

DE

001105/EU XXIV.GP
Eingelangt am 12/11/08

DE

DE



KOMMISSION DER EUROPÄISCHEN GEMEINSCHAFTEN

Brüssel, den 11.11.2008
SEK(2008) 2713 endgültig

ARBEITSDOKUMENT DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN

**Zusammenfassung der Folgenabschätzung
zur**

**MITTEILUNG DER KOMMISSION AN DEN RAT, DAS EUROPÄISCHE
PARLAMENT, DEN EUROPÄISCHEN WIRTSCHAFTS- UND SOZIALAUSSCHUSS
UND DEN AUSSCHUSS DER REGIONEN**

über

seltene Krankheiten – eine Herausforderung für Europa

{KOM(2008)679}

{SEK(2008)2712}

ARBEITSDOKUMENT DER KOMMISSIONSDIENSTSTELLEN

Zusammenfassung der Folgenabschätzung

zur

**MITTEILUNG DER KOMMISSION AN DEN RAT, DAS EUROPÄISCHE
PARLAMENT, DEN EUROPÄISCHEN WIRTSCHAFTS- UND SOZIALAUSSCHUSS
UND DEN AUSSCHUSS DER REGIONEN**

über

seltene Krankheiten – eine Herausforderung für Europa

INHALTSVERZEICHNIS

1.	Einleitung	5
2.	Problemstellung.....	5
2.1.	Fehlende Anerkennung und Sensibilisierung für seltene Krankheiten	5
2.2.	Fehlende Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten ...	5
2.3.	Fehlen wirksamer Gesundheitsversorgung, Forschung und Regelungen für seltene Krankheiten in Europa	5
2.3.1.	Ungleichmäßige Verfügbarkeit der gesundheitlichen Versorgung durch Spezialisten	5
2.3.2.	Fragmentierte Forschung	6
2.3.3.	Unzureichender Rechtsrahmen	6
2.4.	Subsidiarität.....	6
2.4.1.	Notwendigkeitsprüfung.....	6
2.4.2.	Mehrwertprüfung	6
3.	Ziele.....	7
3.1.	Seltene Krankheiten besser erkennen und ins Bewusstsein rücken	7
3.2.	Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten unterstützen	7
3.3.	Europäische Zusammenarbeit, Koordinierung und Regelungen für seltene Krankheiten entwickeln	7
4.	Strategieoptionen.....	8
4.1.	Basisoption	8
4.2.	Mitteilung der Kommission und Vorschlag für eine Empfehlung des Rates.....	8
4.3.	Wiedereinführung eines formellen Programms betreffend seltene Krankheiten.....	8
5.	Analyse der Auswirkungen	8
5.1.	Soziale Auswirkungen	8
5.2.	Umweltauswirkungen	9
5.3.	Wirtschaftliche Auswirkungen.....	9
6.	Vergleich der Optionen	9
6.1.	Seltene Krankheiten besser erkennen und ins Bewusstsein rücken	9
6.2.	Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten unterstützen	10

6.3.	Europäische Zusammenarbeit, Koordinierung und Regelungen für seltene Krankheiten entwickeln	10
6.4.	Zusammenfassung.....	11
7.	Begleitung und Bewertung.....	11
7.1.	Datenerhebung	11
7.2.	Komitologie und Überwachungsmechanismus.....	11

1. EINLEITUNG

Seltene Krankheiten sind lebensbedrohende oder chronische Invalidität nach sich ziehende Krankheiten mit geringer Prävalenz und hoher Komplexität. Meist handelt es sich um genetische Krankheiten, des Weiteren gehören dazu seltene Krebserkrankungen, Autoimmunerkrankungen, angeborene Missbildungen, toxische Krankheiten und Infektionskrankheiten. Sie erfordern ein globales Vorgehen auf der Grundlage spezifischer und gemeinsamer Anstrengungen zur Prävention erheblicher Morbidität oder vermeidbarer vorzeitiger Mortalität und zur Verbesserung der Lebensqualität oder des sozioökonomischen Potenzials der Betroffenen.

Als seltene Krankheit gilt nach der aktuellen Definition eine Krankheit mit einer Prävalenz von höchstens fünf von zehntausend Menschen in der Europäischen Union. Diese Prävalenzrate erscheint zwar gering, sie entspricht aber etwa 246 000 Betroffenen je Krankheit in den 27 EU-Mitgliedstaaten. Nach derzeitigen wissenschaftlichen Erkenntnissen gibt es 5 000 bis 8 000 verschiedene seltene Krankheiten, an denen bis zu 6 % der EU-Gesamtbevölkerung im Laufe ihres Lebens erkranken. Dies entspricht 29 bis 36 Mio. Menschen in den 27 Mitgliedstaaten, die an einer seltenen Krankheit leiden oder erkranken werden.

2. PROBLEMSTELLUNG

2.1. Geringer Bewusstseins- und Sensibilisierungsgrad für seltene Krankheiten

Obwohl seltene Krankheiten in hohem Maße zu Morbidität und Mortalität führen, werden sie in den Informationssystemen des Gesundheitswesens meist nicht berücksichtigt, weil geeignete Kodierungs- und Klassifizierungssysteme fehlen. Die Tatsache, dass sie in den Gesundheitssystemen nicht formal identifiziert werden, bildet medizinische und finanzielle Hürden für die Behandlung nicht anerkannter Krankheiten, für die aus diesem Grund auch keine Mittel und Ressourcen bereit gestellt werden. Somit entsteht ein Teufelskreis, der die aktuelle Ineffizienz festigt. Zudem stellen fehlende und falsche Diagnosen die Haupthindernisse für die Verbesserung der Lebensqualität Tausender Patienten dar, die an seltenen Krankheiten leiden.

2.2. Fehlende Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten

Die begrenzten Ressourcen zur Bekämpfung seltener Krankheiten stehen in den Mitgliedstaaten verstreut zur Verfügung, deshalb bedarf es unbedingt eines spezifischen Plans, diese Ressourcen zu bündeln und effizient einzusetzen, die andernfalls unter die Effizienzschwelle sinken würden. Da spezifische Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten fehlen und nur sehr wenig Expertenwissen vorhanden ist, verzögern sich Diagnosen, und der Zugang zur Versorgung wird erschwert.

2.3. Fehlen wirksamer Gesundheitsversorgung, Forschung und Regelungen für seltene Krankheiten in Europa

2.3.1. Ungleichmäßige Verfügbarkeit der gesundheitlichen Versorgung durch Spezialisten

Es fehlen Referenznetze, flächendeckende Versorgung, Ressourcen und Fachwissen, das möglicherweise nur in einem anderen Mitgliedstaat verfügbar ist.

2.3.2. *Fragmentierte Forschung*

Es besteht eine enge Verbindung zwischen der Forschung und den Diagnose- und Therapiemöglichkeiten für seltene Krankheiten. Deshalb ist eine weitere Erforschung seltener Krankheiten erforderlich, diese wird jedoch durch Ineffizienz und die Zersplitterung der vorhandenen begrenzten Ressourcen behindert.

2.3.3. *Unzureichender Rechtsrahmen*

Der derzeitige EU-Rechtsrahmen berücksichtigt seltene Krankheiten nur unzureichend. Die einschlägigen gemeinschaftlichen Rechtsvorschriften, beispielsweise über klinische Versuche und Marktzulassungen für Arzneimittel, haben sich bei der Anwendung auf seltene Krankheiten als ungeeignet und unzureichend erwiesen.

2.4. **Subsidiarität**

Es gibt wohl keinen anderen Bereich der öffentlichen Gesundheit, in dem 27 einzelstaatliche Ansätze als so ineffizient und unwirksam zu betrachten sind wie bei seltenen Krankheiten. Aufgrund der geringen Patientenzahl bei jeder einzelnen Krankheit und der Notwendigkeit, Ressourcen zu mobilisieren, erfordern wirksame Maßnahmen nach Art und Umfang ein Vorgehen auf europäischer Ebene im Einklang mit Artikel 152 des Vertrags zur Gründung der Europäischen Gemeinschaft.

Aufgrund der hohen Kosten wäre es nicht praktikabel, in jedem Mitgliedstaat für jede Krankheit ein Zentrum zu errichten. Deshalb sollten nicht die Patienten, sondern das Expertenwissen mobil sein – obgleich auch Patienten die Möglichkeit haben sollten, nötigenfalls zu den Zentren zu reisen.

2.4.1. *Notwendigkeitsprüfung*

Der Schutz und die Verbesserung der Gesundheit der Bürger fallen vorrangig in die Zuständigkeit der Mitgliedstaaten. Im Rahmen dieser Zuständigkeit obliegt es diesen, über die Organisation des Gesundheitswesens und die medizinische Versorgung für Patienten, die an seltenen Krankheiten leiden, zu entscheiden. Die grundlegenden Ziele der EU in Bezug auf die Freizügigkeit von Patienten, die angemessene Anerkennung von Krankheiten und den gerechten Zugang zu sicheren und wirksamen Arzneimitteln für seltene Leiden oder die Zusammenarbeit in der Erforschung seltener Krankheiten haben jedoch naturgemäß eine europäische Dimension.

Ein wichtiger Grund, zum jetzigen Zeitpunkt Maßnahmen auf dem Gebiet seltener Krankheiten zu treffen, ist die laufende Überarbeitung der Internationalen Klassifikation der Krankheiten (ICD). Die neue ICD-11 soll auch seltene Krankheiten umfassen; und damit dies aus europäischer Sicht auf wirksame Weise geschieht, bedarf es einer zentralen Koordinierungsstelle.

2.4.2. *Mehrwertprüfung*

Die EU kann durch ein breites Spektrum von Maßnahmen einen Mehrwert erbringen. Dazu gehören das Erreichen einer kritischen Masse oder von Skaleneffekten — beispielsweise durch den Informationsaustausch über seltene Krankheiten, von denen nur wenige Menschen in den einzelnen Mitgliedstaaten betroffen sind, — oder multidisziplinäre Forschungszusammenarbeit, die sich als effizientester Weg erwiesen hat, um die Krankheiten besser zu verstehen und präventive, diagnostische und therapeutische Verfahren zu entwickeln. Beispiele für einen klaren Mehrwert lassen sich in folgenden Bereichen erkennen:

- Verringerung gesundheitlicher Benachteiligung in der EU;
- Schaffung eines kohärenten Rahmens für die Feststellung seltener Krankheiten und europaweiten Informationsaustausch;
- Mehrwert eines neuen EU-Ansatzes bei seltenen Krankheiten zur Verbesserung der Erkennung seltener Krankheiten sowie entsprechender Informationen und Erkenntnisse als solide Grundlage für Diagnose und Patientenversorgung;
- Schaffung eines besseren Rahmens für die Erforschung seltener Krankheiten

3. ZIELE

Allgemeines Ziel der Gemeinschaftsaktion zur Bekämpfung seltener Krankheiten ist die Unterstützung der Mitgliedstaaten bei der Sicherstellung wirksamer und effizienter Anerkennung, Prävention, Diagnose, Behandlung, Versorgung und Erforschung seltener Krankheiten. Dies stützt sich auf die strategischen Ziele der Kommission in Bezug auf Wohlstand, Solidarität und Sicherheit und soll durch drei Einzelziele erreicht werden.

3.1. Seltene Krankheiten besser erkennen und ins Bewusstsein rücken

Der Schlüssel zur Verbesserung der Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten liegt darin, sicherzustellen, dass sie erkannt werden, so dass alle weiteren Maßnahmen entsprechend folgen können. Die EU sollte eng mit der WHO bei der Überarbeitung der bestehenden ICD zusammenarbeiten, um für eine bessere Kodierung und Klassifizierung seltener Krankheiten zu sorgen.

3.2. Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten unterstützen

Effiziente und wirksame Maßnahmen zur Bekämpfung seltener Krankheiten hängen von einer kohärenten allgemeinen Strategie ab, die knappe und zersplitterte Ressourcen auf integrierte und deutlich erkennbare Weise zusammenführt und Bestandteil gemeinsamer europäischer Anstrengungen ist. Diese gemeinsamen europäischen Anstrengungen hängen wiederum von einem EU-weit gemeinsamen Ansatz zur Bekämpfung seltener Krankheiten ab, der eine gemeinsame Basis der Zusammenarbeit bildet.

3.3. Europäische Zusammenarbeit, Koordinierung und Regelungen für seltene Krankheiten entwickeln

Die Gemeinschaft sollte anstreben, die Maßnahmen und Initiativen auf EU-Ebene besser zu koordinieren und die Zusammenarbeit im Rahmen verschiedener EU-Programme zu stärken, um die für seltene Krankheiten auf Gemeinschaftsebene verfügbaren Ressourcen bestmöglich zu nutzen, insbesondere um Folgendes sicherzustellen:

- wirksame Koordinierung von Forschung und technologischer Entwicklung;
- Zugang zu geeigneter spezialisierter Gesundheitsversorgung sowie zu spezialisierten und abgestimmten sozialen Dienstleistungen für Patienten mit seltenen Krankheiten;
- Anpassung des Rechtsrahmens und der Maßnahmen auf Gemeinschaftsebene an die speziellen Erfordernisse seltener Krankheiten.

4. STRATEGIEOPTIONEN

4.1. Basisoption

Fortsetzung der projektgestützten Arbeit ohne europäischen Bezugspunkt innerhalb des aktuellen Rechtsrahmens

Mit dieser Option würde die Kommission weiterhin einzelne Projekte fördern, die darauf abzielen, seltene Krankheiten besser zu erkennen und ins Bewusstsein zu rücken, ohne formelle Anleitung oder Empfehlung für die Mitgliedstaaten, wie effiziente und wirksame Strategien sichergestellt werden können.

4.2. Mitteilung der Kommission und Vorschlag für eine Empfehlung des Rates

Mit dieser Option würde die Kommission eine formelle Erklärung zur Definition seltener Krankheiten in der EU abgeben und ihre Absicht darlegen, dafür zu sorgen, dass seltene Krankheiten auf europäischer wie globaler Ebene besser erkannt und ins Bewusstsein gerückt werden, und eine allgemeine Strategie für europäische Maßnahmen zur Bekämpfung seltener Krankheiten umreißen.

Die Kommission würde außerdem eine Empfehlung des Rates vorschlagen, der zufolge die Mitgliedstaaten kohärente und umfassende Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten erarbeiten sollten.

4.3. Wiedereinführung eines formellen Programms betreffend seltene Krankheiten

Mit dieser Option würde die Kommission vorschlagen, ein spezifisches Programm mit einer einzigen detaillierten Strategie für die gesundheitliche Versorgung zur Bekämpfung seltener Krankheiten auf Gemeinschaftsebene aufzulegen. Das Programm würde gemäß Artikel 152 des Vertrags aufgelegt, um bestimmte Projekte zur Bekämpfung seltener Krankheiten voranzubringen, ähnlich wie dies im früheren spezifischen Programm betreffend seltene Krankheiten der Fall war. Die Kommission könnte auch Maßnahmen im Rahmen der Verordnung des Europäischen Parlaments und des Rates über die Gemeinschaftsstatistiken über die öffentliche Gesundheit und die Gesundheit und Sicherheit am Arbeitsplatz annehmen, um eine verbindliche Rechtsvorschrift zur Erhebung von Daten über seltene Krankheiten durch die Mitgliedstaaten einzuführen.

5. ANALYSE DER AUSWIRKUNGEN

5.1. Soziale Auswirkungen

Angesichts der Komplexität und des Zeitaufwands, der damit verbunden ist, wenn die Mitgliedstaaten gemäß der Basisoption nationale Strategien von Grund auf neu erarbeiten, erscheint es unwahrscheinlich, dass die Mitgliedstaaten dies ohne klaren Bezugsrahmen schaffen, der die bewährten Verfahren aus der ganzen Union bündelt. Dadurch könnte zwischen den Mitgliedstaaten ein noch größeres Gefälle entstehen.

Eine Empfehlung des Rates würde eine formelle rechtliche und politische Verpflichtung für die Mitgliedstaaten darstellen und gleichzeitig Spielraum bei der Durchführung erlauben. Dieser Ansatz ist speziell in Artikel 152 als geeignetes Instrument im Gesundheitsbereich vorgesehen, das wirksame Orientierung bei gleichzeitiger Wahrung der Subsidiarität ermöglicht. Dies würde zu größerer Verteilungsgerechtigkeit und Qualität bei der Erbringung und der Inanspruchnahme von

Dienstleistungen führen und sich positiv auf die Gesundheit der Bevölkerung in den Mitgliedstaaten auswirken.

Die Wiedereinführung eines formellen Programms betreffend seltene Krankheiten würde die Effizienz der Maßnahmen im Vergleich zu einer Kommissionsstrategie nur geringfügig verbessern. Daher böte die Wiedereinführung eines formellen Programms keine signifikanten Vorteile gegenüber den anderen genannten Optionen.

5.2. Umweltauswirkungen

Bei dieser Art von Initiative können die Umweltauswirkungen vernachlässigt werden; sie werden daher nicht weiter erörtert.

5.3. Wirtschaftliche Auswirkungen

Eine erfolgreiche Intervention im Bereich seltener Krankheiten könnte auch wirtschaftliche Auswirkungen haben, indem sie die Effizienz und Wirksamkeit des Ressourceneinsatzes für seltene Krankheiten verbessert. Die französische Mehrjahresstrategie zur Bekämpfung seltener Krankheiten (2005-2008) wird 86,66 Mio. Euro kosten, zuzüglich weiterer 20 Mio. Euro, die für die Forschung aufgewendet werden. Die Folgen, die die Entwicklung solcher Strategien ohne Anleitung und ohne europäischen Ansatz für die öffentlichen Haushalte hätte, würden die Basisoption für viele Mitgliedstaaten untragbar machen.

Die fachliche Arbeit an einer Empfehlung des Rates kann mit Unterstützung des laufenden Gesundheitsprogramms und durch Zentralisierung vorangebracht werden, was für die nationalen Gesundheitssysteme und Behörden effizienter und weniger belastend ist. Die Verbesserung der Effizienz der Maßnahmen zur Bekämpfung seltener Krankheiten wird sowohl für die einzelnen Patienten als auch durch den effizienten Ressourceneinsatz für die Gesundheitssysteme allgemein von erheblichem Nutzen sein. Da die Initiative nicht verbindlich ist, werden die Auswirkungen wohl keine Gruppe und keinen Sektor belasten.

Der Verwaltungsaufwand, der für die Behörden mit der Erhebung von Daten über 5 000-8 000 seltene Krankheiten in der ganzen Union verbunden ist, wie in der dritten Option vorgeschlagen, wäre beträchtlich. Die zusätzlichen Kosten für die Verknüpfung der erhobenen Daten über seltene Krankheiten mit dem Europäischen Statistiksystem wären ebenfalls enorm. Angesichts der Unterschiede bei der Organisation der Gesundheitssysteme und der medizinischen Versorgung in der Union würden sich bei dieser Option außerdem Fragen zur Subsidiarität erheben. Obwohl Bereiche wie Forschung und technologische Entwicklung davon profitieren würden, würde die Wiedereinführung eines formellen EU-Programms betreffend seltene Krankheiten langfristig erhebliche Mittel erfordern, deshalb erscheint dies nicht als der effizienteste Ansatz.

6. VERGLEICH DER OPTIONEN

6.1. Seltene Krankheiten besser erkennen und ins Bewusstsein rücken

	Basisoption	Mitteilung der Kommission	Verbindliche Vorschrift zur Datenerhebung
Vorteile	Bessere Erkennung &	Bewusstseinsbildung; Beteiligung der	Bessere Evidenzbasis; bessere Gesundheits-

	Kategorisierung	einschlägigen Stakeholder; Akzeptanz der Ergebnisse.	berichterstattung; bessere & gerechtere Leistungserbringung.
Nachteile	Geringere Wahrscheinlichkeit der Annahme von Klassifikationen; Doppelarbeit & Ineffizienz; fortgesetzte Ungleichheiten beim Zugang zur Versorgung.	Erfolg hängt von der Zusammenarbeit eines breiten Spektrums von Stakeholdern ab.	Hoher Verwaltungsaufwand; hohe Kosten der Integration ins statistische System; unverhältnismäßiges Maßnahmenniveau.

6.2. Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten in den Mitgliedstaaten unterstützen

	Basisoption	Empfehlung des Rates	EU-Gesundheitsstrategie für FuE
Vorteile	Maximale Flexibilität der MS bei der Organisation ihrer Gesundheitssysteme nach ihren Vorstellungen.	Formelle rechtliche & politische Verpflichtung; Erhaltung der Flexibilität; erhöhte Effizienz & Wirksamkeit der Maßnahmen; Bündelung der Ressourcen.	Detaillierte Leitlinien auf EU-Ebene; effektiver in der detaillierten Beschreibung bewährter Verfahren; verstärkte gesundheitliche Versorgung.
Nachteile	Fortbestehen der Benachteiligungen bei Zugang und Qualität der gesundheitlichen Versorgung; Fehlen eines klaren Bezugspunkts; ineffiziente Erarbeitung nationaler Strategien; Fortbestehen der Ressourcenzersplitterung.	Keine verbindliche Vorschrift für die Mitgliedstaaten.	Signifikante Umstrukturierung der nationalen Gesundheitssysteme; Subsidiaritätsproblematik.

6.3. Europäische Zusammenarbeit, Koordinierung und Regelungen für seltene Krankheiten entwickeln

	Basisoption	Mitteilung der Kommission	Wiedereinführung eines Programms betreffend seltene Krankheiten
Vorteile	Vermeidung der Notwendigkeit der Neuausrichtung laufender Gemeinschaftsmaßnahmen.	Erhöhung der Verteilungsgerechtigkeit und der Qualität der gesundheitlichen Versorgung; stärkere	Politische Sichtbarkeit der Gemeinschaftsfinanzierung.

		grenzübergreifende Zusammenarbeit; Senkung von Mortalität & Morbidität; Verringerung der Ineffizienz; Anregung der Forschung; erleichterte Technologieeinführung.	
Nachteile	Weitere ineffiziente Maßnahmen; größere Ungleichheiten; weitere Begrenzung und Zersplitterung der Ressourcen.	Hängt von der Zusammenarbeit eines breiten Spektrums von Programmen und Akteuren auf Gemeinschaftsebene ab.	Erheblicher Mittelbedarf (nach der aktuellen finanziellen Vorausschau nicht verfügbar); fehlende Integration in andere Politikbereiche; ineffizienter Ansatz.

6.4. Zusammenfassung

Aus diesen Gründen wird die Option bevorzugt, in einer Mitteilung der Kommission Vorschläge für eine Gemeinschaftsstrategie zur Bekämpfung seltener Krankheiten vorzulegen, und eine gemeinsame Verpflichtung durch einen beiliegenden Vorschlag für eine Empfehlung des Rates zur Erarbeitung kohärenter und umfassender Strategien zur Bekämpfung seltener Krankheiten auf der Grundlage des Artikels 152 des Vertrags anzustreben.

7. BEGLEITUNG UND BEWERTUNG

7.1. Datenerhebung

Aufbauend auf den laufenden Arbeiten der technischen Unterstützungsstrukturen wird ein Datensatz für Indikatoren seltener Krankheiten erstellt. Der Datensatz soll folgende Bereiche abdecken (nur indikative, nicht erschöpfende Liste):

- Demografie, Epidemiologie und Gesundheitszustand
- Gesundheitsfaktoren und sozioökonomische Faktoren
- Gesundheitsdienstleistungen
- Forschung und technologische Entwicklung
- Verteilungsgerechtigkeit, regionale Unterschiede und EU-Initiativen

7.2. Komitologie und Überwachungsmechanismus

Es würde ein Beratender Ausschuss für seltene Krankheiten der EU (EUACRD) eingesetzt, der die Aufgaben der EU-Taskforce für seltene Krankheiten übernehmen sollte. Der künftige EUACRD soll sich aus Vertretern der 27 Mitgliedstaaten zusammensetzen und Experten des Gesundheitsprogramms und der FR-Projekte, Vertreter von Patientenverbänden, der Industrie und andere Interessenten einbeziehen.