

# EUROOPA PARLAMENT

2004



2009

---

*Tööstuse, teadusuuringute ja energeetikakomisjon*

**2008/0218(COD)**

10.3.2009

## **ARVAMUS**

Esitaja: tööstuse, teadusuuringute ja energeetikakomisjon

Saaja: keskkonna-, rahvatervise- ja toiduohutuse komisjon

Ettepanek võtta vastu nõukogu soovitus Euroopa tegevuse kohta haruldaste haiguste valdkonnas  
(KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(COD))

Arvamuse koostaja: Françoise Grossetête

PA\_Legam

## LÜHISELGITUS

Haruldasi haigusi esineb ligikaudu 30 miljonil eurooplasel. Iga selline haigus puudutab üksnes vähesel arvul inimesi, keda on mõnikord ühes riigis alla kümne. Keskmiselt tabab haruldane haigus ühte inimest 2000-st. Praeguseks on teada üle 7000 haruldase haiguse ning igal nädalal kirjeldatakse meditsiinikirjanduses kahte uut haigust. 80% haruldastest haigustest on geneetilist päritolu, 65% haruldastest haigustest on lastehaigused.

Haruldased haigused peavad seega tingimata muutuma Euroopa tasandil prioriteediks, et arvestada paremini nende mitme miljoni kodaniku vajadustega, kes kannatavad ekslike diagnooside tõttu ega saa oma haigusest paranemiseks mingisugust ravi.

Vastupidiselt teistele rahvatervise või teadusuuringute küsimustele, ei tule siin lihtsalt tasa teha mahajäämus mõnes tähelepanuta jäänud küsimuses, vaid töötada välja alalised vahendid või sätted, mis võimaldavad kõnealuste haiguste eripärasid pidevalt arvesse võtta.

Haiguste haruldus loob erilisi väljakutseid nii teaduslikust kui ka majanduslikust ja korralduslikust seisukohast ning neile väljakutsetele ei saa vastata tavapäraselt rakendatavate vahenditega. Seega on vaja üldist, ühtset ja jätkusuutlikku lähenemisviisi. Selle rakendamine on võimalik üksnes kaasates samaaegselt kõiki sidusrühmi: poliitilisi ja institutsioonilisi osalisi, patsiendiorganisatsioone, tervishoiutöötajaid, haigete ühendusi, hooldustöötajaid, teadlasi, tööstureid.

Haigeid on liiga vähe selleks, et lahendada nendega seotud küsimusi kohalikul või piirkondlikul tasandil, ja haiguseid on liiga palju selleks, et anda vastavat koolitust tervishoiutöötajatele – ekspertteadmisi esineb harva. Kuna ükski Euroopa Liidu liikmesriik ei ole võimeline üksinda haruldaste haiguste vastu võitlema, peavad juurdepääs teabele, diagnoosile, ravile ja teadusuuringud kindlasti kuuluma ühtsesse, koordineeritud ja kõikidele osalistele arusaadavasse võrgustikku, mis sisaldab siseriiklikul ja Euroopa tasandil jagatud meetodikaid ja lähenemisviise. Kõnealuste haiguste vastu võitlemiseks, ressursside ja vahendite ühiseks kasutamiseks ja arendamiseks on seega tingimata vajalik tegutseda Euroopa tasandil.

Euroopa Parlament ja nõukogu võtsid 16. detsembril 1999 vastu määruse (EÜ) nr 141/2000 harva kasutatavate ravimite kohta. Nimetatud määrusega õhutatakse farmaatsia- ja biotehnoloogiatööstust harva kasutatavaid ravimeid arendama ja turule viima (maksusoodustused, abi ravimi väljatöötamiseks, 10 aasta pikkune ainuõigus jne). Euroopa Ravimihindamisameti juurde loodi harva kasutatavate ravimite komitee, kelle ülesanne on vaadata läbi ravimi harva kasutatavaks ravimiks nimetamise taotlused ja aidata komisjoni harva kasutatavaid ravimeid käsitlevatel aruteludel.

2008. aasta oktoobris oli Euroopas harva kasutatava ravimi nimetuse saanud 569 ravimit. Nimetatud ravimite hulgast on 54 saanud juba loa ühenduse turule viimiseks ja neid kasutab peaaegu 3 miljonit Euroopa patsienti.

Harva kasutatavaid ravimeid käsitleva Euroopa määruse vastuvõtmine võimaldas luua soodsa raamistiku harva kasutatavaid ravimeid arendavatele ettevõtetele, pakkudes neile

maksusoodustusi, ainuõiguse turul jne. Määrusel oli harva kasutatavate ravimite väljatöötamisele võimendav mõju.

Harva kasutatav ravim on ravim, mida farmaatsiatööstus ei sooviks tavalistes turutingimustes arendada. Mõnda haigust tuleb ette nii harva, et ravimi arendamise ja turuleviimise kulud jäävad korvamata.

Mitmeid näiteid võib tuua haruldaste haiguste puhul tehtud saavutustest, millest on praegu ja ka edaspidi palju kasu sagedamini esinevate haiguste korral. Ravivõimalusi on järjest rohkem: geeni- ja rakuravi, uued molekulid, individile kohandatud ravi... Haruldaste haiguste jaoks loodud innovaatilised ravimeetodid annavad ettekujutuse järgmise põlvkonna meditsiinist, mis on järjest rohkem isikupärastatud.

Kliinilise arenduse võimaluste plahvatuslik kasvamine haruldaste haiguste valdkonnas avab majanduslikust seisukohast uusi perspektiive. Ka selles küsimuses tuleb vahendeid kõikide võimaluste uurimiseks kooskõlastada Euroopa tasandil. Eraldi võetuna ei ole need haigused farmaatsiatööstusele tulutoovad. Harva kasutatavate ravimite arendamist soodustavatest Euroopa meetmetest hoolimata näitab farmaatsiatööstus – veelgi rohkem kui sagedaste haiguste puhul – üles äärmist ettevaatlikkust riski võtmisel oma ravimite arendamise algfaasides (prekliinilisest kuni II faasini).

Töösturite jaoks muutub finantsriski ja uue ravimi väljatöötamise tasuvuse perspektiivi suhe huvipakkuvaks alles uute ravimite arendamise protsessi lõpupoole. Haruldased haigused peavad enne ravimi turuleviimise loa saamist läbima kontseptsiooni tõestamise ja erafondide suurte investeringute vahel nn surnud perioodi, mis on palju pikem kui tunduvalt suurema turupotentsiaaliga sagedaste haiguste puhul.

Seega on ühelt poolt vaja välja töötada kohandatud arendusvahendeid, optimeerida ravimite arendamise tsüklit, et vähendada selle kulusid, ja teiselt poolt luua nimetatud faaside rahastamiseks uusi vahendeid, mis jagavad riski era- ja riiklike fondide vahel. Euroopa tasandil on selle saavutamiseks kahtlemata võimas moodus võrgustike arendamine ja koostöö suurendamine. Kui meetmeid ei võeta kiiresti, võib suure tõenäosusega juhtuda, et teatavad ravimid jäävad välja töötamata ja ainsad turustatavad ravimid on pärit teiselt poolt Atlandi ookeani ja ülikõrge hinnaga.

Ettepanekul, mis käsitleb nõukogu soovitusel Euroopa tegevuse kohta haruldaste haiguste valdkonnas, on erilisel tähtis roll haruldasi haigusi käsitlevate siseriiklike strateegiate ja kavade väljatöötamise ja vastuvõtmise seisukohast. Strateegiad ja kavad peaksid olema kõikides liikmesriikides sama ulatusega ning neid tuleks eri riikide vahel kooskõlastada ühenduse poliitika ühtse ja tõhusa liigenduse abil.

## **MUUDATUSETTEPANEKUD**

Tööstuse, teadusuuringute ja energeetikakomisjon kutsub vastutavat keskkonna-, rahvatervise- ja toiduohutuse komisjoni üles lisama oma raportisse järgmised

muudatusettepanekud:

## Muudatusettepanek 1

### Ettepanek võtta vastu soovitus Põhjendus 5

#### *Komisjoni ettepanek*

(5) Vähese levimuse ja keerukuse tõttu on haruldaste haiguste puhul vaja konkreetsetel ja ühendatud jõupingutustel põhinevat üldist lähenemisviisi, et ennetada märkimisväärset haigestumust või välditavat enneaegset suremust ning parandada haigestunud isikute elukvaliteeti ja sotsiaal-majanduslikke väljavaateid.

#### *Muudatusettepanek*

(5) Vähese levimuse ja keerukuse tõttu on haruldaste haiguste puhul vaja konkreetsetel ja ühendatud jõupingutustel – **sealhulgas koostööl kolmandate riikidega, näiteks USAga** – põhinevat üldist lähenemisviisi, et ennetada märkimisväärset haigestumust või välditavat enneaegset suremust ning parandada haigestunud isikute elukvaliteeti ja sotsiaal-majanduslikke väljavaateid **arenenud riikides ja arenguriikides.**

#### *Selgitus*

*Haruldaste haiguste eripära – väike arv patsiente ja asjakohaste teadmiste ning kogemuste haruldus – tähendab, et kootöö ELi-väliste riikidega võiks olla kasulik, mitte ainult ELile, vaid ka teadmiste jagamiseks vaesemate ja arenguriikidega.*

## Muudatusettepanek 2

### Ettepanek võtta vastu soovitus Põhjendus 14 a (uus)

#### *Komisjoni ettepanek*

#### *Muudatusettepanek*

**(14 a) Farmaatsiafoorum võttis 12. oktoobril 2008 vastu lõpliku aruande, milles esitatakse suunised selleks, et liikmesriigid, sidusrühmad ja komisjon võiksid tõhustada jõupingutusi harva kasutatavatele ravimitele juurdepääsu hõlbustamise ja kiirendamise tagamiseks Euroopa Liidus.**

## *Selgitus*

*Farmaatsiafoorumi järelduste koostamisel võtsid liikmesriigid poliitilise kohustuse kaotada kitsaskohad harva kasutatavatele ravimitele juurdepääsul ühenduse heakskiitmismenethluse kaudu. Ettepanek võtta vastu soovitus peab kajastama konkreetselt farmaatsiafoorumi lõplikus aruandes kindlaksmääratud suuniseid.*

### **Muudatusettepanek 3**

#### **Ettepanek võtta vastu soovitus**

#### **Soovitused liikmesriikidele – punkt 1 – alapunkt 1**

##### *Komisjoni ettepanek*

(1) töötada välja ja võtta **2011. aasta** lõpuks haruldaste haiguste riikliku kava vormis vastu terviklik strateegia, mille eesmärk on haruldaste haiguste valdkonnas asjakohase tegevuse juhtimine ja struktureerimine;

##### *Muudatusettepanek*

1) töötada välja ja võtta **2010. aasta** lõpuks haruldaste haiguste riikliku kava vormis vastu terviklik strateegia, mille eesmärk on haruldaste haiguste valdkonnas asjakohase tegevuse juhtimine ja struktureerimine;

## *Selgitus*

*On oluline, et liikmesriigid töötaksid välja ja võtaksid 2010. aasta lõpuks haruldaste haiguste riikliku kava vormis vastu tervikliku strateegia, mille eesmärk on haruldaste haiguste valdkonnas asjakohase tegevuse juhtimine ja struktureerimine.*

### **Muudatusettepanek 4**

#### **Ettepanek võtta vastu soovitus**

#### **Soovitused liikmesriikidele – punkt 1 – alapunkt 3**

##### *Komisjoni ettepanek*

(3) määratleda haruldaste haiguste riiklikus kavas piiratud arv eelismetmeid, määrata kindlaks nende konkreetsed eesmärgid, selged tähtajad, juhtimisstruktuurid ja korrapäraste aruannete esitamine;

##### *Muudatusettepanek*

3) määratleda haruldaste haiguste riiklikus kavas piiratud arv eelismetmeid, määrata kindlaks nende konkreetsed eesmärgid, selged tähtajad, **arvestatav ja täpselt määratletud rahastamine**, juhtimisstruktuurid ja korrapäraste aruannete esitamine;

## Muudatusettepanek 5

### Ettepanek võtta vastu soovitus

#### Soovitused liikmesriikidele – punkt 1 – alapunkt 5 a (uus)

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

**5 a) näha riiklikes kavades ette erakorralised meetmed turuleviimise loata ravimite kättesaadavaks tegemiseks, kui selleks on olemas tõeline rahvatervisega seotud vajadus. Kui liikmesriigis ei ole asjakohane alternatiivne ravi kättesaadav ning kui kasu ja riski suhet peetakse positiivseks, antakse haruldast haigust põdevatele patsientidele juurdepääs ravimitele.**

*Selgitus*

*Riiklikes kavades tuleb samuti näha ette, et väga erakorralistel juhtudel, mil nimetatud ravist või ravimitest võiks olla kasu haruldast haigust põdevatele patsientidele, oleks võimalik anda ja hüvitada juurdepääsu ravile või ravimitele, mille turuleviimiseks luba alles taotletakse või millel ei ole turuleviimise luba. See on võimalik ajutise kasutusloa andmise kaudu.*

## Muudatusettepanek 6

### Ettepanek võtta vastu soovitus

#### Soovitused liikmesriikidele – punkt 2 – alapunkt 4

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

(4) toetada riiklikul või piirkondlikul tasandil spetsiaalseid haiguste teabevõrgustikke, registreid ja andmebaase.

4) toetada **eelkõige rahaliste vahenditega Euroopa**, riiklikul või piirkondlikul tasandil spetsiaalseid haiguste teabevõrgustikke, registreid ja andmebaase.

## Muudatusettepanek 7

### Ettepanek võtta vastu soovitus

#### Soovitused liikmesriikidele – punkt 3 – alapunkt 3 a (uus)

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

**3 a) näha ette piisav ja pikaajaline rahastamine, näiteks avaliku ja erasektori**

*partnerluste kaudu, et toetada teadusuuringuid siseriiklikul ja Euroopa tasandil, eesmärgiga tagada nende jätkusuutlikkus;*

## **Muudatusettepanek 8**

**Ettepanek võtta vastu soovitus**

**Soovitused liikmesriikidele – punkt 3 – alapunkt 3 a (uus)**

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

*3 b) edendada teadmiste jagamist ja koostööd Euroopa Liidu teadlaste, laboratooriumide ja teadusuuringute projektide ning kolmandate riikide samasuguste institutsioonide vahel, et tuua ülemaailmset kasu mitte ainult Euroopa Liidule, vaid ka vaesematele ja arenguriikidele, millel on vähem võimalusi eraldada vahendeid haruldaste haiguste uurimiseks;*

*Selgitus*

*Haruldaste haiguste eripära – väike arv patsiente ja asjakohaste teadmiste ning kogemuste haruldus – tähendab, et kootöö ELi-väliste riikidega võiks olla kasulik, mitte ainult ELile, vaid ka teadmiste jagamiseks vaesemate ja arenguriikidega.*

## **Muudatusettepanek 9**

**Ettepanek võtta vastu soovitus**

**Soovitused liikmesriikidele – punkt 4 – alapunkt 3**

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

(3) luua patsientidele ravivõimalused riigi või vajadusel välisriigi asjaomaste ekspertide vahelise koostöö arendamise kaudu; toetada tuleks piiriülest tervishoidu, kaasa arvatud patsientide, tervishoiutöötajate ja tervishoiuteenuste osutajate liikuvust, ning tervishoiuteenuste osutamist info- ja kommunikatsioonitehnoloogiat kasutades, kui see on vajalik konkreetse ravi üldise

3) luua **haruldasi haigusi põdevatele** patsientidele **Euroopa** ravivõimalused riigi või vajadusel välisriigi asjaomaste ekspertide vahelise koostöö arendamise kaudu; toetada tuleks piiriülest tervishoidu, kaasa arvatud patsientide, tervishoiutöötajate ja tervishoiuteenuste osutajate liikuvust, ning tervishoiuteenuste osutamist info- ja kommunikatsioonitehnoloogiat kasutades,



kättesaadavuse tagamiseks;

kui see on vajalik konkreetse ravi üldise kättesaadavuse tagamiseks;

### *Selgitus*

*On oluline luua haruldasi haigusi põdevatele patsientidele ravivõimalused, seades sisse koostöö riigi või vajadusel välisriikide asjaomaste ekspertide vahel.*

## **Muudatusettepanek 10**

### **Ettepanek võtta vastu soovitus**

#### **Soovitused liikmesriikidele – punkt 4 – alapunkt 5**

##### *Komisjoni ettepanek*

(5) tagada, et riiklikud või piirkondlikud ekspertkeskused järgiksid Euroopa haruldaste haiguste tugikeskuste võrgustiku norme ja võtaksid täiel määral arvesse patsientide ja tervishoiutöötajate vajadusi ja ootusi.

##### *Muudatusettepanek*

5) tagada, et riiklikud ja piirkondlikud ekspertkeskused järgiksid Euroopa haruldaste haiguste tugikeskuste võrgustiku norme, võttes täiel määral arvesse patsientide ja tervishoiutöötajate vajadusi ja ootusi **ning kaasates patsiendid keskuste tegevusse, juhtimisse ja hindamisse.**

## **Muudatusettepanek 11**

### **Ettepanek võtta vastu soovitus**

#### **Soovitused liikmesriikidele – punkt 5 – alapunkt 1 – alapunkt c**

##### *Komisjoni ettepanek*

(c) jagada liikmesriikide hindamisaruandeid *haruldaste haiguste* ravimite **farmatseutilise** lisandväärtuse kohta *ELi tasandil*, et kiirendada *haruldaste haiguste* ravimite kättesaadavust haruldast haigust põdevate patsientide jaoks.

##### *Muudatusettepanek*

c) jagada **kõnealuses valdkonnas Euroopa ekspertteadmisi koondava Euroopa Raviameti raames ELi tasandil** liikmesriikide hindamisaruandeid harva kasutatavate ravimite **kliinilise** lisandväärtuse kohta, et kiirendada *harva kasutatavate* ravimite kättesaadavust haruldast haigust põdevate patsientide jaoks.

## *Selgitus*

*Euroopa Ravimiamet on ooteaegade vähendamiseks ja hindamisaruannete koondamiseks kõige kohasem platvorm.*

### **Muudatusettepanek 12**

**Ettepanek võtta vastu soovitus**

**Soovitused liikmesriikidele – punkt 6 – alapunkt 2 a (uus)**

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

***2 a) lihtsustada patsientide ligipääsu Euroopa tasandil olemasolevale teabele ravimite, ravi või ravikeskuste kohta liikmesriikides või kolmandates riikides, mis sobivad konkreetselt nende haiguse raviks;***

## *Selgitus*

*On oluline lihtsustada patsientide ligipääsu Euroopa tasandil olemasolevale teabele ravimite, ravi või ravikeskuste kohta liikmesriikides või kolmandates riikides, mis sobivad konkreetselt nende haiguse raviks.*

### **Muudatusettepanek 13**

**Ettepanek võtta vastu soovitus**

**Soovitused komisjonile – punkt -1 (uus)**

*Komisjoni ettepanek*

*Muudatusettepanek*

***-1) Toetama jätkusuutlikult Euroopa veebisaiti ja ühtset kontrollpunkti „Orphanet”, mis annab teavet järgmiste aspektide kohta:***

- a) konkreetsete teadusuuringute olemasolu haruldaste haiguste valdkonnas, nende tulemused ja tulemuste kättesaadavus patsientidele;***
- b) olemasolevad ravimid iga haruldase haiguse vastu;***
- c) igas liikmesriigis olemasolevad ravivõimalused iga haruldase haiguse jaoks;***

*d) olemasolevad erimediitsiini keskused liikmesriikides või kolmandates riikides iga haruldase haiguse jaoks.*

## MENETLUS

<b>Pealkiri</b>	Euroopa tegevus haruldaste haiguste valdkonnas
<b>Viited</b>	KOM(2008)0726 – C6-0455/2008 – 2008/0218(CNS)
<b>Vastutav komisjon</b>	ENVI
<b>Arvamuse esitaja(d)</b> istungil teada andmise kuupäev	ITRE 4.12.2008
<b>Arvamuse koostaja</b> nimetamise kuupäev	Françoise Grossetête 2.12.2008
<b>Arutamine parlamendikomisjonis</b>	11.2.2009
<b>Vastuvõtmise kuupäev</b>	9.3.2009
<b>Lõpphääletuse tulemused</b>	+: 43 –: 0 0: 0
<b>Lõpphääletuse ajal kohal olnud liikmed</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 Papanicolas, 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>Lõpphääletuse ajal kohal olnud asendusliige/asendusliikmed</b>	Alexander Alvaro, Pilar Ayuso, Ivo Belet, Françoise Grossetête, Marie-Noëlle Lienemann, Erika Mann, Vittorio Prodi, Esko Seppänen, Vladimir Urutchev, Lambert van Nistelrooij
<b>Lõpphääletuse ajal kohal olnud asendusliige/asendusliikmed (kodukorra art 178 lg 2)</b>	Elisabetta Gardini, Ulrike Rodust