакса изоставането по въпрос, който е бил пренебрегван, но и да се създадат средства и постоянни механизми, позволяващи да се вземат предвид особеностите на тези болести в дълготраен аспект.

Редкият характер на заболяванията поражда специфични предизвикателства, както от научна, така и от икономическа и организационна гледна точка, като те не могат да бъдат преодолені със средствата, използвани обичайно. Ето защо е необходим глобален, последователен и устойчив подход. Той би могъл да се приложи единствено чрез едновременното мобилизиране на съвкупността от засегнати страни: представители на политическата и институционалната сфера, сдружения на пациенти, здравни специалисти, сдружения на болни, лекуващ персонал, изследователи, представители на промишлеността.

Болните са прекалено малобройни, за да съставляват залог на местно или регионално равнище, а болестите са прекалено многобройни, за да бъдат включени в курса на обучение на здравните специалисти, като рядко се извършват експертизи. Тъй като нито една държава-членка на Европейския съюз не е в състояние да води сама борба срещу редките болести, достъпът до информация, диагностициране и грижи, както и научноизследователската дейност трябва наложително да подлежат на организация на мрежов принцип, която да бъде последователна, координирана и ясна за всички засегнати страни, както и на съвместни методологии и подходи на национално и европейско равнище. Следователно този етап е необходим за организацията на борбата, обединяването на ресурсите и средствата, както и за тяхното развитие.

На 16 декември 1999 г. Европейският парламент и Съветът на министрите приеха Регламент (ЕО) № 141/2000 за лекарствата сираци. Този регламент насърчава фармацевтичната и биотехнологичната промишленост да разработят и пуснат на пазара лекарства сираци (данъчни стимули, съдействие при изготвянето на протоколи, изключителност за срок от 10 години и др.). В рамките на Европейската агенция по лекарствата е учреден Комитет за лекарствените продукти сираци, който отговаря за разглеждането на заявленията за обозначение и предоставянето на съдействие на Комисията относно разискванията, свързани с лекарствените продукти сираци.

През октомври 2008 г. 569 лекарствени продукта в Европа получиха обозначението „лекарствен продукт сирак“. Сред тях 54 вече са получили общностното разрешително за пускане на пазара, като това касае живота на почти 3 милиона пациенти в Европа.

Приемането на европейския регламент относно лекарствата сираци позволи да се създаде благоприятна рамка за предприятията, които се посвещават на разработването на лекарствени продукти сираци, чрез данъчни стимули, търговска изключителност и др. Той даде тласък за разработването на лекарствени продукти сираци.

При нормални пазарни условия фармацевтичната промишленост не е особено заинтересована от разработването на лекарствени продукти сираци. Някои заболявания са до такава степен редки, че разходите за разработване и пускане на пазара на съответното лекарство няма никога да бъдат амортизирани.

Многобройни са примерите за постиженията, достигнати във връзка с редки заболявания, които до голяма степен са от полза и за по-често срещаните заболявания. Терапевтичните насоки се разрастват: генни и клетъчни терапии, нови молекули, лечения „по мярка“ и др. Новаторските терапии, разработени за редките заболявания, предвещават медицината на бъдещето - медицина, която ще бъде все по-индивидуализирана.

От икономическа гледна точка, рязкото увеличаване на възможностите за разработки в клинични условия в областта на редките болести отваря нови перспективи. В това отношение средствата за изследване на всички възможности следва също така да бъдат координирани на европейско равнище. Взети поотделно, тези заболявания не представляват рентабилен пазар. Въпреки европейските мерки за поощряване разработването на лекарствени продукти сираци и дори в още по-голяма степен, отколкото по отношение на честите заболявания, фармацевтичната промишленост никак не е склонна да поеме рискове в началните етапи на разработване на тези лечения (от доклиничния етап до етап II).

За представителите на промишлеността, съотношението между финансовия риск и перспективите за рентабилност предвид разработването на дадено ново лечение представлява интерес едва на по-късен етап от неговата разработка. Между доказването на идеята и инвестирането на значителни частни средства, преди да се достигне до получаването на разрешително за пускане на пазара, редките заболявания преминават през своеобразна „долина на смъртта“, която е много по-дълга, отколкото за често срещаните заболявания, които предоставят далеч по-висок потенциал за пазара.

Следователно е необходимо, от една страна, да се изградят подходящи инструменти за разработка, да се оптимизира цикълът на разработване на лечения, за да се сведат до минимум разходите, а от друга страна, да се създадат нови инструменти за разделяне на рисковете между частните и публичните фондове, чрез които да се финансират тези етапи. На европейско равнище изграждането на мрежи и установяването на по-тясно сътрудничество се явяват без никакво съмнение мощно средство за постигането на тази цел. Ако не се предприемат бързи мерки, съществува голям риск някои лечения да останат неразработени, като единствените, които ще бъдат на разположение на пазара,

дойдат отвъд океана и се предлагат на недостъпни цени.

Предложението за препоръка на Съвета за европейски действия в областта на редките заболявания играе особено важна роля за изработването и приемането на национални стратегии и планове за редките заболявания. Те трябва да бъдат с еднакъв обхват във всички държави-членки, както и да бъдат координирани между различните държави, като се вписват по последователен и ефикасен начин в рамките на общностните политики.

ИЗМЕНЕНИЯ

Комисията по промишленост, изследвания и енергетика приканва водещата комисия по околна среда, обществено здраве и безопасност на храните да включи в доклада си следните изменения:

Изменение 1

Предложение за препоръка Съображение 5

Текст, предложен от Комисията

(5) Поради своята слаба разпространеност и специфика редките заболявания изискват глобален подход, основаващ се на специални и комбинирани усилия с оглед предотвратяването на значителни нива на заболяемост или ранна смъртност, която може да бъде избегната, както и подобряването на качеството на живот и на социално-икономическия потенциал на засегнатите лица.

Изменение

(5) Поради своята слаба разпространеност и специфика редките заболявания изискват глобален подход, основаващ се на специални и комбинирани усилия, **включително в партньорство с трети страни, като например Съединените щати**, с оглед предотвратяването на значителни нива на заболяемост или ранна смъртност, която може да бъде избегната, както и подобряването на качеството на живот и на социално-икономическия потенциал на засегнатите лица **в развитите и развиващите се страни**.

Обосновка

Спецификата на редките заболявания - ограничен брой пациенти и недостатъчни познания и експертен опит, означава, че сътрудничеството със страни извън ЕС може да бъде от полза не само за ЕС, но също така и по отношение на съвместното използване на познания с по-бедните и развиващите се страни.

Изменение 2

Предложение за препоръка Съображение 14 а (ново)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(14а) На 12 октомври 2008 г. фармацевтичният форум прие своя окончателен доклад, в който се предлагат ръководни насоки, за да могат държавите-членки, заинтересованите страни и Комисията да повишат своите усилия с цел гарантиране на улеснен и по-бърз достъп до лекарства сираци в рамките на Европейския съюз.

Обосновка

В рамките на заключенията на фармацевтичния форум държавите-членки поеха политически ангажимент за премахване на пречките за достъп до лекарства сираци чрез общностната процедура за одобрение. Предложението за препоръка трябва да отразява по конкретен начин ръководните насоки, определени в окончателния доклад на фармацевтичния форум.

Изменение 3

Предложение за препоръка Препоръки към държавите-членки - параграф 1 - точка 1

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(1) да изработят и приемат до края на **2011 г.** изчерпателна и интегрирана стратегия, която има за цел насочването и структурирането на всички съответни действия в областта на редките заболявания под формата на национални планове за редките заболявания;

(1) да изработят и приемат до края на **2010 г.** изчерпателна и интегрирана стратегия, която има за цел насочването и структурирането на всички съответни действия в областта на редките заболявания под формата на национални планове за редките заболявания;

Обосновка

От значение е държавите-членки да изработят и приемат до края на 2010 г. изчерпателна и интегрирана стратегия, която има за цел насочването и структурирането на всички съответни действия в областта на редките заболявания под формата на национални планове за редките заболявания;

Изменение 4

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 1 - точка 3

Текст, предложен от Комисията

(3) да определят ограничен брой приоритетни действия в рамките на националния план за редките заболявания, с конкретни цели, ясни срокове, управленски структури и периодични доклади;

Изменение

(3) да определят ограничен брой приоритетни действия в рамките на националния план за редките заболявания, с конкретни цели, **ясни срокове, значителни и конкретно набелязани финансираня**, управленски структури и периодични доклади;

Изменение 5

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 1 - точка 5 а (нова)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(5а) да предвидят в националните планове извънредни мерки за предоставяне на лекарствени продукти, за които няма разрешително за пускане на пазара, когато е налице реална потребност, свързана с общественото здравеопазване. При липсата на подходяща терапевтична алтернатива, която да е на разположение в дадена държава-членка, и когато съотношението между ползата и риска се приема за положително, достъпът до лекарствени продукти се предоставя на пациенти, страдащи от редки заболявания.

Обосновка

Националните планове трябва също така да предвидят възможността за

предоставяне на временен достъп и възстановяване на разходите за лечения или лекарства, които са в процес на получаване на разрешително за пускане на пазара или за които няма разрешително за пускане на пазара, при много специфични случаи, при които тяхното ползване би могло да има благотворно въздействие за пациентите, страдащи от рядко заболяване. Тази възможност съществува чрез процедурата за временно разрешително за ползване.

Изменение 6

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 2 - точка 4

Текст, предложен от Комисията

(4) да оказват подкрепа на национално и регионално равнище на специфичните информационни мрежи, регистри и бази данни за заболявания.

Изменение

(4) да оказват подкрепа, **включително финансова**, на **европейско**, национално и регионално равнище на специфичните информационни мрежи, регистри и бази данни за заболявания.

Изменение 7

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 3 - точка 3 а (нова)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(3а) да въведат механизъм за съразмерно и дългосрочно финансиране, например чрез партньорства между публичния и частния сектор, с оглед подкрепа на усилията в научноизследователската област на национално и европейско равнище и гарантиране на тяхната стабилност;

Изменение 8

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 3 - точка 3 б (нова)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(3б) да поощряват съвместното

използване на познания и сътрудничеството между изследователи, лаборатории и научноизследователски проекти в Европейския съюз и подобни институции в трети страни, с цел извличане на общи ползи не само за Европейския съюз, но също така и за по-бедните и развиващите се страни, които разполагат с по-малко възможности, за да предоставят средства за научни изследвания в областта на редките заболявания;

Обосновка

Спецификата на редките заболявания - ограничен брой пациенти и недостатъчни познания и експертен опит, означава, че сътрудничеството със страни извън ЕС може да бъде от полза не само за ЕС, но също така и по отношение на съвместното използване на познания с по-бедните и развиващите се страни.

Изменение 9

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 4 - точка 3

Текст, предложен от Комисията

(3) да организират здравни пътеки за пациенти посредством установяването на сътрудничество със съответните експерти в рамките на държавата или при необходимост в чужбина; при необходимост следва да бъде подкрепяно трансграничното здравеопазване, включително мобилност на пациентите, здравните специалисти и доставчици, както и предоставянето на услуги чрез информация и комуникационни технологии следва, за да се гарантира всеобщ достъп до необходимите специфични здравни грижи;

Изменение

(3) да организират **европейски** здравни пътеки за **пациентите, които страдат от редки заболявания**, посредством установяването на сътрудничество със съответните експерти в рамките на държавата или при необходимост в чужбина; при необходимост следва да бъде подкрепяно трансграничното здравеопазване, включително мобилност на пациентите, здравните специалисти и доставчици, както и предоставянето на услуги чрез информация и комуникационни технологии следва, за да се гарантира всеобщ достъп до необходимите специфични здравни грижи;

Обосновка

От значение е да се организират европейски здравни пътеки за пациентите, които страдат от редки заболявания, посредством установяването на сътрудничество със съответните експерти в рамките на държавата или при необходимост в чужбина.

Изменение 10

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 4 - точка 5

Текст, предложен от Комисията

(5) да гарантират, че националните и регионалните експертни центрове се придържат към стандартите, определени от европейските референтни мрежи за редки заболявания, като се отдава дължимото внимание на нуждите и очакванията на пациентите и специалистите.

Изменение

(5) да гарантират, че националните и регионалните експертни центрове се придържат към стандартите, определени от европейските референтни мрежи за редки заболявания, като се отдава дължимото внимание на нуждите и очакванията на пациентите и специалистите **и чрез участието на пациентите в дейностите, управлението и оценката на централите.**

Изменение 11

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 5 - точка 1 - буква в (нова)

Текст, предложен от Комисията

в) практика на съвместно използване на докладите за оценка от държавите-членки на **терапевтичната** добавена стойност на лекарствата сираци, с цел да се сведе до минимум забавянето на достъпа на пациенти с рядко заболяване до лекарства сираци;

Изменение

в) практика на съвместно използване на докладите за оценка от държавите-членки на **клиничната** добавена стойност на лекарствата сираци **в рамките на Европейската агенция по лекарствата (ЕМЕА), която съсредоточава европейския експертен опит в тази област**, с цел да се сведе до минимум забавянето на достъпа на пациенти с рядко заболяване до лекарства сираци;

Обосновка

ЕМЕА се явява най-приспособената платформа с цел намаляване на времето за чакане и централизиране на докладите за оценка.

Изменение 12

Предложение за препоръка

Препоръки към държавите-членки - параграф 6 - точка 2 а (нова)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(2а) да се улесни достъпът до съществуващата информация на европейско равнище относно лекарствените продукти, леченията и центровете за лечение в държавите-членки или трети страни, които предоставят подходящи медицински грижи за техните заболявания.

Обосновка

От значение е да се улесни достъпът до съществуващата информация на европейско равнище относно лекарствените продукти, леченията и центровете за лечение в държавите-членки или трети страни, които предоставят подходящи медицински грижи за техните заболявания.

Изменение 13

Предложение за препоръка

Препоръки към Комисията - параграф -1 (нов)

Текст, предложен от Комисията

Изменение

(-1) Да подкрепя по устойчив начин „Orphanet“, европейският уебсайт за „обслужване на едно гише“, който предоставя следната информация:

а) наличие на специфични научни изследвания относно редките заболявания, откритията в рамките на тях и достъпността им за пациентите,

б) лекарствени продукти, които са на

*разположение за всяко рядко
заболяване,
в) съществуващо лечение във всяка
държава-членка за всяко рядко
заболяване,
г) съществуващи специализирани
медицински центрове в държавите-
членки или трети страни за всяко
рядко заболяване.*

ПРОЦЕДУРА

Заглавие	Европейски действия в областта на редките заболявания
Позовавания	COM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
Водеща комисия	ENVI
Становище, изказано от Дата на обявяване в заседание	ITRE 4.12.2008
Докладчик по становище Дата на назначаване	Françoise Grossetête 2.12.2008
Разглеждане в комисия	11.2.2009
Дата на приемане	9.3.2009
Резултат от окончателното гласуване	+ : 43 - : 0 0 : 0
Членове, присъствали на окончателното гласуване	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
Заместник(ци), присъствал(и) на окончателното гласуване	Alexander Alvaro, Pilar Ayuso, Ivo Belet, Françoise Grossetête, Marie-Noëlle Lienemann, Erika Mann, Vittorio Prodi, Esko Seppänen, Vladimir Urutchev, Lambert van Nistelrooij
Заместник(ци) (чл. 178, пар. 2), присъствал(и) на окончателното гласуване	Elisabetta Gardini, Ulrike Rodust