

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 11/11/2008 - Document de base législatif

OBJECTIF : proposer une Recommandation européenne dans le domaine des maladies rares.

ACTE PROPOSÉ : Recommandation du Conseil.

CONTENU : on estime qu'entre 5.000 et 8.000 maladies rares différentes existent aujourd'hui et qu'elles touchent entre 6 et 8% de la population au cours de sa vie, soit entre 27 et 36 millions de citoyens de l'Union européenne. La plupart d'entre eux souffrent de maladies très peu fréquentes touchant une personne sur 100.000 ou moins. En raison de leur faible prévalence et de leur spécificité, les maladies rares nécessitent une approche globale reposant sur des efforts combinés particuliers afin d'empêcher une morbidité ou une mortalité précoce évitable importantes et d'améliorer la qualité de vie et le potentiel socio-économique des personnes concernées.

Les maladies rares étaient l'une des priorités du 6^{ème} programme-cadre de la Communauté européenne pour des actions de recherche, de développement technologique et de démonstration (2002-2006) et restent un domaine d'action prioritaire du nouveau programme, le 7^{ème} programme-cadre (2007-2013). La Commission a inscrit les maladies rares parmi ses domaines d'action prioritaires dans son [livre blanc](#) du 23 octobre 2007 intitulé «Ensemble pour la santé: une approche stratégique pour l'UE 2008-2013», qui définit la stratégie de l'Union en matière de santé.

La recommandation proposée invite les États membres à mener les actions suivantes :

Établir des plans nationaux de lutte contre les maladies rares afin de garantir aux patients atteints de maladies rares l'accès universel à des soins – y compris des diagnostics, des traitements et des médicaments orphelins – de qualité élevée sur l'ensemble de leur territoire national sur la base de l'équité et de la solidarité dans l'ensemble de l'UE, et en particulier. Cela implique : i) d'élaborer et d'adopter, d'ici la fin 2011, une stratégie globale et intégrée destinée à orienter et structurer toutes les actions pertinentes dans le domaine des maladies rares, sous la forme d'un plan national de lutte contre les maladies rares; ii) de prendre des mesures pour faire en sorte que toutes les initiatives actuelles et futures aux niveaux régional et national soient intégrées dans leur plan national; iii) de définir un nombre limité d'actions prioritaires au sein de leur plan national de lutte contre les maladies rares et de les assortir d'objectifs concrets, de délais clairs, de structures de gestion et de rapports réguliers; iv) de soutenir l'élaboration de lignes directrices et de recommandations pour la définition de l'action nationale dans le domaine des maladies rares par les autorités compétentes à l'échelon national, dans le cadre du projet européen de développement des plans nationaux de lutte contre les maladies rares (EUROPLAN), qui a été sélectionné pour bénéficier d'un financement au titre du programme de santé publique pendant la période 2007-2010 et qui est en cours actuellement; v) d'inclure dans leur plan national des dispositions destinées à garantir à tous les patients atteints de maladies rares, sur l'ensemble de leur territoire national, l'égalité d'accès à des soins de qualité élevée.

Définition, codification et recensement : i) appliquer une définition commune des maladies rares dans l'ensemble de l'Union européenne, en considérant comme telles les maladies qui ne touchent pas plus de cinq personnes sur 10.000; veiller à ce que les maladies rares fassent l'objet d'un codage et d'une traçabilité appropriés dans tous les systèmes d'information sur la santé, et contribuer ainsi à une reconnaissance adéquate de ces maladies dans les systèmes nationaux de soins de santé et de remboursement; contribuer à la création de l'inventaire dynamique des maladies rares de l'Union européenne ; soutenir, au niveau national ou régional, les réseaux d'information, les registres et les bases de données spécifiques relatifs aux maladies.

Recherche : i) recenser les projets de recherche en cours et les résultats de recherche existants afin de définir l'état des connaissances actuelles dans le domaine des maladies rares; ii) déterminer les besoins et les priorités pour ce qui est de la recherche fondamentale, clinique et translationnelle dans le domaine des maladies rares, ainsi que les priorités de la recherche sociale; iii) encourager la participation des chercheurs et des laboratoires nationaux aux projets de recherche sur les maladies rares financés au niveau communautaire; iv) inclure dans leur plan national de lutte contre les maladies rares des dispositions visant à favoriser la recherche, notamment sanitaire et sociale, dans le domaine des maladies rares, en particulier pour élaborer des outils tels que des infrastructures transversales ainsi que des projets spécifiques à certaines maladies.

Centres d'expertise et réseaux européens de référence: i) recenser les centres nationaux ou régionaux d'expertise sur l'ensemble de leur territoire national d'ici la fin 2011, et encourager la création de centres d'expertise lorsqu'ils sont inexistantes ; ii) encourager la participation des centres nationaux ou régionaux d'expertise aux réseaux européens de référence, et leur apporter un financement public adéquat à long terme ; iii) organiser des filières de soins pour les patients en instaurant une coopération avec les experts concernés établis dans le pays ou, au besoin, à l'étranger ; iv) veiller à ce que les centres adoptent une approche pluridisciplinaire des soins lorsqu'ils sont confrontés à des affections diverses et complexes comme les maladies rares, et encourager l'intégration des niveaux médical et social au sein des centres; v) faire en sorte que les centres nationaux ou régionaux d'expertise respectent les normes définies par les réseaux européens de référence pour les maladies rares.

Mise en commun, au niveau européen, de l'expertise : il s'agit de mettre en place des mécanismes permettant de réunir l'expertise nationale dans le domaine des maladies rares et de la mettre en commun avec celle des autres pays européens afin de soutenir l'élaboration: i) de recommandations et de protocoles communs, comme les avis européens de référence sur les outils diagnostiques, les soins médicaux, l'éducation et la prise en charge des personnes dépendantes ; ii) de lignes directrices européennes relatives au dépistage au sein de la population et aux tests diagnostiques ; iii) d'un système de partage au niveau communautaire des rapports d'évaluation des États membres sur la valeur ajoutée thérapeutique des médicaments orphelins, afin de réduire autant que possible les délais d'attente des patients.

Responsabilisation des associations de patients : i) prendre des mesures pour faire en sorte que les patients et leurs représentants soient dûment consultés à chaque étape des processus d'élaboration des politiques et de décision dans le domaine des maladies rares ; ii) soutenir les activités des associations de patients, comme celles visant à la sensibilisation, au renforcement des capacités et à la formation, à l'échange d'informations et de bonnes pratiques, à la création de réseaux et à l'extension des services aux patients très isolés; iii) inclure dans leur plan national de lutte contre les maladies rares des dispositions relatives à la consultation des associations de patients et au soutien de leurs activités.

Viabilité : i) garantir, à l'aide de mécanismes de financement adéquats, la viabilité à long terme des infrastructures de recherche comme les biobanques, les bases de données et les registres, des infrastructures de soins de santé comme les centres d'expertise ainsi que des réseaux européens de référence pour les maladies rares; ii) coopérer entre eux pour assurer la viabilité nécessaire des infrastructures de recherche à l'échelle européenne, communes à tous les États membres ainsi qu'au plus grand nombre possible de maladies rares; inclure dans leur plan national de lutte contre les maladies rares des dispositions relatives à la nécessité de résoudre le problème de la viabilité financière des activités dans le domaine des maladies rares.

La Commission devrait élaborer, à l'intention du Conseil, du Parlement européen, du Comité économique et social européen et du Comité des régions, un **rapport** relatif à l'application de la présente recommandation, sur la base des informations fournies par les États membres, au plus tard à la fin de la cinquième année suivant la date d'adoption de la recommandation, afin d'examiner si les mesures proposées sont efficaces et si d'autres mesures sont nécessaires.

