

TABEL DE CONCORDANȚĂ
la proiectul hotărârii Guvernului
pentru aprobarea Programului național pe bolile rare pe anii 2024-2028

Titlul actului Uniunii Europene, inclusiv cele mai recente amendamente incluse Titlul actului Uniunii Europene, inclusiv cele mai recente amendamente incluse - Recomandarea Consiliului din 8 iunie 2009 privind o acțiune în domeniul bolilor rare (2009/C 151/02), publicată în Jurnalul Oficial al Uniunii Europene C 151/7 din 3.7.2009 https://eur-lex.europa.eu/legal-content/RO/TXT/PDF/?uri=CELEX:32009H0703(02)&from=GA - Comunicarea Comisiei către Parlamentul european, Consiliu, Comitetul economic și social european și Comitetul regiunilor - Bolile rare: o provocare pentru Europa {SEC(2008)2713} {SEC(2008)2712}, publicată în Jurnalul Oficial al Uniunii Europene https://eur-lex.europa.eu/legal-content/RO/TXT/?uri=celex%3A52008DC0679 Transpune: - Regulamentul (CE) nr.141/200 al Parlamentului European al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane, publicat în Jurnalul Oficial al Uniunii Europene L 18, 22.1.2000, p. 1.					
Titlul proiectului de act normativ național Proiectul hotărârii Guvernului pentru aprobarea Programului național pe bolile rare pe anii 2024-2028					
Gradul general de compatibilitate Compatibil					
Actul Uniunii Europene	Proiectul de act normativ național	Gradul de compatibilitate	Diferențele	Observațiile	Autoritatea/ persoana responsabilă
4	5	6	7	8	9
Recomandarea Consiliului din 8 iunie 2009 privind o acțiune în domeniul bolilor rare (2009/C 151/02), publicată în Jurnalul Oficial al Uniunii Europene L157 din 30 aprilie 2004	Proiectul hotărârii Guvernului pentru aprobarea Programului național pe bolile rare pe anii 2024-2028				
CONSILIUL UNIUNII EUROPENE, având în vedere Tratatul de instituire a Comunității Europene, în special articolul 152 alineatul (4) al doilea paragraf, având în vedere propunerea Comisiei, având în vedere avizul Parlamentului European (1), având în vedere avizul Comitetului Economic și Social European (2), întrucât:					
(1) Bolile rare reprezintă o amenințare pentru sănătatea cetățenilor UE în măsura în care ele sunt boli care pun în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică, având o prevalență redusă și un grad ridicat de complexitate. În ciuda rarității acestora, există atât de multe tipuri diferite de boli rare, încât milioane de oameni sunt afectați.	12. Necesitatea prezentului Program este dictată de faptul că bolile rare constituie o amenințare pentru sănătatea cetățenilor, atât din cauza răspândirii globale, a ratei înalte de dizabilitate și mortalitate pe care o induc, dar și a poverii financiare pe stat și familie, având o prevalență redusă și un	Compatibil			Ministerul Sănătății

	grad ridicat de complexitate.				
(2) Principiile și valorile generale ale universalității, accesul la îngrijire medicală de calitate, la echitate și la solidaritate, astfel cum au fost aprobate în Concluziile Consiliului din 2 iunie 2006 privind valorile și principiile comune în cadrul sistemelor de sănătate ale UE sunt de o importanță extraordinară pentru pacienții cu boli rare.	13. Principiile și valorile generale ale universalității, accesul la îngrijire medicală de calitate, la echitate și la solidaritate, astfel cum au fost aprobate în Concluziile Consiliului din 2 iunie 2006 privind valorile și principiile comune în cadrul sistemelor de sănătate ale UE sunt de o importanță extraordinară pentru pacienții cu boli rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(3) Programul de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003 (3). În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din UE. O definiție mai precisă bazată pe o evaluare științifică actualizată, ținându-se seama atât de prevalență, cât și de incidență, va fi dezvoltată utilizând resursele celui de al doilea program comunitar în domeniul sănătății (4).	14. Programul de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003 (3). În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din UE.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(4) Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind medicamentele orfane (5) prevede că un medicament este desemnat drept „medicament orfan” atunci când este destinat diagnosticării, prevenirii sau trata mentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii.	15. Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind medicamentele orfane (5) prevede că un medicament este desemnat drept „medicament orfan” atunci când este destinat diagnosticării, prevenirii sau trata mentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(5) Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8	16. Se estimează că în prezent există între	Compatibil			Ministerul Sănătății

000 de boli rare, ele afectând între 6 % și 8 % din populație în cursul vieții. Cu alte cuvinte, deși bolile rare sunt caracterizate de prevalența scăzută pentru fiecare dintre acestea, numărul total de persoane afectate de boli rare în UE se situează între 27 și 36 de milioane de persoane. Majoritatea acestora suferă de boli mai puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin. Acești pacienți sunt în mod special izolați și vulnerabili.	5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând între 6 % și 8 % din populație în cursul vieții. Cu alte cuvinte, deși bolile rare sunt caracterizate de prevalența scăzută pentru fiecare dintre acestea, numărul total de persoane afectate de boli rare în UE se situează între 27 și 36 de milioane de persoane. Majoritatea acestora suferă de boli mai puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin. Acești pacienți sunt în mod special izolați și vulnerabili.				
(6) Din cauza prevalenței slabe, a specificității lor și a numărului total ridicat de persoane afectate, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi speciale și combinate în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socioeconomic al persoanelor afectate.	17. Din cauza prevalenței slabe, a specificității lor și a numărului total ridicat de persoane afectate, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi speciale și combinate în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socioeconomic al persoanelor afectate, precum și în Decizia nr. 1295/1999/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999 - 2003).	Compatibil			Ministerul Sănătății
(7) Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de al șaselea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare (6) și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul celui de al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare (7), deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită	18. Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de al șaselea program-cadru European pentru activități de cercetare și dezvoltare și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul celui de al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare, deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și	Compatibil			Ministerul Sănătății

abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.	tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.				
(8) Comisia, în Cartea sa albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia UE în materie de sănătate, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare.	19. Comisia Europeană, în Cartea albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia UE în materie de sănătate, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare. Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența între inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare, toate acțiunile naționale pertinente în acest domeniu trebuie integrate în planuri naționale de combatere a bolilor rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(9) Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența dintre inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare și cooperarea dintre centrele de cercetare, acțiunile naționale pertinente în domeniul bolilor rare ar putea fi integrate în planuri sau strategii de combatere a bolilor rare.	(Nota informativă) Proiectul hotărârii de Guvern pentru aprobarea Programului național pe boli rare pe anii 2023-2027 este elaborat în vederea executării prevederilor pct. 15.9 din Planul de acțiuni al Guvernului pentru anul 2023, aprobat prin Hotărârea Guvernului nr. 90/2023, Strategiei naționale de dezvoltare „Moldova Europeană 2030” și Strategiei Naționale de Sănătate „Sănătatea 2030”, aprobată prin Hotărârea Guvernului nr. 387/2023, Planul național de acțiuni privind realizarea criteriilor de aderare a Republicii Moldova la Uniunea Europeană și privind implementarea Acordului de Asociere RM – UE pentru anii 2023 – 2027, domeniul Sănătate.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(10) În conformitate cu baza de date Orphanet, din miile de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o identificare clinică, numai 250 dintre acestea au un cod	20. În conformitate cu baza de date Orphanet, din din cele peste 6000 de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o	Compatibil			Ministerul Sănătății

în clasificarea internațională a bolilor (ICD) existentă (a zecea versiune). Este necesară efectuarea unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul sistemelor naționale de sănătate.	identificare clinică, numai 250 dintre acestea au un cod în clasificarea internațională a bolilor (ICD) existentă (a zecea versiune). Este necesară efectuarea unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul sistemelor naționale de sănătate.				
(11) Organizația Mondială a Sănătății (OMS) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, pentru ca cea de a unsprezecea versiune a acestei clasificări să fie adoptată în cadrul Adunării Mondiale a Sănătății din 2014. OMS a desemnat Grupul operativ (Task Force) al Uniunii Europene în materie de boli rare ca grup consultativ peteme specifice (Topic Advisory Group) privind bolile rare, pentru a contribui la acest proces de revizuire formulând propuneri în ceea ce privește codificarea și clasificarea bolilor rare.	21. Organizația Mondială a Sănătății (OMS) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, în cadrul celei de-a 72-a Adunări Mondiale a Sănătății din 25 mai 2019, de către OMS fiind aprobată CIM XI.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(12) Punerea în aplicare a unei identificări comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene la acest grup consultativ pe teme specifice și ar facilita cooperarea la nivel comunitar în domeniul bolilor rare.	22. Punerea în aplicare a unei identificări comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene la acest grup consultativ pe teme specifice și ar facilita cooperarea la nivel comunitar în domeniul bolilor rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(13) În iulie 2004, a fost înființat un grup la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală cu scopul de a reuni experți din toate statele membre pentru a analiza aspecte practice ale colaborării dintre sistemele naționale de sănătate din UE. Unul dintre grupurile de lucru ale acestui grup la nivel înalt se concentrează asupra rețelelor europene de referință (ERN) pentru bolile rare. Au fost dezvoltate câteva criterii și principii pentru ERN, inclusiv în ceea ce privește rolul acestora în abordarea chestiunii bolilor	23. În iulie 2004, a fost înființat un grup la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală cu scopul de a reuni experți din toate statele membre pentru a analiza aspecte practice ale colaborării dintre sistemele naționale de sănătate din UE. Unul dintre grupurile de lucru ale acestui grup la nivel înalt se concentrează asupra rețelelor europene de referință (ERN) pentru bolile rare. Au fost	Compatibil			Ministerul Sănătății

rare. ERN ar putea să servească, de asemenea, drept centre de cercetare și de cunoștințe, tratând pacienți din alte state membre și garantând disponibilitatea unităților de tratament ulterior, dacă este cazul.	dezvoltate câteva criterii și principii pentru ERN, inclusiv în ceea ce privește rolul acestora în abordarea chestiunii bolilor rare. ERN ar putea să servească, de asemenea, drept centre de cercetare și de cunoștințe, tratând pacienți din alte state membre și garantând disponibilitatea unităților de tratament ulterior, dacă este cazul.				
(14) Valoarea adăugată comunitară a ERN este extrem de importantă în special pentru bolile rare datorită frecvenței reduse a acestor afecțiuni, care implică, într-o țară luată în mod separat, un număr limitat de pacienți și lipsa expertizei. Reunirea expertizei la nivel European este, prin urmare, primordială pentru a asigura un acces egal la informații exacte, la un diagnostic pertinent și în timp util și la asistență medicală de înaltă calitate pentru pacienții care suferă de boli rare.	24. Valoarea adăugată comunitară a ERN este extrem de importantă în special pentru bolile rare datorită frecvenței reduse a acestor afecțiuni, care implică, într-o țară luată în mod separat, un număr limitat de pacienți și lipsa expertizei. Reunirea expertizei la nivel European este, prin urmare, primordială pentru a asigura un acces egal la informații exacte, la un diagnostic pertinent și în timp util și la asistență medicală de înaltă calitate pentru pacienții care suferă de boli rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(15) În decembrie 2006, un grup de experți din Grupul operativ al Uniunii Europene în materie de boli rare a publicat un raport intitulat „Contribuția la definirea politicilor: pentru o colaborare europeană privind serviciile de sănătate și asistență medicală în domeniul bolilor rare” în atenția Grupului la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistență medicală. Raportul grupului de experți subliniază, printre altele, importanța identificării centrelor de expertiză și rolurile pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. S-a convenit, de asemenea, că în principiu și în măsura în care este posibil ar trebui să existe mai degrabă o mobilitate a expertizei decât a pacienților. Unele măsuri solicitate în acest raport sunt incluse în prezenta recomandare.	25. În decembrie 2006, un grup de experți din Grupul operativ al Uniunii Europene în materie de boli rare a publicat un raport intitulat „Contribuția la definirea politicilor: pentru o colaborare europeană privind serviciile de sănătate și asistență medicală în domeniul bolilor rare” în atenția Grupului la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistență medicală. Raportul grupului de experți subliniază, printre altele, importanța identificării centrelor de expertiză și rolurile pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(16) Cooperarea și schimbul de cunoștințe între centrele	Dezvoltarea centrelor de expertiză	Compatibil			Ministerul Sănătății

de expertiză s-au dovedit a fi abordarea cea mai eficientă pentru a gestiona bolile rare în Europa.	(regionale, naționale) și încorporarea acestora în rețelele europene de referință în domeniul bolilor rare (PLAN) Dezvoltarea capacităților centrelor de referință pentru diagnosticul, tratamentul și reabilitarea pacienților cu boli rare, până în anul 2027				
(17) Centrele de expertiză ar putea urma o abordare multidisciplinară a asistenței medicale pentru a gestiona condițiile complexe și diverse aferente bolilor rare.	54. Echipa multidisciplinară de specialiști geneticieni (medici, biologi, chimiști) participă actualmente într-un proiect de cercetare din Programul de Stat 2020-2023 "Medicina genomică și cercetarea metabolomică în serviciul profilaxiei maladiilor genetice pentru generații sănătoase în Republica Moldova, (Acronim: SCREENGEN, cifru 20.80009.8007.22), care urmărește scopul de creare a bazelor unui sistem de diagnostic precoce, intervenție timpurie și abordare diferențiată personalizată a maladiilor ereditare și malformațiilor congenitale cu profilaxia acestora în populația Republicii Moldova. Pentru realizarea obiectivelor acestei cercetări științifice se presupun acțiuni de inovare-cercetare, transfer tehnologic, coordonare și suport, care vor pune în valoare abordarea medicinei individualizate conform principiului "5P" (Personalizat, Preventiv, Predictiv, Participativ, Populațional), iar susținerea guvernamentală este imperativă pentru eficiența asistenței medicale a pacienților cu boli rare 80. Realizarea integrală a prezentului Program va contribui până la finele anului 2027 la obținerea următoarelor îmbunătățiri: 1) îngrijirea și sprijinul sunt organizate într-o abordare holistică, centrată pe persoană, multidisciplinară, continuă și	Compatibil			Ministerul Sănătății

	participativă, având în vedere atât persoanele care trăiesc cu o boală rară, cât și aparținătorii care îi îngrijesc;				
(18) Având în vedere caracteristicile specifice ale bolilor rare –număr limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor relevante și a expertizei în domeniu – acestea pot fi caracterizate drept un domeniu unic cu o valoare adăugată foarte ridicată a acțiunii la nivel comunitar. Această valoare adăugată poate fi realizată, în special, prin reunirea expertizei naționale privind bolile rare, care este în prezent răspândită în diferite state membre.	26. Având în vedere caracteristicile specifice ale bolilor rare –număr limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor relevante și a expertizei în domeniu – acestea pot fi caracterizate drept un domeniu unic cu o valoare adăugată foarte ridicată a acțiunii la nivel comunitar. Această valoare adăugată poate fi realizată, în special, prin reunirea expertizei naționale privind bolile rare, care este în prezent răspândită în diferite state membre.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(19) Este de o importanță crucială asigurarea unei contribuții active a statelor membre la elaborarea unora dintre instrumentele comune prevăzute în comunicarea Comisiei privind bolile rare: O provocare pentru Europa din 11 noiembrie 2008, în special în ceea ce privește diagnosticele și asistența medicală și Orientările europene privind screeningul populației. Acest lucru ar putea fi valabil și pentru rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică a produselor medicale orfane, care ar putea contribui la accelerarea negocierilor de preț la nivel național, reducând astfel timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.	27. Este de o importanță crucială asigurarea unei contribuții active a statelor membre la elaborarea unora dintre instrumentele comune prevăzute în comunicarea Comisiei privind bolile rare: O provocare pentru Europa din 11 noiembrie 2008, în special în ceea ce privește diagnosticele și asistența medicală și orientările europene privind screeningul populației. Acest lucru ar putea fi valabil și pentru rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică a produselor medicamentoase orfane, care ar putea contribui la accelerarea negocierilor de preț la nivel național, reducând astfel timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(20) OMS a definit responsabilizarea pacienților ca fiind „o condiție esențială pentru sănătate” și a încurajat realizarea „unui parteneriat proactiv și a unei strategii de auto-îngrijire a pacientului, de îmbunătățire a rezultatelor privind sănătatea și a calității vieții în rândul bolnavilor cronici” (1). În acest sens, rolul	28. OMS a definit responsabilizarea pacienților ca fiind „o condiție esențială pentru sănătate” și a încurajat realizarea „unui parteneriat proactiv și a unei strategii de auto-îngrijire a pacientului, de îmbunătățire a rezultatelor privind	Compatibil			Ministerul Sănătății

grupurilor independente de pacienți este fundamental atât în ceea ce privește sprijinul direct acordat persoanelor care suferă de boală, cât și în ceea ce privește munca colectivă realizată pentru a îmbunătăți situația comunității de pacienți care suferă de o boală rară în ansamblu și pentru generațiile viitoare.	sănătatea și a calității vieții în rândul bolnavilor cronici”. În acest sens, rolul grupurilor independente de pacienți este fundamental atât în ceea ce privește sprijinul direct acordat persoanelor care suferă de boală, cât și în ceea ce privește munca colectivă realizată pentru a îmbunătăți situația comunității de pacienți care suferă de o boală rară în ansamblu și pentru generațiile viitoare. Pacienții și reprezentanții pacienților ar trebui, prin urmare, să fie implicați în toate etapele procesului de elaborare a politicilor și a deciziilor.				
(21) Statele membre ar trebui să implice pacienți și reprezentanți ai pacienților în procesul de elaborare de politici și să caute să promoveze activitățile grupurilor de pacienți.	Obiectivul specific 4. Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile de pacienți cu boli rare (PLAN). 3.49 – 3.56. Dezvoltarea mecanismelor de consultare cu pacienții și reprezentanții pacienților cu boli rare a politicilor în domeniul bolilor rare și facilitarea accesului pacienților la informații actualizate cu privire la bolile rare și educație pentru sănătate, până în anul 2027 (PLAN) 3.49 – 3.56. Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile de pacienți cu boli rare, consolidarea capacităților acestora, extinderea serviciilor și respectarea drepturilor pacienților cu boli rare, până în anul 2027	Compatibil			Ministerul Sănătății
(22) Dezvoltarea infrastructurilor de cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. Acest efort ar maximiza sinergia în special în cazul proiectelor elaborate în cadrul celui de al doilea program comunitar în domeniul sănătății (2008-2013), al celui de al șaptelea program-cadru de	29.Dezvoltarea infrastructurilor de cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. De asemenea, trebuie promovate cercetările în domeniul sănătății publice, științelor sociale,	Compatibil			Ministerul Sănătății

cercetare și dezvoltare și în cadrul programelor ulterioare acestora.	organizării asistenței medicale, economiei sănătății și cercetării politicii de sănătate, pentru a se asigura că rezultatele cercetărilor sunt aplicate în beneficiul persoanelor care trăiesc cu o boală rară.				
	Planul de acțiuni pentru realizarea Programului național pe bolile rare pe anii 2023-2027				
SE RECOMANDĂ STATELOR MEMBRE: I. PLANURI ȘI STRATEGII ÎN DOMENIUL BOLILOR RARE	Obiectivul specific 1. Cadru de politici pe bolile rare consolidat și aliniat integral la cadrul normativ european până în anul 2027				
1. Să instituie și să pună în aplicare planuri și strategii de combatere a bolilor rare la nivel adecvat sau să exploreze măsurile potrivite pentru combaterea bolilor rare în cadrul altor strategii în materie de sănătate publică, vizând asigurarea accesului pacienților care suferă de boli rare la îngrijire medicală de calitate, inclusiv în ceea ce privește diagnosticele, tratamentele, posibilitatea de a învăța să conviețuiască cu boala și, dacă este posibil, produse medicamentose orfane eficiente și în special: (a) să elaboreze și să adopte cât mai curând posibil și de preferință cel târziu până la sfârșitul anului 2013 un plan sau o strategie care să vizeze orientarea și structurarea acțiunilor relevante în domeniul bolilor rare în cadrul sistemelor sociale și de sănătate; (b) să adopte măsuri care să integreze inițiativele actuale și viitoare la nivel local, regional și național în planurile sau strategiile pentru o abordare cuprinzătoare; (c) să definească o serie limitată de acțiuni prioritare în cadrul planurilor sau strategiilor, cu obiective și mecanisme de monitorizare; (d) să ia act de elaborarea de orientări și de recomandări pentru definirea acțiunii naționale în domeniul bolilor rare de către autoritățile competente la nivel național, în cadrul Proiectului european de	(PLAN) 1.1. Reglementarea modului de asigurare a accesului pacienților care suferă de boli rare la îngrijire medicală de calitate, inclusiv în ceea ce privește diagnosticele, tratamentele, posibilitatea pacienților de a învăța să conviețuiască cu boala și măsuri de reabilitare și incluziune socială 1.2. Dezvoltarea cadrului normativ pentru asigurarea accesului la produse medicamentose orfane eficiente	Compatibil			Ministerul Sănătății

dezvoltare a planurilor naționale de combatere a bolilor rare (EUROPLAN) aflat în desfășurare și care a fost selecționat pentru a beneficia de finanțare în perioada 2008-2011 în cadrul Primului program comunitar în domeniul sănătății publice (1).					
II. DEFINIRE, CODIFICARE ȘI INVENTARIERE ADECVATE ALE BOLILOR RARE		Compatibil			Ministerul Sănătății
2. Să utilizeze în scopul activităților privind politica general la nivel comunitar o definiție comună a bolilor rare ca boli care afectează nu mai mult de 5 din 10 000 de persoane;	(PLAN) 1.4.Utilizarea în documentele de politici și la codificarea maladiilor a definiției comune a bolilor rare ca boli care afectează nu mai mult de 5 din 10 000 de persoane	Compatibil			Ministerul Sănătății
3. Să aibă ca obiectiv asigurarea faptului că bolile rare fac obiectul unei codificări și a unei trasabilități adecvate în toate sistemele de informații privind sănătatea, încurajând o recunoaștere adecvată a acestor boli în sistemele naționale de asistență medicală și de rambursare pe baza ICD și respectând, în același timp, procedurile naționale;	(PLAN) 1.5. Asigurarea faptului că bolile rare fac obiectul unei codificări și a unei trasabilități adecvate în toate sistemele de informații privind sănătatea, încurajând o recunoaștere adecvată a acestor boli în sistemele naționale de asistență medicală pe baza CIM	Compatibil			Ministerul Sănătății
4. Să contribuie în mod activ la dezvoltarea inventarului dinamic și ușor accesibil al bolilor rare al Uniunii Europene, pe baza rețelei Orphanet și a altor rețele existente, după cum se precizează în comunicarea Comisiei privind bolile rare;	(PLAN) 1.6. Dezvoltarea inventarului dinamic și ușor accesibil al bolilor rare al Uniunii Europene, pe baza rețelei Orphanet și a altor rețele existente, după cum se precizează în comunicarea Comisiei privind bolile rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
5. Să ia în considerare sprijinirea la toate nivelurile corespunzătoare, inclusiv la nivel comunitar, pe de o parte a rețelelor de informare specifice privind bolile și, pe de altă parte, în scopuri epidemiologice, a registrelor și a bazelor de date, fiind în același timp conștiente de o guvernare independentă.	(PLAN) 1.11. Dezvoltarea mecanismelor de gestionare a bazei de date a pacienților cu boli rare asigurând utilizarea Registrului electronic de Boli Rare pentru o guvernare eficientă, planificarea strategică și gestionarea eficientă a resurselor pentru asigurarea diagnosticului, tratamentului și recuperării bolilor rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
III. CERCETAREA CU PRIVIRE LA BOLILE RARE	Obiectivul specific 2. Consolidarea capacității naționale de cercetare și inovare pentru luarea deciziilor, în	Compatibil			Ministerul Sănătății

	scopul accelerării și îmbunătățirii răspunsului național la bolile rare până în anul 2027				
6. Să identifice activitățile și resursele de cercetare actuale din cadrele naționale și comunitare pentru a defini situația cunoștințelor actuale în materie de boli rare, pentru a evalua situația generală a cercetării în domeniul bolilor rare și pentru a îmbunătăți coordonarea programelor comunitare, naționale și regionale pentru cercetare în domeniul bolilor rare;	(PLAN) 2.1. Identificarea activităților și resurselor de cercetare actuale din cadrele naționale și comunitare pentru a defini situația cunoștințelor actuale în materie de boli rare, pentru a evalua situația generală a cercetării în domeniul bolilor rare și pentru a îmbunătăți coordonarea programelor comunitare, naționale pentru cercetare în domeniul bolilor rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
7. Să identifice necesitățile și prioritățile pentru cercetarea fundamentală, clinică și translațională în domeniul bolilor rare, modalitățile de sprijinire a acestora și promovarea abordărilor de cooperare interdisciplinară care să fie adoptate în mod complementar prin intermediul programelor naționale și comunitare;	(PLAN) 2.2. Determinarea necesităților și priorităților pentru cercetarea fundamentală, clinică și translațională în domeniul bolilor rare, modalitățile de sprijinire a acestora și promovarea abordărilor de cooperare interdisciplinară care să fie adoptate în mod complementar prin intermediul programelor naționale și internațional	Compatibil			Ministerul Sănătății
8. Să sprijine participarea cercetătorilor la nivel național la programe de cercetare privind bolile rare finanțate la toate nivelurile corespunzătoare, inclusiv la nivel comunitar;	(PLAN) 2.3. Susținerea participării cercetătorilor la nivel național la programe de cercetare privind bolile rare finanțate la toate nivelurile corespunzătoare, inclusiv la nivel internațional	Compatibil			Ministerul Sănătății
9. Să includă în planurile sau strategiile lor dispoziții menite să sprijine cercetarea în domeniul bolilor rare;	(PLAN) 2.4. Includerea în planurile de cercetare a domeniului bolilor rare, cu asigurarea unei finanțări sigure și durabile a cercetării în domeniul dat	Compatibil			Ministerul Sănătății
10. Să faciliteze, împreună cu Comisia Europeană, dezvoltarea cooperării în privința cercetării cu țări terțe active în cercetarea în domeniul bolilor rare și la modul mai general în privința schimbului de informații și de expertiză.	(PLAN) 2.8. Dezvoltarea cooperării în privința cercetării cu țări active în cercetarea în domeniul bolilor rare și în privința schimbului de informații și de expertiză	Compatibil			Ministerul Sănătății
IV. CENTRE DE EXPERTIZĂ ȘI REȚELE					

EUROPENE DE REFERINȚĂ PENTRU BOLILE RARE					
11. Să identifice centre de expertiză corespunzătoare pe teritoriul lor național până la sfârșitul anului 2013 și să ia în considerare sprijinirea creării acestora;	(PLAN) 3.1. Dezvoltarea capacităților de expertiză a Centrului de Sănătate a Reproduserii și Genetică Medicală al Instituției Medico-Sanitare Publice Institutul Mamei și Copilului în calitate de Centru Național în Boli Rare (PLAN) 3.2. Identificarea instituțiilor specializate cu capacități de diagnostic și monitoring al pacienților cu boli rare (de profil) și atribuirea acestora calitatea de Centre de referință în Boli Rare de profil	Compatibil			Ministerul Sănătății
12. Să încurajeze participarea centrelor de expertiză la rețelele europene de referință respectând competențele și normele naționale în ceea ce privește autorizarea sau recunoașterea acestora	(PLAN) 3.5. Încurajarea și participarea centrelor de expertiză la rețelele europene de referință respectând competențele și normele naționale în ceea ce privește autorizarea sau recunoașterea acestora	Compatibil			Ministerul Sănătății
13. Să organizeze filiere de asistență medicală pentru pacienții care suferă de boli rare prin instituirea unei cooperări cu experții în cauză și a unui schimb de cadre și de expertiză în țară sau cu alte țări, dacă este cazul;	(PLAN) 3.6. Organizarea filierelor de asistență medicală pentru pacienții care suferă de boli rare prin instituirea unei cooperări cu experții în cauză și a unui schimb de cadre și de expertiză în țară sau cu alte țări din cadrul rețelei europene	Compatibil			Ministerul Sănătății
14. Să sprijine utilizarea tehnologiilor informației și comunicațiilor, precum telemedicina, după caz, pentru a asigura accesul la distanță la asistența medicală specifică necesară;	(PLAN) 3.7. Acordarea suportului pentru dezvoltarea și utilizarea tehnologiilor informației și comunicațiilor, precum telemedicina, după caz, pentru a asigura accesul la distanță la asistența medicală specifică necesară pacienților cu boli rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
15. Să includă în planurile și strategiile lor condiția necesară pentru difuzarea și mobilitatea expertizei și a cunoștințelor pentru a facilita tratamentul pacienților în proximitatea acestora;	(PLAN) 3.8. Reglementarea mobilității expertizei și a cunoștințelor Centrelor de expertiză în condițiile de facilitare a tratamentului pacienților cu boli rare în proximitatea acestora	Compatibil			Ministerul Sănătății
16. Să încurajeze centrele de expertiză să se bazeze pe	(PLAN) 3.9. Încurajarea centrelor de	Compatibil			Ministerul Sănătății

o abordare multidisciplinară a asistenței atunci când se confruntă cu boli rare.	expertiză pentru abordarea multidisciplinară a asistenței pentru pacienții cu boli rare				
V. REUNIREA EXPERTIZEI ÎN DOMENIUL BOLIILOR RARE LA NIVEL EUROPEAN					
17. Să reunească expertiza națională în domeniul bolilor rare și să sprijine regruparea acesteia cu cea a altor țări europene pentru a sprijini: 17 (a) schimbul de cele mai bune practici cu privire la instrumentele de diagnosticare și la asistența medicală, precum și la educație și la asistența socială în domeniul bolilor rare;	(PLAN) 3.43. Susținerea și promovarea schimbului de cele mai bune practici cu privire la instrumentele de diagnosticare și la asistența medicală, precum și la educație și la asistența socială în domeniul bolilor rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
17 (b) predare și formare adecvate pentru toate cadrele din domeniul sanitar, pentru a le sensibiliza în privința existenței acestor boli și a resurselor disponibile pentru asistența medicală acordată în cazul acestora;	(PLAN) 3.44. Predarea și formarea adecvată pentru toate cadrele din domeniul sanitar, pentru a le sensibiliza în privința existenței bolilor și a resurselor disponibile pentru asistența medicală acordată în cazul acestora pentru a asigura precoce diagnosticul și intervențiile medicale	Compatibil			Ministerul Sănătății
17. (c) dezvoltarea formării medicale în domeniile relevante pentru diagnosticarea și gestionarea bolilor rare (de exemplu genetică, imunologie, neurologie, oncologie, pediatrie);	(PLAN) 5.45. Dezvoltarea formării medicale în domeniile relevante pentru diagnosticarea și gestionarea bolilor rare (genetică, imunologie, neurologie, oncologie, pediatrie)	Compatibil			Ministerul Sănătății
17. (d) dezvoltarea unor orientări la nivel european privind testele de diagnosticare și screeningul populației, respectând deciziile și competențele la nivel național;	(PLAN) 3.56. Dezvoltarea capacităților de testare și screening al populației pentru depistarea bolilor rare, conform recomandărilor internaționale, bazate pe dovezi	Compatibil			Ministerul Sănătății
17. (e) schimbul de rapoarte de evaluare ale statelor membre privind valoarea adăugată terapeutică sau clinică a medicamentelor orfane la nivel comunitar, acolo unde se reunesc cunoștințele și expertiza relevante pentru a reduce la minimum timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.	(PLAN) 3.46. Asigurarea accesului la rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică sau clinică a medicamentelor orfane la nivel UE, acolo unde se reunesc cunoștințele și expertiza relevante pentru a reduce la minimum timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății

VI. RESPONSABILIZAREA ORGANIZAȚIILOR DE PACIENȚI	Obiectivul specific 4. Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile de pacienți cu boli rare până în anul 2027	Compatibil			Ministerul Sănătății
18. Să se consulte cu pacienții și cu reprezentanții pacienților cu privire la politicile din domeniul bolilor rare și să faciliteze accesul pacienților la informații actualizate cu privire la bolile rare;	(PLAN) 4.3. Adoptarea unor sisteme de actualizare, verificare/control a informațiilor pentru diseminare specialiștilor, pacienților etc.	Compatibil			Ministerul Sănătății
19. Să promoveze activitățile organizațiilor de pacienți, cum ar fi cele care vizează sensibilizarea, consolidarea capacităților și formarea, schimbul informațiilor și al celor mai bune practici, constituirea de rețele și extinderea serviciilor la pacienții foarte izolați	(PLAN) 4.6. Sustinerea instruirii continuă a profesioniștilor din domeniul juridic, inclusiv judecători, procurorii și avocații apărării cu privire la aplicarea legislației relevante în cazul pacienților cu boli rare, în conformitate cu standardele internaționale corespunzătoare	Compatibil			Ministerul Sănătății
(20) Pacienții și reprezentanții pacienților ar trebui, prin urmare, să fie implicați în toate etapele procesului de elaborare a politicilor și a deciziilor. Activitățile acestora ar trebui promovate și susținute în mod activ, inclusiv financiar, în fiecare stat membru.	(PLAN) 4.2. Implicarea pacienților și reprezentanților pacienților cu boli rare în identificarea necesităților și dezvoltarea politicilor în domeniul bolilor rare și tratamentul acestora	Compatibil			Ministerul Sănătății
VII. DURABILITATE					
20. împreună cu Comisia, să vizeze, prin mecanisme de finanțare și de cooperare adecvate, garantarea durabilității pe termen lung a infrastructurilor dezvoltate în domeniul informării, al cercetării și al asistenței medicale pentru bolile rare,	(PLAN) 1.12. Diversificarea mecanismelor de finanțare pe termen lung a infrastructurii necesare în domeniul cercetării și asistenței medicale pentru bolile rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
INVITĂ COMISIA: 1. să elaboreze, până la sfârșitul anului 2013, pentru a permite prezentarea de propuneri în eventualele programe viitoare de acțiune comunitară în domeniul sănătății, un raport privind punerea în aplicare a prezentei recomandări, adresat Parlamentului European, Consiliului, Comitetului Economic și Social European și Comitetului Regiunilor, pe baza informațiilor furnizate de către statele membre, care ar trebui să analizeze eficiența măsurilor propuse și necesitatea unor acțiuni ulterioare pentru îmbunătățirea vieții pacienților afectați de boli rare și a familiilor	(HG) 6. Ministerul Sănătății va prezenta Guvernului: 1) anual, până la 30 aprilie, raportul de monitorizare privind implementarea Programului nominalizat; 2) până la 1 iulie 2026, raportul de evaluare intermediară; 3) până la 1 iulie 2028, raportul de evaluare finală.	Compatibil			Ministerul Sănătății

acestora;					
2. să informeze cu regularitate Consiliul cu privire la acțiunile desfășurate în urma comunicării Comisiei privind bolile rare.	(HG) 5. Autoritățile responsabile, conform competențelor, vor întreprinde măsurile ce se impun în vederea realizării obiectivelor Programului național pe boli rare pentru anii 2023 – 2027 și vor prezenta anual, până la 15 martie, Ministerului Sănătății informația privind gradul de realizare a acestuia.	Compatibil			Ministerul Sănătății
Regulamentul (CE) nr.141/200 al Parlamentului European al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane, publicat în Jurnalul Oficial al Uniunii Europene L157 din 30 aprilie 2004					
PARLAMENTUL EUROPEAN ȘI CONSILIUL UNIUNII EUROPENE, având în vedere Tratatul de instituire a Comunității Europene, în special articolul 95, având în vedere propunerea Comisiei (1), având în vedere avizul Comitetului Economic și Social (2), hotărând în conformitate cu procedura prevăzută la articolul 251 din tratat (3), întrucât:					
(1) Unele afecțiuni apar atât de rar, încât costul de realizare și intro-ducere pe piață a unui produs medicamentos pentru diagnos-ticarea, prevenirea sau tratarea afecțiunii respective nu ar fi recuperat prin vânzările preconizate ale produsului medicamentos; industria farmaceutică ar fi refractară la realizarea produsului medicamentos în condiții normale de piață; aceste produse medi-camentoase sunt denumite „orfane”.	33. Unele boli apar atât de rar, încât costul de realizare și introducere pe piață a unui produs medicamentos pentru diagnosticarea, prevenirea sau tratarea afecțiunii respective nu ar fi recuperat prin vânzările preconizate ale produsului medicamentos; industria farmaceutică ar fi refractară la realizarea produsului medicamentos în condiții normale de piață; aceste produse medicamentoase sunt denumite „orfane”.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(2) Pacienții care suferă de afecțiuni rare ar trebui să aibă dreptul la un tratament de aceeași calitate ca și alți pacienți; este necesară, prin urmare, stimularea cercetării, dezvoltării și introducerii pe piață a unor medicamente corespunzătoare de către industria farmaceutică; stimulente pentru realizarea de produse	34. Pacienții care suferă de boli rare ar trebui să aibă dreptul la un tratament de aceeași calitate ca și alți pacienți; este necesară, prin urmare, stimularea cercetării, dezvoltării și introducerii pe piață a unor medicamente corespunzătoare	Compatibil			Ministerul Sănătății

medica-mentoase orfane au fost puse la dispoziție în Statele Unite ale Americii din 1983 și în Japonia din 1993.	de către industria farmaceutică; stimulente pentru realizarea de produse medicamentoase orfane au fost puse la dispoziție în Statele Unite ale Americii din 1983 și în Japonia din 1993.				
(3) În Uniunea Europeană, până în prezent, au fost luate doar măsuri limitate, fie la nivel național, fie la nivel comunitar, pentru stimularea realizării de produse medicamentoase orfane; această măsură poate fi luată cel mai bine la nivel comunitar pentru a beneficia de avantajul pieței celei mai extinse posibil și pentru a evita dispersarea resurselor limitate; acțiunea la nivel comunitar este de preferat unor măsuri necoordonate ale statelor membre, care ar putea duce la denaturarea concurenței și la bariere comerciale intracomunitare.	(PLAN) 3.37. Asigurarea disponibilității medicamentelor orfane pentru terapii individualizate și compensarea costurilor pentru tratamentul pacienților cu boli rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
(4) Ar trebui ca produsele medicamentoase orfane eligibile pentru stimulente să fie identificate ușor și fără echivoc; se pare că modul cel mai potrivit pentru obținerea acestui rezultat este acela de stabilire a unei proceduri comunitare deschise și transparente pentru desemnarea potențialelor produse medicamentoase ca produse medicamentoase orfane.					
(5) Ar trebui stabilite criterii obiective de desemnare; aceste criterii ar trebui să aibă la bază gradul de răspândire a afecțiunii pentru care se urmărește diagnosticarea, prevenirea și tratamentul; o răspândire de maximum cinci persoane afectate la 10 000 de locuitori este considerată în general ca pragul corespunzător; produsele medicamentoase prevăzute pentru o afecțiune care pune în pericol viața, care provoacă o slăbire gravă a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică ar trebui să fie eligibile chiar și la o răspândire ce depășește cinci persoane la 10 000 de locuitori					
(6) Ar trebui creat un comitet format din specialiști numiți de statele membre, pentru a examina cererile de desemnare; acest comitet ar mai trebui să includă trei reprezentanți ai asociațiilor de pacienți, desemnați de Comisie, și alte trei persoane, desemnate tot de Comisie la recomandarea Agenției europene pentru evaluarea	(PLAN) 3.44. Instituirea Comitetului pentru produse medicamentoase orfane	Compatibil			Ministerul Sănătății

produselor medicamentoase (denumită în continuare „agenția”); agenția ar trebui să răspundă de coordonarea adecvată între Comitetul pentru produse medicamentoase orfane și Comitetul pentru produse medicamentoase brevetate.					
(7) Pacienții care suferă de aceste afecțiuni merită produse medica-mentoase de aceeași calitate, siguranță și eficacitate ca și alți pacienți; prin urmare, produsele medicamentoase orfane ar trebui să fie supuse procesului normal de evaluare; ar trebui ca sponsorii produselor medicamentoase orfane să aibă posibilitatea de obținere a unei autorizații comunitare; pentru a facilita acordarea sau menținerea unei autorizații comunitare, ar trebui să se renunțe cel puțin parțial la taxele ce trebuie plătite agenției; bugetul comunitar ar trebui să despăgubească agenția pentru scăderea venitului produsă în acest fel.	(PLAN) 3.33..Reglementarea procesului de evaluare a produselor medicamentoase orfane și de obținere a unei autorizații pentru a facilita menținerea unei autorizații comunitare	Compatibil			Ministerul Sănătății
(8) Experiența din Statele Unite și Japonia arată că stimulentele cel mai puternic pentru industrie pentru a investi în dezvoltarea și comercializarea produselor medicamentoase orfane este perspectiva obținerii exclusivității pieței pentru un anumit număr de ani, timp în care să poată fi recuperată o parte din investiție; protecția datelor în temeiul articolului 4 alineatul (8) litera (a) punctul (iii) din Directiva 65/65/CEE a Consiliului din 26 ianuarie 1965 privind apropierea actelor cu putere de lege și actelor administrative referitoare la produsele medicamentoase brevetate (1) nu constituie un stimulent suficient în acest sens; statele membre nu pot introduce această măsură printr-o hotărâre independentă fără o dimensiune comunitară, deoarece această dispoziție ar fi contrară Directivei 65/65/CEE; dacă asemenea măsuri ar fi adoptate în mod necoordonat de către statele membre, ar crea obstacole comerciale intracomunitare, conducând la denaturarea concurenței și îndreptându-se într-o direcție contrară existenței pieței unice; exclusivitatea pieței ar trebui totuși limitată la indicația terapeutică pentru care s-a obținut desemnarea produsului medicamentos orfan, fără a aduce atingere drepturilor de proprietate	(PLAN) 3.36. Crearea mecanismelor de parteneriate interstatale cu statele membre UE care dispun de stocuri suficiente pentru tratarea pacienților cu boli rare în cazul imposibilității asigurării cu medicamente orfane în țară				

intelectuală existente; în interesul pacienților, exclusivitatea pieței acordată unui produs medicamentos orfan nu ar trebui să împiedice comercializarea unui produs medicamentos similar care ar putea fi de un folos semnificativ celor care suferă de afecțiunea respective					
(9) Sponsorii produselor medicamentoase orfane desemnate conform prezentului regulament ar trebui să aibă dreptul la toate avantajele și stimulentele acordate de Comunitate sau de către statele membre pentru susținerea cercetării și dezvoltării produselor medicamentoase pentru diagnosticarea, prevenirea sau tratamentul acestor afecțiuni, inclusiv a bolilor rare	11. De asemenea, Programul transpune Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane, potrivit căruia, „Un produs medicamentos este desemnat ca produs medicamentos orfan, dacă sponsorul acestuia poate dovedi că acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică ce nu afectează mai mult de 5 din 10 000 de persoane la momentul solicitării sau acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică și că fără stimulente este puțin probabil ca desfacerea produsului medicamentos să genereze venituri suficiente pentru justificarea investiției necesare și nu există nici o metodă satisfăcătoare de diagnosticare, prevenire sau tratament a afecțiunii respective autorizată în Comunitate sau, dacă această metodă există, produsul medicamentos va fi de un folos semnificativ celor care suferă de această afecțiune.”	Compatibil			Ministerul Sănătății
(10) Programul specific Biomed 2, din al patrulea	29. Dezvoltarea infrastructurilor de	Compatibil			Ministerul Sănătății

program-cadru de cercetare și dezvoltare tehnologică (1994-1998), a sprijinit cercetarea privind tratamentul bolilor rare, inclusiv metodologiile pentru programe rapide de dezvoltare a produselor medicamentoase orfane și inventarierea produselor medicamentoase orfane disponibile în Europa; acele fonduri nerambursabile au fost prevăzute pentru a promova instituirea unei cooperări între state pentru punerea în aplicare a cercetării fundamentale și clinice privind bolile rare; cercetarea privind bolile rare continuă să fie o prioritate pentru Comunitate, deoarece a fost inclusă în cel de al cincilea program-cadru de cercetare și dezvoltare tehnologică (1998-2002); prezentul regulament stabilește un cadru legal care va permite aplicarea rapidă și eficientă a rezultatelor cercetării respective.	cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. De asemenea, trebuie promovate cercetările în domeniul sănătății publice, științelor sociale, organizării asistenței medicale, economiei sănătății și cercetării politicii de sănătate, pentru a se asigura că rezultatele cercetărilor sunt aplicate în beneficiul persoanelor care trăiesc cu o boală rară. 34. Pacienții care suferă de boli rare ar trebui să aibă dreptul la un tratament de aceeași calitate ca și alți pacienți; este necesară, prin urmare, stimularea cercetării, dezvoltării și introducerii pe piață a unor medicamente corespunzătoare de către industria farmaceutică; stimulente pentru realizarea de produse medicamentoase orfane au fost puse la dispoziție în Statele Unite ale Americii din 1983 și în Japonia din 1993. Obiectivul specific 2. Consolidarea capacității naționale de cercetare și inovare pentru luarea deciziilor, în scopul accelerării și îmbunătățirii răspunsului național la bolile rare până în anul 2027				
(11) Bolile rare sunt recunoscute ca un domeniu prioritar în cazul acțiunilor comunitare din cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice; în comunicarea sa referitoare la un program de măsuri comunitar privind bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice, Comisia decide să acorde prioritate bolilor rare în domeniul sănătății publice; Parlamentul European și Consiliul au adoptat Decizia nr. 1295/1999/CE din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiuni comunitare privind bolile rare	71. Scopul Programului național pe Boli Rare pentru anii 2023–2027 este îmbunătățirea calității vieții și gradului de autonomie a persoanelor afectate de boli rare din Republica Moldova prin acces echitabil la diagnostic precoce, tratamente de calitate și servicii de reabilitare a persoanelor cu boli rare (servicii de abilitare și reabilitare, educație, activități de recreere, socializare pentru dezvoltarea	Compatibil			Ministerul Sănătății

în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999-2003) (1), inclusiv acțiuni pentru prezentarea informațiilor, pentru abordarea grupelor de boli rare la o anumită populație și de sprijinire a organizațiilor de pacienți relevante; prezentul regulament pune în aplicare una din prioritățile prevăzute în programul de acțiuni respectiv,	abilităților de viață independentă în rândul persoanelor cu boli rare, precum și activități de sprijin, consiliere și educație pentru părinți/familie). Conceptul de bază al programului pornește din ideea că <i>„Sănătatea este un drept fundamental al omului, fie că boala este comună sau rară”</i>, iar acțiunile Programului se întrunesc sub sloganul <i>“Bolile rare - o prioritate pentru Sănătatea Publică din Moldova cu acces echitabil pentru diagnostic, tratament și îngrijire”</i>. 72. Programul urmărește instituirea unui sistem de servicii de sănătate pentru boli rare ajustat la bunele practici și standarde internaționale și care să asigure accesul universal la servicii medicale la toate etapele vieții, pentru toată populația, indiferent de sex, vârstă, etnie, mediu de reședință, apartenență religioasă, statut socio-economic, de sănătate și orice alt criteriu, nelăsând astfel pe nimeni în urmă				
ADOPTĂ PREZENTUL REGULAMENT: Articolul 1 Scop Prezentul regulament are drept scop stabilirea unei proceduri comunitare pentru desemnarea produselor medicamentose ca produse medica-mentoase orfane și oferirea de stimulente pentru cercetarea, dezvoltarea și lansarea pe piață a produselor medicamentose orfane desemnate.	(PLAN) 1.2. Dezvoltarea cadrului normativ pentru asigurarea accesului la produse medicamentose orfane eficiente	Compatibil			Ministerul Sănătății
Articolul 2 Definiții În sensul prezentului regulament: (a) „produs medicamentos” înseamnă un produs medicamentos de uz uman, definit la articolul 2 din Directiva 65/65/CEE; (b) „produs medicamentos orfan” înseamnă un produs medicamentos desemnat astfel în limitele și	15. De asemenea, Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind medicamentele orfane (5) prevede că un medicament este desemnat drept „medicament orfan” atunci când este destinat diagnosticării, prevenirii sau	Compatibil			Ministerul Sănătății

condițiile prezentului regulament; (c) „sponsor” înseamnă orice persoană juridică sau fizică, stabilită în Comunitate, care solicită obținerea desemnării unui produs medicamentos ca produs medicamentos orfan sau care deține această desemnare; (d) „agenție” înseamnă Agenția europeană pentru evaluarea produselor medicamentoase.	tratamentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o dizabilitate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii. 62. Unele din bolile rare sunt tratabile, de regulă, prin utilizarea preparatelor medicamentoase specifice, nou elaborate prin programe biotehnologice avansate numite „produse orfane”. Un produs medicamentos este desemnat drept „produs medicamentos orfan”¹ dacă este destinat diagnosticării, prevenirii sau tratamentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii. <i>Obiectiv specific 4.4. Îmbunătățirea disponibilității medicamentelor orfane și compensarea costurilor pentru tratamentul pacienților cu boli rare, până în anul 2027</i>				
Articolul 3 Criterii de desemnare (1) Un produs medicamentos este desemnat ca produs medicamentos orfan, dacă sponsorul acestuia poate dovedi că: (a) acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică ce nu afectează mai mult de 5 din 10 000 de persoane din Comunitate la momentul solicitării sau acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau	11. De asemenea, Programul transpune Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane, potrivit căruia, „Un produs medicamentos este desemnat ca produs medicamentos orfan, dacă sponsorul acestuia poate dovedi că acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică ce nu afectează mai mult de 5 din 10 000 de	Compatibil			Ministerul Sănătății

¹ Reglementările privind medicamentele orfane, CE nr.141/2000, JO L 18, 22.1.2000, p.1

pentru o afecțiune gravă și cronică din Comunitate și că fără stimulente este puțin probabil ca desfacerea produsului medicamentos în Comunitate să genereze venituri suficiente pentru justificarea investiției necesare; și (b) nu există nici o metodă satisfăcătoare de diagnosticare, prevenire sau tratament a afecțiunii respective autorizată în Comunitate sau, dacă această metodă există, produsul medicamentos va fi de un folos semnificativ celor care suferă de această afecțiune. 2) Comisia adoptă, în conformitate cu procedura de reglementare menționată la articolul 10 alineatul (2), dispozițiile necesare pentru punerea în aplicare a alineatului (1) al acestui articol sub forma unui regulament de punere în aplicare.	persoane la momentul solicitării sau acesta este prevăzut pentru diagnosticarea, prevenirea și tratamentul unei afecțiuni care pune în pericol viața, care provoacă slăbirea cronică a organismului sau pentru o afecțiune gravă și cronică și că fără stimulente este puțin probabil ca desfacerea produsului medicamentos să genereze venituri suficiente pentru justificarea investiției necesare și nu există nici o metodă satisfăcătoare de diagnosticare, prevenire sau tratament a afecțiunii respective autorizată în Comunitate sau, dacă această metodă există, produsul medicamentos va fi de un folos semnificativ celor care suferă de această afecțiune.”				
Articolul 4 Comitetul pentru produse medicamentoase orfane (1) Prin prezentul se înființează, în cadrul agenției, un Comitet pentru produse medicamentoase orfane, denumit în continuare „comitetul”. (2) Comitetul are următoarele sarcini: (a) să examineze toate cererile de desemnare a unui produs medicamentos ca produs medicamentos orfan care îi sunt înaintate în conformitate cu prezentul regulament; (b) să acorde consultanță Comisiei cu privire la instituirea și elaborarea unei politici referitoare la produsele medicamentoase orfane pentru Uniunea Europeană; (c) să sprijine Comisia în stabilirea de legături internaționale pe probleme referitoare la produsele medicamentoase orfane și în stabilirea de legături cu grupurile de sprijin ale pacienților; (d) să sprijine Comisia în elaborarea unor orientări detaliate. (3) Comitetul este format dintr-un membru numit de					

fiecare stat membru, trei membri numiți de Comisie pentru reprezentarea organizațiilor de pacienți și trei membri numiți de Comisie pe baza unei recomandări din partea agenției. Membrii comitetului sunt numiți pentru un mandat de trei ani, care poate fi reînnoit. Aceștia pot fi însoțiți de specialiști. (4) Comitetul își alege președintele pentru un mandat de trei ani, care se poate reînnoi o singură dată. (5) Reprezentanții Comisiei și directorul executiv al agenției sau reprezentantul acestuia pot participa la toate ședințele comitetului. (6) Agenția asigură secretariatul comitetului. (7) Membrilor comitetului li se cere să nu dezvăluie informații cu caracter de secret de serviciu, chiar după încheierea îndatoririlor lor.					
Articolul 5 Procedura de desemnare și de radiere din registru (1) Pentru obținerea desemnării unui produs medicamentos ca produs medicamentos orfan, sponsorul trebuie să înainteze agenției o cerere în orice etapă de realizare a produsului medicamentos înaintea depunerii cererii pentru autorizația de comercializare. (2) Cererea trebuie însoțită de următoarele amănunte și documente: (a) numele sau denumirea firmei și domiciliul stabil al sponsorului; (b) componentele active ale produsului medicamentos; (c) indicația terapeutică propusă; (d) justificarea satisfacerii criteriilor prevăzute la articolul 3 alineatul (1) și o descriere a etapei de realizare, incluzând indicațiile preconizate. (3) Comisia, prin consultare cu statele membre, cu agenția și cu părțile interesate, elaborează liniile directoare detaliate privind forma și conținutul necesare pentru cererile de desemnare. (4) Agenția verifică valabilitatea cererii și pregătește un scurt raport către comitet. Dacă este cazul, aceasta poate solicita sponsorului suplimentarea amănuntelor și documentelor ce însoțesc cererea. (5) Agenția asigură emiterea avizului de către comitet					

în termen de 90 de zile de la primirea unei cereri valabile. (6) În elaborarea avizului, comitetul trebuie să-și dea toată silința pentru a ajunge la un consens. Dacă nu se ajunge la consens, avizul se adoptă cu o majoritate de două treimi din membrii comitetului. Avizul se poate obține prin procedură scrisă. (7) Dacă avizul comitetului este că cererea nu respectă criteriile prevăzute la articolul 3 alineatul (1), agenția informează imediat sponsorul. În termen de 90 de zile de la primirea avizului, sponsorul poate înainta motive detaliate de apel, pe care agenția le trimite comitetului. Comitetul analizează dacă avizul său ar trebui revizuit la ședința următoare. (8) Agenția înaintează de îndată Comisiei avizul final al comitetului, iar aceasta adoptă o decizie în termen de 30 de zile de la primirea avizului. Atunci când, în circumstanțe excepționale, proiectul de decizie nu este conform cu avizul comitetului, decizia este adoptată în conformitate cu procedura de reglementare menționată la articolul 10 alineatul (2). Decizia este notificată sponsorului și comunicată agenției și autorităților competente ale statelor membre. (9) Produsul medicamentos desemnat este înscris în Registrul comunitar al produselor medicamentoase orfane. (10) În fiecare an, sponsorul înaintează agenției un raport privind stadiul realizării produsului medicamentos desemnat. (11) Pentru transferul desemnării unui produs medicamentos orfan către un alt sponsor, deținătorul desemnării depune la agenție o cerere în acest sens. Prin consultare cu statele membre, agenția și părțile interesate, Comisia elaborează linii directoare detaliate privind forma în care trebuie făcute cererile de transfer și conținutul acestor cereri și toate detaliile referitoare la noul sponsor. (12) Un produs medicamentos orfan desemnat este radiat din Registrul comunitar al produselor medicamentoase orfane:					
---	--	--	--	--	--

(a) la cererea sponsorului; (b) dacă se constată, înainte acordării autorizației de comercializare, că produsul medicamentos respectiv nu mai respectă criteriile prevăzute la articolul 3; (c) la expirarea perioadei de exclusivitate a pieței, conform articolului 8					
Articolul 6 Asistența în materie de protocol (1) Sponsorul unui produs medicamentos orfan poate, înainte de prezentarea unei cereri pentru autorizație de comercializare, să solicite opinia agenției cu privire la efectuarea diferitelor determinări și testări pentru a demonstra calitatea, siguranța și eficacitatea produsului medicamentos, în conformitate cu articolul 51 litera (j) din Regulamentul (CEE) nr. 2309/93. (2) Agenția elaborează o procedură privind realizarea produselor medicamentoase orfane cuprinzând asistența în materie de reglementări privind definirea conținutului cererii de autorizare în sensul articolului 6 din Regulamentul (CEE) nr. 2309/93.					
Articolul 7 Autorizația comunitară de comercializare (1) Persoana răspunzătoare de introducerea pe piață a unui produs medicamentos orfan poate solicita acordarea de către Comunitate a autorizației de introducere pe piață a produsului medicamentos, în conformitate cu dispozițiile Regulamentului (CEE) nr. 2309/93, fără să fie nevoie să justifice calificarea produsului medicamentos conform părții B din anexa la regulamentul menționat. (2) Comunitatea alocă agenției, în fiecare an, o contribuție specială, distinctă de aceea prevăzută la articolul 57 din Regulamentul (CEE) nr. 2309/93. Contribuția este utilizată exclusiv de către agenție pentru renunțarea, parțială sau totală, la toate taxele datorate conform regulilor comunitare adoptate conform Regulamentului (CEE) nr. 2309/93. La sfârșitul fiecărui an, directorul executiv al agenției prezintă un raport amănunțit privind utilizarea acestei					

contribuții speciale. Orice excedent rezultat într-un anumit an este reportat și scăzut din contribuția special pentru anul următor. (3) Autorizația de comercializare acordată pentru un produs medicamentos orfan trebuie să cuprindă numai indicațiile terapeutice care îndeplinesc criteriile prevăzute la articolul 3. Aceasta nu aduce atingere posibilității de solicitare a unei autorizații de comercializare separate pentru alte indicații care nu fac obiectul prezentului regulament					
Articolul 8 Exclusivitatea pe piață (1) Dacă se acordă o autorizație pentru comercializarea unui produs medicamentos orfan conform Regulamentului (CEE) nr. 2309/93 sau dacă toate statele membre au acordat autorizații de comercializare în conformitate cu procedurile de recunoaștere reciprocă prevăzute la articolele 7 și 7a din Directiva 65/65/CEE sau la articolul 9 alineatul (4) din Directiva 75/319/CEE a Consiliului din 20 mai 1975 privind apropierea actelor cu putere de lege și actelor administrative referitoare la produsele medicamentoase brevetate (1) și fără a aduce atingere legislației proprietății intelectuale sau altor dispoziții de drept comunitar, Comunitatea și statele membre nu acceptă altă cerere de autorizație de comercializare, nu acordă o autorizație de comercializare și nu acceptă o cerere de extindere a autorizației existente pentru comercializarea unui produs medicamentos similar, cu aceeași indicație terapeutică, pe o perioadă de 10 ani. (2) Perioada respectivă poate fi totuși redusă la șase ani dacă, la sfârșitul celui de al cincilea an, se dovedește că produsul medicamentos respectiv nu mai respectă criteriile prevăzute la articolul 3, între altele, dacă se demonstrează pe baza dovezilor existente că produsul este suficient de profitabil, astfel încât nu mai este justificată menținerea exclusivității pieței și agenția inițiază atunci procedura prevăzută la articolul 5. Sponsorul oferă agenției informațiile necesare în acest scop.	(PLAN) 3.46. Acordarea autorizației de comercializare pentru un produs medicamentos orfan trebuie să cuprindă numai indicațiile terapeutice care îndeplinesc criteriile prevăzute la articolul 3 la <i>Regulamentul (CE) nr. 141/2000 privind produsele medicamentoase orfane, cu determinarea perioadei de comercializare</i> (10 ani sau reducere până la 6 ani)	Compatibil			Ministerul Sănătății

(3) Prin derogare de la alineatul (1) și fără a aduce atingere legislației proprietății intelectuale sau oricărei alte dispoziții din dreptul comunitar, se poate acorda o autorizație pentru comercializarea unui produs medicamentos similar, cu aceeași indicație terapeutică, dacă: (a) deținătorul autorizației pentru comercializarea produsului medicamentos orfan original își dă consimțământul celui de al doilea solicitant sau (b) deținătorul autorizației pentru comercializarea produsului medicamentos orfan original nu poate să livreze cantități suficiente de produs medicamentos sau (c) al doilea solicitant poate dovedi în cerere că al doilea produs medicamentos, deși este similar cu produsul medicamentos orfan deja autorizat, este mai sigur, mai eficace sau superior din punct de vedere clinic în alte privințe. (4) Comisia adoptă definiții pentru „produs medicamentos similar” și „superioritate clinică” sub forma unui regulament de punere în aplicare. Măsurile respective, destinate să modifice elemente neesențiale ale prezentului regulament prin completarea acestuia, se adoptă în conformitate cu procedura de reglementare cu control menționată la articolul 10a alineatul (3). (5) Comisia elaborează orientări detaliate pentru aplicarea prezentului articol prin consultare cu statele membre, agenția și părțile interesate.					
Articolul 9 Alte stimulente (1) Produsele medicamentoase desemnate produse medicamentoase orfane conform dispozițiilor prezentului regulament sunt eligibile pentru stimulentele puse la dispoziție de către Comunitate și de către statele membre pentru susținerea cercetării în domeniul produselor medicamentoase orfane, a realizării și comercializării acestora, în special asistență pentru cercetare pentru întreprinderile mici și mijlocii, prevăzută în programele-cadru de cercetare și					

dezvoltare tehnologică. (2) Statele membre furnizează Comisiei până la 22 iulie 2000 informații detaliate referitoare la măsurile legislative de acestea pentru susținerea cercetării în domeniul produselor medicamentose orfane, a realizării și comercializării acestora sau a produselor medicamentose care pot fi desemnate astfel. Aceste informații sunt actualizate în mod regulat. (3) Comisia publică până la 22 ianuarie 2001 un inventar detaliat cu toate stimulentele oferite de către Comunitate și statele membre pentru susținerea cercetării în domeniul produselor medicamentose orfane, realizării și comercializării acestora. Inventarul este actualizat în mod regulat.					
Articolul 10 Raport general Comisia publică până la 22 ianuarie 2006 un raport general referitor la experiența dobândită în urma aplicării prezentului regulament, însoțit de o prezentare a beneficiilor obținute în materie de sănătate publică. Articolul 10a (1) Comisia este asistată de Comitetul permanent pentru produse medicamentose de uz uman, menționat la articolul 121 alineatul (1) din Directiva 2001/83/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 6 noiembrie 2001 de instituire a unui cod comunitar cu privire la medicamentele de uz uman (1). (2) Atunci când se face trimitere la prezentul alineat, se aplică articolele 5 și 7 din Decizia 1999/468/CE a Consiliului (2), având în vedere dispozițiile articolului 8 din respectiva decizie. Termenul prevăzut la articolul 5 alineatul (6) din Decizia 1999/468/CE se stabilește la trei luni. (3) Atunci când se face trimitere la prezentul alineat, se aplică articolul 5a alineatele (1)-(4) și articolul 7 din Decizia 1999/468/CE, având în vedere dispozițiile articolului 8 din respectiva decizie.					
Articolul 11 Intrare în vigoare					

Prezentul regulament intră în vigoare la data publicării în Jurnalul Oficial al Comunităților Europene. Se aplică de la data adoptării regulamentelor de punere în aplicare prevăzute la articolul 3 alineatul (2) și articolul 8 alineatul (4). Prezentul regulament este obligatoriu în toate elementele sale și se aplică direct în toate statele membre					
Propunere de RECOMANDARE A CONSILIULUI privind o acțiune europeană în domeniul bolilor rare {SEC(2008)2713} {SEC(2008)2712}					
(1) Bolile rare reprezintă o amenințare pentru sănătatea cetățenilor europeni în măsura în care ele sunt boli care pun în pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică, având o prevalență redusă și un grad ridicat de complexitate.	12. Necesitatea prezentului Program este dictată de faptul că bolile rare constituie o amenințare pentru sănătatea cetățenilor, atât din cauza răspândirii globale, a ratei înalte de dizabilitate și mortalitate pe care o induc, dar și a poverii financiare pe stat și familie, având o prevalență redusă și un grad ridicat de complexitate. În ciuda rarității acestora, există atât de multe tipuri diferite de boli rare, încât milioane de oameni sunt afectați.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(2) Un program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2035 . În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din Uniunea Europeană.	14. Programul de acțiune comunitară cu privire la bolile rare, inclusiv bolile genetice, a fost adoptat pentru perioada 1 ianuarie 1999 - 31 decembrie 2003 (3). În ceea ce privește prevalența, acest program a definit o boală rară ca fiind o boală care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane din UE.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(3) Regulamentul (CE) nr. 141/2000 al Parlamentului European și al Consiliului din 16 decembrie 1999 privind produsele medicamentoase orfane prevede că un medicament este desemnat drept „produs medicamentos orfan” dacă este destinat diagnosticării, prevenirii sau tratamentului unei afecțiuni care pune în	(PLAN) 1.2. Reglementarea definiției de „medicament orfan” atunci când acesta este destinat diagnosticării, prevenirii sau tratamentului unei afecțiuni care pune în pericol viața sau provoacă o dizabilitatea cronică și care afectează cel mult 5 din 10	Compatibil			Ministerul Sănătății

pericol viața sau provoacă o invaliditate cronică și care afectează cel mult 5 din 10 000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii.	000 de persoane în Comunitate în momentul introducerii cererii				
(4) Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând între 6% și 8% din populație în cursul vieții și anume, între 27 și 36 de milioane de persoane în Uniunea Europeană. Majoritatea acestora suferă de boli foarte puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin.	16. Se estimează că în prezent există între 5 000 și 8 000 de boli rare, ele afectând între 6 % și 8 % din populație în cursul vieții. Cu alte cuvinte, deși bolile rare sunt caracterizate de prevalența scăzută pentru fiecare dintre acestea, numărul total de persoane afectate de boli rare în UE se situează între 27 și 36 de milioane de persoane. Majoritatea acestora suferă de boli mai puțin frecvente care afectează o persoană din 100 000 sau mai puțin. Acești pacienți sunt în mod special izolați și vulnerabili.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(5) Din cauza prevalenței slabe și a specificității lor, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi combinate deosebite în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în Decizia nr. 1295/1999/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999 - 2003).	17. Din cauza prevalenței slabe, a specificității lor și a numărului total ridicat de persoane afectate, bolile rare necesită o abordare globală bazată pe eforturi speciale și combinate în vederea prevenirii unei morbidități semnificative sau a unei mortalități premature care poate fi evitată, precum și în vederea îmbunătățirii calității vieții și a potențialului socioeconomic al persoanelor afectate, precum și în Decizia nr. 1295/1999/CE a Parlamentului European și a Consiliului din 29 aprilie 1999 de adoptare a unui program de acțiune comunitară cu privire la bolile rare în cadrul acțiunilor din domeniul sănătății publice (1999 - 2003).	Compatibil			Ministerul Sănătății
(6) Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de-Al șaselea program-cadru pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2002-2006) și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul noului program, Al șaptelea program-cadru	18. Bolile rare au reprezentat una dintre prioritățile celui de al șaselea program-cadru European pentru activități de cercetare și dezvoltare și rămân un domeniu de acțiune prioritar în cadrul	Compatibil			Ministerul Sănătății

pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2007-2013), deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.	celui de al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare și dezvoltare, deoarece dezvoltarea de noi diagnostice și tratamente pentru afecțiunile rare, precum și cercetarea epidemiologică privind aceste afecțiuni necesită abordări internaționale pentru a crește numărul de pacienți care participă la fiecare studiu.				
(7) Comisia, în Cartea sa albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia Uniunii în materie de sănătate, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare.	19. Comisia Europeană, în Cartea albă, intitulată „Împreună pentru sănătate: O abordare strategică pentru UE 2008-2013” din 23 octombrie 2007, care definește strategia UE în materie de sănătate, a înscris bolile rare printre domeniile de acțiune prioritare. Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența între inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare, toate acțiunile naționale pertinente în acest domeniu trebuie integrate în planuri naționale de combatere a bolilor rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(8) Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența între inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare, toate acțiunile naționale pertinente în acest domeniu trebuie integrate în planuri naționale de luptă împotriva bolilor rare.	19. - Pentru a îmbunătăți coordonarea și coerența între inițiativele naționale, regionale și locale în ceea ce privește bolile rare, toate acțiunile naționale pertinente în acest domeniu trebuie integrate în planuri naționale de combatere a bolilor rare.	Compatibil			Ministerul Sănătății
(9) În conformitate cu baza de date Orphanet, din cele 5 863 de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o identificare clinică, doar 250 de boli rare au un cod în clasificarea internațională a bolilor existente (a zecea versiune). Este necesară efectuarea unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul	20. În conformitate cu baza de date Orphanet, din cele peste 6000 de boli rare cunoscute pentru care este posibilă o identificare clinică, numai 250 dintre acestea au un cod în clasificarea internațională a bolilor (ICD) existentă (a zecea versiune). Este necesară efectuarea	Compatibil			Ministerul Sănătății

sistemelor naționale de sănătate.	unei clasificări și a unei codificări adecvate a tuturor bolilor rare pentru a le conferi vizibilitatea și recunoașterea necesare în cadrul sistemelor naționale de sănătate. (PLAN) 1.8. Punerea în aplicare a clasificării și codificării ORPHA Code a bolilor rare 1.9. Dezvoltarea Listei de boli rare întâlnite în Republica Moldova în conformitate cu clasificarea și codificarea ORPHA Code în baza datelor epidemiologice colectate de la Centrele de Expertiză pe boli de profil 1.10. Revizuirea continuă a Listei de boli rare în funcție de cazuistica și diagnosticul acestora, coform nomenclurii ORPHA Code cu actualizarea anuală a listei bolilor rare pentru a asigura accesul pacienților nou-diagnosticați la tratamente specifice				
(10) Organizația Mondială a Sănătății (denumită în continuare „OMS”) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de-a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, pentru ca cea de-a unsprezecea versiune a acestei clasificări să fie adoptată în cadrul Adunării Mondiale a Sănătății din 2014. OMS a desemnat Grupul special (Task Force) al Uniunii Europene în materie de boli rare ca Grup consultativ pe teme specific (Topic Advisory Group) privind bolile rare, pentru a contribui la acest proces de revizuire formulând propuneri în ceea ce privește codificarea și clasificarea bolilor rare.	21. Organizația Mondială a Sănătății (OMS) a lansat în 2007 procesul de revizuire a celei de-a zecea versiuni a clasificării internaționale a bolilor, în cadrul celei de-a 72-a Adunări Mondiale a Sănătății din 25 mai 2019, de către OMS fiind aprobată CIM XI. (PLAN) 1.7. Examinarea oportunității și organizarea condițiilor pentru implementarea clasificării internaționale a maladiilor (CIM), ediția a XI	Compatibil			Ministerul Sănătății
(11) Punerea în aplicare a unei identificări comune a bolilor rare de către toate statele membre ar consolida în mod semnificativ contribuția Uniunii Europene la acest Grup consultativ pe teme specifice și ar facilita cooperarea la nivel comunitar în domeniul bolilor rare.	(PLAN) 1.8. Punerea în aplicare a clasificării și codificării ORPHA Code a bolilor rare	Compatibil			Ministerul Sănătății
(12) În iulie 2004, a fost înființat un Grup la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistența medicală cu	<i>Obiectivul specific 4. Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile</i>	Compatibil			Ministerul Sănătății

scopul de a reuni experți din toate statele membre pentru a analiza aspecte practice ale colaborării dintre sistemele naționale de sănătate din UE. Unul dintre grupurile de lucru ale acestui Grup la nivel înalt se concentrează asupra rețelelor europene de referință pentru bolile rare. Au fost elaborate câteva principii, inclusiv privind rolul acestor rețele în lupta împotriva bolilor rare și anumite criterii pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. Rețelele europene de referință ar trebui să servească, de asemenea, drept centre de cercetare și de cunoștințe, tratând pacienți din alte state membre și garantând disponibilitatea unităților de tratament ulterior, dacă este cazul.	de pacienți cu boli rare, consolidarea capacităților acestora, extinderea serviciilor și respectarea drepturilor pacienților cu boli rare, până în anul 2027 (PLAN) 4.8.. Aplicarea drepturilor pacienților în cadrul asistenței medicale transfrontaliere (Orphanet), standarde armonizate și cerințe de interoperabilitate care să asigure respectarea legislației cu privire la protecția datelor și a vieții private				
(13) Valoarea adăugată comunitară a rețelelor europene de referință este extrem de importantă pentru bolile rare datorită frecvenței foarte reduse a acestor afecțiuni, care implică, într-o țară luată în mod separat, un număr limitat de pacienți și lipsa expertizei. Reunirea expertizei la nivel european este, prin urmare, primordială pentru a asigura un acces egal la asistență medicală de înaltă calitate pacienților care suferă de boli rare.					
(14) În decembrie 2006, un grup de experți din grupul special al Uniunii Europene în materie de boli rare a publicat un raport intitulat: „Contribution to policy shaping: For a European collaboration on health services and medical care in the field of rare diseases”¹⁰ („Contribuția la definirea politicilor: pentru o colaborare europeană privind serviciile de sănătate și asistență medicală în domeniul bolilor rare”) în atenția Grupului la nivel înalt privind serviciile de sănătate și asistență medicală. Raportul grupului de experți subliniază, printre altele, importanța identificării centrelor de expertiză la nivel național și regional și rolurile pe care ar trebui să le îndeplinească astfel de centre. Unele măsuri solicitate în acest raport sunt incluse în prezenta recomandare.					
(15) Cooperarea și schimbul de cunoștințe între centrele naționale și regionale de expertiză s-au dovedit a fi	(PLAN) 3.1. Dezvoltarea centrelor de expertiză (regionale, naționale) și	Compatibil			Ministerul Sănătății

abordarea cea mai eficientă pentru a face față bolilor rare în Europa.	încorporarea acestora în rețelele europene de referință în domeniul bolilor rare				
(16) Centrele naționale și regionale de expertiză ar trebui să urmeze o abordare multidisciplinară a asistenței, integrând aspecte medicale și sociale, pentru a face față afecțiunilor complexe și diverse implicate de bolile rare.	(PLAN) 3.8. Încurajarea centrelor de expertiză pentru abordarea multidisciplinară a asistenței pentru pacienții cu boli rare (PLAN) 3.9. Reglementarea colaborării între instituțiile teritoriale de la locul de trai a pacientului cu boală rară cu Centrul Național de referință pe Boli Rare și Centrele de Expertiză în Boli Rare cu competențe în diagnosticul și îngrijirea pacienților cu boli rare, astfel încât, monitorizarea pacienților cu boli rare să fie făcută de o echipă multidisciplinară specializată în raport cu nevoile reale ale pacientului	Compatibil			Ministerul Sănătății
(17) Având în vedere caracteristicile specifice ale bolilor rare – număr limitat de pacienți și lipsa cunoștințelor relevante și a expertizei în domeniu – acestea pot fi caracterizate drept un domeniu unic cu o valoare adăugată foarte ridicată a acțiunii la nivel comunitar. Această valoare adăugată poate fi realizată, în special, prin reunirea expertizei naționale privind bolile rare, care este în prezent răspândită în diferite state membre.	(PLAN) 3.7. Reglementarea mobilității expertizei și a cunoștințelor Centrelor de expertiză în condițiile de facilitare a tratamentului pacienților cu boli rare în proximitatea acestora	Compatibil			Ministerul Sănătății
(18) Este de o importanță crucială asigurarea unei contribuții active a statelor membre la elaborarea unora dintre instrumentele comune prevăzute în comunicarea Comisiei privind bolile rare, în special avizele europene de referință privind diagnosticele și asistența medicală și orientările europene privind screeningul populației. Acest lucru ar trebui să fie valabil și pentru rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică a medicamentelor orfane, care ar putea contribui la accelerarea negocierilor de preț la nivel național, reducând astfel timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste medicamente al pacienților care suferă de boli rare.	Fortificarea capacităților de prevenire și depistare precoce a bolilor rare, până în anul 2027 (PLAN) 4.64. Dezvoltarea programelor de screening prenatal populațional și familial și includerea lor în cadrul consultației genetice 4.65. Asigurarea diagnosticului precoce prin consulturi medico-genetice, programe de screening neonatal și selectiv al bolilor rare (clinic, clinico-genetic, prenatal și neonatal)	Compatibil			Ministerul Sănătății

	4.66. Dezvoltarea capacităților de testare și screening al populației pentru depistarea bolilor rare, conform recomandărilor internaționale, bazate pe dovezi 1.2. Dezvoltarea cadrului normativ pentru asigurarea accesului la produse medicamentoase orfane eficiente 2.9. Stimularea cercetării, dezvoltării și introducerii pe piață a produselor medicamentoase orfane 4.52. Asigurarea accesului la rapoartele de evaluare privind valoarea adăugată terapeutică sau clinică a medicamentelor orfane la nivel UE, acolo unde se reunesc cunoștințele și expertiza relevante pentru a reduce la minimum timpul de așteptare în ceea ce privește accesul la aceste produse medicamentoase al pacienților care suferă de boli rare.				
(19) OMS a descris responsabilizarea pacienților ca fiind „o condiție esențială pentru sănătate” și „un parteneriat proactiv și o strategie de auto-îngrijire a pacientului, de îmbunătățire a rezultatelor privind sănătatea și a calității vieții în rândul bolnavilor cronici”¹¹. În acest sens, rolul grupurilor de pacienți este fundamental, atât în ceea ce privește sprijinul direct acordat persoanelor care suferă de boală, cât și în ceea ce privește munca colectivă realizată pentru a îmbunătăți situația comunității de pacienți care suferă de o boală rară în ansamblu și pentru generațiile viitoare.	(PLAN) 6.1.Dezvoltarea parteneriatului cu organizațiile de pacienții care încurajează implicarea persoanelor care trăiesc cu o boală rară la cercetarea și dezvoltarea instrumentelor de diagnostic, a tratamentelor și a soluțiilor inovatoare pentru îmbunătățirea sănătății, statutului social, asistenței medicale, autonomiei, calității vieții și bunăstării persoanelor care trăiesc cu o boală rară	Compatibil			Ministerul Sănătății
(20) Pacienții și reprezentanții pacienților ar trebui, prin urmare, să fie implicați în toate etapele procesului de elaborare a politicilor și a deciziilor. Activitățile acestora ar trebui promovate și susținute în mod activ, inclusiv financiar, în fiecare stat membru.	Obiectivul specific 4. Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile de pacienți cu boli rare până în anul 2027 (PLAN) 4.1.Dezvoltarea parteneriatului cu	Compatibil			Ministerul Sănătății

	organizațiile de pacienții care încurajează implicarea persoanelor care trăiesc cu o boală rară la cercetarea și dezvoltarea instrumentelor de diagnostic, a tratamentelor și a soluțiilor inovatoare pentru îmbunătățirea sănătății, statutului social, asistenței medicale, autonomiei, calității vieții și bunăstării persoanelor care trăiesc cu o boală rară (PLAN) 4.2.Implicarea pacienților și reprezentanților pacienților cu boli rare în identificarea necesităților și dezvoltarea politicilor în domeniul bolilor rare și tratamentul acestora . Dezvoltarea parteneriatului cu pacienții și organizațiile de pacienți cu boli rare, consolidarea capacităților acestora, extinderea serviciilor și respectarea drepturilor pacienților cu boli rare, până în anul 2027				
(21) Dezvoltarea infrastructurilor de cercetare și de asistență medicală în domeniul bolilor rare necesită proiecte de lungă durată și, prin urmare, un efort financiar adecvat pentru a le asigura viabilitatea pe termen lung. Acest efort ar maximiza în mod semnificativ sinergia cu proiectele elaborate în cadrul Programului comunitar în materie de sănătate (2008-2013), al celui de-Al șaptelea program-cadru pentru activități de cercetare, dezvoltare tehnologică și demonstrative (2007-2013) și în cadrul programelor ulterioare acestora	(PLAN) 1.12. Diversificarea mecanismelor de finanțare pe termen lung a infrastructurii necesare în domeniul cercetării și asistenței medicale pentru bolile rare (PLAN)1.13. Asigurarea cooperării cu partenerii internaționali în vederea asigurării finanțării adecvate, garantarea durabilității pe termen lung pentru modernizarea diagnosticului și tratamentului pacienților cu boli rare (	Compatibil			Ministerul Sănătății