

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 05/09/2014 - Document de suivi

La Commission a adopté un rapport concernant le suivi de la communication intitulée «Les maladies rares: un défi pour l'Europe et de la recommandation du Conseil relative à une action dans le domaine des maladies rares.

Les maladies rares touchent entre **27 et 36 millions de personnes dans l'Union européenne** et sont un domaine prioritaire de la politique de santé de l'Union. En vue de renforcer la dimension européenne et la collaboration entre États membres dans ce domaine, la Commission a adopté en 2008 une [communication](#) qui définit une stratégie globale pour aider les États membres à diagnostiquer, traiter et soigner les citoyens européens atteints d'une maladie rare. En parallèle, une [recommandation du Conseil](#) relative à une action dans le domaine des maladies rares a été adoptée en 2009; elle invitait les États membres à mettre en place des stratégies nationales.

La [directive 2011/24/UE](#) relative à l'application des droits des patients en matière de soins de santé transfrontaliers traite également des maladies rares, de même que règlement (CE) n° 141/2000 concernant les médicaments orphelins. Une **task-force** sur les maladies rares a également été créée au sein de la Commission.

Les États membres se sont engagés, dans le contexte de l'action à l'échelon communautaire, à utiliser la définition commune suivante: **toute maladie ne touchant pas plus de 5 personnes sur 10.000.**

Le présent rapport livre un **bilan d'application de la stratégie sur les maladies rares** à ce jour et fait le point sur les progrès réalisés et sur les enseignements ainsi acquis. Il note que dans l'ensemble, **les objectifs de la communication et de la recommandation du Conseil ont été atteints**. Ces deux actes ont permis de **renforcer la collaboration** entre l'Union européenne, les États membres et toutes les parties prenantes concernées.

Plans et stratégies : la Commission a **favorisé l'échange d'enseignements** afin d'aider les États membres à développer leurs plans ou stratégies d'ordre national pour les maladies rares. Le projet **EUROPLAN** au titre du programme de l'Union en matière de santé, qui s'est déroulé d'avril 2008 à mars 2011, a rassemblé les représentants des autorités sanitaires nationales de **21 États membres** et a réuni 57 partenaires associés ou collaborateurs de 34 pays. Il a donné lieu à un rapport sur les **indicateurs de suivi** de l'application et d'analyse des incidences d'un plan ou d'une stratégie d'ordre national pour les maladies rares.

Cet échange d'enseignements a permis à beaucoup d'États membres d'élaborer des plans spécifiques pour lutter contre les maladies rares: **seize États membres ont désormais un tel plan** (contre seulement quatre en 2008), et sept autres pays sont bien avancés dans l'élaboration de leurs plans ou stratégies.

L'Union a financé à hauteur de 620 millions EUR près de **120 projets de recherche collaborative** en lien avec les maladies rares via son septième programme-cadre pour des actions d'innovation et de développement technologique (PC7). Ces projets portent sur différents domaines, tels que la neurologie, l'immunologie, l'oncologie, la pneumologie et la dermatologie.

En collaboration avec ses partenaires nationaux et internationaux, la Commission européenne a piloté le lancement du **Consortium international dédié à la recherche sur les maladies rares (IRDiRC)** début 2011. Les objectifs clés du Consortium étaient de fournir, d'ici à 2020, deux cents nouvelles thérapies pour les maladies rares et de développer les moyens de diagnostiquer la plupart de ces maladies.

A noter que le Centre commun de recherche de la Commission européenne élabore actuellement une **plate-forme européenne pour l'enregistrement des maladies rares**. Les principaux objectifs de cette plate-forme sont de fournir un point central d'accès aux informations sur les **registres de patients** atteints de maladies rares. En janvier 2014, il y avait 588 registres des maladies rares répartis comme suit: 35 mondiaux, 62 européens, 423 nationaux, 65 régionaux et 3 indéterminés.

Actions futures : malgré des progrès encourageants, **des progrès restent à accomplir**. Certains États membres ne disposent toujours pas d'un plan ou d'une stratégie d'ordre national. La majorité des autres n'en sont qu'à leurs débuts et leurs progrès doivent être suivis de près. C'est la raison pour laquelle les actions dans le domaine des maladies rares figurent en bonne place dans le nouveau [programme en matière de santé](#) comme dans le nouveau programme de recherche et d'innovation de l'Union «Horizon 2020».

Les actions suivantes sont envisagées pour continuer l'accompagnement des États membres:

- maintenir le rôle coordonnateur de l'Union dans l'évolution de la politique européenne sur les maladies rares ;
- soutenir la mise sur pied de plans ou stratégies d'ordre national de qualité dans le domaine des maladies rares dans l'Union européenne ;
- fournir une aide continue au Consortium international dédié à la recherche sur les maladies rares ;
- garantir une bonne codification des maladies rares ;
- réduire les inégalités entre les patients atteints de maladies rares et les patients souffrant de troubles plus courants, et soutenir les initiatives promouvant l'égalité d'accès au diagnostic et au traitement;
- promouvoir l'autonomie des patients ;
- poursuivre les activités de sensibilisation aux maladies rares ;
- réunir les réseaux de référence européens sur les maladies rares et soutenir la conception d'outils pour faciliter la collaboration et l'interopérabilité des réseaux ;
- stimuler l'utilisation de solutions de santé en ligne dans le domaine des maladies rares;
- soutenir la plate-forme européenne pour l'enregistrement des maladies rares;
- continuer de jouer un rôle à l'échelle internationale dans les initiatives sur les maladies rares.