



**Mitteilung der Europäischen Kommission
« Seltene Erkrankungen – eine Herausforderung
für Europa » und
Empfehlungen des Rates für eine Maßnahme
im Bereich Seltener Krankheiten**



Pläne und Strategien für Europa auf dem Gebiet der seltenen Krankheiten

- Verordnung des Europäischen Parlaments und des Rates über Arzneimittel für seltene Leiden
angenommen am 16. Dezember 1999
- Empfehlung des Rates für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten
angenommen am 8. Juni 2009
- Mitteilung der Kommission an den Rat, das Europäische Parlament, den Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschuss und den Ausschuss der Regionen « Seltene Krankheiten – eine Herausforderung für Europa »
angenommen am 11. November 2008
- EUROPLAN Ausgewählte Indikatoren zur Evaluation der Ergebnisse von Maßnahmen im Bereich seltene Krankheiten
vom 10. Januar 2010, Madrid
- EUROPLAN Entwurf: Empfehlungen für die Entwicklung von Nationalplänen zu seltenen Krankheiten (guidance document)
wird derzeit bei 15 Nationalen Konferenzen diskutiert

Seltene Erkrankungen – eine Herausforderung für Europa

- Die Europäische Union betrachtet Krankheiten als selten, wenn **nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen** (EU) davon betroffen sind.
- Schätzungsweise sind **27 bis 36 Mio. Menschen von 5000 – 8000 seltenen Krankheiten betroffen**.
- Es handelt sich um **lebensbedrohliche oder chronische Invalidität** nach sich ziehende Krankheiten mit geringer Prävalenz und **hoher Komplexität**. Darum erfordern sie einen globalen Ansatz, der sich auf spezielle und gemeinsame Anstrengungen stützt.
- Durch zu ergreifende Maßnahmen sind der Zugang zu und die Finanzierbarkeit von Prävention, Diagnose und Versorgung für Menschen mit einer seltenen Krankheit innerhalb der EU sicher zu stellen, gemäß den Grundsätzen und übergeordneten Werten der Universalität, des Zugangs zu qualitativ hochwertiger Versorgung, Gleichbehandlung und Solidarität, die der Rat in seinen Schlussfolgerungen in 2006 zu den Gesundheitssystemen der EU bekräftigt hat.



**Aufgrund der Besonderheiten seltener Krankheiten
– geringe Anzahl von Patienten sowie begrenzte
Erkenntnisse und Erfahrungswerte -
stellen sie einen Bereich dar, in dem sich
hoher europäischer Mehrwert erzielen lässt.**



Die Empfehlung des Rates

3.7.2009

DE

Amtsblatt der Europäischen Union

C 151/7

EMPFEHLUNG DES RATES

vom 8. Juni 2009

für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten

(2009/C 151/02)

DER RAT DER EUROPÄISCHEN UNION —

gestützt auf den Vertrag zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft, insbesondere auf Artikel 152 Absatz 4 Unterabsatz 2,

auf Vorschlag der Kommission,

nach Stellungnahme des Europäischen Parlaments ⁽¹⁾,

nach Stellungnahme des Europäischen Wirtschafts- und Sozialausschusses ⁽²⁾,

in Erwägung nachstehender Gründe:

(1) Seltene Krankheiten sind insofern als Gesundheitsbedro-

(4) Gemäß der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden ⁽³⁾ gilt ein Medikament als „Arzneimittel für seltene Leiden“, wenn es für die Diagnose, Verhütung oder Behandlung eines Leidens bestimmt ist, das lebensbedrohend ist oder eine chronische Invalidität nach sich zieht und von dem zum Zeitpunkt der Antragstellung in der Gemeinschaft nicht mehr als 5 von 10 000 Personen betroffen sind.

(5) Heute gibt es schätzungsweise 5 000 bis 8 000 verschiedene seltene Krankheiten, an denen 6—8 % der Bevölkerung im Laufe ihres Lebens erkranken. Dies bedeutet mit anderen Worten, dass trotz der geringen Prävalenz, die jede dieser Krankheiten für sich genommen aufweist, insgesamt 27 bis 36 Millionen Menschen in der Europäischen Union von seltenen Krankheiten betroffen sind. Die meisten von ihnen leiden an noch seltener auftretenden

Ausarbeitung und Implementierung von Nationalen Plänen oder Strategien bis spätestens Ende 2013 in den Mitgliedstaaten

- Empfehlung des Rates (1): auf der geeigneten Ebene **Pläne und Strategien für seltene Krankheiten ausarbeiten** und durchführen oder geeignete Maßnahmen für seltene Krankheiten im Rahmen anderer Gesundheitsschutzstrategien prüfen, um **sicherzustellen, dass Patienten mit seltenen Krankheiten medizinisch gut versorgt werden**; einschließlich Diagnostik, Behandlung und Habilitation sowie nach Möglichkeit wirksame Arzneimittel

I. Pläne und Strategien auf dem Gebiet seltener Krankheiten sollen

- Maßnahmen im Rahmen der Gesundheits- und Sozialsysteme steuern und strukturieren;
- alle laufenden und zukünftigen Initiativen auf lokaler, regionaler und nationaler Ebene in ein umfassendes Konzept einbeziehen;
- eine begrenzte Zahl prioritärer Maßnahmen, deren Ziele und der Verfahren ihrer Weiterverfolgung benennen;
- der Entwicklung von Leitlinien und Empfehlungen für die Ausarbeitung nationaler Maßnahmen im Rahmen des laufenden europäischen Projekts zur Entwicklung nationaler Pläne für seltene Krankheiten (EUROPLAN) Rechnung tragen:

II. Angemessene Definition, Kodierung und Bestandsaufnahme

- (2) anwenden einer **gemeinsamen Definition**, nach der seltene Krankheiten nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen betreffen
- (3) sicherstellen, dass seltene Krankheiten in geeigneter Weis **kodiert** werden und auffindbar sind in allen Gesundheitsinformationssystemen, fördern einer angemessenen Anerkennung der Krankheit in den nationalen Systemen der gesundheitlichen Versorgung und Krankenversicherung **auf der Grundlage der ICD** (Revision der ICD unterstützt durch die Kommission)
- (4) aktiv zum Aufbau einer leicht zugänglichen, ausbaufähigen Bestandsaufnahme seltener Krankheiten in der EU beitragen auf der Grundlage der Datenbank Orphanet und anderer existierender Netzwerke
- (5) prüfen, inwieweit auf allen geeigneten Ebenen, einschließlich der Gemeinschaftsebene, zum einen spezifische Krankheitsinformationsnetze und zum anderen, für epidemiologische Zwecke, Register und Datenbanken gefördert werden können, wobei auf eine unabhängige Verwaltung der Netze zu achten ist

III. Forschung für Seltene Erkrankungen

- (6) laufende Forschungsprogramme und Forschungsmittel im nationalen und gemeinschaftlichen Rahmen ermitteln, um den aktuellen Stand der Forschung im Bereich seltener Krankheiten festzustellen und die Abstimmung der gemeinschaftlichen, nationalen und regionalen Programme für seltene Krankheiten zu verbessern.
- (7) den Bedarf an Grundlagenforschung, klinischer Forschung, translationaler Forschung und Sozialforschung auf dem Gebiet seltener Krankheiten zu ermitteln und Prioritäten für die Mittelvergabe festzulegen; interdisziplinäre kooperative Konzepte zu fördern, die im Rahmen von nationalen und gemeinschaftlichen Programmen komplementär verfolgt werden sollen;
- (8) die Beteiligung nationaler Wissenschaftler an Forschungsprojekten zu seltenen Krankheiten fördern, die auf geeigneter Ebene, einschließlich der Gemeinschaftsebene, finanziert werden;
- (9) in Pläne und Strategien Bestimmungen zur Förderung der Forschung zu Seltenen Erkrankungen aufnehmen;
- (10) gemeinsam mit der Kommission den Ausbau der Forschungszusammenarbeit mit Drittländern, in denen über seltene Krankheiten geforscht wird, sowie generell den Austausch von Informationen und Fachwissen erleichtern

IV. Fachzentren und europäische Referenzzentren für Seltene Erkrankungen

- (11) bis Ende 2013 in ihrem Land **geeignete Fachzentren ermitteln** und gegebenenfalls eine Unterstützung für die Errichtung solcher Fachzentren prüfen;
- (12) **die Beteiligung der Fachzentren an europäischen Referenznetzen** unter Beachtung der nationalen Zuständigkeiten und Vorschriften für ihre Zulassung oder Anerkennung fördern;
- (13) Strukturen für die Versorgung von Betroffenen entwickeln, indem sie die Zusammenarbeit mit Spezialisten und einen Austausch von Fachleuten und Fachwissen auf diesem Gebiet innerhalb des Landes oder erforderlichenfalls aus dem Ausland etablieren;
- (14) den Einsatz von Informations- und Kommunikationstechnologien, beispielsweise der Telemedizin, wenn erforderlich unterstützen, um die notwendige spezielle medizinische Versorgung auch aus der Ferne sicherzustellen;
- (15) in ihre Pläne oder Strategien die notwendigen Voraussetzungen für die Verbreitung des Fachwissens und die Mobilität der Spezialisten einzubeziehen, um die wohnortnahe Behandlung der Patienten zu erleichtern;
- (16) **darauf hinwirken, dass in den Fachzentren bei seltenen Krankheiten ein multidisziplinärer Ansatz in der Versorgung verfolgt wird;**

V. Zusammenführung des Fachwissens über Seltene Erkrankungen auf europäischer Ebene

- **(17) das in ihrem Land vorhandene Fachwissen über seltene Krankheiten erfassen und die Zusammenführung dieses Wissens mit europäischen Partnern im Hinblick auf folgende Ziele unterstützen:**
- (a) den Austausch über bewährte Verfahren in Bezug auf Diagnoseinstrumente und medizinische Versorgung sowie über Ausbildung und soziale Versorgung auf dem Gebiet seltener Krankheiten;
- (b) eine angemessene Schulung und Ausbildung aller Leistungserbringer im Gesundheitswesen zur Sensibilisierung für diese Krankheiten und zur Information über die Mittel, die zur Versorgung vorgesehen sind;
- (c) den Ausbau der medizinischen Ausbildung auf Gebieten, die für die Diagnose und die Versorgung bei seltenen Krankheiten wichtig sind, wie beispielsweise Genetik, Immunologie, Neurologie, Onkologie oder Pädiatrie;
- (d) die Ausarbeitung europäischer Leitlinien für diagnostische Tests und Reihenuntersuchungen der Bevölkerung unter Berücksichtigung nationaler Gegebenheiten und Zuständigkeiten;
- (e) die gemeinsame Nutzung von Bewertungsberichten der Mitgliedstaaten über den therapeutischen oder klinischen Mehrwert von Arzneimitteln für seltene Krankheiten auf EU-Ebene, wo die entsprechenden Fachkenntnisse und Erfahrungen gesammelt werden, damit diese Arzneimittel den Betroffenen schneller zur Verfügung stehen;

VI. Mitbestimmung von Patientenverbänden

Die WHO sieht in der aufgeklärten « Mitbestimmung der Patienten » eine Voraussetzung für Gesundheit » und hat deshalb eine proaktive Strategie zur Partnerschaft und zur Selbsthilfe empfohlen, um die gesundheitlichen Ergebnisse und die Lebensqualität von chronisch Kranken zu verbessern".

Die unabhängige Patientenorganisation ist deshalb von entscheidender Bedeutung sowohl für die direkte Unterstützung der einzelnen Patienten als auch für die kollektive Arbeit, die sie leisten, um die Bedingungen der Menschen mit Seltenen Erkrankungen insgesamt und auch für kommende Generationen zu verbessern.

Mitgliedsstaaten sollen anstreben, Patienten und Patientenvertreter in den Verfahrensprozess einzubinden und die Aktivitäten der Patientenorganisationen unterstützen:

- (18) die Patienten und Patientenvertreter zu den Strategien für seltene Krankheiten **konsultieren** und den Patienten den **Zugang zu neuesten Erkenntnissen** über seltene Krankheiten **ermöglichen**;
- (19) die **Tätigkeiten von Patientenverbänden auf Gebieten wie Sensibilisierung, Aufbau von Kapazitäten, Schulungen, Austausch von Informationen und bewährten Verfahren, Vernetzung und Hilfsangebote für sehr isolierte Patienten fördern**

VII. Nachhaltigkeit

- (20) Gemeinsam mit der Kommission darauf hinwirken, dass durch entsprechende Finanzierungs- und Kooperationsmechanismen die langfristige Funktionsfähigkeit der auf dem Gebiet der Information, der Forschung und der medizinischen Versorgung bei seltenen Krankheiten geschaffenen Infrastrukturen sichergestellt wird;

EUROPLAN

European Project for Rare Diseases National Plans Development

EUROPLAN – Empfehlungen für die Entwicklung von Nationalplänen zu Seltenen Krankheiten

