

Europa-Kommissionen  
Generaldirektoratet for Sundhed og Forbrugerbeskyttelse  
Rare Diseases consultation  
HTC 01/198  
11, Rue Eugène Ruppert  
L-2557 Luxembourg  
E-mail: [sanco-rarediseases-consultation@ec.europa.eu](mailto:sanco-rarediseases-consultation@ec.europa.eu)



### Høringsvar fra den danske regering vedrørende Europa-Kommissionens høringstekst om sjældne sygdomme

Den danske regering finder det positivt, at Europa-Kommissionens Generaldirektorat for Sundhed og Forbrugerbeskyttelse som led i sine overvejelser om at fremsætte et forslag i løbet af 2008 på området for sjældne sygdomme har valgt at sende en høringstekst vedr. sjældne sygdomme i en bred offentlig høring blandt medlemslandene og andre interesserede parter.

Formålet med høringen er at afdække medlemslandenes og andre parters synspunkter om, hvilke videre skridt, der bør tages på fællesskabsniveau med henblik på at styrke behandlingen i forhold til patienter med sjældne sygdomme. Alt i alt finder den danske regering, at høringsteksten indeholder 5 relevante emner og 14 aktuelle spørgsmål vedr. sjældne sygdomme.

Imidlertid skal den danske regering understrege, at det eksisterende og nuværende netværksarbejde på europæisk niveau bør være fundamentet for den fortsatte køreplan for 2008, herunder at fortsætte brugen af EU's Folkesundhedsprogram 2003-2008 (2. EF-handlingsprogram for sundhed 2008-2013) uden nye specifikke initiativer på området for sjældne sygdomme.

#### Generelt

Den danske regering har - på baggrund af Sundhedsstyrelsens deltagelse i EU's Task force og Ministeriet for Sundhed og Forebyggelses deltagelse i underarbejdsgruppen om europæiske referencenetværk (ERN) for sjældne sygdomme - som udgangspunkt en positiv holdning til initiativer og aktiviteter, der kan fremme udveksling af viden, sundhedspersonale, data, prøver m.m. i indsatsen til gavn for patienter med sjældne sygdomme.

Det skal samtidig understreges, at der i Danmark såvel som i hovedparten af de øvrige EU-lande allerede findes nationale regelsæt og muligheder for, at et sådant samarbejde i relevante tilfælde kan komme patienter til gavn.

Et sådant samarbejde kan allerede foregå bl.a. hvis der er behov for direkte udveksling af information og rådgivning om konkrete patienter eller eventuelt i relevante tilfælde behov for henvisning af en patient til udlandet. Der findes således med henvisning til subsidiaritetsprincippet ikke umiddelbart behov for yderligere regelsæt på området.

Det er på det grundlag regeringens opfattelse, at intentionerne og ideerne i høringsteksten er af meget vidtgående karakter og på flere punkter omhandler medlemslandenes reguleringsmekanismer, som strækker sig langt ind i medlemslandenes organisering af sundhedsvæsenet, herunder i tildeling af sociale og sundhedsfaglige ydelser, der ikke er undergivet EU-reguleringskompetence.

Derudover stiller regeringen sig uforstående over for, at høringsteksten henviser til artikler i et kommende sundhedsdirektiv, der endnu ikke er fremsat og til et folkesundhedsprogram for 2014-2020.

Slotsholmsgade 10-12  
DK-1216 Copenhagen K  
Phone: +45 7226 9000  
Fax: +45 7226 9001  
E-mail: [sum@sum.dk](mailto:sum@sum.dk)  
Web: [www.sum.dk](http://www.sum.dk)

Date: 29 FEB. 2008  
Office: Sundhedspolitisk kt.  
J.nr.: 2006-1201-97

Case officer.: mmi  
File-name:  
SjældneSygdommeSvarFinal29  
cb08

Grundlaget for begrebet sjældne sygdomme i høringsteksten tager udgangspunkt i en prævalens på mindre end 5 per 10.000 personer, svarende til ca. 2500 patienter per sygdom i Danmark, hvilket ikke forekommer specielt lavt eller sjældent. I Danmark vurderes en sygdom at være sjælden, hvis der er en prævalens på under 500 patienter, svarende til 1 per 10.000 personer. Endvidere skal det bemærkes, at en afgrænsning i forhold til prævalens kun i begrænset omfang i sig selv begrundes behov for særlig organisering, udveksling af viden, samarbejde eller behandling over landegrænser i EU-regi.

Den lægevidenskabelige forskning er internationalt organiseret og samarbejder allerede om udveksling af viden og data på mange forskellige måder. Der bør derfor være klare sundhedsfaglige begrundelser for etablering af hver enkelt særligt EU – initiativ på et sygdomsområde.

Generelt er det den danske regerings opfattelse, at de eksisterende og nuværende aktiviteter i EU-regi er yderst værdifulde, idet det skaber mulighed for udveksling af erfaringer og viden til gavn for nationale sundhedsmyndigheder, fagfolk og organisationer for patienter og pårørende på området bl.a. i relation til, om der kan identificeres behov for koordinerende initiativer.

Der er generelt på området for sjældne sygdomme som i øvrigt på andre sygdomsområder, behov for kontinuerlig udvikling og forbedring af indsatsen i relation til diagnostik og behandling. Det arbejder man således også med i den kontinuerlige udvikling og forbedring af sundhedsvæsenet i Danmark. Dette fremgår af den nationale lovgivning på sundhedsområdet, hvor Sundhedsstyrelsen er tillagt kompetencer vedrørende fastsættelse af specialiserede funktioner (highly specialized) og disses placering på centre i det danske sygehusvæsen.

Det foreliggende høringsdokument indeholder på visse punkter tilsyneladende en intention om at fastlægge forpligtende og detaljerede krav og rammer for det enkelte land for så vidt angår ydelser, patientrettigheder, indberetningssystemer, statistik mv. Man finder fra dansk side overordnet ikke at kunne støtte, at man arbejder videre i denne retning, hvilket i øvrigt heller ikke er i overensstemmelse med drøftelserne i High Level Group on Health Services and Medical Care.

Endvidere vil regeringen gerne understrege, at samarbejdet i HLGs underarbejdsgruppe og EU's task force vedr. sjældne sygdomme er positivt i forhold til udvikling af samarbejdsnetværk (ERN) mellem nationale ekspertcentre.

I den forbindelse skal man understrege, at EU's ekspertgruppe/task force vedr. sjældne sygdomme har peget på, at national udvikling samt understøttelse af netværksdannelser mellem ekspertcentre under respekt for nationale regler vil være en konstruktiv og hensigtsmæssig vej for fremme af udvikling på området.

Det er den danske regerings opfattelse, at høringsteksten ønsker at fastlægge forpligtende og detaljerede krav og rammer for det enkelte medlemsland for så vidt angår ydelser, rettigheder, indberetningssystemer, statistik mv., hvilket man ikke kan støtte.

Endelig er det regeringens opfattelse, at det eksisterende og nuværende europæiske netværks-samarbejde (ERN) bør være fundamentet for den fortsatte køreplan for 2008, herunder at fortsætte brugen af EU's Folkesundhedsprogram 2003-2008 (2. EF-handlingsprogram for sundhed 2008-2013) uden nye specifikke initiativer på området for sjældne sygdomme.

## **Bemærkninger til afsnit 4 i høringsteksten:**

### **Ad 4: Målsætninger**

Som det fremgår, er det Kommissionens målsætning at forbedre mulighederne for udredning, undersøgelse og behandling af patienter med sjældne sygdomme. Ingen medlemslande kan være imod sådanne målsætninger. Det er dog medlemslandenes opgave at sikre disse muligheder.

#### **Ad 4, dot 1: En styrkelse af samarbejdet mellem EU's programmer**

Det er den danske regerings opfattelse, at en koordinering mellem EU's vedtagne programmer forekommer hensigtsmæssig og ønskelig.

#### **Ad 4, dot 2: At EU-27 tilskyndelsen til at udvikle nationale sundhedspolitikker**

Regeringen kan som udgangspunkt støtte en opfordring (soft actions) til de enkelte lande om at udvikle nationale sundhedspolitikker for det sjældne, som en del af den nationale overordnede sundhedspolitik. Udformning heraf må tage udgangspunkt i relevante nationale problemstillinger.

#### **Ad 4, dot 3: At sikre, at der udarbejdes og formidles fælles politiske retningslinier over alt i Europa**

Det er ikke EU's opgave at sikre, at der udarbejdes og formidles fælles politiske retningslinier vedrørende sjældne sygdomme. EU's opgave kunne derimod være at understøtte inspirations- og modelmateriale samt formidle erfaringer, der kan være tilgængeligt for og understøtte de enkelte medlemslandes arbejde på feltet.

### **Ad 4.1: At forbedre identifikation af og viden om sjældne sygdomme**

#### **Ad 4.1, dot 1: Fælles definition af sjældne sygdomme i EU, herunder spørgsmål 1: "Er EU's nuværende definition af en sjælden sygdom tilfredsstillende?"**

Definitionen er for bred. Den definition og afgrænsning, som man opererer med i EU, nemlig en prævalens på mindre end 5 pr.10.000 svarer til ca. 2500 patienter pr. sygdom i Danmark hvilket ikke forekommer specielt sjældent. I Danmark vurderes en sygdom generelt først som sjælden, hvis denne har en prævalens på under 500.

I den forbindelse gælder som nævnt generelt, at stigende viden om bl.a. genetik medfører, at visse sygdomme evt. kan underinddeles i subgrupper med særlig bagvedliggende årsag til den pågældende lidelse. Det kan f.eks. dreje sig om autisme eller epilepsi som nævnt i dokumentet. Der må således forudses en udvikling, hvor flere og flere store sygdomsgrupper vil kunne underinddeles i subgrupper og dermed opnå prædikat af sjældenhed.

Den nuværende definition betyder, at grupper af sygdomme, som må anses for blot at være relativt sjældne eller mindre hyppige, f.eks. alle maligne hæmatologiske lidelser, er omfattet og i samme kategori som virkelig meget sjældne genetiske sygdomme f.eks. arvelige anæmier. Den meget brede definition medfører risiko for, at de meget sjældne tilstande, som burde være den centrale målgruppe for initiativer og programmer risikerer at blive forfordelt i indsatsen f.eks. i Orphan drug programmet.

Begrebet sjældent, uanset en eventuel prævalens definition og afgrænsning, kan i øvrigt ikke stå alene eller tillægges en selvstændig værdi, der udsiger om der er behov for særlige initiativer og tiltag. Det kræver supplerende vurderingskriterier.

De uddybende forsøg på beskrivelse og karakterisering af patientgruppen i dokumentet illustrerer disse vanskeligheder med at etablere operationel og entydig afgrænsning.

Det skal hertil bemærkes, at der i de enkelte EU-lande er store forskelle mellem, hvilke tilstande man anser for at høre til under overbegrebet "sjældne sygdomme".

**Ad 4.1, dot 2: Bedre kodificering og klassificering af en sjælden sygdom, herunder spørgsmål 2: "Er De enig i, at der er et presserende behov for at forbedre kodificering og klassificering på dette område?"**

Den danske regering er enig i, at mere detaljeret sygdomsklassifikation på nogle felter vil være hensigtsmæssig.

Det er WHO, der varetager området for sygdomsklassifikation. Det vil være hensigtsmæssigt, hvis WHO's ICD 10 klassifikation ved den kommende revision forbedres, således at flere sjældne sygdomme kan kodificeres specifikt.

Det er afgørende, at arbejdet med revision af sygdomsklassifikationssystemet entydigt fastholdes i WHO. Parallelt og konkurrerende arbejde skal undgås. Det anbefales, at en faglig arbejdsgruppe i EU leverer bidrag til WHO på opfordring fra WHO.

For så vidt angår indførelse af revideret ICD klassifikation i de nationale statistiksystemer mv. er dette beslutninger, der træffes og fortsat bør træffes på nationalt niveau. En evt. europæisk indsats på området skal dog respektere de enkelte medlemslandes nationale beslutningskompetencer, herunder vedr. krav til anvendelse af statistik- og indberetningssystemer mv.

**Ad 4.1, dot 3: Oprettelse af en fortegnelse over sjældne sygdomme, herunder spørgsmål 3: "Kan en europæisk fortegnelse over sjældne sygdomme hjælpe Deres nationale/regionale system til en bedre håndtering af sjældne sygdomme?"**

Der findes allerede tilgængelige oplysninger i forskellige informationsdatabaser så som Orphanet samt endvidere nationale informationsdatabaser f.eks. i Danmark og Sverige åbne for fagfolk og offentligheden. Der kan arbejdes videre med information inden for disse rammer.

Det findes ikke hensigtsmæssigt at etablere konkurrerende systemer.

Der er ikke anført noget relevant formål med en sådan liste. Der er såvel faglige som tekniske grunde til, at en sådan liste ikke vil kunne etableres uden betydelige vanskeligheder og store ressourceanvendelser. Der vil endvidere kræve betydelige ressourcer at revidere og vedligeholde en sådan.

Optagelse af en sygdom på en EU udgivet liste vil kunne opfattes som et særligt EU godkendelsesstempel, uden at det hermed er klart hvad det betyder. Forekomst af en sådan liste med uklart formål og betydning vil være særdeles u hensigtsmæssigt og må stærkt frarådes

**Ad 4.2: At forbedre forebyggelse, diagnosticering og behandling af patienter med sjældne sygdomme – heri spørgsmål 4: "Skal de europæiske referencenetværk prioritere vidensoverførsel? patienters mobilitet? Begge dele? hvordan?"**

Vidensoverførsel skal prioriteres. Se nedenfor.

**Ad 4.2, dot 1: Formidling af relevant information**

Adgang til nøjagtig og pålidelig information via databaser såsom bl.a. Orphanet og tilsvarende er væsentlig og bør fortsat støttes.

**A4.2, dot 2: Støtte til informationsnetværk**

Projekter som er omtalt bør fortsat støttes.

**Ad 4.2, dot 3: Udvikling af nationale/ regionale referencecentre og oprettelse af referencenetværk på EU-plan**

Udvikling og oprettelse af referencenetværk mellem ekspertcentre kan være væsentligt og nyttigt, jf. rapport fra EU's task force for sjældne sygdomme.

I henhold til den omtalte rapport bør sådanne netværk prioritere videns-overførsel og -udveksling. Dette vil give den bedste og største nytte. Som påpeget i rapporten, er det som udgangspunkt viden, eksperter og evt. prøvemateriale, der bør udveksles. Det er ikke et mål, at patienter skal rejse.

**Ad 4.2, dot 4: Udvikling af e-sundhed inden for sjældne sygdomme, herunder spørgsmål 5: "Skal der udvikles onlineværktøjer og elektroniske værktøjer på dette område?"**

IT-teknologi fremmer hurtig og let vidensudveksling og må anses for at være hensigtsmæssige og nødvendige værktøjer for samarbejde og vidensudveksling. Der er imidlertid mange tekniske, kvalitetsmæssige, sikkerhedsmæssige, økonomiske og juridiske spørgsmål forbundet hermed, som må afklares.

**Ad 4.2, dot 5: Tilgængelighed af og adgang til nøjagtige diagnostiske test, herunder genetiske test, herunder spørgsmål 6: "Hvad kan der gøres for yderligere at forbedre adgangen til kvalitetstest for sjældne sygdomme?"**

Man kan være enig i nytten af udveksling over grænser vedr. sådanne tests. Det må endvidere skønnes hensigtsmæssigt, at der foreligger klare normer og procedurer samt kvalitetssikringspolitik for laboratorier. Placering af opgaven bør være entydig så dobbeltarbejde undgås. Det bemærkes, at såvel Europarådet som OECD og Europa-Kommissionen beskæftiger sig hermed.

**Ad 4.2, dot 6: Evaluering af strategier for screening af populationer (herunder neonatal screening) for sjældne sygdomme, herunder spørgsmål 7: "Mener De, at det er vigtigt at vurdere en potentiel populationscreening for sjældne sygdomme på EU-plan?"**

Beslutninger og vurderinger vedr. screening bør efter regeringens opfattelse fortsat være et nationalt anliggende. Henstillinger vedr. samarbejde om tilvejebringelse af dokumentation med henblik på medlemsstaters beslutningsgrundlag vil evt. kunne være nyttige i visse tilfælde. Dobbeltarbejde i relation til andre internationale organer bør imidlertid undgås.

**Ad 4.2, dot 7: Primære forebyggende foranstaltninger, når det er muligt**

Som anført i høringsteksten, foreligger der kun viden om muligheder for at foretage primær forebyggelse vedr. meget meget få sjældne sygdomme. Det forekommer ikke indlysende hensigtsmæssigt, at drøftelser om initiativer på dette område henlægges til EU-regi.

**Ad 4.2, dot 8: God praksis for behandling af sjældne sygdomme**

Benchmarking inden for det enkelte medlemsland og internationalt er en velkendt metode for kvalitetsudvikling. Det er en vanskelig og krævende faglig opgave at vurdere om der er et validt sammenligneligt grundlag. Offentliggørelse af ikke sammenlignelige eller pålidelige benchmark data vil gøre mere skade end gavn.

**Ad 4.2, dot 9: Lige adgang til lægemidler til sjældne sygdomme**

Det vurderes, at forslaget vil gribe uhensigtsmæssigt ind i forhold til finansieringen af lægemidler i det enkelte medlemsland.

**Spørgsmål 8: "Forventer De, at problemet med adgang til lægemidler til sjældne sygdomme skal løses på nationalt eller EU- niveau?"**

Som udgangspunkt udstedes markedsføringstilladelse til lægemidler til sjældne sygdomme af Europa-Kommissionen (obligatorisk central ansøgningsprocedure), mens beslutning om ibrugta-

gen og evt. offentligt tilskud er overladt til medlemsstaterne. Forsinkelser af administrativ art som beskrevet er ikke kendt i Danmark, hvad angår tilskud.

I de senere år har Sundhedsstyrelsen i samarbejde med de regionale sygehusejere spillet en aktiv rolle mht. at definere organisation af (højt) specialiseret behandling med brug af bl.a. medicinsk teknologivurdering. Det kan ikke udelukkes, at denne faglige vurdering opleves som et forsinkende led af indehaveren af markedsføringstilladelsen. Det forhold, at et lægemiddel er godkendt i EMEA, betyder ikke i sig selv, at det bør indføres og anvendes uden forudgående yderligere analyser f.eks. sundhedsøkonomisk og/eller ved MTV-analyse.

Det er regeringens holdning, at problemet løses på nationalt niveau, men at der kan være behov for at analysere problemets omfang.

#### **Ad 4.2, dot 10: Medicinsk udstyr til og diagnostik af sjældne sygdomme**

Umiddelbart kan det forekomme som en god idé at undersøge muligheden af at indføre tilsvarende incitamentersom for Orphan drugs, men operationalisering og afgrænsning af mulige produkter (lægeudstyr og diagnostik) udelukkende til sjældne sygdomme er/kan i praksis vise sig vanskelig eller umulig.

#### **Spørgsmål 9: "Bør EU på dette område have en forordning om medicinsk udstyr og diagnostik?"**

Det vurderes som meget vanskeligt på nuværende tidspunkt at støtte initiativer vedr. en evt. forordning om dette. Det forudsætter en specifik og grundig udredning af bl.a. omfang af problemer og konsekvenser samt muligheder for operationel afgrænsning.

#### **Ad 4.2, dot 11: Sundhedsteknologivurdering af lægemidler til sjældne sygdomme**

Det er korrekt, at vurdering af omkostningseffektivitet ved lægemidler for meget sjældne sygdomme kan være vanskelige at gennemføre. Udvikling af relevante evalueringsmetoder kunne eksempelvis være et arbejdsfelt for samarbejdet mellem MTV-institutioner i EU.

#### **Ad 4.2, dot 12: Koordineret specialudleveringsprogram**

Lægemiddelstyrelsen kan efter ansøgning i særlige tilfælde tillade salg eller udlevering i begrænset mængde af lægemidler, som ikke er omfattet af en markedsføringstilladelse eller ikke markedsføres i Danmark (udleveringstilladelse) jf. § 29 i Lov om lægemidler. Dette system har eksisteret i mange år og dækker i betydelig grad lægemidler til sjældne sygdomme. Det vil sige, at der allerede findes nationale regler i Danmark. Der er derfor ikke behov for at ændre på dette.

#### **Ad 4.2, dot 13: Sociale specialydelser, herunder spørgsmål 10: "Hvilke former for specialiserede social- og uddannelsesydelser til patienter med sjældne sygdomme og deres familier bør udbydes på hhv. EU-plan og Nationalt plan?"**

Det skal understreges, at sociale ydelser til individer er en national kompetence.

Efter dansk lovgivning tildeles sociale ydelser efter behov og i forhold til funktionsniveau og ikke på grundlag af diagnoser.

Efter lov om social service har kommunalbestyrelsen forsynings- og finansieringsansvaret for at yde hjælp i form af bostøtte, herunder socialpædagogisk støtte, støtte til træning mv., praktisk hjælp, pleje, samt rådgivning og vejledning. Støtte tildeles den enkelte efter en konkret vurdering af pågældendes behov.

Til støtte for kommunernes arbejde med rådgivning og vejledning på det mere specielle område, er der i statsligt regi etableret en videns- og rådgivningsorganisation, VISO, der driver et netværk af specialrådgivningstilbud, som står til rådighed for både myndigheder og borgere. I VI-SO's samlede virksomhed indgår Center for Små Handicapgrupper, CSH, der fungerer som

videnscenter på området for sjældne handicap. Center for Sjældne Handicap, CSH, tilbyder også rådgivning, herunder telefonrådgivning, til mennesker med sjældne handicap og deres familier. Center for Små Handicapgrupper ser det også som sin opgave, at bidrage til at skabe netværk mellem mennesker med sjældne handicap.

#### **Ad 4.3: At fremskynde forskning og udvikling i sjældne sygdomme og lægemidler til sjældne sygdomme**

**Ad 4.3, dot 1: Databaser, registre, arkiver og biobanker, herunder spørgsmål 11: "Hvilken forvaltnings- og finansieringsmodel vil være egnet for registre, databaser og biobanker?"** Medlemslandene og Kommissionen har ydet støtte til forskellige former for kvalitetsudvikling på området. Der er imidlertid mange tekniske, sikkerhedsmæssige, økonomiske og juridiske spørgsmål forbundet hermed. Høringstekstens overvejelser herom findes relevante.

#### **Ad 4.3, dot 2: Biomarkører**

Her fremsættes mange relevante overvejelser vedrørende udviklingen på området.

#### **Ad 4.3, dot 3: Databeskyttelse**

Direktivet om databeskyttelse er implementeret i Danmark med Persondataloven nr. 429 af 31. maj 2000.

#### **Ad 4.3, dot 4: Forsker netværk for sjældne sygdomme**

Der er opbakning og støtte hertil fra den danske regerings side.

#### **Ad 4.3, dot 6: Intensivering af forskningen**

Der fremsættes også her relevante overvejelser og forslag til løsninger af problemerne. Dette må imidlertid ses i sammenhæng med den aktuelt meget brede – og for brede afgrænsning af gruppen sjældne. Der er en lang række sygdomme f.eks. mindre hyppige kræftformer, hvor man fra industriens side har forsket intenst i mange år uden behov for særlige incitamenter på området. Tilkendegivelserne her kan evt. have betydelige økonomiske konsekvenser. For de meget sjældne sygdomme vil en offentlig indsats formentlig være positiv og hensigtsmæssig.

**Spørgsmål 12: "Hvordan opfatter du partnernes (industriens og velgørende institutioners) rolle i et EU- initiativ vedrørende sjældne sygdomme? Hvilken model vil være mest velegnet?"**

Spørgsmålet forekommer så bredt og ubestemt, at det næppe kan besvares.

#### **4.4: Bevidstgørelse af patienter med sjældne sygdomme på individuelt og kollektivt plan**

#### **Ad 4.4, dot 1: Fælles strategi for inddragelse af patientorganisationer.**

Der er fra regeringens side opbakning til at yde fortsat støtte til organisering af patientorganisationer og patientorganisationsaktiviteter vedr. sjældne sygdomme fra bl.a. EU's Folkesundhedsprogram 2003-2008 (2. EF-handlingsprogram for sundhed 2008-2013).

#### **Ad 4.5: At koordinere politikker og initiativer på medlemsstatsplan og EU-plan**

**Ad 4.5, dot 1: Vedtagelse af nationale/ regionale planer for sjældne sygdomme, heri spørgsmål 13: "Er De enig i at handlingsplaner er en god ide? I bekræftende fald skal det da være på nationalt eller regionalt plan i Deres land?"**

Udarbejdelse af handlingsplaner kan være nyttigt afhængig af det enkelte lands udgangspunkt og behov. Sådanne planer bør udarbejdes i overensstemmelse med organiseringen og den generelle tilrettelæggelse af sundhedsvæsenet i det pågældende land. Behovet herfor vil i høj grad afhænge af det pågældende lands overordnede specialeplanlægning i det pågældende medlemsland, hvori indsatsen for sjældne sygdomme bør være en integreret del. Der er efter den danske regerings opfattelse ikke behov for koordination på EU-plan af de nationale handlingsplaner, lige-

som europæiske retningslinier for udarbejdelse af nationale handlingsplaner ikke anses for påkrævet.

Derimod kan EU spille en rolle ved at tilgængeliggøre erfaringer med modeller og inspirationsmateriale mv. Det skal i øvrigt bemærkes, at sikring af lige adgang til sundhedsydelse samt kontrol af deres pris og kvalitet er et nationalt anliggende.

**Ad 4.5, dot 2: Udvikling af sundhedsindikatorer for sjældne sygdomme**

Det findes ikke umiddelbart realistisk og relevant teknisk fagligt at udvikle særlige sundhedsindikatorer for området sjældne sygdomme, så længe dette er uklart defineret og afgrænset og dækker over en stor variation af sygdomme af vidt forskellig karakter.

**Ad 4.5, dot 3: En europæisk konference om sjældne sygdomme**

Regeringen kan støtte tanken om en sådan konference.

**Ad 4.5, dot 4: Oprettelse af EU's rådgivende udvalg om sjældne sygdomme**

Man kan som udgangspunkt støtte, at de opgaver, der hidtil er varetaget af EU's task force om sjældne sygdomme, videreføres under et eventuelt nyt navn, herunder at dette bistås af et sekretariat og fortsat med en rådgivende funktion.

Indplacering af dette udvalg og dets sekretariat, kommissorium mv. bør drøftes, idet det skitse-rede ikke uden videre findes hensigtsmæssigt, bl.a. i relation til de ressourcemæssige konsekvenser. De anførte opgaver (i) – (ix) forekommer at være meget vidtgående og muligvis i strid med subsidiaritetsprincippet. Eventuelle udgifter til rådgivning bør fortsat finansieres under de eksisterende folkesundhedsprogrammer.

**Ad 4.5, dot 5: Sjældne sygdomme i EU's budget**

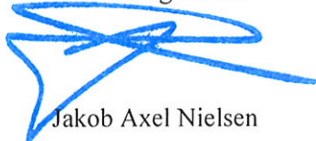
Der vil blive taget stilling hertil, såfremt Kommissionen måtte fremsætte forslag om oprettelse af en sådan fond. Regeringen er dog uforstående overfor, at der henvises til et folkesundhedsprogram for 2014-2020, idet dette ligger meget langt ude i fremtiden og i den næste finansielle periode.

**Ad 4.5, dot 6: Oprettelse af et Fællesskabsagentur for sjældne sygdomme, heri spørgsmål 14: "Mener De, at det er nødvendigt at oprette et nyt europæisk agentur for sjældne sygdomme og at iværksætte en gennemførlighedsundersøgelse i 2009."**

Efter den danske regerings opfattelse er der ikke noget behov for at oprette et nyt europæisk agentur for sjældne sygdomme. Det er på ingen måde i de foreliggende problemstillinger vedr. sjældne sygdomme eller i det foreliggende nogen overbevisende argumentation for, at der er behov for forslag om etablering af et fællesretligt organ på området, dvs. et fællesskabsagentur.

Afslutningsvis bemærkes, at den danske regering generelt set er positiv over for den af Kommissionen iværksatte høring. Den danske regering vil dog gerne understrege, at det eksisterende og nuværende europæiske referencenetværksamarbejde (ERN) bør være fundamentet for den fortsatte køreplan for 2008, herunder at fortsætte brugen af EU's Folkesundhedsprogram 2003-2008 (2. EF-handlingsprogram for sundhed 2008-2013) uden nye specifikke initiativer på området for sjældne sygdomme.

Med venlig hilsen



Jakob Axel Nielsen



John Erik Pedersen