



SOC/729

**Határozott európai szolidaritás biztosítása
a ritka betegségben szenvedő betegek számára**

VÉLEMÉNY

„Foglalkoztatás- és szociálpolitika, uniós polgárság” szekció

Határozott európai szolidaritás biztosítása a ritka betegségben szenvedő betegek számára
(saját kezdeményezésű vélemény)

Előadó: **Alain COHEUR**

Felelős: Valeria Atzori
A dokumentum kelte: 2022. 10. 05.

Közgyűlési határozat:	2022. 01. 20.
Jogalap:	az eljárási szabályzat 52. cikkének (2) bekezdése saját kezdeményezésű vélemény
Illetékes szekció:	„Foglalkoztatás- és szociálpolitika, uniós polgárság” szekció
Elfogadás a szekcióülésen:	2022. 09. 29.
A szavazás eredménye: (mellette/ellene/tartózkodott)	86/0/1
Elfogadás a plenáris ülésen:	ÉÉÉÉ. HH. NN.
Plenáris ülészak száma:	...
A szavazás eredménye: (mellette/ellene/tartózkodott)	.../.../...

1. Következtetések és ajánlások

- 1.1 2009-ben az Európai Gazdasági és Szociális Bizottság (EGSZB) elfogadta a *Javaslat tanácsi ajánlásra a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről* című, SOC/330. sz. véleményt, amelyben támogatását fejezte ki, valamint aggodalmait és javaslatait vázolta fel a ritka betegségekkel élő emberek szükségleteinek tudatosítása érdekében¹. Az EGSZB rendkívül sajnálja, hogy több mint tíz évvel a vélemény elfogadása után meg kell ismételnie egy olyan átfogó európai megközelítésre vonatkozó felhívását, amely figyelembe veszi a ritka betegségekben szenvedők valamennyi szükségletét, és európai megoldásokat szorgalmaz a ritka betegségek mindennapi, családi és szakmai életre gyakorolt hatásának enyhítésére.
- 1.2 Az EGSZB ismét határozottan leszögezi, hogy támogatja a ritka betegségekben szenvedő betegeket, családjaikat és a ritka betegségben szenvedők közösségét, továbbá szolidáris velük. Az Európai Unió (EU) élen járhatna az Unió-szerte mindenki számára biztosított egészségügyi ellátáshoz való jog terén, és megmutathatná, hogy egy betegség ritkasága nem jelenti azt, hogy egyedül kell megküzdeni a problémákkal. A ritka betegségek gyorsabb diagnosztizálásához és kezeléséhez szükség van az alapkutatás, illetve a FAIR elv (megtalálható, hozzáférhető, interoperábilis és újrafelhasználható adatok) alapján létrehozott európai egészségügyi adattér (EHDS) támogatására. Az EGSZB azt tanácsolja, hogy ismerjék el és átfogóan népszerűsítsék az Orphanet szakértelmét, így erősítve meg az európai egészségügyi adat-ökoszisztémát a ritka betegségekben szenvedők szolgálatában. A ritka betegségekben szenvedő betegek és az egészségügyi szakemberek számára komoly hozzáadott értéket jelentene, ha az Orphanet weboldala valamennyi uniós nyelven elérhetővé válna.
- 1.3 Az EGSZB megerősíti a ritka betegségek uniós gyakoriságára, a ritka betegségekben szenvedők betegútjának hasonlóságaira és a szociális védelemmel kapcsolatos kihívásokra vonatkozó megállapításokat a betegségek heterogenitása, illetve nagy száma, valamint a betegek és a szakértelem terén tapasztalható jelentős szórás ellenére.
- 1.4 Az EGSZB üdvözli a szociális jogok európai pillére által javasolt, az egészségügyi ellátáshoz való jog elvét, az ENSZ határozatát, valamint azt, hogy az Európai Unió jövőjéről szóló konferencia (COFEU) és az EU Tanácsának 2022. évi francia elnöksége figyelmet fordít a ritka betegségekre annak érdekében, hogy az ilyen betegségekben szenvedő betegek helyzete ne romoljon az egészségügyi egyenlőtlenségek miatt. Az EGSZB kiemeli, hogy milyen fontos egy ambiciózus európai ellátási stratégia a ritka betegségben szenvedő betegek informális gondozóinak szempontjából.
- 1.5 Az EGSZB azt ajánlja, hogy ragadjuk meg a politikai lendületet, és építsünk az intézmények és a civil társadalom ajánlásaira abból a célból, hogy a ritka betegségekre vonatkozó átfogó európai cselekvési tervet dolgozzunk ki, amely 2030-ig elérhető SMART-célokat fogalmaz meg annak érdekében, hogy az EU-ban minden ritka betegségben szenvedő beteg egyenlő esélyekkel rendelkezzen a diagnózis, a kezelés és az integrált ellátás holisztikus perspektívája tekintetében. Azt a célt kell kitűzni, hogy a betegek egy éven belül megkapják a diagnózist ritka betegségükről.

¹ [HL C 218., 2011. 09. 11., 91. o.](#)

- 1.6 Az EGSZB javasolja az Egészségügyi Szükséghelyzet-felkészültségi és -reagálási Hatóság (HERA) megbízatásának kiterjesztését vagy annak modellként való felhasználását a nem fertőző betegségekkel foglalkozó olyan új európai hatóság létrehozása során, amely elősegítené a ritka betegségekkel kapcsolatos koordinációt és szolidaritást a ritka betegségekre vonatkozó európai cselekvési terv végrehajtásának összehangolása érdekében, és hogy európai megközelítést biztosítsunk a nem fertőző ritka betegségekkel kapcsolatban. Mind a betegek, mind a szakemberek számára garantálná a szükséges információkhoz való hozzáférést, ha szinergikus együttműködés jönne létre az Orphanettel, amely strukturális uniós támogatást élvezne, hogy munkáit valamennyi hivatalos uniós nyelven közzétehesse.
- 1.7 Az EGSZB a tagállamok civil társadalmának szócsöve a nyilvánossággal folytatott politikai párbeszéd fokozása érdekében, és strukturális, állandó együttműködés révén támogatja az európai intézményeket azzal a céllal, hogy teljeskörűen támogatott szakpolitikák kerüljenek kialakításra. Az EGSZB azt ajánlja, hogy a következő, 2023–2024-es spanyol–belga–magyar elnökségi trió tartsa napirenden a ritka betegségekkel kapcsolatos politikát, szem előtt tartva az európai referenciahálózatok (ERH-k) 2022-es értékelését, valamint az Európai Bizottság ígértét, mely szerint 2023 elejéig felülvizsgálja a ritka betegségekkel kapcsolatos stratégiáját, és a ritka betegségeket a népegészségügyi politika részévé teszi az Európai Bizottság jövőbeli hivatali idejére. Az érdekelt felek és a szociális partnerek bevonása kulcsfontosságú egy ambiciózus stratégia kidolgozása során.
- 1.8 Az EGSZB olyan kezdeményezések kidolgozását kéri, mint pl. egy, a ritka betegségekben szenvedő betegek önrendelkezésének biztosításáról és a ritka betegségekkel kapcsolatos szakpolitikában és ajánlásokban való részvételük ösztönzéséről szóló állásfoglalás, összhangban a fogyatékkal élő személyek jogairól szóló egyezmény (UNCRPD) 4. cikkével. A betegszervezetek mint tapasztalatforrások a betegek képviselőjeként és hangjaként fontos szerepet játszhatnak; médiaszereplésüket és a szakpolitikai ajánlásokban való részvételüket garantálni és támogatni kell².
- 1.9 Az EGSZB kéri annak elismerését, hogy fontos a ritka betegségeknek a perinatális vagy újszülöttkori szűrővizsgálatok során, illetve az egészségügyi vagy fejlődési problémák megjelenése után a lehető leghamarabb történő diagnosztizálása, a multidiszciplináris egészségügyi ellátás előnyeinek és a betegek szükségleteivel és a betegutakkal kapcsolatos holisztikus szemlélet – amelyek kapcsán előnyös lehet az integrált orvosi és szociális ellátás és a központosított ellátáskoordináció –, és mindenekelőtt az ellátás pénzügyi hozzáférhetőségének optimalizálása.
- 1.10 Az EGSZB szerint a minőségi egészségügyi szolgáltatások soha nem lehetnek azok kiváltságai, akik bármilyen okból kifolyólag jobb hozzáféréssel rendelkeznek az adott nemzeti egészségügyi szolgáltatáshoz, meg tudják fizetni a legmagasabb biztosítási díjakat, megengedhetik maguknak az önerőből való kifizetést vagy a legjövedelmezőbb gyűjtőkampányokat tudják lefolytatni. Nem lehet alábecsülni a szolidaritáson alapuló olyan egészségbiztosítási rendszerek fontosságát, amelyek védik a ritka betegségekben szenvedő betegeket. Az EGSZB örömmel fogadná az arról szóló vitát, hogy a szolidaritáson alapuló európai kölcsönös egészségbiztosítási pénztárak

² Az ENSZ Emberi Jogi Hivatala (2006), [A fogyatékkal élő személyek jogairól szóló egyezmény](#).

számára milyen előnyökkel és kihívásokkal jár a ritka betegségekben szenvedő betegek innovatív kezelésének fedezése.

- 1.11 Az EGSZB elismeri, hogy a ritka betegségekben szenvedő európai betegek számára nagyon fontos, hogy határon átnyúlóan is hozzáférhessenek diagnosztikai vizsgálatokhoz és ellátáshoz. A kezelésre való eljutás és a megterhelő utazások elkerülése a telemedicina segítségével javíthatja a ritka – különösen a nagyon ritka – betegségekben szenvedő betegek ellátáshoz való hozzáférését. Az EGSZB kéri, hogy optimalizálják az ERH-k működését, és kéri, hogy integrálják ezeket az EU egészébe és a tagállamok egészségügyi rendszereibe. Az EGSZB javasolja, hogy vegyék fontolóra az ERH-kban történő ellátásra vonatkozó egyezmény esetleges kidolgozását.
- 1.12 Tekintettel a tagállamok egyenlőtlen gazdasági helyzetére, az EGSZB ajánlja és várja egy különleges uniós pénzügyi alap lehetséges létrehozásának a vizsgálatát. A tagállamok a pénzügyi kapacitásuknak megfelelően járulnának hozzá ehhez az alaphoz, illetve élveznék annak forrásait, hogy minden ritka betegségben szenvedő európai beteg – különösen a kielégítetlen egészségügyi szükségletekkel rendelkezők – számára biztosítani tudjuk a kezeléshez való hozzáférést, ami valódi szolidaritásról tenne tanúbizonyságot az EU-ban. Az EGSZB támogatja a közös beszerzési és hozzájárulási modelleket, például a gyógyszerek méltányos európai ár kalkulátorát, hogy a tagállamok és a ritka betegségekben szenvedő betegek számára javuljon a gyógyszeres kezelés hozzáférhetősége, és kéri, hogy ezt vegyék figyelembe a ritka betegségek kezelésére használt, illetve a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerekről szóló uniós jogszabályok felülvizsgálata során.
- 1.13 Az EGSZB ajánlja egy, a ritka betegségekre irányuló szolidaritási alap mérlegelését, különösen az ERH-kban nem szereplő betegségek esetében. Egy ilyen alap a finanszírozás kiegészítésére használható fel, ha a kötelező egészségbiztosítás nem fedezi a komplex vagy ritka betegségek kezelésének vagy a határokon átnyúló ellátásnak a költségeit, és az EGSZB úgy véli, hogy elengedhetetlen az európai szintű kölcsönösség. A ritka betegségekben szenvedő betegek európai szolidaritási alapjának:
 - törekednie kell annak megakadályozására, hogy a ritka betegségben szenvedő betegek számára az EU-ban elérhető, orvosiilag szükséges és indokolt egészségügyi ellátás kapcsán elviselhetetlenül magas költségek merüljenek fel, és hogy az ilyen betegek betegségük ritkasága miatt további egészségi egyenlőtlenségeket szenvedjenek el,
 - európai szintű szolidaritást kell kifejeznie annak érdekében, hogy valamennyi ritka betegségben szenvedő beteg számára javuljon az EU-ban elérhető egészségügyi ellátáshoz való hozzáférés, jobban érvényesüljenek a betegek határokon átnyúló egészségügyi ellátáshoz való jogai, és optimalizálódjon és könnyebbé váljon az ERH-k használata,
 - a nemzeti társadalombiztosítási és egészségbiztosítási rendelkezéseket egy olyan alap létrehozásával kell kiegészítenie, amely fedezi az EU-n belüli, határokon átnyúló ellátással kapcsolatos és elkerülhetetlen költségeket, valamint meg kell könnyítenie az európai együttműködést azon népegészségügyi kihívások kezelésében, amelyeknek előnyére válna egy strukturális és támogató, határokon átnyúló megközelítés.

2. Általános észrevételek a ritka betegségekről és a ritka betegségekkel kapcsolatos európai szakpolitikáról

2.1 Általános észrevételek a ritka betegségekről

2.2 A ritka betegségek ritkák ugyan, de az ilyen betegségekben szenvedő betegek nagy számban fordulnak elő. A betegségeket a gyakoriság alapján minősítik ritka betegségnek. Az EU-ban ritka betegségnek az olyan állapot minősül, amely gyakran krónikus, néha rokkantságot okozó vagy életveszélyes, és amely 2000-ből legfeljebb 1 embert érint³. 2019-ben az Orphanet – a ritka betegségek és a ritka betegség kezelésére használt gyógyszerek portálja – 6172 egyedi ritka betegséget számlált⁴. E ritka betegségek 71,9%-a genetikai eredetű, és 69,9%-uk kora gyermekkorban jelentkezik. A becslések szerint a lakosság 3,5–5,9%-a szenved ritka betegségben, ami körülbelül 36 millió beteget jelent az EU-ban.

2.3 Összetettsége és krónikus jellege miatt sok ritka betegség gyakran nemcsak a beteg életét befolyásolja, hanem másokra, például a családra, de az egészségügyi és szociális ellátórendszerekre is hatással van. A családok ki lehetnek téve az elszigeteltség és a fokozott kiszolgáltatottság kockázatának, és – tekintettel az informális gondozás nemi dimenziójára⁵ – a ritka betegségek jelentősen érinthetik különösen az anyák és a nők életét. Ezért kiemelt hangsúlyt kell fektetni az informális gondozók szociális védelemhez való hozzáférésére.

2.4 Bár már több mint 6172 betegséget azonosítottak, és ezek alapján diagnosztizálhatják a beteget, egyes orvosi kezelésre szoruló állapotok esetében még mindig hiányozhatnak definíciók, jellemzések vagy diagnosztikai tesztek. Ezek az úgynevezett név nélküli szindrómák (SWAN). A diagnózis nélküli betegek esetében még hangsúlyosabb probléma az egészségügyi szakadék. Kielégítetlen szükségleteik és az egyenlőtlenségek pedig még nagyobbak, mivel a megfelelő orvosi ellátáshoz vagy a további szociális és egészségbiztosítási ellátásokhoz diagnózisra van szükség.

2.5 Az egészségügyi ellátáshoz való hozzáférés terén fennálló egyenlőtlenségek proaktív és célzott közösségi modelleket igényelnek, hogy a legkiszolgáltatottabb csoportok, például a fizikai, pszichoszociális és érzékszervi fogyatékkal élő személyek diagnózisban és ellátásban részesülhessenek. Korábbi véleményeiben az EGSZB már foglalkozott a migránsok és a migráns háttérű uniós polgárok egészségügyi ellátásával. A ritka betegségekre irányuló közös megközelítés keretében alapul kell venni ezt a szakértelmet és ezeket az ajánlásokat⁶.

³ Európai Bizottság (2019), [Ritka betegségek/](#).

⁴ Orphanet (2021), Orphanet in numbers: 6172 diseases, <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>; Nguengang Wakap S, Lambert DM, Olry A, Rodwell C, Gueydan C, Lanneau V, Murphy D, Le Cam Y, Rath A. Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. Eur J Hum Genet. 2020. feb;28(2):165-173. doi: 10.1038/s41431-019-0508-0. Epub 2019. szeptember 16. PMID: 31527858; PMCID: PMC6974615.

⁵ Eurocarers (2021. december), [The gender dimension of informal care](#).

⁶ [HL C 286., 2021.7.16., 134. o.](#); [HL C 286., 2021.7.16., 141. o.](#), különösen a 6.8. pont (Örökletes betegségek) és a 6.12. pont (A migránsok egészségügyi ellátó rendszerekhez való hozzáférése és ezek hatékony használatának akadályai).

- 2.6 Egy – perinatális szűréssel be nem azonosított – ritka betegség diagnosztizálása átlagosan körülbelül 4,5 évet vesz igénybe az egészségi vagy fejlődési problémák megjelenése után. A kutatások szerint a diagnosztikai bizonytalanság – amely gyakran téves diagnózissal és/vagy káros következményekkel járó helytelen kezeléssel jár – időtartama 5 és 7 év között ingadozik⁷. A végleges és helyes diagnózishoz vezető út gyakran olyan kálváriát jelent, amelynek során több egészségügyi szakembert is fel kell keresni: a kutatások szerint a diagnosztizált ritka betegségben szenvedő betegek 22%-a több mint öt, 7%-a pedig tíznél is több egészségügyi szakemberrel konzultált⁸.
- 2.7 Az egészségügyi szakemberek tudatosságának növeléséhez – hogy jobban felismerjék a lehetséges ritka betegségeket –, valamint a betegek beutalásában és a diagnosztikai folyamat felgyorsításában való segítségükhöz információcserére, a munkaerő megfelelő és folyamatos, magas színvonalú képzésére és a szociális partnerek bevonásával, idejében történő munkaerő-tervezésre van szükség.
- 2.8 A ritka betegségek okainak – köztük a genetikai okoknak – a feltárására irányuló orvosi alap kutatás terén a fontossági sorrend megállapításától és a strukturált beruházásoktól azt várjuk, hogy hatékonyabb legyen a ritka betegségekben szenvedők kezelése, és akár gyógy módok is elérhetővé váljanak számukra. Az olyan európai finanszírozási eszközöknek, mint amilyen a 2021–2027-es EU4Health program – az egészségesebb EU jövőképe – és az olyan rendeleteknek, mint az európai egészségügyi adatterről szóló javaslat, támogatniuk kell az ilyen kutatásokat.
- 2.9 Az egyes ritka betegségek diagnosztizálásához és kezeléséhez szükséges szakosodott terápiás ellátási igények kezeléséhez a tudás és a szakértelem nem mindig áll rendelkezésre a tagállamokban, és az EU-ban földrajzilag szétszórtan lelhető csak fel. A kezeléseknél elérhetőbbnek, hozzáférhetőbbnek és megfizethetőbbnek kell lenniük: a betegek arról számoltak be, hogy a kezelés nem áll rendelkezésre a lakóhelyükön (22%), várólisták akadályozzák a kezeléshez való hozzáférést (14%), a kezelés anyagilag nem megfizethető (12%), és nem áll rendelkezésre pénzügyi támogatás ahhoz, hogy megkönnyítsék a más országba történő utazást (12%)⁹.
- 2.10 Az ellátás minőségének megfelelő szinten tartásához az egészségügyi szolgáltatások időszerűek, méltányosak, integráltak és hatékonyak kell, hogy legyenek¹⁰. A perinatális és újszülöttkori szűrővizsgálatok létfontosságúak a korai diagnosztikában. *A ritka betegségek határokön átnyúló genetikai vizsgálatáról szóló ajánlás*, amelyet az Európai Bizottság ritka betegségekkel

⁷ Eurordis; Rare disease impact report: insights from patients and the medical community 2013 (A ritka betegségek hatásáról szóló jelentés: a betegek és az orvostársadalom meglátásai 2013), amely részletesen ismerteti az alacsony gyakoriságú betegségekkel kapcsolatos diagnosztikai bizonytalanságot az Egyesült Államokban és az Egyesült Királyságban.

⁸ Koning Boudewijnstichting (2014), [Zoom: nieuwe perspectieven op gelijke kansen- Zeldzame ziekten](#).

⁹ Kole, A., Hedley V., és mtsai. (2021) Recommendations from the Rare 2030 Foresight Study: The future of rare diseases starts today: Available, accessible and affordable treatments – what do people living with a rare disease think? (Ajánlások a Rare 2030 előtekintő tanulmány: A ritka betegségek jövője ma kezdődik: Elérhető, hozzáférhető és megfizethető kezelések – mit gondolnak a ritka betegséggel élő emberek? című dokumentumból) 119. o.

¹⁰ World Health Organization (2022), [Quality of care](#).

foglalkozó szakértői csoportja fogalmazott meg, valamint az Eurordisnak az EU-n belüli szűréssel kapcsolatos munkája megalapozza az egész Európára kiterjedő ajánlást.

- 2.11 A diagnózishoz vezető út, a diagnózis felállítása és a ritka betegséggel való együttélés mentális kihívást jelenthet a beteg és/vagy családja számára. A pszichológiai és szociális sebezhetőséget a betegség láthatatlansága, a betegség fizikai terhe és mások részéről a betegséggel kapcsolatos ismeretek, illetve megértés hiánya okozhatja. A mindennapi életet nehezítheti a rossz ellátási koordináció, de a gyakorlati, adminisztratív, oktatási, szakmai vagy pénzügyi jellegű kihívások is¹¹. Az ellátás holisztikus megközelítése felöleli az egészségügy (megelőzés és folyamatos, gyógyító, rehabilitációs és palliatív egészségügyi ellátás), valamint a szociális és mindennapi szükségletek teljes spektrumát, és magas színvonalú, integrált, multidiszciplináris orvosi és szociális ellátás szükséges hozzá.
- 2.12 A „Ritka betegségek napja” felhívja a társadalom figyelmét és növeli a ritka betegségek ismertségét, valamint a betegek és családok megértését és társadalmi befogadását. A ritka betegségben szenvedő betegek tájékoztatása és a betegek és családtagjaik jólétének biztosítása az egészségügyi szakemberek, a kölcsönös egészségbiztosítási pénztárak, a (digitális) kapcsolattartó csoportok és a betegszervezetek ökoszisztémáját igényli.

3. **Általános észrevételek a ritka betegségekkel kapcsolatos európai szakpolitikáról**

- 3.1 Az EU a ritka betegségeket több mint húsz évvel ezelőtt prioritásként határozta meg a közegészségügy területén, és olyan intézkedéseket hozott, amelyek eredményeképpen: fokozódott a kutatás és fejlesztés, a tagállamok nemzeti cselekvési terveket fogadtak el a ritka betegségekkel kapcsolatban, az ERH-k keretében koordinálták a határokon átnyúló együttműködést és a betegeknek a határokon átnyúló ellátáshoz való hozzáféréshez való jogát¹². Az Európai Bizottság elfogadta „A ritka betegségekben szenvedő betegek egészségügyi ellátáshoz való hozzáféréseinek megkönnyítését célzó támogatások fejlesztése” című 3. ajánlást, és bejelentette, hogy adott esetben 2023 elejéig felülvizsgálja a ritka betegségekre vonatkozó stratégiáját¹³. Az Európai Parlament elfogadta a Covid19-járvány utáni uniós népegészségügyi stratégiáról szóló állásfoglalását, amely a ritka betegségekre vonatkozó uniós cselekvési terv kidolgozására szólít fel¹⁴. Az EU a szociális jogok európai pillérében is rögzítette, hogy „Mindenkinek joga van ahhoz, hogy kellő időben nyújtott és megfizethető – megelőzési, illetve gyógyítási célú – egészségügyi ellátásban részesüljön”¹⁵.

11 Loridan J., Noirhomme C. (2020) [Field analysis of existing rd patient pathways in the EMR](#).

12 Az Európai Unió Hivatalos Lapja (HL L 18., 2000.1.22., 1. o.) [Az Európai Parlament és a Tanács 141/2000/EK rendelete \(1999. december 16.\) a ritka betegségek gyógyszereiről](#); (HL C 151., 2009.7.3., 2. o.) [a Tanács ajánlása \(2009. június 8.\) a ritka betegségek területén történő fellépésről](#); (HL L 88., 2011.4.4., 45. o.) [az Európai Parlament és a Tanács 2011/24/EU irányelve \(2011. március 9.\) a határokon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről](#).

13 Európai Számvevőszék (2019), [A határokon átnyúló egészségügyi ellátásra irányuló uniós intézkedések: a jelentős célkitűzésekhez hatékonyabb irányításnak kell társulnia](#).

14 Európai Parlament (2020. július 10.), [Az EU Covid19 utáni időszakra szóló közegészségügyi stratégiája. Az Európai Parlament 2020. július 10-i állásfoglalása a Covid19-járvány utáni uniós népegészségügyi stratégiáról](#) (2020/2691(RSP)).

15 COM(2021) 102 final. A Bizottság közleménye az Európai Parlamentnek, a Tanácsnak, az Európai Gazdasági és Szociális Bizottságnak és a Régiók Bizottságának, [Cselekvési terv a szociális jogok európai pillérének megvalósítására](#) {SWD(2021) 46 final}.

- 3.2 Az európai gondozási stratégiáról szóló bejelentett közlemény várhatóan kiterjed a szociális jogok európai pillérének megvalósítására és az informális gondozók megfelelő elismerésére. A ritka betegségben szenvedő betegek családjai számára előnyös lenne egy olyan stratégia, amely jobban elismeri a gondozókat és jogaikat az EU-ban, amely nagyobb rugalmasságot biztosít a gondozók jogainak gyakorlására határokon átnyúló helyzetekben, és amely a mentális egészséget (a hivatalos és az informális gondozókat) fő szempontként kezeli¹⁶.
- 3.3 Az uniós tagállamok társszponzorálták a ritka betegséggel élő személyek és családtagjaik kihívásaival foglalkozó 2021. évi ENSZ-határozatot¹⁷, amely többek között felszólít „az egészségügyi rendszerek megerősítésére [...] annak érdekében, hogy a ritka betegséggel élő személyek számára lehetővé tegyék fizikai és mentális egészségügyi szükségleteik kielégítését, hogy megvalósíthassák emberi jogaikat, beleértve a fizikai és mentális egészség elérhető legmagasabb színvonalához való jogukat, fokozzák az egészségügyi méltányosságot és egyenlőséget, megszüntessék a megkülönböztetést és a megbélyegzést, felszámolják az ellátásban meglévő hiányosságokat, és befogadóbb társadalmat hozzanak létre”.
- 3.4 A Foglalkoztatási, Szociálpolitikai, Egészségügyi és Fogyasztóvédelmi Tanács (itt konkrétan az Egészségügyi Tanács) foglalkozott a ritka betegségekre adott európai válaszlépésekkel, és megvitatta, hogy hasznos lenne-e megerősíteni a ritka betegségekkel kapcsolatos együttműködést és koordinációt a tagállamok között és uniós szinten. A Tanács elnöksége úgy vélte, hogy az uniós fellépés fellendítése ezen a területen biztosítaná az egészségügyi unió kézzelfogható előnyeit az európai polgárok számára. Az európai egészségügyi adattér az egyik olyan eszköz, amelynek hozzá kell járulnia a hatékonyabb uniós fellépéshez azáltal, hogy szerepet játszik a ritka betegségek elleni küzdelemben, és biztonságos keretek között garantálja a jó minőségű egészségügyi adatokhoz való hozzáférést. Segítenie kell abban is, hogy az új, biztonságosabb, személyre szabott kezelés hamarabb elérhetővé váljon¹⁸.
- 3.5 Az EU jövőjéről szóló konferencia eredményéről szóló jelentés tartalmaz egy javaslatot az egészségügyi ellátáshoz való, mindenki számára garantált egyenlő hozzáféréstről, amelynek célja az „egészséghez való jog” megteremtése, azaz a megfizethető, megelőző, gyógyító és minőségi egészségügyi ellátáshoz való egyenlő és általános hozzáférés biztosítása minden európai polgár számára. A konferencia plenáris ülése kifejezetten elismerte a ritka betegségek közösségét és hivatkozott is rá, valamint támogatását fejezte ki a következők iránt: gyorsabb és erősebb döntéshozatal a kulcsfontosságú témákban, valamint az európai kormányzás hatékonyságának javítása az Európai Egészségügyi Unió kialakítása felé vezető úton; annak biztosítása, hogy bárki hozzáférhessen a meglévő kezelésekhez, ahol azok elsőként elérhetők az EU-ban; ennek érdekében a határokon átnyúló együttműködés megkönnyítése, különösen a ritka betegségek esetében; az egészségügyi rendszer megerősítése egészségügyi rendszereink rezilienciájának és minőségének megerősítése érdekében, különösen az európai referenciahálózatok további fejlesztése, koordinálása és finanszírozása révén, mivel ezek

¹⁶ International Association of Mutual Benefit Societies (AIM) (2022), [AIM's Views on the EU Care Strategy](#).

¹⁷ Egyesült Nemzetek Szervezete (2022. január 5.), A/RES/76/132: a Közgyűlés által 2021. december 16-án elfogadott határozat, [A ritka betegséggel élő személyek és családjaik kihívásainak kezelése](#).

¹⁸ [Foglalkoztatási, Szociálpolitikai, Egészségügyi és Fogyasztóvédelmi Tanács \(Egészségügy\)](#), (2022. március 29.) A főbb eredmények – A ritka betegségekre adott európai válasz.

képezik a nagymértékben szakosodott és összetett kezelésekre vonatkozó orvosi ellátási hálózatok fejlesztésének alapját¹⁹.

3.6 A 2021-es „Európai rákellenes terv: új uniós megközelítés a megelőzés, a kezelés és az ellátás terén”, a 2030-ig megvalósítandó intézkedések listája és az érdekelt felek bevonása olyan módon közelíti meg az európai egészségpolitikát, hogy kezeljék az EU-n belüli egészségügyi egyenlőtlenségeket²⁰. A terv az európai referenciahálózatokra is épít, amelyek úttörő szerepet játszanak a ritka betegségek diagnosztizálásával és kezelésével kapcsolatos szakértelem megosztásában.

4. **A ritka betegségekről és a ritka betegségekkel kapcsolatos szakpolitikáról szóló konkrét észrevételek**

4.1 *A Javaslat tanácsi ajánlásra a ritka betegségek területén megvalósítandó európai fellépésről*²¹ tárgyban kidolgozott EGSZB-vélemény nyomán követésének értékelése alapján az EGSZB úgy véli, hogy bár az ajánlásokat továbbra is több-kevesebb sikerrel megvalósítják – például 2017 óta fejlesztik az ERH-kat, bevezettek egy kommunikációs és jelentéstételi rendszert, kézikönyveket és iránymutatásokat tettek közzé az EU-n belüli különböző szakmai kultúrák közötti párbeszéd megkönnyítése, illetve annak érdekében, hogy az európai egészségügyi adattérbe bekerüljön az az előírás, hogy a betegeknek hozzá kell tudniuk férni az adataikhoz –, a ritka betegségekkel kapcsolatos uniós politikában sürgős fellépésre van szükség, és sok a pótolnivaló.

4.2 Az ERH-k az egészségügyi rendszerek közötti konkrét európai együttműködés olyan zászlóshajójaként működnek, amely támogatja a klinikai vizsgálatokat és a a ritka betegségekben szenvedő európai betegek diagnosztizálása és kezelése terén szerzett szakértelmet. Az ERH-kban rejlő lehetőségeket egyelőre még nem vizsgálták meg teljes mértékben, és még nem is működnek. Az értékelés a tervek szerint 2022-ben kezdődik²². A 2017-ben alapított 24 ERH az összes európai tagállamban 1466 ERH-tagot ért el, köztük több mint 313 kórház több mint 900 egészségügyi egységét. Az ERH-tagok 1,7 millió beteget kezelnek, azonban a klinikai betegirányítási rendszeren (CPMS) keresztül csak 2100 komplex és nagyon ritka betegségben szenvedő beteg esetét kezelték.

4.3 Az ERH-kban rejlő lehetőségek optimalizálása érdekében a következő tényezőkkel kell foglalkozni: az ERH-kban részt vevő egészségügyi szolgáltatók költségtérítésének hiánya, a klinikai betegmenedzsment rendszeren keresztül történő virtuális konzultációkra előírányzott külön költségtérítés hiánya, az adminisztratív vagy technikai interoperabilitás problémái. Egy újabb sarkalatos pont az ERH-k integrálása a nemzeti egészségügyi rendszerekbe a ritka

¹⁹ Az Európa jövőjéről szóló konferencia, Jelentés a végeredményről, 2022. május.

²⁰ [Bizottság közleménye az Európai Parlamentnek és a Tanácsnak. Európai rákellenes terv](#) (2021).

²¹ [HL C 218., 2009.9.11., 91. o.](#)

²² SWD(2022) 200 final, Bizottsági szolgálati munkadokumentum, amely a következő dokumentumot kíséri: [A Bizottság jelentése az Európai Parlamentnek és a Tanácsnak a határokon átnyúló egészségügyi ellátásra vonatkozó betegjogok érvényesítéséről szóló 2011/24/EU irányelv működéséről](#) {COM(2022) 210 final}, Európai referenciahálózatok, 29. o.

betegségek kapcsolt referenciaközpontjain keresztül, amellyel garantálható fennállásuk és elérhetőségük népszerűsítése.

- 4.4 A ritka betegségekben szenvedő betegek ellátásának központosítása a megfelelő számú szakértői központok fenntartása mellett javítaná az ellátás minőségét. Meg kell állapítani a szakértői központok meghatározásának kritériumait. A szakértői központoknak egyedi és megfelelő finanszírozásra van szükségük. Mivel az egészségügyi közkiadások forrásait a civil társadalom és a szociális partnerek hozzák létre, stratégiai szerepet kell betölteniük a források elosztásában. A helyi, regionális és nemzeti ellátóhálózatokat tájékoztatni kell a szakértői központok létezéséről, és ösztönözni kell ezeket az ERH-kban való részvételre az ellátáshoz való hozzáférés megkönnyítése és az ellátás minőségének javítása érdekében.
- 4.5 Az uniós finanszírozással támogatott, határokon átnyúló, több érdekelt felet tömörítő partnerségek és konzorciumok, amelyek tagjai a ritka betegségekkel és az egészségügyi vagy szociálpolitikával foglalkozó civil társadalom és szakértők, a tudományos élet, az orvosi partnerek, a tudásközpontok, a betegszervezetek, a nonprofit kölcsönös egészségbiztosítási pénztárak és a szakértő betegek, bizonyítottan gazdagító ökoszisztémát jelentenek az európai kutatás és együttműködés számára. Hozzájárultak a betegközpontú szakpolitikai ajánlások, kísérleti projektek és tanulmányok kidolgozásához, amelyek célja, hogy javítsák az európai ritka betegségben szenvedő betegek hozzáférését a magas színvonalú, holisztikus és integrált egészségügyi és szociális ellátáshoz²³. Eljött az ideje annak, hogy ezeket az ajánlásokat és bevált gyakorlatokat olyan koherens szakpolitika formájában konszolidáljuk, amely integrálja a nemzeti, határokon átnyúló és európai kezdeményezéseket, és egyetlen ritka betegségben szenvedő beteget sem hagy figyelmen kívül.
- 4.6 A ritka betegségekről szóló, részvételen alapuló Rare 2030 előtekintő tanulmány (*Foresight in Rare Disease Policy*) nyolc alapvető fontosságú ajánlást fogalmazott meg a kezelés, az ellátás, a kutatás, az adatok, valamint az európai és nemzeti infrastruktúra terén, egy ütemtervvel és SMART-célokkal, amelyek meghatározzák a ritka betegségekkel kapcsolatos szakpolitika következő évtizedének irányvonalát: 1) hosszú távú, integrált európai és nemzeti tervek és stratégiák; 2) korábbi, gyorsabb és pontosabb diagnózis; 3) a magas színvonalú egészségügyi ellátáshoz való hozzáférés; 4) integrált és személyközpontú ellátás; 5) partnerségek a betegekkel; 6) innovatív és igényorientált kutatás és fejlesztés; 7) adatok optimalizálása a betegek és a társadalom javára; 8) elérhető, hozzáférhető és megfizethető kezelések²⁴.
- 4.7 A ritka betegségben szenvedő betegek, hozzátartozók és egészségügyi szakemberek szakértelmének elismerése képezte az EMRaDi-projekt lényegét, amely többek között a ritka betegségek terén a keresletet és a kínálatot vizsgálta az Euregio Meuse-Rhein területén. A projekt a mindennapi valóságot és a betegutakat is elemezte, nyolc ritka betegséggel kapcsolatos 104 mélyinterjú alapján²⁵. Ez utóbbiak megerősítették a diagnosztikai nehézségekkel, az ellátás

23 INNOVCARE (2018) [Bridging the gaps between health, social and local services to improve care of people living with rare and complex conditions](#); EMRaDi (2020) [Rare diseases do not stop at borders](#); RARE 2030 (2021) [Foresight in Rare Disease Policy](#).

24 Kole, A., Hedley V., és mtsai. (2021) Recommendations from the *Rare 2030 Foresight Study: The future of rare diseases starts today* (Ajánlások a Rare 2030 előtekintő tanulmány: A ritka betegségek jövője ma kezdődik című dokumentumból).

25 EMRaDi (2020) [Final report of the EMRaDi project](#).

koordinációjának fokozott terhelésével (a betegek legalább hat és legfeljebb huszonöt egészségügyi szakemberrel találkoznak a betegútjuk során), a szakosodott központokban történő multidiszciplináris ellátás szükségességével és ennek előnyben részesítésével kapcsolatos feltételezéseket, valamint a szélesebb körű holisztikus szemlélet szükségességét az információs igények, a pszichológiai támogatás, a társadalmi befogadás és a fejlődési lehetőségek, a gyakorlati és adminisztratív, egyúttal határokon átnyúló egészségügyi igények teljes, mindenre kiterjedő spektrumára vonatkozóan. A projekt ajánlásokat fogalmazott meg a holisztikus ellátásra, a telemedicinára és az európai szolidaritásra vonatkozóan²⁶.

- 4.8 A Covid19-világjárvány felgyorsította az egészségügyi ellátás digitalizálását, az új technológiák használatát és a telemedicina bevezetését. A telemedicina – beleértve a távkonzultációt, a távszakértelmet, a távmonitoringot és a mobil egészségügyet – szabályozásának, kapacitásépítésének és költségtérítésének a szociális partnerekkel és az egészségügyi ágazat érdekelt feleivel folytatott konzultáció eredményeként kell létrejönnie, és mindenekelőtt a betegbiztonságot, valamint az ellátás és a kezelés minőségét és folytonosságát kell biztosítani. A telemedicina optimális alkalmazása megakadályozza, hogy a betegeknek, beleértve a ritka betegségekben szenvedőket is, túlzottan sokat kelljen utazniuk akár saját országukon, akár Európán belül.
- 4.9 A ritka betegségekkel kapcsolatos tudományos kutatás, az egészség-gazdaságtan és az ellátás minőségének javítása a FAIR elv (megtalálható, hozzáférhető, interoperábilis és újrafelhasználható adatok) alapján működő betegnyilvántartásokat igényel. Az olyan kezdeményezések alapján, mint amilyen az európai nyilvántartási adattárház, az európai ritka betegségek nyilvántartási infrastruktúrájának metaadat-tárháza (ERDRI.mdr) és az európai egészségügyi adattér, vitát kell indítani az összefogott és egységes nyilvántartásról és a nyilvántartások céljáról.
- 4.10 A ritka betegségek terén a kereslet és a kínálat feltérképezése a ritka betegségekben szenvedő betegek gyakoriságának, ellátási igénybevételének és ellátási költségeinek mennyiségi elemzését igényli, a betegek magánéletének maximális tiszteletben tartása mellett. A belga egészségbiztosítási pénztárak innovatív módszertana alapján elkészült a ritka betegségben szenvedő betegek prevalenciájának, ellátási költségeinek és ellátási igénybevételének kiinduló elemzése, a társult tagok átlagos ellátási költségeivel és ellátási igénybevételével összehasonlítva²⁷.
- 4.11 Az elemzés megerősítette, hogy az átlagos tagokhoz képest magasabb az ellátási igény (gyakoribb kórházi látogatások és felvételek, gyakoribb háziorvosi és szakorvosi ellátás), ami az összetettebb ellátási igényekkel magyarázható. A kötelező egészségbiztosítási rendszerben a költségek az átlagos tagság tízszeresének bizonyultak, az éves önerőből fizetett hozzájárulás pedig háromszorosa az átlagos tagsághoz képest. A kiadások legnagyobb részét, átlagosan a kiadások felét a gyógyszerek tették ki. A valós költségek várhatóan sokkal magasabbak, mivel a

²⁶ EMRaDi projekt (2019) EMRaDi-tájékoztató – [How to get EU actions on rare diseases \(RD\) closer to RD patients and their relatives? From local and cross-border developments to European solutions.](#)

²⁷ Noirhomme C. (2020. december), MC informations 282, [Analyse de la consommation et des dépenses de soins des personnes atteintes de maladies rares](#), 20. o.

tanulmány nem vette figyelembe a család társadalmi-gazdasági körülményeit és más, meg nem térített költségeket, például a pszichológiai vagy paramedikális ellátást, a kiegészítő biztosításokat és az önerőből fizetendő költségeket. Az elemzés bizonyítja, hogy valóban fontosak az erős, szolidaritáson alapuló egészségbiztosítási rendszerek, amelyek beavatkoznak a ritka betegségben szenvedő betegek védelmében. Ha a ritka betegségekben szenvedő betegek pénzügyi okokból elutasítják vagy nem veszik igénybe az ellátást, az hatással van egészségükre, későbbi életminőségükre, és hosszú távon a megnövekedett költségek pénzügyi kockázatával jár.

- 4.12 A ritka betegség kezelésére használt és a gyermekgyógyászati felhasználásra szánt gyógyszerekre vonatkozó uniós jogszabályok felülvizsgálata ambiciózus megközelítést tesz szükségessé annak biztosítása érdekében, hogy a ritka betegség kezelésére használt gyógyszerek és kezelések megfizethetők legyenek a tagállamok egészségügyi rendszerei és a betegek számára. A megfizethetőség jelenleg számos ritka betegségben szenvedő beteg számára akadályt jelent. Az európai együttműködés és az országok közötti közös gyógyszerbeszerzés különböző formái és modelljei – amilyen pl. a Beneluxa²⁸ vagy a Covid19-világjárvány idején a vakcinákkal kapcsolatos együttműködés – javították a kezelésekhöz való hozzáférést, ami a közös, átlátható, fenntartható és támogató uniós megközelítésnek köszönhető. A méltányos árképzésről és a gyógyszerek K+F-költségeinek átláthatóságáról szóló vitát erősíti a gyógyszerek méltányos árkalkulátorára vonatkozó javaslat és az AIM méltányos árképzési modellje, amely az új vagy meglévő (generikus versenytárs nélküli) gyógyszerek FAIR árát számítja ki, és összehasonlítja azt a fizetett vagy tárgyalás alatt álló árral²⁹.
- 4.13 Ha nincs lehetőség rendszeres visszatérítésre, a különböző tagállamok különböző rendelkezéseket írnak elő a ritka betegségben szenvedő betegek ritka betegségek gyógyszereihez való hozzáférésére vonatkozóan, beleértve az együttérző felhasználási programokat, az indikáción túli gyógyszeralkalmazásra vonatkozó rendelkezéseket és például a Különleges Szolidaritási Alap beavatkozásait is³⁰. A szolidaritási alapok hasznos kiegészítést jelenthetnek, ha a kötelező egészségbiztosítás nem fedezi az összetett vagy ritka betegségek kezelésének vagy a határokon átnyúló ellátásnak a költségeit. Mindenképpen ez a helyzet olyan esetekben, amikor az EU-ban nincsenek elismert referenciaközpontok. A ritka betegségek kezelésének költségvetési hatása ellenére az ERH-kban történő ellátásra vagy a ritka betegségben szenvedő, egy másik tagállamban található referenciaközpontban ellátást igénybe vevő betegek ellátására vonatkozó európai egyezményekről nem zajlanak viták.
- 4.14 Az Egészségügyi Szükséghelyzet-felkészültségi és -reagálási Hatóság (HERA) a Covid19-világjárványra adott válaszként és az európai egészségügyi unió egyik fő pilléréként jött létre. Célja az egészségügyi vészhelyzetek megelőzése, felderítése és az azokra való gyors reagálás, valamint a fenyegetések és potenciális egészségügyi válságok előrejelzése információgyűjtés és a szükséges reagálási kapacitások kiépítése révén. Küldetése nem csak a fertőző betegségekre

28 [Beneluxa gyógyszerpolitikai kezdeményezés.](#)

29 AIM – [Európai méltányos gyógyszerár-kalkulátor; Az AIM egy olyan eszközt kínál, amellyel kiszámíthatók a hozzáférhető gyógyszeripari innovációk méltányos és átlátható európai árai.](#)

30 Maastrichti Egyetem (2020), [Report on the analysis of legal, financial and reimbursement mechanisms of rare diseases for treatment costs of EMR rare diseases patients.](#) 3.2. Orphan medical products, 43. o.

terjedhet ki, és megbízatása révén más egészségügyi fenyegetésekkel is megbirkózik. Az európai egészségügyi unió jelenlegi irányítási struktúrája egyelőre nem tartalmaz intézményesített támogatást a felkészültség és a ritka betegségekkel kapcsolatos olyan kihívásokra adott válaszok tekintetében, amelyekkel a tagállamok szembesülhetnek. A HERA modellként szolgálhat a nem fertőző betegségekkel foglalkozó új hatóság számára, amely elősegítené a ritka betegségekkel kapcsolatos koordinációt és szolidaritást.

Kelt Brüsszelben, 2022. szeptember 29-én.

Aurel Laurențiu Plosceanu

a „Foglalkoztatás- és szociálpolitika, uniós polgárság” szekció elnöke
