Informations de base

2008/0218(CNS) CNS - Procédure de consultation Recommandation	Procédure terminée
Maladies rares: action européenne **Subject** 4.20.01 Médecine, maladies	

Acteurs principaux

Parlement européen

Commission au fond	Rapporteur(e)	Date de nomination
ENVI Environnement, santé publique et sécurité alimentaire	TRAKATELLIS Antonios (PPE-DE)	04/12/2008

Commission pour avis	Rapporteur(e) pour avis	Date de nomination
ITRE Industrie, recherche et énergie	GROSSETÊTE Françoise (PPE-DE)	02/12/2008

Conseil de l'Union européenne

Formation du Conseil	Réunions	Date
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2947	2009-06-08
Emploi, politique sociale, santé et consommateurs	2916	2008-12-16

Commission européenne

DG de la Commission	Commissaire
Santé et sécurité alimentaire	VASSILIOU Androulla

Evénements clés

Date	Evénement	Référence	Résumé
11/11/2008	Publication de la proposition législative	COM(2008)0726	Résumé
04/12/2008	Annonce en plénière de la saisine de la commission		
16/12/2008	Débat au Conseil		Résumé
31/03/2009	Vote en commission		Résumé
03/04/2009	Dépôt du rapport de la commission, 1ère lecture/lecture unique	A6-0231/2009	

23/04/2009	Décision du Parlement	T6-0288/2009	Résumé
23/04/2009	Résultat du vote au parlement		
23/04/2009	Débat en plénière		
08/06/2009	Adoption de l'acte par le Conseil suite à la consultation du Parlement		
08/06/2009	Fin de la procédure au Parlement		
03/07/2009	Publication de l'acte final au Journal officiel		

Informations techniques

Référence de la procédure	2008/0218(CNS)
Type de procédure	CNS - Procédure de consultation
Sous-type de procédure	Note thématique
Instrument législatif	Recommandation
État de la procédure	Procédure terminée
Dossier de la commission	ENVI/6/69817

Portail de documentation

Parlement Européen

Type de document	Commission	Référence	Date	Résumé
Projet de rapport de la commission		PE420.052	04/02/2009	
Amendements déposés en commission		PE421.262	04/03/2009	
Avis de la commission	ITRE	PE418.380	10/03/2009	
Rapport déposé de la commission, 1ère lecture/lecture unique		A6-0231/2009	03/04/2009	
Texte adopté du Parlement, 1ère lecture/lecture unique		T6-0288/2009	23/04/2009	Résumé

Commission Européenne

Type de document	Référence	Date	Résumé
Document annexé à la procédure	COM(2008)0679	11/11/2008	Résumé
Document de base législatif	COM(2008)0726	11/11/2008	Résumé
Document annexé à la procédure	SEC(2008)2712	11/11/2008	
Document annexé à la procédure	SEC(2008)2713	11/11/2008	
Réaction de la Commission sur le texte adopté en plénière	SP(2009)3507	25/06/2009	
Document de suivi	C(2009)9181	30/11/2009	

Document de suivi	COM(2014)0548	05/09/2014	Résumé

Autres Institutions et organes

Institution/organe	Type de document	Référence	Date	Résumé
EESC	Comité économique et social: avis, rapport	CES0346/2009	25/02/2009	

Informations complémentaires

Source	Document	Date
Commission européenne	EUR-Lex	

Acte final

Recommandation PE/Conseil 2009/0703(02)
JO C 151 03.07.2009, p. 0007 Résumé

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) nº 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.

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 a santé en ligne (services électroniques en ligne développés par Orphanet, télémédecine, recherches financées au titre du 7ème 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.

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 16/12/2008

Le Conseil a tenu un premier **échange de vues** sur la proposition de recommandation du Conseil relative à une action européenne dans le domaine des maladies rares.

L'ensemble des délégations ayant pris la parole a félicité la Commission pour cette initiative. Plusieurs ministres ont mentionné leurs plans d'action nationaux et ont demandé que les ressources et les structures qui y sont prévues soient prises en compte lors de l'adoption de la recommandation. Les ministres ont partagé le point de vue que les spécificités des maladies rares en font un domaine où l'Europe pourrait apporter une forte valeur ajoutée.

Il faut rappeler que l'Union européenne a amorcé une politique dans ce domaine en adoptant en 1999 le règlement concernant les médicaments orphelins. Parallèlement à sa communication « Les maladies rares: un défi pour l'Europe » (COM(2008)0679) qui définit une stratégie communautaire globale, la Commission propose au Conseil d'adopter, dans la recommandation, une approche commune de lutte contre les maladies rares, reposant sur les meilleures pratiques existantes.

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 08/06/2009 - Acte final

OBJECTIF : inciter les États membres à prendre des mesures en vue de lutter contre les maladies rares.

ACTE : Recommandation du Conseil relative à une action dans le domaine des maladies rares.

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. 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». Les maladies rares restent en outre un domaine d'action prioritaire du septième programme-cadre pour la recherche et le développement.

Dans ce contexte, la recommandation du Conseil invite les États membres à mener les actions suivantes :

Établir et mettre en œuvre des plans ou des stratégies de lutte contre les maladies rares en vue de garantir aux patients atteints d'une maladie rare l'accès à des soins de qualité élevée, y compris des diagnostics, des traitements, le fait d'apprendre à vivre avec la maladie et, si possible, des médicaments orphelins efficaces. Cela implique notamment : i) d'adopter, de préférence avant la fin 2013, un plan ou une stratégie visant à orienter et structurer les actions dans le domaine des maladies rares dans le cadre de leurs systèmes de santé et de leurs systèmes sociaux; ii) de prendre des mesures pour intégrer les initiatives actuelles et futures aux niveaux local, régional et national dans leurs plans ou stratégies, dans la perspective d'une approche globale.

Définition, codification et recensement : i) appliquer, aux fins de l'élaboration de politiques au niveau communautaire, une définition commune des maladies rares; ii) veiller à ce que les maladies rares fassent l'objet d'un codage et d'une traçabilité 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; iii)

contribuer à l'élaboration de l'inventaire de l'Union pour les maladies rares sur la base du réseau Orphanet et d'autres réseaux existants; iv) soutenir à tous les niveaux les réseaux d'information 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; ii) déterminer les besoins et les priorités pour ce qui est de la recherche fondamentale, clinique, translationnelle et sociale; iii) encourager la participation des chercheurs et des laboratoires nationaux aux projets de recherche financés au niveau communautaire; iv) inclure dans les plans ou stratégies des dispositions visant à favoriser la recherche dans le domaine des maladies rares; v) faciliter la coopération dans le domaine de la recherche avec les pays tiers actifs dans la recherche sur les maladies rares.

Centres d'expertise et réseaux européens de référence: i) recenser les centres d'expertise qualifiés sur l'ensemble de leur territoire national d'ici à la fin 2013 et envisager de soutenir la création de tels centres; ii) organiser des filières de soins pour les patients atteints d'une maladie rare ; iii) favoriser la télémédecine pour garantir l'accès à distance aux soins de santé spécifiques requis; iv) encourager les centres d'expertise à adopter une approche pluridisciplinaire des soins lorsqu'ils sont confrontés à des maladies rares.

Mise en commun, au niveau européen, de l'expertise nationale afin de soutenir: i) l'échange des meilleures pratiques relatives aux outils diagnostiques et aux soins médicaux ainsi qu'à l'éducation et l'assistance sociale dans le domaine des maladies rares; ii) un enseignement adapté et une formation appropriée pour tous les professionnels de la santé ; iii) la mise au point d'une formation médicale dans des domaines liés au diagnostic et à la gestion des maladies rares ; iv) l'élaboration de lignes directrices européennes relatives aux tests diagnostiques ou au dépistage au sein de la population.

Responsabilisation des associations de patients : consulter les patients et leurs représentants sur les politiques dans le domaine des maladies rares, faciliter l'accès des patients à des informations mises à jour et promouvoir les activités des associations de patients.

Viabilité : chercher à assurer, au moyen des mécanismes de financement et de coopération, la viabilité à long terme des infrastructures mises en place dans les domaines de l'information, de la recherche et des soins de santé pour les maladies rares.

La Commission est invitée à élaborer d'ici à la fin 2013, un rapport relatif à l'application de la recommandation, sur la base des informations fournies par les États membres, afin d'examiner si les mesures proposées sont efficaces et si d'autres mesures sont nécessaires pour améliorer les conditions de vie des patients atteints d'une maladie rare et celles de leurs familles. Le Conseil demande également à être informé des suites données à la communication de la Commission sur les maladies rares.

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 6ème 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 7ème 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 inexistants ; 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.

Maladies rares: action européenne

2008/0218(CNS) - 23/04/2009 - Texte adopté du Parlement, 1ère lecture/lecture unique

Le Parlement européen a adopté par 383 voix pour, 116 voix contre et 15 abstentions, une résolution législative modifiant, dans le cadre de la procédure de consultation, la proposition de recommandation du Conseil relative à une action européenne dans le domaine des maladies rares.

Les députés souhaitent que les États membres élaborent et adoptent, **d'ici la fin 2010** (plutôt que 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.

Les principaux amendements portent sur les recommandations aux États membres et soulignent les points suivants :

- les plans nationaux devraient inclure des mesures de prévention primaire, ainsi que la **rééducation** et le fait d'apprendre à vivre avec la maladie ;
- les actions prioritaires devraient être assorties de **financements significatifs** et bien identifiés.

Le Parlement adresse une série de nouvelles recommandations aux États membres, invitant ces derniers à :

- déclarer s'ils sont dotés de **centres spécialisés** et s'ils disposent d'un catalogue d'experts ;
- encourager les efforts consentis pour **prévenir les maladies rares qui sont héréditaires**, via: a) des conseils génétiques aux parents porteurs de la maladie; et b) lorsque cela s'impose, sans préjudice de la législation nationale existante et toujours sur une base volontaire, une sélection d'embryons sains avant l'implantation ;

- prévoir des **mesures exceptionnelles relatives à la mise à disposition de médicaments n'ayant pas d'autorisation de mise sur le marché** lorsqu'il y a un réel besoin de santé publique; et, en l'absence d'alternative thérapeutique appropriée et disponible dans un État membre et lorsque le rapport bénéfice/risque est présumé positif, faire en sorte que l'accès aux médicaments soit donné aux patients atteints de pathologies rares ;
- mettre sur pied au niveau national des **groupes consultatifs pluralistes** réunissant toutes les parties concernées pour orienter les gouvernements dans l'établissement et la mise en œuvre de plans d'action nationaux ;
- encourager le **financement du traitement des maladies rares à l'échelle nationale**. Lorsque des États membres ne souhaitent pas ou ne peuvent pas avoir des centres d'excellence, ce fonds central national devrait être utilisé pour garantir que les patients peuvent se rendre dans un centre établi dans un autre pays ;
- soutenir, en particulier par des moyens financiers, au niveau européen, national ou régional, **les réseaux d'information, les registres et les bases de données** spécifiques relatifs aux maladies, où figurent notamment des informations régulièrement mises à jour accessibles au public par l'internet;
- encourager le **partage des connaissances et la coopération** entre, d'une part, les chercheurs, les laboratoires et les projets de recherche de l'Union européenne et, d'autre part, les institutions analogues dans les pays tiers, afin de dégager des avantages non seulement pour l'Union, mais aussi pour les pays pauvres ;
- mettre en place un financement adéquat et à long terme, notamment via des **partenariats public-privé**, afin de soutenir les efforts de recherche aux niveaux national et européen et d'en garantir la viabilité;
- encourager, éventuellement moyennant un financement ou un cofinancement de l'Union européenne, les centres et les hôpitaux d'expertise à mettre sur pied pour les professionnels **une formation spécifique** sur certaines maladies rares ;
- les lignes directrices européennes relatives au dépistage au sein de la population et aux tests diagnostiques devraient **inclure les tests génétiques** comme le test de dépistage de l'hétérozygote et le diagnostic par biopsie du corps polaire, qui garantissent une expérimentation de très haute qualité et la possibilité d'apporter des conseils génétiques adaptés, tout en respectant la diversité éthique au sein des États membres ;
- garantir que des financements soient prévus pour les organisations de patients qui ne soient pas directement liés à une société pharmaceutique particulière et **faciliter l'accès des patients aux informations** qui existent au niveau européen concernant les médicaments et les traitements.

La Commission devrait pour sa part soutenir, de manière durable, « **Orphanet** », site internet et « guichet unique » européen fournissant des informations sur: les travaux de recherche sur les maladies rares, leurs résultats et la manière dont les patients peuvent en disposer; les médicaments disponibles pour chaque maladie rare; les traitements disponibles dans chaque État membre pour les différentes maladies rares; les centres médicaux spécialisés dans le traitement des maladies rares dans les États membres et dans les pays tiers.

Enfin, la Commission devrait présenter son **rapport sur l'application de la recommandation**, sur la base des informations fournies par les États membres, au plus tard à la fin de 2012, année où elle proposera les mesures d'exécution couvrant notamment: a) les mesures budgétaires nécessaires à l'efficacité du programme communautaire relatif aux maladies rares; b) la création de réseaux pertinents de centres d'expertise; c) la collecte de données épidémiologiques sur les maladies rares; d) la mobilité des experts et des professionnels; e) la mobilité des patients; et f) l'examen de la nécessité d'entreprendre d'autres actions pour améliorer la vie des patients atteints de maladies rares et de leurs familles.