ЖИВОТ ПРЕДИЗВИЦИ

РЕТКИТЕ БОЛЕСТИ И ЕВРОПА

КОМУНИКАЦИЈА ОД КОМИСИЈАТА ДО ЕВРОПСКИОТ ПАРЛАМЕНТ, СОВЕТОТ, ЕВРОПСКИОТ ЕКОНОМСКИ И СОЦИЈАЛЕН КОМИТЕТ НА РЕГИОНИТЕ

За Ретки Болести: Европски предизвици

ВОВЕД

Ретките болести се болести со особено ниска преваленца; Европската Унија ги смета болестите за ретки кога влијаат на најмногу 5 на 10 000 луѓе во Европската Унија. Ова покажува дека има помеѓу 5 и 8 илјади различни ретки болести кои влијаат или ќе влијаат на околу 29 милиони луѓе во Европската Унија.

Специфичностите на ретките болести – органичениот број пациенти и недоволното релевантно знаење и експертиза – ги издвојува како дистинктивна област со многу висока Европска додаена вредност. Со Европската соработка може да се сподели тоа мало знаење, а ресурсите да се комбинираат колку што е можно поефеикасно, за ефективно справување со ретките болести во цела ЕУ .

Комисијата веќе има преземено специфични чекори во многу области за да ги разгледа проблемите во областа на ретките болести. Надоградувајќи ги тие постигнувања, оваа Комуникација во однос на Европските предизвици на полето на ретките болести, има за цел да биде интегриран документ за пристап, давајќи јасна насока за сегашни и идни активности на Заедницата на полето на ретките болести, со цел понатаму да се подобри достапноста и еднаквоста за превенција, дијагноза и третман за пациентите кои страдаат од ретки болести во цела Европска Унија.

ПРАШАЊЕТО (ПРОБЛЕМОТ)

Поголемиот дел од ретките болести се генетски, другите се ретки тумори, авто-имуни болести, конгенитални малформации, токсични и инфективни болести и други категории. Истражувањето за ретки болести се покажа многу корисно за подобро разбирање на механизмот на честите состојби како прекумерната телесна тежина и дијабетесот, кои често претставуваат модел на дисфункција на единечен биолошки пат. Како и да е, истражувањето за ретки болести не само што е ретко, туку е и расеано низ различни лаборатории на територија на ЕУ.

Недостатокот на специфчни политики во здравство за ретките болести и недостатокот на експертиза, води кон одложена дијагноза и потешка достапност на нега. Ова резултира во дополнителни физички, психолошки и интелектуални оштетувања, неадекватни или дури и штетни третмани и загуба на доверба во здравствениот систем, и покрај фактот дека некои ретки болести се компатибилни со нормален живот ако се дијагностицираат на време и соодветно се третираат. Погрешната дијагноза и не-дијагностицирањето се главни пречки кон подобрување на квалитетот на живот на илјадници пациенти со ретки болести.

Националните услуги во здравство за дијагноза, третман и рехабилитација на луѓе со ретки болести се разликува значајно во зависност од достапноста и квалитетот. Во зависност од земјата-членка и/или регионот каде живеат, граѓаните на ЕУ немаат еднаков пристап до експертски услуги и достапни можности за нега. Неколку земји -членки се успешни во справувањето со некои од проблемите кои произлегуваат поради реткоста на овие болести, додека други сè уште не разгледале можни решенија.

Под одговорноста на Комисијата и ЕМЕА (Европската агенција за лекови), веќе е имплементирана политика на полето на лекови за ретки болести. Овие лекови се нарекуваат „сираци“ бидејќи фармацевтската индустрија има малку интерес, во нормални пазарни услови, да развива и

маркетира продукти наменети за мал број пациенти кои страдаат од многу ретки состојби. Регулативата за лекови за ретки болести ((Regulation (EC) No 141/2000 на Европскиот парламент и Советот од 16 Декември, 1999 година, за медицински производи за ретки болести[1]) беше предложена за да постави критериуми за означување на лековите за ретки болести во ЕУ и опишува иницијативи (пример: 10 годишна ексклузивност на пазарот, помош при протокол, пристап до Централизирана процедура за одобрение за пласирање на производот на пазар), за да охрабри истражување, развој и маркетинг на лековите за третман, превенција или дијагноза на ретките болести. ЕУ политиката за лекови за ретки болести е успешна. Меѓутоа, земјите-членки сè уште немаат осигуран целосен пристап до одобрени лекови за ретки болести.

ЦЕЛИ

Улогата на Заедницата во областа на здравјето под Член 152 од Спогодбата е да охрабри соработка помеѓу земјите-членки и, ако е потребно, да понуди помош во нивните активности. Специфичностите на ретките болести – ограниченио број пациенти и малото релевантно познавање и експертиза – ги издвојува како уникатна област на многу висока Европска додадена вредност. Целта на оваа комуникација е да постави целокупна стратегија за ЕЗ за поддршка на земјите членки во обезбедување ефективно и ефикасно препознавње, превенција, дијагноза, третман, нега и истражување за ретки болести во Европа.

Ова ќе придонесе до сеопфатната цел – подобрување на здравствените резултати, и со тоа зголемување на бројот на здравите години од животот, клучен индикатор во Лисабонската стратегија[2]. За таа цел, оваа Комуникација ќе ги ориентира оперативните активности кон три главни полиња на работа кои се подолу опишани.

[1] Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products.
[2] See http://ec.europa.eu/health/ph_information/indicators/lifeyears_en.htm.

Подобрување на препознавањето и видливоста на ретките болести

Клучот за подобрување на целокупните стратегии за ретки болести е да се обезбеди дека се препознаени, за соодветно да се следат сите други поврзани активности. За да се подобри дијагнозата и негата на полето на ретки болести, соодветната идентификација треба да е придружена со точна информација, обезбедена и дисеминирана во инвентар и извештајни формати адаптирани на потребите на професионалците и личностите на кои влијаат. Ова ќе придонесе кон справување со некои од главните причини на запоставување на проблемот на ретките болести. Комисијата затоа има за цел да постави систем на кодификација и класификација на на ниво на Европска Унија, кој ќе обезбеди рамка за подобро споделување на знаењето и разбирањето на ретките болести како научен проблем, а и како прашање поврзано со јавното здравје на цела територија на ЕУ.

Поддржување политики за ретки болести во земјите-членки

Ефикасна и ефективна акција за ретките болести зависи од кохерентна целокупна стратегија за ретки болести за мобилизирање на ретки и расеани ресурси на интегриран и препознатлив начин и интегриран во заедничка Европска акција. Оваа заедничка Европска акција исто зависи од заеднички пристап на работа во областа на ретките болести на територија на ЕУ, за воспоставување на база за споделување за соработка и за помош при подобрување на пристапот на пациентите до нега и информација.

Комисијата затоа предлага земјите-членки да усвојат заеднички пристап за справување со ретките болести, базиран на постоечки најдобри практики, преку усвојување на Препораката од Советот. Со предлогот на Комисијата за Препорака на Советот и со оваа Комуникација им се препорачува на земјите-членки да ги организираат стратегиите околу следното:

- Поставување интер-секторски национални акциони планови за ретки болести;

- Адекватни механизми за дефиниција, кодификација и инвентар на ретки болести и изготвување на упатства за добра практика (протоколи), за да се обезбеди рамка за препознавање на ретките болести и споделување на знаењето и експертизата;
- Поттикнување на истражување за ретки болести, вклучувајќи и прекугранична соработка за максимизирање на потенцијалот на научни ресурси низ ЕУ;
- Обезбедување пристап до високо-квалитетна здравствена нега, особено по пат на идентификување на национални и регионални центри за експертиза и поттикнување на нивно учество во Европските референтни мрежи;
- Осигурување на механизми за собирање на национална експертиза за ретки болести и здружување со европските колеги;
- Преземање акција за осигурување на зајакнување и вклучување на пациентите и организациите на пациенти;
- И осигурување дека овие активности вклучуваат и соодветни одредби за обезбедување одржливост со тек на време.

Развој на европска соработка, координација и регулатива за ретките болести

Акцијата на Заедницата ќе им помогне на земјите-членки да постигнат ефикасност во организирање на ограничените ресурси во областа на ретките болести, и може да им помогне на пациентите и професионалците да соработуваат низ земјите-членки за да споделуваат и координираат експертиза и информации. ЕЗ треба да цели кон подобра координација на политиките и иницијативите на ниво на ЕУ, и да ја зајакне соработката помеѓу ЕУ програмите, за понатаму да ги максимизира ресурсите достапни за ретките болести на ниво на ЕЗ.

ОПЕРАТИВНИ АКТВНОСТИ ЗА ПОДОБРУВАЊЕ НА ПРЕПОЗНАВАЊЕТО И ВИДЛИВОСТА НА РЕТКИТЕ БОЛЕСТИ

Дефиниција на ретки болести

Постоечката дефиниција за ретки болести во ЕУ беше усвоена од програмата на Заедницата за ретки болести 1999 – 2003, како болести кои претставуваат преваленца на најмногу 5 на 10 000 лица во ЕУ. Истата дефиниција е поставена во Регулативата - Regulation (EC) 141/2000 и според тоа се користи во Европската Комисија за означување на лековите за ретки болести. ЕУ ќе ја задржи постоечката дефиниција. Со користење на ресурсите на Здравствената програма и со земање во предвид на меѓународната димензија на проблемот ќе се развие порафинирана дефиниција која ќе ги земе предвид распространетоста и зачестеноста.

Класификација и кодификација на ретките болести

Меѓународната референца за класификација на болести и состојби е Меѓународната класификација на болести (International Classification of Diseases (ICD)), координирана од Светската здравствена организација (СЗО)(WHO[3]). Комисијата ќе работи со земање предвид на ретките болести во процесот на ревидирање на постоечката класификација за да осигури подобра кодификација и класификација на ретките болести[4].

За оваа цел, Комисијата ќе состави работна група за Класификација и Кодификација на ретките болести. Оваа работна група може да биде назначена за Советничка работна група од СЗО во сегашниот процес на ревизија на Меѓународната класификација на болести.

Ширење на знаење и информации за ретките болести

Еден клучен елемент за подобрување на дијагнозата и негата на полето на ретки болести е да се обезебди и прошири точна информација во

[3] See http://www.who.int/classifications/icd/en/.
[4] See http://www.who.int/classifications/icd/en/index.html.

формат адаптиран на потребите на професионалците и на лицата на кои влијаат ретките болести. Воспоставувањето на ЕУ динамичен инвентар на ретки болести ќе придонесе кон справување со некои од главните причини поради кои се занемарени проблемите и прашањата за ретки болести, вклучувајќи го и незнаењето за тоа кои болести се ретки. Комисијата ќе обезбеди оваа информација да продолжи да е достапна на Европско ниво, градејќи на основа на базата податоци на Орфанет / Orphanet[5] , поддржано низ програмите на ЕЗ.

Информациони мрежи за болести

Приоритетите за акција во поглед на постоечките (или идни) специфични информациони мрежи за болести се:

- Гарантирање на размена на информации преку постоечките Европски информативни мрежи;
- Промовирање на подобра класификација за одредени болести;
- Развивање стратегии и механизми за размена на информации помеѓу заинтересираните страни;
- Развивање на споредливи епидемиолошки податоци на ниво на ЕУ;
- Поддршка на размената на најдобри практики и развој на мерки за групи на пациенти.

[5] See http://www.orpha.net/.

ОПЕРАТИВНИ АКТИВНОСТИ ЗА РАЗВОЈ НА ЕВРОПСКА СОРАБОТКА И ПОДОБРУВАЊЕ НА ПРИСТАП ДО ВИСОКО-КВАЛИТЕТНА ЗДРАВСТВЕНА НЕГА ЗА РЕТКИ БОЛЕСТИ

Подобрување на универзален пристап до високо-квалитетна здравствена нега за ретките болести, особено преку развој на национални/регионални центри на експертиза и воспоставување на референтни мрежи на ЕУ

Земјите-членки делат заедничка обврска за осигурување на универзален пристап до високо квалитетна здравствена нега врз основа на еднаквост и солидарност[6]. Меѓутоа, кога болестите се ретки, експертизата е исто така ретка. Некои центри на експертиза (исто така наречени референтни центри или центри на извонредност во некои земји-членки) имаат развиено експертиза која е широко користена од други професионалци од[7] нивната земја или меѓународно и тие можат да помогнат во обезбедување пристап до соодветна здравствена нега за пациентите со ретки болести.

Извештајот на ЕУ оперативната група за ретки болести (The EU rare diseases Task Force) 2006 до Групата на високо ниво "Придонес кон оформување политики: За Европска соработка во однос на здравствените услуги и медицинската нега на полето на ретките болести" (High Level Group '*Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of RD*[8]) препорачува земјите-членки да придонесат кон идентификација на нивните експертски центри и да ги поддржуваат финансиски.

[6] Council Conclusions on Common values and principles in European Union Health Systems, OJ 2006/C
146/01.
[7] See the report of the Rare Diseases Task Force "Overview of current Centres of Reference on rare
diseases in the EU (2005)" http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm.
[8] http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm

Групата на високо ниво (The High Level Group) за здравствени услуги и медицинска нега работи на коцептот на Европски референтни мрежи уште од 2004та година[9]. На основа на нејзината работа, Член 15 од предлогот на Директивата на Европскиот Парламент и Советот за примена на права на пациенти во преку-гранична здравствена нега (COM(2008)414) обезбедува подлога за развој на Европски Референтни Мрежи (ЕРМ) кои ќе бидат водени од земјите-членки.

ЕРМ за ретки болести ќе имаат специфична стратешка улога во подобрувањето на квалитетот на третманот за сите пациенти низ ЕУ, како што е изјавено од организациите на пациенти[10].

Пристап до специјализирани социјални услуги

Центрите на експертиза може исто да имаат суштинска улога во развојот или олеснувањето на водење специјализирани социјални услуги кои ќе го подобрат квалитетот на животот на луѓето кои живеат со ретка болест. Линиите за помош, услугите за нега и одмор и терапевтските програми за рекреација беа поддржани[11] и треба да се одржливи за да ги достигнат своите цели: подигнување на јавната свест, размена на најдобри практики и стандарди, здружување на ресурси со користење на Здравствената програма и Акционите планови за дисабилитет.

Пристап до лекови за ретки болести

Има специфични тесни грла во пристапот до лековите за ретки болести преку процес на донесување одлуки за одредување цена и надоместок поврзан со реткоста. Патот кон напред е да се обезбеди соработка на Европско ниво за научната процена на додадената терапевтска вредност на медицински производи за ретки болести.

Комисијата ќе постави работна група за размена на знаење помеѓу Земјите-членки и Европските авторитети за научната проценка на клиничката додадена вредност на лековите за ретки болести. Оваа соработка може да води кон необврзувачки заеднички извештаи за проценка на додадената клиничка вредност со подобрена информација која ќе го олесни одредувањето на цена и одлуките за надомест за лекување, без превентивната поединечна улога на официјалните лица[12].

Понатаму, треба да се земат предвид вклучувањето на Европската Агенција за Лекови и постоечките меѓународни мрежи за проценка на здравствените технологии, како и Меѓународната проценка на здравствената технологија (Health Technology Assessment International (HTAi))[13], Европската мрежа за проценка на здравствена технологија (European Network for Health Technology Assessment (EUnetHTA))[14] или Комитетот за евалуација на лекови (Medicines Evaluation Committee (MEDEV))[15].

Програми за т.н. милосрдна употреба

Потребен е подобар систем за обезбедување нови лекови за пациенти со ретки болести пред да бидат одобрени и/или надоместени (т.н. милосрдна употреба).

Под постоечката фармацевтска легислатива, Европската агенција за лекови може да издаде мислење за употребата на производ под т.н. милосрдна употреба за да осигура единствен пристап на територијата на ЕЗ.

[9] See the report of the high level group on health services and medical care on European Reference networks http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/rare_8_en.htm.
[10] See Report of the European Workshop on Centres of Expertise and Reference Networks for Rare Disease, Prague, July 2007; http://www.eurordis.org/IMG/pdf/EU_workshop_report_3.pdf
[11] similar to those identified thanks to the EU-funded RAPSODY project http://ec.europa.eu/health/ph_projects/2005/action1/action1_2005_19_en.htm

[12] This as stipulated in the document “Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens”, adopted by the High level Pharmaceutical Forum.
[13] http://www.htai.org/
[14] http://www.eunethta.net/
[15] http://www.esip.org/publications/pb51.pdf

Комисијата ќе ја покани Европската агенција за лекови да ги ревидира постоечките упатства со сосредоточеност на тоа да се обезбеди достапност на третман за пациентите.

Медицински помагала

Регулативата за медицински производи за ретки болести не го покрива полето на медицински помагала. Ограничената големина на пазарот и ограничениот потенцијален поврат на инвестициите не се стимулирачки. Комисијата ќе процени дали има потреба за мерки за надминување на оваа ситуација, веројатно во контекст на претстоечката ревизија на директивите за медицински помагала.

Стимулации за развој на лекови за ретки болести

Фармацевтските компании инвестираат многу долгорочно за да откријат, развијат и да ги донесат на пазарот третманите за ретки болести. Тие треба да имаат можност да добијат повраток за својата инвестиција. Меѓутоа, идеално е тие да се во можност да реинвестираат во откривање на други третмани. Со повеќе од 45 третмани одобрени во ЕУ – и некои за истите состојби – уште има многу состојби за кои нема никаков третман. Истражување со додатни стимулации на национално и европско ниво за зајакнување на истражувањето во областа на ретките болести и развојот на медицински производи за ретки болести и подигнување на свеста на земјите-членки за овие производи, треба да се поттикне во сооднос со Член 9 од Регулативата (ЕС) број 141/2000.

Е-Здравје

Е-здравје може да придонесе на голем број различни начини во оваа област, особено преку:

- Електронски он-лајн услуги развиени од Орфанет или други проекти финансирани од ЕУ, се јасна демонстрација за тоа како Информатичката и комуникацискаа технологија (ИКТ) може да придонесе кон запознавање на пациентите со други пациентии развој на пациентски заедници, споделување на бази податоци помеѓу истражувачки групи, собирање податоци за клиничко истражување, регистрирање на пациенти волни да учествуваат во клинички истражувања и доставување случаи до експерти за подобрување на квалитетот на дијагнозата и третманот;
- Телемедицината, обезбедувањето здравствени услуги од далечина преку ИКТ е друга корисна алатка. Може да помогне да се доведе високо специјализирана експертиза за ретки болести во обичните клиники и клинички ординации, како и да се добие второ мислење од центрите за извонредност[16];
- Истражување финансирано во рамки на FP7[17] во областа на компјутерски- помогнато моделирање на психолошки и патолошки процеси е пристап кој ветува да помогне за подобро разбирање на основните фактори на ретки болести, предвидувајќи резултати и можеби изнаоѓајќи нови решенија за третман.

Практики на скрининг

Неонатален скрининг за Фенилкетоннурија и конгенитален хипотироидизам е моментална практика во Европа и е докажана како високо ефикасна во превенирање пречки во развојот кај заболените деца. Како што еволуира технологијата, многу тестови може да се реализираат, вклучувајќи ги и тие од роботи, по ниска цена за широк опсег на ретки болести, особено за метаболички нарушувања и генетски состојби. Се препорачува да се поддржи и охрабри соработка во оваа област за да се генерираат докази на кои би се базирале одлуките на земјите-членки. Евалуација на сегашната стратегија на скрининг на популацијата (вклучувајќи неонатален скрининг) за ретки болести и за потенцијални нови

[16] Draft Communication on Telemedicine for the benefit of patients, healthcare systems and society.
[17] http://ec.europa.eu/information_society/activities/health/research/fp7vph/index_en.htm

болести, ќе се изврши од Комисијата на ниво на ЕУ за да обезбеди докази за земјите-членки (вклучувајќи и етички аспекти) на кои би ја засновале својата потенцијална одлука. Комисијата ќе разгледа можност за таква поддршка како приоритет за акција.

Управување со квалитет на дијагностички лаборатории

Многу ретки болести сега може да се дијагнозираат со биолошки тестови кои се најчесто генетски. Овие тестови се глави елементи на соодветен третман на пациенти бидејќи дозволуваат рана дијагноза, некогаш со каскаден скрининг или со пренатален тест. Поради големиот број на тестови и потребата да се изготви и валидизира специфичен сет на дијагностика за секоја земја посебно, реално ниту една земја не може самостојно да обезбеди тестирање и ефикасен екстерен квалитет на обезбедените тестови. Има потреба да се овозможи и олесни размена на експертиза низ јасно искажани, транспарентни и договорени ЕУ стандарди и процедури.

Ова може да се постигне низ воспоставување на Европски референтни мрежи на експертски дијагностички лаборатории (пример EuroGenTest[18]). Овие лаборатории ќе се поддржат да учествуваат во професионално тестирање, посебно посветувајќи внимание на резултатот за известување и обезбедување на генетичко советување пред и пост – тестирањето[19].

Примарна превенција

Има малку ретки болести за кои е можна примарна превенција. Сепак, примарни превентивни мерки за ретки болести ќе се преземат кога е можно (пример превенција на дефекти на неврална туба со суплементација на фолна киселина). Акција на ова поле треба да е тема на дебата на ЕУ ниво водена од Комисијата со цел да се одреди за кои ретки болести би биле успешни примарни превентивни мерки.

[18] See http://www.eurogentest.org/.

[19] Helping people faced with a diagnosis of genetic disease to understand both the factual information about the disease and the effect it will have on their lives, so that they can reach their own decisions about the future.

Регистри и бази податоци

Регистрите и базите со податоци се клучни инструменти за зголемување на знаењето за ретки болести и развој на клиничко истражување. Тие се единствен начин за здружување на податоци со цел да се постигне доволна големина на примерок за епидемиолошко и/или клиничко истражување.

Заеднички напори за воспоставување стандарди за собирање податоци и нивно одржување се разгледува, доколку овие ресурси се отворени и достапни. Клучно прашање исто така е обезбедување на долготрајна одржливост на овие системи, наместо да се на база на проектно финансирање. Ова идеја е исто разработена во документот „Подобрување на пристап до лекови за ретки болести за сите граѓани од ЕУ кои имаат ретки болести“, усвоена од Фармацевтскиот форум на високо ниво (High level Pharmaceutical Forum).

Истражување и развој

За најтешките ретки болести кои потенцијално може да се третираат, во моментов нема специфичен третман. Развојот на терапиите се соочува со три потешкотии: недоволно разбирање на патофизиолошките механизми, недоволната поддршка во рана фаза на клинички развој и недоволното перцепирање на можностите/трошоците од страна на фармацевтската индустрија. Високиот трошок за развој на лекови, заедно со проценетиот повраток на инвестицијата кој е низок (поради малиот број пациенти), вообичаено ја дестимулира фармацевтската индустрија во развој на лекови за ретките болести, и покрај огромната медицинска потреба.

Треба да се воспостави процес на ран дијалог во однос на лековите во развој помеѓу овие компании и телата кои финансираат лекови.[20] Ова ќе им даде на спонзорите поголема сигурност за потенцијален повраток на финансии во иднината и ќе им даде на официјалните лица поголемо

[20] This as stipulated in the document “Improving access to orphan medicines for all affected EU citizens”, adopted by the High level Pharmaceutical Forum.

знаење и доверба во вредноста на лековите за кои се бара достапност и финансирање.

Истражувачките проекти за ретки болести се поддржани повеќе од две децении наназад од Рамковните програми на европската заедница за истражување, технолошки развој и демонстративни активности. Во сегашната Рамковна програма ФП7 (FP7)[21], Здравствената тема на „Соработка“ која е Специфична програма, е дизајнирана за да поддржи мултинационално истражување во различни форми. Главниот фокус на здравствената тема во областа на ретките болести се Европски студии по природна историја, патофизиологија, и развој на превентива, дијагностика и терапевтски интервенции.

Советодавниот комитет на ЕУ за ретки болести (EUACRD, види точка 7) и Комитетот за медицински производи за ретки болести (COMP) во Европската агенција за лекови (EMEA) ќе упати до Комисијата годишна заедничка препорака на специфични точки за повиците за предлози при имплементацијата на рамковните програми.

Треба да се поддржуваат координативни проекти кои целат кон оптимална употреба на ограничените ресурси посветени на истражување за ретки болести. На пример, EU FP6- поддржа ERANet проект (E-Rare)[22] кој моментално координира истражувачки политики на финансирање за ретки болести во седум земји, со што придонесува за справување со проблемот со фрагментација на истражувачките напори. Таквите пристапи треба да се разгледаат.

[21] See http://cordis.europa.eu/fp7/home_en.html.
[22] See http://www.e-rare.eu/cgi-bin/index.php.

МЕЃУНАРОДНА СОРАБОТКА

Политиката на Комисијата за ретки болести треба да цели кон поддржување на соработката за ретки болести на меѓународно ниво со сите заинтересирани земји и во блиска соработка со Светската здравствена организација. Меѓународната соработка е веќе интегрален дел од Рамковните програми за истражување.

УПРАВУВАЊЕ И МОНИТОРИНГ

Комисијата треба да е потпомогната од ЕУ Комитетот за советување за ретки болести (EU Advisory Committee on Rare Diseases (EUACRD)) за да советува за имплементација на оваа Комуникација. Со комитетот ќе претседава Европската Комисија и ќе биде потпомогнат од Научниот Секретаријат, поддржан низ Здравствената програма. Овој комитет ќе биде замена за сегашната оперативна работна Група за ретки болести на ЕУ (EU Rare Diseases Task Force).

Ќе се поддржи Организација на Европски Ден на Ретките Болести (29 Февруари, редок ден) и Европски конференции за подигнување на свеста на професионалците и пошироката јавност.

Комисијата ќе изготви извештај за имплементација за оваа Комуникација – упатена до Европскиот Парламент, Советот, Европскиот Економски и Социјален Комитет и Комитетот на Регионите врз основа на информација обезбедена од земјите-членки, најдоцна 5 години по датумот на усвојување на оваа Комуникација. Овој извештај треба да биде упатен истовремено со извештајот за имплементација од Препораката на Советот за ретки болести.

ЗАКЛУЧОК

Иако секоја ретка болест влијае само на релативно мал број пациенти и семејства, како целина тоа е сериозен здравствен проблем за ЕУ.

Понатаму, потребата да се здружи еспертизата и ефикасно да се употребат ограничените достапни ресурси, значи дека ретките болести се област каде Европската соработка може да додаде особена вредност на акциите на земјите-членки. Комисијата веќе порано презеде поединечни иницијативи, како програмата за ретки болести, регулативата за медицински производи за ретки болести и вниманието кон ретките болести во Рамкмовните програми за истражување, технолошки развој и демонстративни активности. Сепак, потребни се повеќе активности за да се обезбеди дека овие поединечни работни сфери се одржуваат и се здружуваат во кохерентна целосна стратегија за ретки болести и на ниво на ЕЗ и внатре во земјите-членки, за да се максимизира целокупниот потенцијал за соработка.

Со оваа Комуникација и придружниот предлог за Препорака на Советот, Комисијата цели да постави целосна стратегија за ретки болести. Ова нуди потенцијал да се максимизира опфатот за соработка и меѓусебна поддршка во оваа предизвикувачка област на територија на цела Европа. Ќе ги поддржи земјите-членки во поставување на поединечни национални и регионални стратегии за ретки болести.

И со тоа, ќе обезбеди пациентите и семејствата кои живеат со ретки болести, да имаат допирлива придобивка од Европската интеграција во секојдневниот живот.

Текстот е преведен од следниот документ:

COMMISSION OF THE EUROPEAN COMMUNITIES / Brussels, 11.11.2008 / COM(2008) 679 final COMMUNICATION FROM THE COMMISSION TO THE EUROPEAN PARLIAMENT, THE COUNCIL, THE EUROPEAN ECONOMIC AND SOCIAL COMMITTEE AND THE COMMITTEE OF THE REGIONS on Rare Diseases: Europe's challenges / {SEC(2008)2713} / {SEC(2008)2712}

ЕВРОПСКИ СОВЕТ
ПРЕПОРАКА
ОД 8 ЈУНИ 2009 ГОДИНА
ЗА АКЦИЈА НА ПОЛЕ НА РЕТКИ БОЛЕСТИ

(2009/C 151/02)

ОД ОФИЦИЈАЛНИОТ ВЕСНИК НА ЕВРОПСКАТА УНИЈА

СОВЕТОТ НА ЕВРОПСКАТА УНИЈА,

Имајќи го предвид договорот за воспоставување на Европскаа заедница, а особено во однос на вториот став од Член 152(4), односно,

Имајќи го предвид предлогот од Комисијата,

Имајќи го предвид мислењето на Европскиот Парламент[23],

Имајќи го предвид мислењето на Европскиот Економски и Социјален Комитет[24],

При што:

(1) Ретките болести се закана за здравјето на граѓаните на ЕУ до степен до кој се живото-загрозувачки или хронично онеспособувачки болести со ниска преваленца, но со високо ниво на комплексност. И порај нивната реткост, има многу различни видови на ретки болести кои влијаат на милиони луѓе.

[23] Legislative resolution of 23 April 2009 (not yet published in the Official Journal).
[24] Opinion of 25 February 2009 (not yet published in the Official Journal).

(2) Принципите и вредностите на универзалност, пристап до квалитетна грижа, еднаквост и солидарност, потврдени во заклучоците на Советот за заеднички вредности и принципи во здравствените системи во ЕУ од 2 јуни, 2006та година, се од огромно значење за пациентите со ретки болести.

(3) Акционата програма на Заедницата за ретки болести, влучувајќи генетски болести, беше усвоена во периодот од 1 Јануари, 1999та година до 31 Декември, 2003та година[25]. Оваа програма ја дефинира преваленцата за ретки болести како влијание на не повеќе од 5 личности во 10 000 во ЕУ. Порафинирана дефиниција базирана на наука, која ќе ги земе во предвид и распространетоста и зачестеноста, ќе се развие со користење на ресурси од Втората здравствена програма на Заедницата[26].

(4) Регулативата (Европска Комисија) број 141/2000 од Европскиот Парламент и Советот од 16т Декември, 1999та година, за лекови за ретки болести[27] со што се обезбедува медицински производ да се означи како „лек за ретка болест“, кога е наменет за дијагноза, превенција или третман на живото-загрозувачки или хронично онеспособувачки состојби кои влијаат на најмногу од 5 од 10 000 лица во ЕЗ, кога се аплицира за одобрување на тој медицински производ.

(5) Се проценува дека денес се разликуваат од 5 до 8 илјади ретки болести, и зафаќаат 6-8% од популацијата во текот на животот. Со други зборови, иако ретките болести секоја посебно се карактеризираат со ниска распространетост, вкупниот број лица заболени од ретки болести во ЕУ е помеѓу 27 и 36 милиони луѓе. Поголемиот дел од нив страдаат од помалку фреквентни болести кои зафаќаат 1 во 100 000 луѓе или помалку. Овие пациенти се изолирани и ранливи.

(6) Поради ниската преваленца, специфичноста и високиот вкупен број на заболени луѓе, за ретките болести е потребен глобален пристап базиран на специјални и комбинирани напори за превенција на значаен морбидитет или избегнување на предвремен морталитит и за подобрување на квалитетот на живот и социо-економскиот потенцијал на заболените лица.

(7) Ретките болести беа еден од приоритетите од шестата рамковна програма на Заедницата за истражување и развој[28] и остануваат приоритет за акција во седмата рамковна програма за истражување и развој[29], бидејќи за развивање на нови дијагностички методи и третмани за ретки заболувања, како и за епидемиолошко истражување за тие заболувања, е потребен мулти-национален пристап за да се зголеми бројот на пациенти во секоја студија.

(8) Комисијата во Белата книга „ Заедно за здравје: Стратешки пристап за ЕУ 2008 – 2013“од 23 Октомври, 2007 година, која ја развива Стратегијата за здравство на ЕУ, ги идентификува ретките болести како приоритет за акција.

(9) За да се подобри координацијата и усогласеноста на национални, регионални и локални инцијативи кои се однесуваат на ретки болести и соработката помеѓу центри за истражување, релевантни национални акции на полето на ретките болести може да се интегрираат во планови и стратегии за ретки болести.

[25] Decision No 1295/1999/EC of the European Parliament and of the Council of 29 April 1999 adopting a programme of Community action on rare diseases within the framework for action in the field of public health (1999 to 2003) (OJ L 155, 22.6.1999, p. 1). Decision repealed by Decision No 1786/2002/EC (OJ L 271, 9.10.2002, p. 1).

[26] Decision No 1350/2007/EC of the European Parliament and of the Council of 23 October 2007 establishing a second programme of Community action in the field of health (2008-2013) (OJ L 301, 20.11.2007, p. 3).

[27] OJ L 18, 22.1.2000, p. 1.

[28] Decision No 1513/2002/EC of the European Parliament and of the Council of 27 June 2002 concerning the sixth framework programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities, contributing to the creation of the European Research Area and to innovation (2002 to 2006) (OJ L 232, 29.8.2002, p. 1).

[29] Decision No 1982/2006/EC of the European Parliament and of the Council of 18 December 2006 concerning the Seventh Framework Programme of the European Community for research, technological development and demonstration activities (2007-2013) (OJ L 412, 30.12.2006, p. 1).

(10) Според базата податоци на Орфанет (Orphanet), од илјадници познати ретки болести за кои е можна клиничка идентификација, само за 250 од нив има код во постоечката Меѓународна класификација на болести (ICD) (10та верзија). Соодветна класификација и кодификација на сите ретки болести е потребна за да им се даде потребната видливост и препознавање во националните здравствени системи.

(11) Во 2007 година, Светската здравствена организација, го започна процесот на ревизија на 10-та верзија на ICD, за да усвои нова, 11та верзија на оваа класификација на Собранието на СЗО во 2014та година. СЗО го назначи претседателот на Оперативната група за ретки болести на ЕУ (EU Rare Diseases Task Force), како и Претседателот на Тематската советодавна група за ретки болести (Topic Advisory Group on Rare Diseases) за да придонесе во процесот на ревизија, обезбедување на предлози за кодификација и класификација за ретките болести.

(12) Имплементацијата на заедничка идентификација на ретки болести од сите Земји Членки на ЕУ, силно ќе го зајакне придонесот на ЕУ во групата за советување на оваа тема и ќе олесни и поттикне соработка на ниво на Заедницата на полето на ретките болести.

(13) Во Јули, 2004 година воспоставена е Комисиска група за здравствени услуги и медицинска нега на високо – ниво, за да ги обедини експертите од сите земји-членки на ЕУ за да работат на практични аспекти во однос на соработка помеѓу националните здравствени системи во ЕУ. Една од овие групи се фокусира на Европските референтни мрежи (ЕРМ) за ретки болести. Некои критериуми и принципи за ЕРМ се развиени, вклучувајќи ја и нивната улога во справувањето со ретките болести. ЕРМ исто така служат и како центри за истражување и знаење, третирајќи пациенти од други земји-членки на ЕУ и осигурувајќи достапност на институции за третман каде што е потребно.

(14) Додадената вредност на Заедницата од ЕРМ е особено висока за ретките болести, поради реткоста на овие состојби, што упатува на ограничен број пациенти и недостаток на експертиза во поединечните земји. Собирањето експертиза на Европско ниво е од огромно значење за да се обезбеди еднаква достапност до точни информации, соодветна и навремена дијагноза и висококвалитетна нега за пациентите со ретки болести.

(15) Во Декември, 2006 година, експертска група на Европската унија за ретки болести – Работна (оперативна) група (European Union Rare Diseases Task Force), издаде извештај – "Придонес кон подготовката политики: за Европска соработка за здравствени услуги и медицинска нега на полето на ретките болести", до Групата на за здравствени услуги и медицинска нега високо ниво. Извештајот на експертската група меѓу другото стави акцент на важноста на идентификување на центри на експертиза и улогите кои тие центри би требало да ги исполнат. Исто така, се согласи дека, во принцип, секаде каде што е можно, експертизата треба да патува, наместо пациентите. Некои мерки од извештајот се вклучени во оваа препорака.

(16) Соработката и споделување на знаење помеѓу центрите на експертиза се докажа како многу ефикасен пристап во справување со ретките болести во Европа.

(17) Центрите на експертиза треба да следат мултидисциплинарен пристап за нега, за да работат на комплексните и различни состојби имплицирани од ретките болести.

(18) Специфичностите на ретките болести – ограничен број пациенти и недостаток на релевантно знаење и експертиза – ги издвојува како уникатна област со многу висока додадена вредност на акција на ниво на Заедницата. Оваа додадена вредност може особено да се постигне низ собирање на национална експертиза за ретки болести која е присутна на места низ земјите-членки на ЕУ.

(19) Од итна важност е да се обезбеди активен придонес на земјите-членки за елаборирање на некои од заедничките инструменти предвидени во комуникацијата на комисијата во однос на ретки болести: Европските предизвици од 11ти Ноември, 2008 година, особено во однос на дијагнозата и медицинска нега и Европските протоколи за скрининг на популацијата. Ова може да биде и во случајот на извештаите за проценка на терапевтската додадена вредност на медицински производи за ретки болести, кои ќе придонесат во забрзување на преговорите за цена на национално ниво, соодветно намалувајќи ги одложувањата за пристап до лекови за пациентите со ретки болести.

(20) Светската Здравствена Организација го дефинира зајакнувањето на пациентите како „пре-реквизит за здравје“ и охрабри „проактивно партнерство и стратегија за само-грижа на пациентите за подобрување на резултатите во однос на здравјето и квалитетот на живот помеѓу хронично болните“[30]. Во овој случај, улогата на независните групи на пациенти е суштинска во смисла на директна поддршка на лица кои живеат со ретки болести и во смисла на колективната работа која ја реализираат за подобрување на условите на заедницата на пациентите со ретки болести како целина и за следните генерации.

(21) Земјите Членки на ЕУ треба да имаат за цел инволвирање на пациентите и претставници на пациентите во процесите на донесување политики и да промовираат активности на групите пациенти.

(22) За развојот на истражувањето и здравствената инфраструктура на полето на ретките болести се потребни долготрајни проекти и соодветен финансиски напор за да се осигура нивната долгорочна одржливост. Напорите забележително ќе ја максимизираат синергијата во проектите под втората здравствена програма на заедницата, седмата рамковна програма за истражување и развој и последователните програми.

[30] http://www.euro.who.int/Document/E88086.pdf

СО ОВА СОВЕТОТ ПРЕПОРАЧУВА ЗА ЗЕМЈИТЕ ЧЛЕНИКИ НА ЕУ:

ПЛАНОВИ И СТРАТЕГИИ НА ПОЛЕТО НА РЕТКИТЕ БОЛЕСТИ

Да воспостават и имплементираат планови или стратегии за ретки болести на соодветно ниво или да истражат соодветни мерки за ретки болести во другите јавни здравствени стратегии, за да целат кон осигурување на пациентите со ретки болести во однос на достапност на високо-квалитетна нега, вклучувајќи дијагноза, третман, рехабилитација за оние кои живеат со ретки болести и доколку е можно, ефективни лекови за ретки болести и особено:

(a) Да елаборираат и усвојат план или стратегија што е можно порано, по можност до крај на 2013 година најдоцна, со цел водство и структуирање на релевантни активности на полето на ретките болести во рамките на нивните здравствени и социјални системи;

(b) Да преземат акција за интегрирање на сегашни и идни иницијативи на локално, регионално и национално ниво во своите планови или стратегии за сеопфатен пристап;

(c) Да дефинираат ограничен број приоритетни активности во плановите или стратегиите, со цели и механизми на проследување/евалуација;

(d) Да го земат предвид развојот на упатства и препораки за елаборација на национални активности за ретки болести од релевантни авторитети на национално ниво во рамките на тековниот Европски проект за развој на национални планови за ретки болести (EUROPLAN), избран за финансирање во тек на периодот 2008-2011та година во првата програма на Заедницата за акција на поле на јавно здравје[31].

[31] Decision No 1786/2002/EC of the European Parliament and of the Council of 23 September 2002 adopting a programme of Community action in the field of public health (2003-2008) (OJ L 271, 9.10.2002, p. 1).

СООДВЕТНА ДЕФИНИЦИЈА, КОДИФИКАЦИЈА И ИНВЕНТАР НА РЕТКИ БОЛЕСТИ

- Да користат за оваа цел на работа на политики на ниво на Заедницата, заедничка дефиниција за ретки болести каде ретките болести се тие кои влијаат на најмногу 5 од 10 000 луѓе.
- Да целат кон обезбедување адекватно кодирање и наоѓање на ретките болести во сите здравствени информациони системи, да охрабруваат адекватно признавање на ретките болести во националното здравство и системи за надоместок базирани на ICD со запазување на националните процедури.
- Активно да придонесат за развој на лесно достапен и динамичен инвентар на ретки болести на ниво на ЕУ, базиран на мрежата на Орфанет (Orphanet) и други постоечки мрежи како што е реферирано во комуникацијата на Комисијата во однос на ретките болести.
- Да ја разгледаат можноста за поддршка на сите соодветни нивоа, вклучувајќи го и нивото на Заедницата, од една страна, мрежи за информации во однос на специфични болести и од друга страна за епидемиолошки цели, регистри и бази на податоци, со свесност за независно регулирање за истите.

ИСТРАЖУВАЊЕ ЗА РЕТКИ БОЛЕСТИ

- Да се идентификуваат тековни истражувања и истражувачки ресурси во националната рамка, како и во рамките на ЕЗ за да се воспостави најдобрата состојба, да се процени истражувачкиот капацитет во областа на ретки болести, и да се подобри координацијата на ЕЗ, националните и регионалните програми за истражување на ретки болести.
- Да се идентификуваат потребите и приоритетите за основно, клиничко, транснационално и социјално истражување на полето на ретките болести и формите на нивно згрижување и промовирање на интердисциплинарни ко-оперативни пристапи кои комплементарно ќе се разработат низ националните програми, како и низ програмите на ЕЗ.
- Да се поттикнува учество на национални истражувачи во истражувачки проекти за ретки болести финансирани на соодветни нивоа, вклучувајќи и на ниво на ЕЗ.
- Да вклучат во плановите или стратегиите одредби наменети за поттикнување на истражувањето на полето на ретки болести.
- Да олеснат, заедно со Комисијата, развој на истражувачка соработка со трети земји активни во истражување на ретките болести и погенерално во однос на размената на информации и споделувањето на експертиза.

ЦЕНТРИ НА ЕКСПЕРТИЗА И ЕВРОПСКИ РЕФЕРЕНТНИ МРЕЖИ ЗА РЕТКИ БОЛЕСТИ

- Да се идентификуваат соодветни центри на експертиза низ националната територија до крај на 2013та година и да се разгледа поддржување на нивното создавање.
- Да се поттикнува учество на центрите на експертиза во Европските референтни мрежи, запазувајќи ги националните надлежности и правила во однос на овластување или признавање.
- Да се организираат здравствени протоколи за пациенти кои страдаат од ретки болести, преку воспоставување на соработка со релевантни експерти и размена на експертиза во земјата или од странство кога е потребно.
- Да се поддржи користење на информациски и комуникациски технологии како телемедицина каде е потребно да се безбеди пристап на далечина до специфичната потребна здравствена нега.

- Да се вклучат, во плановите или стратегиите, потребните услови за дифузија и мобилност на експертиза и знаење за да се олесни третманот на пациентите во нивната близина.
- Да охрабрат центрите на експертиза да се базираат на мултидициплинарен пристап на нега кога се работи за ретки болести.

СОБИРАЊЕ НА ЕКСПЕРТИЗА ЗА РЕТКИ БОЛЕСТИ НА ЕВРОПСКО НИВО

Да собираат национална експертиза за ретки болести и да поддржуваат здружување на таа експертиза со европските колеги со цел да поддржат:

(a) Споделување на најдобрите практики за алатки за дијагноза и медицинска нега како и едукација и социјална нега на полето на ретките болести;

(b) Адекватна едукација и обука за сите медицински професионалци за да бидат свесни за постоењето на овие болести и можните ресурси достапни за нивна нега;

(c) Развој на медицинска обука на полиња релевантни за дијагноза и менаџмент на ретки болести, како генетика, имунологија, неврологија, онкологија или педијатрија;

(d) Развој на Европски упатства за дијагноза и тестови или скрининг на населението, запазувајќи ги националните одлуки и надлежности;

(e) Споделување на извештаите на проценка на семјите-лленки на ЕУ, за терапевтска или клиничка додадена вредност на лекови за ретки болести на ниво на ЕЗ, каде релевантното знаење и експертиза се собира, за да се минимизираат одложувања во пристапот до лекови за ретки болести за пациентите со ретки болести.

ЗАЈАКНУВАЊЕ НА ОРГАНИЗАЦИИ НА ПАЦИЕНТИ

- Да се консултираат со пациентите и претставници на пациентите во однос на политиките на полето на ретки болести и да го олеснат пристапот до нови информации за ретки болести за пациентит
- Да ги промовираат активностите во реализација на организации на пациенти, како подигнување на јавната свест, градење на капацитет и обука, размена на информации и најдобри практики, вмрежување и опфаќање на многу изолирани пациенти.

ОДРЖЛИВОСТ

- Заедно со Комисијата, да целат кон обезбедување (низ соодветно финансирање и механизми на соработка), на долготрајна одржливост на инфраструктурите развиени на полето на информација, истражување и здравствена грижа за ретките болести.

СО ОВА ЈА ПОКАНУВА КОМИСИЈАТА:

- До крајот на 2013 година а со цел да дозволи одредени можни предлози за идна програма на акција на ЕЗ на поле на здравјето, да имплементира извештај во однос на оваа препорака адресирана до Европскиот парламент, Советот, Европскиот економски и социјален комитет и Комитетот на регионите врз основа на информациите обезбедени од земјите-членки на ЕУ, кои треба да разгледаат до кој степен предложените мерки работат ефективно и која е потребата од идни активности за подобрување на животот на пациентите со ретки болести и нивните семејства.
- Дополнително редовно да го информира Советот за комуникацијата соа Комисијата за ретки болести на редовна основа.

Подготвено во Луксембург, 8 Јуни, 2009 година.
За советот
Претседател
Петр Шимерка, ЕН Ц 151/10 Официјален Весник на Европската Унија 3.7.2009
Petr ŠIMERKA EN C 151/10 Official Journal of the European Union 3.7.2009

Текстот е преведен од следниот документ:

COUNCIL RECOMMENDATION of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases (2009/C 151/02)

ЕУРОПЛАН / ЕВРОПСКИ ПРОЕКТ ЗА РАЗВОЈ НА НАЦИОНАЛНИ ПЛАНОВИ ЗА РЕТКИ БОЛЕСТИ

ПРЕПОРАКИ ЗА РАЗВОЈ НА НАЦИОНАЛНИ ПЛАНОВИ ЗА РЕТКИ БОЛЕСТ

ИЗВРШНО РЕЗИМЕ

За специфичните проблеми и потреби на пациентите со ретки болести е известувано и објаснувано во повеќе важни европски документи како „Комуникето од Комисијата до Европскиот Парламент, Советот, Европскиот Економски и Социјален Комитет и Комитетот на региони“ за Ретки болести: Предизвиците на Европа, објавен на 11 ноември 2008, и Препораките од Советот од 8 јуни 2009 за акција во полето на ретки болести. Граѓаните на ЕУ кои се соочуваат со ретка болест се соочуваат и со големи нееднаквости во различни земји членки , дури и во различни региони на истата земја членка. Во моментов има нееднаков пристап до стручни услуги, лекови кои се специјално развиени за ретки болести, таканаречените лекови сираци, дијагноза и рехабилитација.

И Комуникацијата на Комисијата и во Препораката на Советот покажуваат дека соодветни Национални планови или стратегии, кои имаат сеопфатен и интегриран пристап кон обезбедувањето на здравствена и социјална заштита на пациентите со ретки болести, во контекстот на Европска соработка, се неопходни за навистина да се подбри состојбата на овие пациенти.

Додека Препораките од Советот сведочат за препознавањето на потребата за подобрување на состојбата на пациентите со ретки болести од страна на Земјите членки и ги покажуваат насоките за развој на здравствените политики , Европскипт проект за Развој на национални планови за ретки болести[32] (ЕУРОПЛАН) , ги елабориираше своите ’упатства и препораки‘ за да се олесне дефиницијата, спроведувањето и следењето на Националните Планови или Стратегии . Препраките на ЕУРОПЛАН ќе бидат презентирани на коференции организирани од ЕУРОРДИС во Бугарија, Хрватска, Данска, Франција, Германија, Грција, Унгарија, Ирска, Италија, Луксембург, Холандија, Романија, Шпанија, Шведска, Обединетото Кралство и можеби исто така во Полска, за да се процени нивната трансферабилност во соодветните земји и да се стимулира национална дебата меѓу релевантните учесници.

Препораките на ЕУРОПЛАН се фокусираат на седум области за интервенција отсликувајќи ги Препораките на Советот на ЕУ.

Област 1 - Планови и стратегии во полето на ретки болести: Процесот на креирање на Национален План или Стратегија за ретки болести може да е значително различен меѓу земјите членки поради нивото на искиство на земјата со ретки болести. Со цел да се развие национален план или стратегија за ретки болести следните акции се идентификувани и усогласени: а) проценка на потребите на пациентите и ресурсите на здравствениот систем, б) создавање на механизми за поддршка на националниот план или стратегија, в) нацрт План или Стратегија, г) идентификување на иницијативи и акции, д)да се осигура одржливост, е)следење на спроведувањето, евалуација на резултатите и ревизија на планот соодветно и изнаоѓање и ставање во функција на механизми за управување со вклученоста на различни учесници. Создавањето на свесност е важно не само кај јавноста (групи на пациенти, конференции, настани, вклученост на медиумите) туку и меѓу креаторите на политики во здравството. Второто треба да ја подигне свеста меѓу ’одговорните лица‘ за да се помогне имплементацијата на Националните Планови или Стратегии. Во земјите со мала популација голем дел од болестите најверојатно не се присутни кај населението или се јавуваат случајно што резултира со недостаток на свесност, недостаток на застапување, недостаток на внимание кон пациентите со ретка болест, недостаток на специјализирани медицински професионалци и центри и недоволно истражување. Поради овие причини меѓународната соработка е важна опција за да се изгради експертиза и одделни услуги достапни во мали земји.

[32] ЕУРОПЛАН има корист од соработката на експерти од 27 Земји членки (ЗЧ) 3 не –ЕУ Европски земји и чадор организацијата на европски пациенти ЕУРОДИС, во координација со Националниот Центар за Ретки Болести, Италијанскиот Национален Институт за Здравје (Istituto Superiore di Sanita, Italy). ЕУРОПЛАН е кофинансиран од Европската Комисија (ГД Здравство и Потрошувачи) во рамките на WP 2007 од програмата на Акции на Заедницата во Јавното Здравство.

Советот исто така препорачува елаборирање на „ограничен број на приоритетни акции (меѓу 5 и 10) во рамките на плановите или стратегиите. Постоечките Национални Планови или Стратегии покажуваат дека ретките болести имаат заеднички полиња и акции. Идентификуваните главни полиња вклучуваат во најголем број на случаи: препознавање на специјалноста на ретките болестии; информации за пациентитеи општеството; подобар пристап до медицинска нега; навремена и соодветна дијагноза; подобрен третман и пристап до потребните лекови (на пр. сираци лекови); истражување; обука на медицинските професионалци; јакнење на пациентите; подобрување на здравствените услуги за други здравствени проблеми. Дисеминацијата на информации за подготовка и усвојување на Националниот План или Стратегија во земјата исто така треба да бидат дел од стратегијата за да се осигура ефективно влијание на однесувањето на пациентит со ретки болести и на работењето на системот за здравствена заштита. Со цел да се подобри одржливоста Наионалните Планови или Стратегии треба да бидат интегрирани во постоечките структури на општиот систем за здравствена заштита. Животниот век на постоечките Национални Планови или Стратегии е варијабилен, со просечно времетраење од 3 до 5 години но исто така може да се планира и континуиран цикличен процес (на пр. Шпанија). Се препорачува да се има механизам за следењево регуларни интервали на иницијативите што го прават Планот или Стратегијата и евалуација на исполнетите достигнувања. Исто така е важно податоците за индикаторите да се прибираат од структура/институција која интристично е заитересирана за информациите кои ги дава индикаторот, и евалуацијата да е извршена од страна на независно тело. Проектот ЕУРОПЛАН предлага листа на индикатори за да се следат некои можни акции во главните препорачани области за национален План или Стратегија. Индикаторите предложени од ЕУРОПЛАН, во најголем дел, се процесни индикатори, бидејќи се очекув да ги следат фазите на развој и спроведување на Националниот План или Стратегија. Индикаторите за здравствени резултати исто така се важни за да се следи епидемиолошката состојба со ретки болести.

Област 2 – Соодветна дефиниција, кодификација и попис на ретки болести: Кодификацијата е централна тема во Европските иницијативи за ретки болести. Навистина, еден од главните проблеми при планирањето на здравствена заштита за ретки болести е дека товарот од нив е невидлив за здравствениот систем, поради тешкотите при дијагностицирање, погрешната класификација и недостатокот од соодветно кодирање. Се очекуваат значителни промени со објавувањет на ICD11 која ќе биде објавена во 2014. Сепак за да се има корист од оваа нова алатка, неопходно е Националниот План да предвиди соодветна обука за медицинските професионалци. Исто така е неопходно да се има редовно обновуван и прецизен попис на ретки болести кој ќе содржи информации за преваленцијата, механизмите, клиничките карактеристики и етиологијата: би овозможило максимизирање на свесноста и овозможува документарна поддршка на давателите на медицинска нега, пациентите и истражувачите. Епидемиолошката проценка на ретки болести е тешка поради погоре опишаните проблеми за кодирање и класификација, како и други проблеми (на пр. соодветна дијагноза) кои го отежнуваат следењето на ретките болести во системот за здравствена заштита како што е исто така покажано од искуството од првиот дел на Францускиот Национален план. Регистри за специфична болест или регистри за групи на ретки болести се ефективен начин како да се процената потребите за здравствена нега како и да се генерира истражување во неколку области, вклучително и во епидемиологијата ; многу често тие се единствениот извор на научни/клинички и епидемиолошки информации за ретки болести. Треба да се идентификуваат и спроведат соодветни мерки за да се осигура одржливоста на регистрите и квалитетот на нивните податоци и да се промовира синергијата меѓу истражувањето, јавното здравство и социјалната поддршка. Регистрите би можеле да се навистина многу корисни за планирање на здравствените услуги, за проценка на ефективноста на лековите и да се контролира квалитетот на релевантните здравствени услуги. Некои видови на ретки болест може да се сметаат како случајни настани при промени во средината или од индивидуалните здравствени детерминанти: вродени деформации, детски канцер и ретки окупациони тумори се само неколку примери. Зголемениот број на вакво случаи може да претставува предупредувачки сигнал за националните здравствени власти.

Област 3 – Истражување за ретки болести: Најдобриот начин да се зголеми нашето знаење за ретки болести, воопшто е преку истражување, основно истражување и клиничко истражување. Истражувањето за ретки болести е расфрлано низ ЕУ и е споредбено недоволно во однос на бројот и хетерогеноста на ретките болести. Различни причини го отежнуваат истражувањето за ретки болести, имено: високиот број и широката разноликост на болестите, недостатокот на соодветни експериментални модели за повеќето ретки болести, слабо дефинираните крајни цели, малиот број на пациенти и пред се недоволно ресурси. Има силна потреба од поддршка на колаборативни програми на сите полиња на истражување за ретки болести од основни/базични до социјални истражувања на национално, Европско и меѓународно ниво. Покрај познатиот недоволен интерес од страна на фрамацевтските компании за развој на третмани за ретки болести поради ограничениот пазар за секоја индивидуална болест, нагласено е дека тешкотијаа при изведувањето на клинички студии за нови третмани за ретки болести е еден важен но често ограничувачки чекор во развојот на нови терапии за ретки болести. Меѓународна соработка во изведувањето на клинички студии е неопходна за да се опфати број на население кој ќе даде доволно статистичка сила на студијата, следствено подобрувајќи го потенцијалот за проценка на ефикасноста на третманот за ретки болести. Соработката на институциите/организациите за истражување со структурите на Националниот систем за здравствена заштита, особено во однос на Центрите на експертиза треба проактивно да се промовира бидејќи е начин кој ветува дека ќе се подобри квалитетот на здравствена заштита и ќе ја забрза иновацијата во полето на ретките болести, вклучително и во развојот на новите третмани за истите.

Област 4 – Центри на Експертиза и Европска Референтна Мрежа за Ретки болести: Пилот- работата што резултираше од концептите развиени во рамките на работната Група „Европски Референтни Мрежи“ од Групата на Високо Ниво за Здравствена Заштита и Медицински Услуги покажа дека назначувањето на центри на експертиза на национално или регионално ниво и нивното вмрежување е ефективен инструмент за обезбедување на здравствена заштита на пациентите со ретки болести. Воспоставувањето на национални мрежи на центри на експертиза и нивната долгорочна одржливост треба да се смета за главен приоритет на Националните Планови и Стратегии. Сепак, повеќето од Европските земји во моментов немаат центри на експертиза за ретки болести, а онаму каде што постојат има значителни разлики во нивната организација и позиција во националниот здравствен систем, фокус и извори на финансирање. Покрај Европските мрежи, исто така билатерална, меѓугранична соработка и транснационални договори се многу ефикасни начини за да се активира синергија за обезбедување на одредени здравствени услуги и треба да бидат земени предвид со Националните Планови и Стратегии. Електронски он-лајн услуги и алатки за телемедицина и инфраструктури можат да ги поддржат мрежите на различни начини. Одложувањето на дијагнозата во полето на ретките болести е многу често и сноси драматични последици. Дијагнозата е основа за соодветна здравствена заштита и можност за добивање на третман и идентификувани се неколку тесни грла: недостаток на препознавање на невообичаена шема на симптоми, недостаток од соодветни референци до одреден центар од медицински професионалци, недоволна достапност на дијагностички тестови. Напатствијата се важна алатка која може да обезбеди многу поволности за пациентите во контекстот на здравствена заштита која ја добиваат преку мрежите. Сепак напатствијата се недоволни во полето на ретки болести. Развојот, споделувањето и усвојувањето на цврсти клинички упатства за ретки болести се многу потребни со цел да се подобри дијагностичката способност на лекарите но исто така и да се дисеминира квалитетна клиничка пракса. Информациите и обуката на медицинските професионалци исто така играат клучна улога меѓу областите кои што водат до подобрување на дијагнозата и негата. Тука исто така важноста на транснационален пристап до патиштата на здравствена заштита, кој е одличен во другите медицински полиња, е витален во полето на ретки болести, поради фреквентниот недостаток на експертиза на национално ниво. Некои од ретките болести можат да бидат вклучени во скрининг програми кое се многу моќни механизми за детектирање на ретки болести за кои постои соодветен дијагностички тест и достапен ефикасен третман. Соработката меѓу земјите членки може да биде предност во спроведувањето на скрининг програмите. Неопходно е да се стави во

функција процес на рехабилитација со цел на погодените пациенти да им се овозможи да ги постигнат своите највисоки физички, сензорни, интелектуални, психолошки и општествено функционални нивоа.

Област 5 – Прибирање на Експертиза за ретки болести на Европско ниво: Обуката на професионалци и развојот и размената на најдобри практики и образование се висок приоритет во полето на ретки болести и се главните детерминанти за навремена и соодветна дијагноза и висококвалитетна нега. Обуката и образованието на професионалци може да се таргетира во различни области според улогата што ја имаат во грижата за ретки болести, тежината на дијагнозата, специфичната организација на здрвствената услуга за да се осигура соодветна грижа и за потребите на пациентите со ретка болест. Новите технологии резултираа со нееднаков разво ј и достапност на услуги за генетско тестирање. Со цел да се осигура подеднаков пристап кон превенција, дијагноза и нега, пожелно е да се дефинира заедничка рамка за развој на скрининг програмите кај неонаталната популација или таргетирани скринизи, но и препознавајќи дека географските шеми на дистрибуција на одредени болести и јавни здравствени системи и социјални прашања може да бидат различни во различни земји. Здружувањето на клиничките истражувачки ресурси преку соработка во меѓународни мрежи може да биде од корист за да се забрза усвојувањето на упатства развиени во различни ЕУ земји кои можат делумно ја намалат ограничената пристапност до упатства базирани на докази во полето на ретките болести. Развојот на нови третмани е уште една област каде може да се има голема корист од здружување на експертизата на ЕУ и на меѓународно ниво. Во однос на проценка на клиничката додадена вредност на сираци лекови, важно е да се нагласи дека голем дел од основната работа е направен од Европската Агенција за Лекови (ЕМА). Во моментов сепак најголем дел од достапните медицинските тремани ги користат познатите леково, во некои случаи во нови комбинации. Развојот на дополнителни индикатори за веќе постоечките и пристапни лекови најчесто не е поддржан од фармацевтската индустрија. Следствено, овие студии се изведени од страна на академски истражувачи кои често соработуваат во мрежи. За да се забрза достапноста на третмани за ретки болести, неопходна е поддршка на клинички студии, како и академски студии за нови индикации на постоечки лекови.

Област 6 – Зајакнување на организациите на пациенти: Како резултат на зајакнувањето, пациентите со ретки болести во многу случаи имаат играно активна инструментална улога во определувањето на истражувачките проекти и во оформувањето на политиката за здравствена заштита. Понатаму, зајакнувањето може да резултира со подобро менаџирање на дневните потреби на пациентите и поголема усогласеност со протоколите за грижа при справување со следствените психолошки состојби и во подобрување на социјалната вклученост. Поради големиот број на ретки болести има над 1700 различни организации на пациенти во Европа. Тие играат значајна улога при нудењето на информации и за пациентите, прибираат средства за истражување и лобираат за подобар квалитет на нега и третман. Многумина од овие луѓе(пациенти и нивни роднини) се организирани во национални алијанси, понекогаш поврзани со Европска чадор организација, најважната од кои е пред се ЕУРОРДИС. Веб-страните за специфични болести, многу често уредувани од страна на здруженија на пациенти, се многу вањен извор на информации кои често ги користат пациентите. Меѓу иницијативите за обезбедување општи и специфични податоци информации за ретки болести, клучна улога играат и телефонските линии за помош. Линиите за помош како и други информативни услуги и услуги за поддршка на пациентите треба да бидат вклучени во одредбите на Националниот план или Стратегија за ретки болести. Специјализирани социјални услуги како оние што го олеснуваат одењето во училиште и учеството во работната сила се исто така важни за зајакнување на луѓето кои живеат со ретки болести и ја подобруваат нивната благосостојба и вклученост во општеството. Сепак, дневните центри и сличните иницијативи треба да се воспостават заедно со развојот на моќта на пациентите за да се подобри квалитетот на живот на пациентите со ретки болести и на негувателите во семејството.

Област 7 - Одржливост: Трошоците за обезбедување или за подобрување на услугите за пациентите со ретки болести треба да се проценат имајќи ги предвид општите вредности на универзалноста, пристапот до квалитетна нега, еднаквоста и солидарноста и треба да се балансирани со следствените заштеди во здравствената заштита и социјалните трошоци кога имаме пациенти со ретка болест со подобро здравје. Одржливоста на целиот процес на давање на нега може да биде во предност ако

одлуките и одговорностите се договорени меѓу земјите членки во однос на воспоставување на транснационална соработка и координација на услуги и активности. Финансирањето на Националниот План или Стратегија е национална одговорност според соодветните национални здравствени буџети. Сепак, некои буџетски алатки од Европската Унија можат да се искористат за развој на Европски колаборативни програми и за воспоставување на национални инфраструктури. Во овој документ дадени се индикации за можностите што ги нуди Втората Програма за Здравство на ЕУ (2008-2013) и Структрните Фондови (2007-13).

ДЕЛ 1

ВОВЕД

Позадина за ретките болести

Препорака од Советот (2009/C 151/02) „Ретките болести се закана по здравјето на граѓаните на ЕУ, до таа мера што тие се живоно-загрозувачки или хронично заслабнувачки болести со ниска застапеност и висок степен на комплексност. И покрај нивната реткост има толку многу различни видови на ретки болести што погодуваат милиони луѓе“.

Ретките болести се хронични заслабнувачки состојби кои погодуваат не повеќе од 5 на 10 000 луѓе. Полето на ретките болести е широко и комплексно и се карактеризира со специфични проблеми и потреби за кои е известувано и објаснето во неколку важни Европски документи , како „Комуникацијата од Комисијата до Европскиот Парламент, Советот, Европоскиот Економски и Социјален Комитет и Комитетот на Региони“ за Ретки болести : Предизвиците на Европа објавен на 11 ноември 2008, и во Препораката од Советот од 8 јуни 2009 за акција во полето на ретки болести.

Детално овие документи ги подвлекуваат фактите дека

- иако секоја поединечна болест е ретка, се претпоставува дека меѓу 5000 и 8000 ретки болести се опишани, кои погодуваат 6%-8% од населението во текот на нивниот живот на вкупен број на жители од 27 до 36 милионо во ЕУ. Околу 80% од ретките болести имаат генетско потекло. Животниот век на пациентите погодени од околу 60% од ретки болести е значително намален. Многу од овие услови се сложени, тешки, дегенеративни и хронично заслабнувачки, додека другите се компатибилни со номрален живот доколку се дијагностицираат навремено и соодветно се управуваат;
- ретките болести ги погодуваат физичките и/или менталните способности, бихевиоралните и сензорните капацитети и предизвикуваат попреченості. Неколку попреченості често

коегзистираат со многу функционални последици. Овие попречености може да бидат извор на дискриминација и да ги намалат образовнит, професионалните и општествените можности;

- медицинските професионалци често немаат доволно знаење за ретките болести што може да ја одложи дијагнозата и обезбедувањето на соодветна нега;
- раната диајгноза и следење бараат експертска медицинска компетентност. Сепак ако болестите се ретки и експертите се ретки исто така;
- поради слабата видливост за повеќето здравствени системи, одложената дијагноза и несоодветниот третман, пациентите со ретки болесто се подложни на изолација и општествено исклучување.

Земјите Членки на ЕУ имаат воспоставено генетски услуги и здравствени политики за попречености и за медицинска и социјална грижа за деца. Пациентите со ретки болести можат во некои случаи да ги имаат карактеристиките (на пр. сериозност, клиничка комплексност) да имаат корист од одредбите на ваквите услуги и политики. Сепак, претходно споменатите Европски документи покажуваат дека недостатокот од иницијативи и здавствени политики специфично таргетиран за ретки болести резултира во задоцнета дијагноза и потежок пристап до третман и нега. Ова води до дополнителни физички, физиолошки и интелектуални попречувања, недоволна превенција и несоодветни социјални услуги или дури и штетен третман.

Фокусот на ретките болести е релативно ново достигнување во повеќето ЕУ Земји Членки и следи по препознавањето на фактот дека додека претставуваат единствен ентитет со специфични патогенетски и клинички карактеристики , тие делат заеднички проблеми од перспектива на јавно здравство и имаат потреба од специфично таргетирани политики. Во моментов постои „голема варијабилност“ меѓу земјите и во земјите за видот на услуги достапни за пациентите со ретки болести и пристапноста до овие услуги. Ова е поради фактот што некои земји започнале да ги студираат и спроведуваат мерките пред неколку години, други земји го почнале процесот скоро, а трети го немаат сеуште започнато. Ова дава шарена панорама во однос на тоа како пациентите со ретки болести можат да се дијагностицираат и следат со големи нееднаквости низ Европа. Граѓаните од различни земји членки дури и од различни региони во иста земја членка имаат, во моментов, нееднаков пристап до експертски услуги, лекови специјално развиени за ретки болести, таканаречените сираци лекови, дијагноза и рехабилитација. Понатаму, повеќето земји членки ги делат истите проблеми со недостаток на знаење и експертиза во ова поле.

Она што е сработено во претходните години на Европско ниво во полето на ретките болести и искуствата со тие земји каде постојат иницијативи за ретки болести во јавното здравство, покажале дека глобалнио и специфичниот национален пристап и Европската соработка и заедничнкиот развоја на решенија се клучните елементи за да се подобри здравствената заштита (и социјалната грижа) на пациентите со ретки болести. На создавањето на специфични планови или стратегии на национално ниво се гледа како на висок приоритет и во претходно споменатите Комуникација на Комисијата и во Препораката на Советот и вакава важност е потврдена од Документот за Проценка на Вработените кој ја придружува Препораката од Советот : во самите земји членки има фрагментираност на ограничени ресурси достапни за ретки болести, затое е неопходно да се има специфичен план за да се концентираат и ефикасно да се искористат ваквите ресурси (SEC (2008)2713 final, 11.11.2008 - http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=SEC:2008:2713:FIN:EN:DOC).

Позадина на проектот ЕУРОПЛАН

Европскиот проект за развој на национални планови за Ретки болести (ЕУРОПЛАН), тригодишен проект (2008-2011) од Програмата Акција на Заедниците во полето на Јавното Здравство (2003-2008) има за задача да ги елаборира докиментите за да се олесне воспоствувањето и спроведувањето на Националните Планови или Стратегии, како што е

назначено во Препораката на Советот од 8 јуни 2009 за акција во полето на ретки болести. Вакви планови или Стратегии се препорачуваат да се воспостават и спроведат „по можност до крајот на 2013“. Здравствените власти на 27 ЕУ земји членки (ЗЧ) го потпишаа документот, искажувајќи ја својата посветеност да се зачува овој рок.

Триесет партнери од различни земји и Европската чадор организација ЕУРОРДИС учествиваат во ЕУРОПЛАН со координација со Националниот центар за ретки болести на Италијанскиот Национален институт за Здравје (Instituto Supriore di Sanita, Italy). Проектот осигурува инклузивна и широка ангажираност на учесниците вклучително и здаравствените власти и креаторите на политики во здравството, медицинските професионалци, истражувачи и пациенти.

Клучна група на ЕУРОПЛАН партнери го изготвија првиот нацрт за овој документ , кој темелно се дискутираше на неколку состаноци со различни учесници вклучени во полето на ретки болести. Крајниот нацрт, изменет според дополнувањата добиени на овие состаноци, е поднесен на неформална консултација со експерти од здравствените власти на ЕУ. Конечниот нацрт е ревидиран според добиените коментари и резултираше со конечен документ усогласен за време на специфична работилница со здравствените власти (одржана во Краков на 13 мај 2010). Конечниот документ ќе биде презентиран на конференции организирани од страна на ЕУРОРДИС во Бугарија, Хрватска, Данска, Франција, Германија, Грција, Унгарија, Ирска,Италија , Луксембург, Холандија, Романија, Шпанија, Шведска, Обединетото Кралство, и можеби Полска. За време на овие Национални Конференции, локалните учесници ќе ги дискутираат препораките на ЕУРОПЛАН и главните елементи на ЕУ стратегијата за ретки болести, со цел да се процени трансферабилноста во нивнит соодветни Земји. Коментарите кои ќе произлезат на конференциите ќе бидат забележани и прикачени како анекси на конечниот документ.

Што значат ‘Препораките’ во контекст на овој документ?

Препораката од Советот од 8 јуну 2009 за акција во полето на ретки болести кажува дека ЕУРОПЛАН има за задача да развие ’упатства и препораки‘.

За време на состаноците за подготовка на сегашниот документ имаше жива дискусија за значењето на зборот ’Препораки ‘ во овој контекст. Се постигна согласност дека Препораки значат ’насоки‘ за развој на Националниот План и Стратегија, имплементирајќи ги содржините на главните Европски Документи за ретки болести и особено претходно споменатата Препорака од Советот. Голема важност е дадена исто така на нивната употреба како алатки, во однос на фактот дека ЕУРОПЛАН препораките даваат сет на ’алатки и примери‘ како активностите за ретки болести можат да се организираат на национално (и Европско) ниво. Всушност, акциите препорачани во овој документ ќе се имплементираат и развијат различно во различни земји членки, врз основа на организацијата на националниот здравствен и социјален систем, бројот на жители во земјата, достапноста на експертиза во полето на ретки болести, интеграцијата со веќе постоечки иницијативи и буџетски прашања.

Свесни сме за фактот дека неколку земји веќе имаат традиција на добри практики во одредени аспекти на здравствената политика и во други земју Националните Планови или Стратегии се изготвени истовремени додека го пишуваме овој документ. Препораките на ЕУРОПЛАН немаат за цел да ги заменат иницијативите кои постојат или спонтано произлегуваат во тие земји, туку имаат за цел да обезбедат инструменти за отсликување на клучните елементи на акција за ретки болести кои се идентификувани во последниве години од Европскар работа и назначени во Европските документи како најрелевантни за да се подобри состојбата со ретки болести во земјата.

Во согласност со општите цели на ЕУРОПЛАН, сегашниот документ кој ги содржи ЕУРОПЛАН препораките има за цел да е алатка за да ги води националните ангажмани за ретки болести и да ги направи компатибилни со заедничка стратегија на Европско ниво, олеснувајќи ја кохеренцијата

на националните иницијативи со главните проблеми и добри практики идентификувани во ова поле и припремајќи ја средината заможни синергии и кооперативни пристапи како пожелни за да се подобри обезбедувањето на здавствена заштита за пациентите со ретки болести во ЕУ земјите членки.

Целните корисници на сегашното документ се креаторите на политики и други учесници вклучени во планирање на интервенции или, поспецифично, планови или стратегии за ретки болести во нивната земја.

ЕУРПЛАН ДЕФИНИЦИЈА НА НАЦИОНАЛНИ ПЛАНОВИ ИЛИ СТРАТЕГИИ

Национален План или Стратегија може да се дефинира како сет на интегрирани сеопфатни акции на здравствени и социјални политики за ретки болести (со претходна анализа на потребите и ресурсите), за да се развие и спроведе на национално ниво и се карактеризира со идентификување на цели кои треба да се постигнат во дадена временска рамка. Алокацијата на соодветни инструменти и ресурси (на пр. човечки, финансиски и инфраструктурни) за развој и имплементација на Националниот План или Стратегија и нивното следење и евалуација се од посебна важност за да се осигура ефикасноста на планот или стратегијата.

Претходно споменатата дефиницијаза национален план или стратегија вклучува два главни концепти на Препораката на Советот од 8 јуни 2009 за акција во полето на ретки болести.

Интегриран се однесува на фактот дека стратегиите треба да се развиваат на таков начин што ќе се идентификуваат комплементарностите, максимизираат синергиите и ќе се избегнат дуплирања.

Сеопфатен се однесува на фактот дека акциите предвидени во планот треба да ги задоволуваат основните потреби на пациентите (на пр. квалитетна нега, но и социјални услуги). Со цел соодветно да се одговори на потребите на пациентите, план или стратегија која цели да има максимално влијание од планираните акции не може да биде ограничена на една единствена област, бидејќи неколју области се поврзани и меѓусебно се поддржуваат.

ЕУРОПЛАН Препораки за Област 1: Планови или Стратегии во полето на ретки болести

П 1.1 Пациентите со ретки болести заслужуваат посветени политики од јавното здравство за да се задоволат нивните специфични потреби.

П 1.2 Се преземаат иницијативи за да се зголеми свесноста за димензијата на проблемот и да се создаде заедничка одговорност.

П 1.3 Воспоставен е механизам (на пр. интердисциплинарен панел, комитет) кој ги вклучува релевантните учесници за да го помогне развојот и имплементацијата на Националниот план или стратегија.

П 1.4 Ситуацијата се анализира вклучувајќи:

- Попис на постоечки ресурси од здравствената заштита, услуги, клинички и фундаментални истражувчки активности и политики кои директно ќе се однесуваат на ретките болести како и на оние од корист за пациентите со ретки болести.
- Проценка на незадоволените потреби на пациентите.
- Евалуирани се на национално ниво достапните ресурси за подобрување на здравствената и социјалната нега на луѓето погодени од ретка болест.
- Европска соработка и европските документи во полето на ретките болести се земаат предвид во развојот на Националниот План или Стратегија.

П 1.5 Националниот План или Стратегија се елаборира со добро опишани цели и акции. Општите цели на Националниот План или Стратегија се засновани на општите сеопфатни вредности на универзалност, пристап до квалитетна нега , еднаквост и солидарност.

П 1.6 Политичките одлуки на Националниот План или Стратегија се интегрирани т.е. структурирани да ги максимизираат синергиите и да избегнат дуплирања со постоечките функции и структури на здравствениот систем на земјата.

П 1.7 Политичките одлуки на Националниот План или Стратегија се сеопфатни и ги задоволуваат не само потребите на здравствена нега, туку и социјалните потреби.

П 1.8 Специфични области на акција се посочени со тоа што се дава приоритет на Препораките од Советот, земајќи ги предвид главните потреби идентификувани во земјата членка.

П 1.9 Соодветни ресурси се алоцираат за да се осигура одржливоста на акциите во планираното време.

П 1.10 Информации за националниот План или Стратегија се достапни на јавноста и се дисеминирани на групите на пациенти, здруженијата на медицински професионалци, јавноста и медиумите, планот исто така се објавува и на европско ниво.

П 1.11 Се преземаат мерки за да се осигура одржливоста, трансферот и интеграцијата на акции предвидени со националниот план и стратегија во општиот здравствен систем на земјата.

П 1.12 Националниот План или Стратегија има времетраење од три до пет годнини. Се воспоставува среден краен рок, по кој започнува процес на евалуација и се усвојуваат корективни мерки. За подолги временски рамки или за недефинирана временска рамка се усвојува 2 или 3 годишна циклусна евалуација и адаптација, доколку е потребно.

П 1.13 Националниот План или Стратегија е следен и оценуван на редовни интервали користејќи ги, колку што е можно, индикаторите на ЕУРОПЛАН.

П 1.14 Спроведувањето на акциите и нивните достигнувања се оценуваат.

П 1.15 Најсоодветната евалуација на Националниот План или Стратегија е од надворешно тело и ги зема предвид ставовите и на пациентите и на граѓаните. Потребите на пациентите се оценуваат на почетокот и на крајот на спроведувањето на планот користејќи ја истата методологија. Евалуациските Извештаи се достапни на јавноста.

ЕУРОПЛАН препораки за Област 2:
Соодветна дефиниција, кодирање и попис на ретки болести

П 2.1 Европската дефиниција за ретки болести е усвоена со цел да се олесни транснационалната соработка и акциите на ниво на заедница(на пр. соработка при дијагнози и здравствена нега, активности за регистар).

П 2.2 Се промовира употреба на заеднички ЕУ попис на ретки болести (Орфанет)во националните здравствени услуги и се спроведува соработка за да биде навремено ажуриран.

П 2.3 Се промовира кодирање на ретки болести , охрабрувајќи го нивното следење во националниот здравствен систем.

П 2.4 Упатувањето на ретки болести се спроведува преку различни системи на класификација кои се употребуваат во земјата, осигурувајќи координација и кохерентност со Европските иницијативи , како упатувањето кон Орфа-код (Orpha code).

П 2.5 Соработката со ICD10 процесот на ревизија е осигуран и ICD11 се усвојува во најкраток можен рок

П 2.6 Професионалци во здравството соодветно се обучуваат во препознавање и кодирање на ретки болести.

П 2.7 Се промовираат иницијативи на национално ниво за интегрирана употреба на административни, демографски и здравствени извори на податоци за да го подобрат управувањето со ретките болести.

П 2.8 Се промовираат и се поддржуваат интернационални, национални и регионални регистри за специфични ретки болести или групи на ретки болести со цел истражување и здравствена заштита, вклучително и такви кои ги држат академски истражувачи.

П 2.9 Прибирање и споделување на податоци од било кои валидни извори, вклучително и Центри на Експертиза и нивната достапност за цели од јавното здравство се промовира од страна на здравствените органи, во согласност со националните закони.

П 2.10 Се поттикнува учество во постоечки национални регистри во Европски/ интернационални регистри.

П 2.11 Се идентификуваат инструменти за да се комбинира финансирањето од ЕУ и националното финансирање на регистрите.

ЕУРОПЛАН препораки на Област 3: Истражување за ретки болести

П 3.1 Национални истражувачки програми посветени на ретки болести (основни, транслациони, клинички, во јавното здравство и социјални истражувања) се воспоставуваат и се поддржани со назначени фондови, пожелно долгорочно. Истражувачките проекти за ретки болести треба да можат да се идентификуваат и да се следат во поширокі национални истражувачки програми.

П 3.2 Во Националните Планови или Стратегии посебни одредби се вклучуваат за да се промовира соодветна соработка меѓу Центрите на Експертиза и/или други структури на здравствениот систем и на здравствените и истражувачките органи со цел да се подобри знаењето за различните аспекти на ретките болести.

П 3.3 Националните мрежи се промовираат за да поттикнат истражување за ретки болести. Посебно внимание се посветува на клиничките и транслациони истражувања со цел да се олесни примената на нови знаења во третманот на ретките болести. Составување и ажурирање на регистар со тимови кои спроведуваат истражување за ретки болести треба да се поддржи кога ќе биде изводливо.

П 3.4 Соодветни иницијативи се развиваат за да се поттикне учество во заеднички меѓународни истражувачки иницијативи за ретки болести, вклучително и ЕУ рамковата програма и E- RARE. Националото финансирање за овие иницијативи треба значително да се зголеми.

П 3.5 Специфични технолошки платформи и инфраструктури за истражување на ретките болести се воспоставуваат и поддржуваат и се истражува создавањето ја јавно-приватно партнерство.

П 3.6 Мулти-центарски национални и транс-национални студии се промовираат со цел да се постигне критична маса на пациенти за ретки болести и да се искористи меѓународната експертиза.

П 3.7 Се лансираат специфични програми за финансирање и/или регрутирање на млади научници за истражувачки проекти за ретки болести.

П 3.8 Проценката на веќе постоечки лекови во нови комбинации и со нови индикации се поддржува бидејќи може да биде поволен начин за да се подобри третманот за пациенти со ретки болести.

ЕУРОПЛАН препораки за Област 4: Центри за Експертиза и Европска Референтна Мрежа за ретки болести.

П 4.1 Добро дефинирани механизми за назначување на центри на експертиза се воспоставуваат и се осигурува нивниот квалитет, ефикасност и долгорочна одржливост.

П 4.2 Се дефинираат и усвојуваат патишта во здрвствениот систем врз основа на најдобрите практики и експертиза на национално и меѓународно ниво.

П 4.3 Треба да се промовира меѓугранична здравствена заштита онаму каде што може. Во таков случај, центрите кои можат да дадат квалитетна дијагноза и нега се идентификуваат во соседните или други земји каде пациентите или биолошки примероци можат дасе препратат и се промовира соработка и вмрежување.

П 4.4 Национален регистер на Центри на Експертиза се составува и е достапен на јавноста.

П 4.5 Се промовира Транспортот на биолошки примероци, радиолошки слики, друг дијагностички материјал и е-алатки за теле-експертиза.

П 4.6 Центрите за Експертиза обезбедуваат соодветна обука на парамедицински специјалисти; парамедицински добри практики се координираат со цел да послужат за специфичните рехабилитациски потреби на пациентите со ретки болести.

П 4.7 Се обезбедува национална рамка за скрининг на ретки болести, можности и политики.

П 4.8 Перформансот на скрининзи на новороденчиња назначени во земјата се следи со соодветни индикатори.

П 4.9 Се промовира пристап до генетско советување.

П 4.10 Квалитетот на генетското тестирање и други дијагностички тестови се осигурува, вклучително и учество во надворешни шеми за контрола на квалитетот на национално и меѓународно ниво.

П 4.11 Национален попис на медицински лабаратории кои овозможуваат тестирање за ретки болести се составува и е достапен на јавноста.

П 4.12 Усвојувањето на ад хок кодирање се промовира онаму каде што соодветствува за да се препознаат и соодветно да се подмират и надоместат посебните рехабилитациски третмани потребни за ретките болести.

ЕУРОПЛАН препораки на Област 5:
Прибирање на експертиза за ретки болести на Европско ниво

П 5.1 Се промовира употребата на меѓународни глобални информативни веб страни и датабази ретки болести.

П 5.2 Се воспоставув пристап до бази на знаење и експертски совети за здравствени професионалци.

П 5.3 Информации како да се воспостави или приклучи кон Европска Референтна Мрежа е достапен на здравствените професионалци.

П 5.4 Наставната програма за диплома од медицински науки вклучува образовен пакет за ретки болести и на релевантни, посебни одредби во здравствените услуги.

П 5.5 Се поддржува обука на лекари (општа пракса и специјалисти), научници и нови здравствени професионалци во полето на ретки болести.

П 5.6 Програми за постојана едукација за ретки болести се достапни на здравствени професионалци.

П 5.7 Се промовира размена и споделување на експертиза и знаење меѓу центрите во земјата и странство.

П 5.8 Соработката се осигурува во Европската евалуација на постоечките скрининг програми.

П 5.9 Се промовира развојот и усвојувањето на напатствија за добри практики за ретки болести. Напатствијата се достапни на јавноста и се дисеминираат во зависност на опсегот на целните здравствени професионалци.

П 5.10 Дисеминација на информации за третманите на ретките болести се осигурува на најефикасен начин, за да се избегнат одложувањата на пристап до третман.

П 5.11 Учеството се осигурува со заеднички механизми, кога тие се достапни, дефинирајќи ги условите за ненамеско користење на одобрени медицински производи за примена кај ретките болести; за олеснување на употребата на лекови кои сеуште се во клинички студии; за употреба на недоиспитани лекови.

П 5.12 Се составува попис на лекови сираци достапни на национално ниво, вклучително и статус на надомест, и е достапен на јавноста.

П 5.13 Пристапот на пациентите до одобрен третман за ретки болести вклучително и статус на надомест, се регистрира на национално и/или на ниво на ЕУ.

П 5.14 Список на тековни клинички студии за Сираци медицински производи вклучен во Европската база на податоци за клинички студии з а Сираци медицински производи (ЕУРДА) е достапен на јавноста на национално ниво.

П 5.15 Сите информации за центрите на експертиза, напатствијата за добри практики, активностите на медицинските лабаратории, клиничките студии, регистрите и достапноста на лекови, прибрани на национално ниво исто така се објавуваат на Орфанет како што е планиранио со Заедничката Акција.

ЕУРОПЛАН препораки на Област 6: Јакнење на организациите на пациенти

П 6.1 Застапувањето за потребите на пациентите од страна на организации на пациенти е признаено као важен елемент при дефинирањето на политики за ретки болести; Се охрабрува организирање на национална чадор- организација која ги претставува интересите на сите пациенти со ретки болести.

П 6.2 Организациите на пациенти се вклучени во процесот на носење на одлуки во полето на ретки болести.

П 6.3 Се продуцираат валидни информации за ретки болести и се достапни на национално ниво во формат прилагоден за потребите на пациентите и нивните семејства.

П 6.4 Национални информации од интере на пациентите се комуницираат до ЕУРОРДИС за да се објават на веб страната.

П 6.5 Посебни социјални услуги се поддржуваат за луѓе кои живеат со хронично заслабнувачки ретки болести и за нивните негуватели во семејството.

П 6.6 Се воспоставуваат посебни социјални услуги за да ја олеснат интеграцијата на пациентите во училиштата и на работното место.

П 6.7 Регистар на центри кои нудат посебни социјални услуги, вклучително и тие кои ги нудат здруженијата на пациенти, се составува, ажурира и комуницира на национално, регионално и на веб страните на пациентите и е вклучен во Рапсоди мрежата (Rapsody Network).

П 6.8 Се промовираат интерактивни информации и услуги на поддршка за пациенти (како телефонски линии за помош, е-алатки и сл.)

П 6.9 Информативен и едукативен материјал се развива за специфичните професионални групи кои работат со пациенти со ретки болести (на пр. наставници, социјални работници, и сл.)

П 6.10 Се помагаат активностите кои целат на јакнење на пациентите спроведени од здруженијата на пациентите.

ВОВЕД

ПОЗАДИНА ЗА ПРЕПОРАКИТЕ

Препораки од Советот. Советот на Европската Унија во своите препораки од 8 јуни 2009[33] за дејствување во полето на ретките болести, предлага „Земјите Членки да елаборираат и да усвојат план или стратегија колку што е можно побрзо, пожелно до крајот на 2013 најдоцна, со цел да се насочат и структурираат релевантни акции во полето на ретките болести во рамките на нивните здравствени и социјални системи “.

ЕУРОПЛАН Индикатори. Со цел да се поддржи овој процес програмата за дејствувањето на Заедницата во полето на Јавното Здравство го ко-основа „ЕУРОПЛАН“(Европскиот проект за развој на национални планови за ретки болести), тригодишен проект (2008-2011) координиран од Istituto Superiore di Sanità (ISS) - Италијанскиот Национален Центар за Ретки Болести. Целта на ЕУРОПЛАН беше да се развијат алатки и да се спроведат активности кои би им помогнале на земјите од ЕУ да воспостават и да имплементираат национални планови и стратегии во полето на ретките болести. Една од алатките кои беа создадени е „Извештајот за индикатори за следење на спроведувањето и евалуацијата на влијанието на националните планови и стратегии за ретки болести“[34].

Развојот и употребата на индикаторите е интегрален дел од планирањето и креирањето на здравствени и социјални услуги, бидејќи тие можат да се користат како алатки за управување како и за следење на имплементацијата на националните планови за ретки болести.

Елаборирани во 2010, „ЕУРОПЛАН индикаторите“ се сет од 59 индикатори за здравствено и социјално планирање и следење наменети за креаторите на политики и планери. Иако сите индикатори се сметаа за релевантни, од оперативна перспектива тие се прилично многубројни и тешки за употреба. Според тоа, со следствената „ЕУЦЕРД Заедничка акција: Работејќи за Ретките болести (2012-2015)“, се планираше работа со која ќе се изведат клучните индикатори врз основа на ниванта корист и издржаност во рамките на активностите на Пакетот за работа 4 на „ЕУРОПЛАН 2012-2015“ координиран од ИСС.

Овие препораки се однесуваат на индикаторите за следење на здравственото и социјалното планирање и немаат намера да се фокусираат на индикаторите за ретки болести, чија цел е да обезбедат информации за здравствениот статус на населението и влијанието на здравствените политики на овој статус. За оваа цел, Едницата за Задачи за Ретки болести-Работна група за индикатори (RDTF-WG) во 2010 објави извештај „Здравствени индикатори за ретки болести 1- Концептуална рамка и развој на индикаторите од постоечки извори“[35] која предлага листа на извори и видови на индикатори во полето на ретки болести.

МЕТОДОЛОГИЈА

Препораките наведени тука ги дефинираат „Основните индикатори “ за следење на Националните планови/стратегии за ретки болести. Тие се изведени од првичната група на 59 индикатори од ЕУРОПЛАН I проектот, организирани како процес и резултат индикатори. Сегашната селекција на Суштински индикатори е резултат на два паралелни ангажмани. Едниот е Делфи методот организиран од ИСС, каде претставници од сите ЕУ министерства[36] за здравство и експерти (на пр. епидемиолози, експерти за планирање на здравствените услуги, експерти за ретки болести) ги класифицираа индикаторите во зависност од нивната корисност и одржливост. Другата методологија се состоеше од проценка индикаторите на 9 ЕУРОПЛАН ЕУРОДИС Советници во име на нивните национални алијанси на асоцијации на пациенти и претставници на министерствата за здравство, под покровителство на ЕУРОДИС. Тие ја оценија целата листа на ЕУРПЛАН 1 индикаторите по основ на корисност за пациентите и негувателите, одржливоста и политичката корисност.

[33] Препорака на Советот од 8 јуни 2009 за дејствување во полето на ретките болести (2009/C 151/02)

[34] Документот може да се симне од вебстраната на ЕУРПЛАН (www.europlanproject.eu)

[35] Единица за задачи за ретки болести „Здравствени индикатори за ретки болести I – Концептуална Рамка и развој на индикатори од постоечки извори“, Завршен извештај – Април 2010, http://www.eucerd.eu/? post_type=document&p=1211

[36] Со исклучок на германското министерство за здравство кое сметаше дека е прерано за нивната земја да биде вклучена во ваков процес, со оглед на развојот на нивниот национален план.

Резултатите од двете методологии беа споредени и споени за да се избере конечна листа која се состои од највисоко оценетите индикатори.

Нацртот на сегашниот документ беше презентиран на 7 ЕУЦЕРД состанок (Луксембург 31 јануари 2013), и на Работилницата за заедничко дејствување на ЕУЦЕРД ВП 4 /ЕУРОПЛАН (Рим на 25 март 2013). ЕУЦЕРД го доби нацртот пост-работилницата за нивниот инпут тогаш неколку дена пред документот да биде финализиран и го поднесе до ЕУЦЕРД членовите 4 недели пред нивниот 8 ЕУЦЕРД состанок на 5-6 јуни 3013 за усвојување каде сегашните препораки беа одобрени.

ЦЕЛНИ ГРУПИ ЗА ОВИЕ ПРЕПОРАКИ

Целните групи за овие препораки се Земјите членки на ЕУ и Европската Комисија

Дополнително, нивната дисеминација е наменета за друга целна публика како иницијативи на ЕК (на пр. други проекти и здружени акции, Меѓуграничната Здравствена експертска група, EUnetHTA EPAAC), Центрите на Експертиза во полето на ретките болести, давателите на здравствени услуги, експерти за ретки болести и постоечки координатори и партнери на мрежи за ретки болести, организации на пациенти.

EUROPLAN

European Project for Rare Diseases National Plans Development

Текстот е преведен од следниот документ:

EUROPLAN / EUROPEAN PROJECT FOR RARE DISEASES NATIONAL PLANS DEVELOPMENT / RECOMMENDATIONS FOR THE DEVELOPMENT OF NATIONAL PLANS FOR RARE DISEASES/ GUIDANCE DOCUMENT / Guidance_Doc_EUROPLAN_20100601

ПРЕПОРАКИ ОД ЕУЦЕРД ДО ЕВРОПСКАТА КОМИСИЈА И ЗЕМЈИТЕ ЧЛЕНКИ

МИСИЈА, ВИЗИЈА, ОПСЕГ

Општата цел на Основните индикатори за Националните планови и Стратегии за ретки болести (понатаму во текстот „Општи индикатори“) е да ги опфати релевантните податоци и информации за процесот на планирање, имплементирање и следење на овие планови и стратегии. Општите индикатори според ова се од корист за процесот на донесување на одлуки во врска со усвојувањето, проценката и понатамошниот развој на јавни политики за ретките болести.

Земјите членки на ЕУ треба да ги користат Општите индикатори за да собираат податоци на годишно ниво.

Собраните податоци ќе се користат:

- Од страна на земјите членки како инструмент за поддршка што следи после политичките иницијативи интегрирани во нивните Национални планови и Национални стратегии за ретки болести, усвоени како одговор на Препораката на советот од 8 јуни 2009 за дејствување во полето на ретките болести. Се разбира овој процес не ги спречува Земјите членки да користат дополнителни индикатори за да ги следат и евалуираат нивните планови.
- За годишно известување на ниво на Земјите членки за да се елаборира „Извештајот за состојбата на активности за ретки болести во Европа на Комитетот на експерит за ретки болести на Европската унија“, кој се објавува на годишно ниво од страна на ЕУЦЕРД. ЕУЦЕРД ќе ги инкорпорира овие Основни индикатори во елаборативните напатствија на извештајот на Земјите членки.
- Понатаму, собраните податоци може да се користат за понатамошно информирање на Извештајот за Имплементација кој Европската комисија треба да го изготви пред крајот на 2013, како што е пропишано во претходно-споменатата Препорака од советот.

По усвојувањето на овие Препораки ЕУЦЕРД може да ја ревидира Листата на Основни индикатори и да предложи, каде што треба, амандмани. Ова ревидирање ќе се заснова на искуството добиено од Земјите членки на ЕУ со усвојување и имплементација на Националните Планови и Стратегии за ретки болести, како што е назначено во Препораката од Советот.

ЛИСТА НА ОСНОВНИ ИНДИКАТОРИ

Листата на основни индикатори што следува е предложена до сите Земји членки на ЕУ со цел да се следат нивните Национални планови и стратегии за ретки болести.

ИНДИКАТОРИ ОД ПОЗАДИНА (ПОДГОТОВКА НА ПЛАНОТ/СТРАТЕГИЈАТА)

- Постоење на регулативи/закони или еквивалентни официјални национални одлуки кои го поддржуваат воспоставувањето и развојот на План за ретки болести (РБ)
- Постоење на советодавна комисија за РБ
- Постојано и официјално претставување на пациентите во развојот на планот неговото следење и проценка.
- Усвојување на ЕУ дефиницијата за РБ.

СОДРЖИНСКИ ИНДИКАТОРИ

Центри на експертиза

- Постоење на национална политика за воспоставување на Центри на експертиза за РБ
- Број на национални и регионални Центри на експертиза кои се држат до националната политика
- Учество на национални или регионални Центри на експертиза во Европски Референтни Мрежи

Информации

- НП/НС поддршка за равој на/ учество во сеопфатен и/или регионален информациски систем за РБ
- Постоење на линии за помош за РБ

Знаење класификација/кодирање регистри и истражување

- Постоење на национална политика за упатства за развој и имплементација на клиничка пракса за ретки болести
- вид на класификација/кодирање кое го користи системот за здравствена заштита
- Постоење на национална политика за регистри или собирање на податоци за РБ
- Постоењена програми и/или проекти за истражување на РБ во земјата
- Учество во Европски и меѓународни истражувачки иницијативи

Терапии

- Бројни Сираци Медицински Производи (СМПи) со дозвола за продажба во Европската Унија и достапни во земјата (т.е. проценети и надоместени или директно набавени од страна на националниот здравствен систем)
- Постоење на владин систем за внимателна употреба на медицински произвди

Социјални работи

- Постоење на програми за поддршка на интеграцијата на пациенти со РБ во секојдневниот живот

Индикатори за финансиска поддршка(имплементација на планот/стратегијата)

- Постоење на политика/одлука за да се осигура долгорчна стабилност на планот/стратегијата за РБ
- Сума на јавни фондови наменето за планот/стратегијата за РБ
- специфични јавни фондови наменети за истражување на РБ
- Јавни фондови со посебна намена за акции/проекти за истражување на РБ на годишно ниво од почеток на планот

КЛУЧНИ ИНДИКАТОРИ – ДЕФИНИЦИИ И СООДВЕТНИ ОДГОВОРИ

Индикатор	Област на совет?	Опис на индикаторот	вид на индикатор	Краток одговор	Детален одговор (повеќе одговори се можни, ако има потреба)
Позадински индикатори (Подготовка на планот/стратегијата)					
Постоење на Регулативи/ закони или еквивалентни официјални национални одлуки кои го поддржуваат воспоставувањето и развојот на планот за Ретки Болести РБ	1	Овој индикатор се однесува на фактот дека Националните планови/стратегии за ретки болести треба да бидат планирани/регулирани на национално ниво во согласност со Препораката на Советот за РБ, релевантни препораки на ЕУЦЕРД, на пр. оние за Центри на Експертиза и Европски Референтнит Мрежи, како и релевантнат легислатива (Регулатива на ЕС бр. 141/2000 за Сираци Медицински Производи, Директива ЕУ/2011/24 за Меѓугранична здравствена заштита итн.) Националниот план или стратегија се усвојува преку обврзувачки легислативни акти, точната природа или ниво кои може да варираат (регулатива, закони или други видови одлуки). Можат да бидат воспоставени на соодветно ниво на управување (федерален наспрема федерално- државно ниво) во зависност од системот на управување на земјата. Токму затоа е вклучен во легислативна или оперативна рамка	Процес	Да	Да, постои, целосно вклучена во регулативата/ закон/официјална национанлна одлука
				напредува/во развој	
				Не	
Постоење на советодавен комитет за ретки болести	1	Експертскиот советодавен комитет се однесува на постоењето на координативен механизам кој го надгледува развојот и спроведувањето на Националниот План/Стратегија за Ретки Болести. Ова тело е составено од сите релевантни чинители, вклучувајќи ги проетставниците на пациентите, националната влада, индустријата, лекари што пружаат нега, плаќачи, академија и др	процес	Да	Да , постои и редовно се состанува и ги вклучува сите релеватни чинители
					Да, постои но делумно функционира и ги вклучува сите релеватни чинители
					Да , постои и редовно се состанува, но не ги вклучува сите релеватни чинители
					Да, постои но делумно функционира и не ги вклучува сите релеватни чинители
				Не	
Постојано и официјално претставување на пациентите во развојот на планот, мониторингот и проценката	6	Пациентите се официјално претставени во сите фази на развој и управување на планот, вклучително и во мониторингот и евалуацијата на истиот	Процес	да	да, во сите фази
					да, но само како набљудувачи
					да, но консултирани само пред да се одобри крајниот документ
				не	

Усвојување на ЕУ дефиниција за РБ	2	ЕУ ги дефинира „ретките болести“ како такви со преваленција од не повеќе од 5 пациенти на 10000 лица. Оваа дефиниција е поставена во регулативата ЕС бр. 141/2000 за Сираци Медицински Производи, Директива 2011/24/ЕУ за Меѓугранична здравствена заштита како и во препораката на Советот за дејствување во полето на ретките болести од 8 јуни 2009.	Процес	Да	Да НП/НС мерките се применуваат користејќи ја ЕУ дефиницијата
					Да, но НП/НС мерките се применуваат користејќи друга дефиниција
				Не	Ве молиме наведете ја дефиницијата која се користи во НП/НС
Содржински индикатори					
Центри на експертиза					
Постоење на национална политика за воспоставување на Центри на Експертиза за РБ	4	Оваа политика дефинира стратегија за идентификување и назначување на центри за експертиза, со цел да ја подобри здравствената заштита преку дефинирање на центрите со искуство со РБ како и патишта кои го намалуваат одложувањето на дијагнозата и ја олеснуваат негата и третманот на пациентите со РБ.	Процес	да	Да, постои, целосно спроведен
					да, постои, делумно спроведен
				напредува / во развој	
				не	
Бројни национални и регионални Центри на експертиза кои се придржуваат до националната политика	4	Земјите членки идентификуваат и назначуваат Центри на Експертиза (ЦЕи) преку нивната национална територија и ја земаат предвид поддршката за нивно создавање. Центрите на Експертиза треба да се придржуваат до националната политика. Треба да се запомне дека ЕУЦЕРД ги усвои „ЕУЦЕРД препораките за Квалитативни критериуми за Центри на Експертиза“ кои „се наменети зада им помогнат на ЕУ земјите членки при нивните размислувања или развој на политики во врска со националните планови и стратегии за ретки болести кога се работи за прашањето на организација на патиштата за здравствена заштита на национално или европско ниво.“ Затоа, овој индикатор исто така има за цел да ги преброи Центрите на Експертиза кои се во согласност со препораките на ЕУЦЕРД	Резултати	Број	Број на ЦЕи во согласност со националната политика
					Број на ЦЕи/милион жители
					Број на ЦЕи кои ги исполнуваат критериумите на ЕУЦЕРД

Учество на национални и регионални центри во Европски референтни мрежи	4	Информациите за интеграција на националните Центри на Експертиза во Европската Референтна Мрежи (ЕРМи) се неопходни за да се обезбеди поширока слика за ретките болести низ ЕУ, без разлика на големината/ бројот на население на секоја земја. Според „ЕУЦЕРД препораките на Европските Референтни мрежи за Ретки Болести“, различните форми на здружување со ЕРМ за РБ (асоцијација, соработка) треба да дозволат да се осигура инклузивност .“ Затоа овој идикатор има за цел да разликува полноправно од асоцијативно членство на Центрите на Експертиза за РБ во ЕРМи за РБ. Сепак, мора да се земи предвид дека ќе треба време пред да се воспостават ЕРМи. Затоа треба да се очекува дека овој индикатор ќе обезбеди значајни информации дури неколку години по усвојувањето на овие Препораки.	Резултати	Број на ЦЕи кои учествуваат во ЕРМи како полноправни членки	
				Број на ЦЕи кои учествуваат во ЕРМи како асоцијативни членки	
Информации					
НП/НС поддршка за развојот на/ учество во информативниот систем за РБ	2	Овој индикатор се однесува на постоењето на функционален информативен систем специфично за РБ кој е сеопфатен и на национално ниво (како Орфанет). Овој индикатор вклучува учество во Заедничката акција на Орфанет и како краен резултат издавањето на информативни пакети на националните јазици	Процес	Да	Да, национално
					Да, регионално
				Не	
				Учество во Заедничката акција на Орфанет	Да, учествува во Заедничката акција на Орфанет и издава информации на националните јазици
					Да, учествува во Заедничката акција на Орфанет но не издава информации на националните јазици
					Не
Постоење на линии за помош за РБ	2 и 6	Достапноста на линии за помош е фундаментална за дисеминација на информации и експертиза за ретки болести. Тие имаат важна улога при ориентирањето на пациентите кон решение за проблемите со кои директно или индиректно се соочуваат како резултат на болеста и се единствена улога која може да пружа социјално, психолошко или информативно решение на сите вакви потреби. Професионалците (вклучително и тие кои што работат во итните служби) може да научат за ресурсите и патиштата за дијагностицирање на нивните пациенти или да добијат важни информации во однос на менаџирање на пациентите со ретки болести. Овој индикатор има за цел да води сметка за националните линии за помош за ретки болести наменети за пациенти или професионалци (или за двете), вклучително и тие кои не се јавно финансирани	Процес	Да, поддржани од јавно финансирање	Да, само за професионалци
					Да, само за пациенти
					Да, за двете групи, професионалци и пациенти
				Да, поддржани од приватно финансирање	Да, само за професионалци
					Да, само за пациенти
					Да, за двете групи, професионалци и пациенти
				Да поддржано од јавно финансирање и приватно финансирање	Да, само за професионалци
					Да, само за пациенти
					Да, за двете групи, професионалци и пациенти
				НЕ	

Знаење, Класификација/Кодирање, регистри и истражување					
Постоење на национална политика за развој, адаптација и спроведување на упатствата за клиничка пракса	2	Индикаторот го проверува постоењето на политика за развој, адаптација и спроведување на упатства за клиничка пракса (УКПи) за болести/групи на болести („Адаптирање " се однесува на адаптацијата на супра-национално базирани клинички упатства во локален контекст). Кумулативното создавање на протоколи и клинички упатства е инструмент за еднаков пристап до нега од страна на пациентите со ретки болести ширум Европската Унија	Процес	Да	Да, постои политика за развој на УКПи
					Да, постои политика за адаптација на УКПи
					Да, постои политика за развој на УКПи
				Не	
Вид на класификација/ кодирање кој се користи од системот на здравствена заштита	2	Усвојувањето и секојдневната употреба на меѓународно признат, сеопфатен систем на кодификација за здравствена заштита е важен за менаџирањето со РБ и би ја охрабрил хармонизацијата на номенклатура на болестите низ целиот свет. Ова овозможува буџетарските и менаџерските одлуки да имаат поцврста основа и би конституирало релевантна алатка за Проценка на Здравствената технологија	Процес	Вид на систем на кодирање во употреба	ICD-9
					ICD-10
					OMIM
					SNOMED
					MESH
					ICD-O
					Други
				ORPHA Код се користи заедно со националниот систем на кодирање	Да
					Не
Постоење на национална политика за регистар и прибирање на податоци за РБ	2 и 3	Овој индикатор прибира информации за поддршката на Земјите членки на сите соодветни нивоа до регистрите за ретки болести и базите на податоц и за епидемиолошки цели, цели на јавното здравство и истражувачки цели, како и за улогата осигурена од одговорните за координација и одржливост на прибирањето на податоци.	Процес	Да	Да за национален/ централизиран регистер и прибирање на податоци
					да за регионален регистар и прибирање на податоци
				Не	
Постоење на истражувачки програми/проекти за РБ во земјата	3	Овој индикатор има за цел да го опише статусот на истражувањето на РБ во земјата, имено дали постои конкретна програма или дали истражувањето за РБ се спроведува преку индивидуални проекти во рамките на општа истражувачка програма	Процес	Да	Да, специфичнапрограма
					Да, конкретни/специфични проекти за РБ во рамките на општа истражувачка програма
				НЕ	
Учество во еврпски и меѓународни истражувачки иницијативи	3	Учеството на националните истражувачки агенции во меѓународни истражувачки иницијативи (како E-RARE- www.e-rare.eu и IRDiRC-www.irdirc.org) е важно за да се поттикнува истражувањето за ретки болести на глобално ниво, преку здружување на ресурсите и координирање на националните истражувачки програми за да се надмине фрагментацијата на истражувањето за РБ	Процес	Да	Да, E-RARE
					Да, IRDiRC
					Да, друго (назначете)
				Не	

Терапии					
Одреден број на Сираци Медицински Производи (СМПи) Со дозвола за продажба во европската унија и достапни во земјата (т.е. проценети и надоместени или директно набавени од националниот здравствен систем)	5	Фактичката пристапност на СМПи на националниот пазар е неопходна за да се илустрира пристапот на пациентите до третман во нивната земја. Понатаму, со разлики во пристапот на пациентите до СМПи, успехот на меѓуграничната здравствена заштита зависи од хармонизацијата на пристапот до дијагностицирање и третман. Затоа, квантифицирањето на лекови кои се достапни во секоја земја, или во амбулантски или во болнички режим, е исто така важно за да се премости постоечкиот јаз меѓу државите членки	Резултати	Број	
Постоење на владин систем за внимателна употреба на медицински производи	5	Индикаторот има за цел да идентификува дали постои систем за обезбедување на лекови на пациентите со ретка болест пред да се одобрат нови лекови (употреба на недоиспитани лекови).. Постоењето на ваквите програми е важно за проценка на вкупната нега кај РБ	Процес	Да	
				Напредува/во развој	
				Не	
Постоење на програми за поддршка во секојдневната интеграција на пациентите со РБ	6	Ретките болести често водат до попреченост и потреба за постојана нега. Специјализирани социјални служби се клучни во обезбедувањето на целокупен, квалитетен живот за пациентите. Нивното постоење и бројност ја покажуваат политичката посветеност на Земјите Членки кон оваа мисија. Примери за тоа како социјалните служби да ги интегрираат пациентите во секојдневниот живот и да го поддржат нивниот психолошки и образовен развој се: а) образовна поддршка за пациентите, родините и негувателите б) индивидуална поддршка на училиште и за учениците со ретки болести и за наставниците, вклучително и добри практики за одредени болести в) активности за да се поттикне високото образование на луѓето со ретки болести г)механизми за поддршка за луѓето со попреченост да учествуваат во работниот живот	процес	Да	Да, постои специфична акција која им овозможува вистински пристап на луѓето кои живеат до општите социјални/за хендикепирани програми (на пр. обука, упатства за социјалните работници, итн) (ве моллиме назначете- видете ги примерите кај описот на индикаторите -: а, б, в, г, други)
					Да постојат специфични програми за луѓето кои живеат со ретка болест (ве моллиме назначете- видете ги примерите кај описот на индикаторите -: а, б, в, г, други)
				Во развој	(ве моллиме назначете- видете ги примерите кај описот на индикаторите -: а, б, в, г, други)
				Не	

Индикатори за финансиска поддршка (Имплементација на планот/стратегијата)					
Постоење на политика/одлука за да се осигура долгорочно финансирање и/или одржливост на мерките во планот/ стратегијата за РБ	7	Индикаторот верификува дали финансиката обврска за нега и третман кај ретките болести е јасно дефинирана во буџетски одлуки кој ја поддржуваат имплементацијата на акции од Националниот План/ Стратегија	Процес	Да	Да, политика/одлука за да се осигура долорочна одржливост
					Да постои буџет за планот
				Во развој	
				Не	
Сума на јавни фондови наменети за Планот/Стратегијата за РБ	7	Индикаторот е целосниот буџет (Во ЕУР) наменети на годишно ниво за Националниот План/Стратегија (со исклучок на го надоместот за грижа и трошоци за станардна нега , со исклучок на трошоците за лекови сираци). Како и со претходните индикатори, овој индикатор има за цел да осигура дека акциите за РБ вклучуваат соодветни одредби за да се осигура нивната одржливост со текот на времето. Ефикасните и ефективните дејствувања за ретки болести зависат од интегрирањето на недоволните и распрскани ресурси и од националниот ангажман и од заедничкиот Европски ангажман.	Резултати	Број	вредност
					Вредност/милион жители
					вредност делумно достапна: само за фондови наменети ексклузивно за Националниот План (НН за фондови наменети во општиот буџет)
					НН: инкорпорирано во општиот буџет
Специфични јавни фондови наменети за истражување за РБ	3	Овој индикатор има за цел да ја/ги идентификува политичките одлуки за алоцирање на дел од националниот буџет за истражување конкретно за истражување за РБ	Процес	да	
				во развој	
				не	
Јавни фондови конкретно наменети за истражувачки акции/ проекти за РБ на годишно ниво од почетокот на планот	3	Овој индикатор ја верификува вкупната сума на јавни фондови (во ЕУР) наменети за истражувачки проекти и програми за РБ	Резултати	Број	Вредност
					Делумно достапна вредност: само за фондови наменети ексклузивно за Националниот План (НН за фондови алоцирани во општиот буџет)
					НН: инкорпорирано во општите истражувачки фондови

Текстот е преведен од следниот документ:

EUCERD RECOMMENDATIONS ON CORE INDICATORS FOR RARE DISEASE NATIONAL PLANS/ STRATEGIES / 6 JUNE 2013

EUCERD
European Union Committee of Experts on Rare Diseases

Клучни документи

- Директива (ЕС 2011/24/ЕУ) на Европскиот Парламент и на Советот за примената на правата на пациентите во меѓуграничната здравствена заштита http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf
- Комуникација со Комисијата, Предизвикот на Европа за Ретките Болести http://ec.europa.eu/health/ph_threats/non_com/docs/rare_com_en.pdf
- ЕС(2009). Препорака од Советот од 8 јуни 2009 за Акција во полето на Ретки болести http://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ:C:2009:151:0007:0010:EN:PDF
- Препораки од Еуроплан. Документ со упатства кои ги содржат препораките за креирањето на Националните Планови или Стратегии за ретки болести http://www.europlanproject.eu/_newsite_986987/Resources/docs/2008-2011_2.EUROPLANRecommendations.pdf
- Извештај на Еуроплан за индикатори за мониторинг на спроведувањето и евалуацијата на влијанието на Национамниот план или стратегија за ретки болести http://www.europlanproject.eu/_newsite_986987/Resources/docs/2008-2011_3.EUROPLANIndicators.pdf
- РДТФ Извештај: Здравствени индикатири за ретки болести I – Концептуална рамка и развој на индикатори од постоечки извори- April 2010 http://www.eucerd.eu/?post_type=document&p=1211

ЖИВОТ СО ПРЕДИЗВИЦИ е полноправен член на ЕУРОРДИС (Европска Организација за Ретки Болести) и ЕГА (Европска Гоше Алијанса).

Member of EURORDIS Rare Diseases Europe

EGA European Gaucher Alliance
Driven by passion for patients

Дополнителни информации за ретки болести може да најдете и на:

Ден на ретки болести
http://www.rarediseaseday.org/
Мрежа за ретки болести
https://www.rareconnect.org/en
Портал за ретки болести и лекови сираци
http://www.orpha.net
Комитет на Европска Унија на Експерти за Ретки Болести
http://www.eucerd.eu/
Европска платформа за Регистри за Ретки Болести
http://www.epirare.eu/
Европска Агенција за Лекови
http://www.ema.europa.eu/ema/
Европски Проект за Развој на Национални Планови за Ретки Болести
http://www.europlanproject.eu

ЖИВОТ СО ПРЕДИЗВИЦИ

Веб страна: **http://challenges.mk/**
Јутуб канал: **https://www.youtube.com/user/lifewithchallenges**
Фејсбук страна: **https://www.facebook.com/LifeWithChallengesi**
Твитер профил: **https://twitter.com/ZivotPredizvici**

поддржано од:

CEI CENTRAL EUROPEAN INITIATIVE

genzyme A SANOFI COMPANY

Celgene

CONCEPT