

# Harvinaisia sairauksia ja eurooppalaisia osaamisverkostoja koskeva Euroopan komission työ

Helmikuu 2026

## Tiesitkö?



Harvinaisia sairauksia koskevaan työhön osallistuu monia komission pääosastoja ja yksiköitä, jotka koordinoivat työtä ja asiantuntemusta yhdessä edistääkseen EU:n toimintaa harvinaisten sairauksien alalla monialaisesti ja yhteistyössä.

## Harvinaisia sairauksia koskevan EU:n työn määrittely



Terveyspolitiikka sekä terveyspalvelujen ja sairaanhoidon järjestäminen kuuluvat kansalliseen toimivaltaan. Komissio kuitenkin täydentää kansallisia politiikkoja ja kannustaa parhaiden käytäntöjen vaihtoon ja jäsenvaltioiden väliseen yhteistyöhön.



## Komission toiminta perustuu seuraaviin:

- [Harvinaisia sairauksia koskeva komission tiedonanto](#)
- [Neuvoston suositus toimista harvinaisten sairauksien alalla](#)
- [Rajatylittävästä terveydenhuollosta annettu direktiivi](#)

Tämä määrittää harvinaisia sairauksia koskevan työn parametrit kaikkialla EU:ssa kansanterveyden näkökulmasta. [Tutkimuksessa](#) EU on jo pitkään asettanut harvinaisten sairauksien käsittelyn etusijalle peräkkäisten tutkimuksen ja innovoinnin puiteohjelmien kautta, ja eurooppalaiset osaamisverkostot ovat osallistuneet tiiviisti useisiin [hankkeisiin](#) ja klinisiin tutkimuksiin.



## Harvinaislääkkeet (harvinaisten sairauksien hoitoon tarkoitetut lääkkeet) ja harvinaiseen sairauteen liittyvät lääkinnälliset laitteet

EU pyrkii parantamaan turvallisten ja tehokkaampien harvinaislääkkeiden ja harvinaiseen sairauteen liittyvien lääkinällisten laitteiden saatavuutta. Komissio on tarkistanut harvinaislääkkeitä koskevaa lainsäädäntöä ja ehdottanut muutoksia kaikkien 20 viime vuoden aikana havaittujen haasteiden ratkaisemiseksi.

Muutoksilla pyritään edistämään harvinaislääkkeiden kehittämistä sellaisia harvinaisia sairauksia varten, joihin ei ole saatavilla riittävästi hoitokeinoja. Tavoitteen saavuttamiseksi on tarkoitus käyttää kohdennettuja kannustimia, tehostaa sääntelyyn liittyvää tukea ja parantaa harvinaislääkkeiden yhdenvertaista saatavuutta.

Valmistajille annettiin vuonna 2024 [ohjeet](#) harvinaiseen sairauteen liittyvien lääkinällisten laitteiden kliinistä arviointia varten, jotta valmistajat voivat täyttää lääkinällisistä laitteista annetun EU:n asetuksen sääntelyvaatimukset. Näiden ohjeiden pohjalta Euroopan lääkevirasto käynnisti pilottiohjelman, jolla tuetaan harvinaiseen sairauteen liittyvien lääkinällisten laitteiden kehittämistä ja arviointia asiantuntijaraatien avustuksella.



## Tietojen saatavuus ja tietojen vaihto

Tuleva [eurooppalainen terveysdata-avaruus](#) parantaa potilaiden hoidon jatkuvuutta kansallisella ja Euroopan tasolla, sillä se mahdollistaa turvallisen pääsyn sähköisiin terveystietoihin ja näiden tietojen turvallisen siirtämisen kaikkialla EU:ssa. Eurooppalaisella terveysdata-avaruudella tuetaan datan toissijaista käyttöä lisäämällä tutkimus- ja innovointikäyttöön saataville annettavan harvinaisia sairauksia koskevan datan määrää. Datan saatavuuden paranemisen odotetaan nopeuttavan uusien hoitojen ja lääkkeiden kehittämistä harvinaista sairautta sairastavien potilaiden käyttöön.



## Eurooppalaiset osaamisverkostot

Komissio tehostaa 24:n eurooppalaisen osaamisverkoston työtä. Nämä rajatylittävät verkostot yhdistävät eurooppalaisia asiantuntija- ja osaamiskeskustoja, ja niiden pyrkimyksenä on käsitellä harvinaisia, esiintyvyydeltään alhaisia ja monitekijäisiä sairauksia, joiden hoitoon tarvitaan pitkälle erikoistunutta terveydenhuoltoa. Osaamisverkostot ovat keskeinen osa Euroopan terveysunionin harvinaisia sairauksia koskevaa työtä. Ne työskentelevät verkostojen koordinoinnin, potilasrekistereiden, koulutuksen, kliinisten hoitosuosittelujen ja viestinnän parissa harvinaisia sairauksia ja eurooppalaisten osaamisverkostojen toimintaa koskevan ymmärryksen lisäämiseksi.

# Miten eurooppalaisen osaamisverkoston hallinto on organisoitu?



## EU:n yhteistyö jäsenvaltioiden kanssa

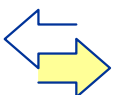
[Jäsenvaltioiden johtoryhmä](#) on kansallisten edustajien ryhmä, jonka tehtävänä on valvoa eurooppalaisia osaamisverkostoja. Ryhmän työhön kuuluu verkostojen ja jäsenyyslakemusten hyväksyminen, verkostojen lakkauttaminen ja jäsenyyden menettämisestä päättäminen. Komissio järjestää kahdesti vuodessa kokouksen jäsenvaltioiden johtoryhmän kanssa osaamisverkostojen työn ohjaamiseksi sekä tarvittaessa yksimielisyyden löytämiseksi päätöksentekoon liittyvissä seikoissa. Osaamisverkostoihin liittyvistä aiheista voidaan järjestää muita kokouksia.

## Yhteistyö



### Potilasjärjestöt

Olellaisen tärkeää on myös pitää potilaiden ja perheiden ääni harvinaisia sairauksia koskevan EU:n työn keskiössä. Tämän vuoksi komissio tekee yhteistyötä potilasjärjestöjen ja erityisesti voittoa tavoittelemattoman, yli tuhatta harvinaisten sairauksien potilasjärjestöä edustavan [EURORDIS](#)-yhteenliittymän kanssa. Potilasjärjestöt ovat esimerkiksi osa eurooppalaisten osaamisverkostojen työtä, ja EURORDIS on tärkeä kumppani monissa EU:n rahoittamissa hankkeissa, kuten [ERDERA](#)ssa ja [Screen4Caressa](#).



### Orphanet

Komissio tukee myös [Orphanet](#)-aloitetta eli digitaalista portaalia harvinaisia sairauksia koskevan tietämyksen keräämiseksi ja lisäämiseksi, jotta harvinaisia sairauksia sairastavien potilaiden diagnosointia ja hoitoa voidaan kehittää. Lisäksi Orphanet ylläpitää harvinaissairauksien [ORPHAcode](#)-nimikkeistöä, joka mahdollistaa harvinaisten sairauksien yhdenmukaisen kodifoinnin maailmanlaajuisesti.



## EU:n yhteistyö eurooppalaisten osaamisverkostojen kanssa

Komissio tekee myös tiivistä yhteistyötä verkostojen kanssa kokouksissa, joita järjestetään kaksi kertaa vuodessa [osaamisverkostojen koordinaattoreiden ryhmän](#) kanssa. Ryhmä koostuu kunkin osaamisverkoston koordinaattorista ja käsittelee kaikkien verkostojen yhteisiä, teknisiin ja organisatorisiin seikkoihin liittyviä näkökohtia. Koordinaattoreiden asiantuntemuksen vuoksi heitä pyydetään myös neuvomaan jäsenvaltioita ja komissiota.



## Ukrainan tukeminen harvinaisten sairauksien torjunnassa

Komissio seisoo Ukrainan rinnalla myös harvinaisten sairauksien alalla. Käytössä on kehys, jonka avulla ukrainalaiset terveydenhuollon tarjoajat voivat pyytää eurooppalaisten osaamisverkostojen jäseniltä neuvoja harvinaisista tai monitekijäisistä sairauksista kärsivien ukrainalaisten potilaiden hoitoa varten. Lisäksi osaamisverkostot sitoutuvat kehittämään valmiuksia ja välittämään parhaita käytäntöjä Ukrainan toimivaltaisille viranomaisille ja terveydenhuoltoyksiköille.

