

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 11/11/2008 - Document annexé à la procédure

Par la présente communication et la proposition de recommandation du Conseil qui l'accompagne, la Commission vise à mettre en place cette stratégie globale pour les maladies rares. Les maladies rares sont celles dont la prévalence est particulièrement faible: l'Union européenne considère qu'une maladie est rare lorsqu'elle ne touche pas plus de 5 personnes sur 10.000 sur son territoire. Cela signifie malgré tout que 5.000 à 8.000 maladies rares différentes touchent ou toucheront une population estimée à 29 millions de personnes dans l'Union.

La Commission a déjà pris des mesures spécifiques dans de nombreux domaines pour faire face aux problèmes posés par ces maladies. S'appuyant sur ces résultats, la présente communication sur le défi que constituent les maladies rares pour l'Europe se veut un document prônant une approche intégrée et fournissant des orientations claires pour les activités présentes et futures de la Communauté dans ce domaine.

Objectif à atteindre : l'objectif de la présente communication est de définir une stratégie communautaire globale pour aider les États membres à faire en sorte qu'en Europe, la reconnaissance, la prévention, le diagnostic, le traitement, les soins et la recherche concernant les maladies rares soient efficaces et performants. Dans cette perspective, les mesures opérationnelles sont réparties en trois grands domaines de travail :

- **améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares :** la condition essentielle pour parvenir à de meilleures stratégies d'ensemble pour les maladies rares est la reconnaissance de ces maladies, dont dépend l'adoption de toutes les autres mesures appropriées. Afin d'améliorer le diagnostic et les soins dans ce domaine, l'identification adéquate des maladies rares doit s'accompagner d'informations exactes, fournies et diffusées sous forme d'inventaires et de répertoires adaptés aux besoins des professionnels et des personnes atteintes. La Commission souhaite donc mettre en place au niveau européen un système de codification et de classification détaillé qui fournira le cadre pour un meilleur partage des connaissances et une meilleure compréhension des aspects scientifiques et de santé publique liés aux maladies rares dans l'Union européenne ;

- **soutenir les politiques concernant les maladies rares dans les États membres :** la Commission propose que les États membres se fondent sur une approche commune de la lutte contre les maladies rares, reposant sur les meilleures pratiques existantes, par l'adoption d'une recommandation du Conseil. La proposition de recommandation du Conseil soumise par la Commission avec la présente communication préconise que les États membres mettent en place des stratégies axées sur un certain nombre d'aspects (voir résumé du COM(2008)0726) ;

- **développer la coopération, la coordination et la réglementation européennes dans le domaine des maladies rares :** l'action communautaire aidera les États membres à être efficaces en regroupant et en organisant leurs faibles ressources et pourra aider les patients et les professionnels des différents États membres à collaborer pour partager et coordonner l'expertise et les informations. La Communauté s'efforcera de mieux coordonner les politiques et les initiatives au niveau communautaire, et de renforcer la coopération entre les programmes de l'Union afin de tirer le meilleur profit des ressources disponibles.

Mesures opérationnelles visant à améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares :

- une définition plus précise des maladies rares tenant compte à la fois de la prévalence et de l'incidence sera élaborée grâce aux ressources du programme communautaire dans le domaine de la santé, avec une prise en compte de la dimension internationale du problème ;
- la Commission créera un groupe de travail sur la classification et la codification des maladies rares, qui pourrait être désigné par l'OMS comme groupe de travail consultatif dans le cadre du processus de révision de la Classification internationale des maladies (CIM) ;
- des actions concernant les réseaux spécifiques d'information sur les maladies, existants (ou futurs) viseront à garantir l'échange d'informations grâce aux réseaux d'information européens existants, à élaborer des données épidémiologiques comparables au niveau communautaire et à soutenir l'échange de bonnes pratiques et développer des mesures pour des groupes de patients.

Mesures opérationnelles visant à accroître la coopération européenne et à améliorer l'accès à des soins de santé de qualité dans le domaine des maladies rares. Ces mesures visent : i) l'amélioration de l'accès universel à des soins de santé de qualité pour les maladies rares, notamment par la mise en place de centres d'expertise nationaux/régionaux et l'établissement de réseaux de référence au niveau de l'UE ; ii) l'accès à des services sociaux spécialisés ; iii) l'accès aux médicaments orphelins ; iv) l'amélioration du système de délivrance de médicaments aux patients atteints de maladies rares avant l'autorisation et/ou le remboursement (ce qu'on appelle «usage compassionnel») de nouveaux médicaments ; v) des mesures d'incitation pour le développement de médicaments orphelins ; vi) le développement de la santé en ligne (services électroniques en ligne développés par Orphanet, télémédecine, recherches financées au titre du 7^{ème} programme-cadre dans le domaine de la modélisation assistée par ordinateur des processus physiologiques et pathologiques) ; viii) le dépistage de la phénylcétonurie et de l'hypothyroïdie congénitale chez les nouveau-nés ; ix) la gestion de la qualité des laboratoires de diagnostic ; x) des efforts de collaboration visant à entreprendre et poursuivre la collecte de données.

La Commission devrait être assistée par un comité consultatif de l'Union européenne sur les maladies rares (CCUEMR), chargé de la conseiller sur la mise en œuvre de la présente communication. Ce comité sera présidé par la Commission européenne et secondé par un secrétariat scientifique financé par le programme de santé publique. Il remplacera l'actuelle task-force de l'Union européenne sur les maladies rares.