



Association Histiocytose France
BP 60740
77017 Melun Cedex
Tél. /Fax : 01 60 66 93 77
asso.histiocytose@voila.fr
www.histiocytose.org

Association membre de Eurordis
et de Alliance Maladies Rares, France

CONSULTATION PUBLIQUE DE LA COMMISSION EUROPEENNE SUR LES MALADIES RARES

L'Association Histiocytose France remercie la Commission européenne pour son initiative de mener une enquête publique sur le sujet des maladies rares en vue d'une communication. En effet, nous pensons que tous les acteurs du domaine des maladies rares en particulier, doivent participer à l'élaboration d'une politique nationale des états ainsi qu'à celle commune européenne.

Nous félicitons la Commission Européenne pour son projet visant à améliorer la condition de nos malades.

En France, grâce à l'expérience du Plan National Maladies Rares, nous avons constaté une avancée sur de nombreux sujets concernant les maladies rares, même si des problèmes demeurent.

C'est pourquoi nous espérons vivement la poursuite du Plan National Maladies Rares dans notre pays au-delà de 2008 et la mise en place d'un tel plan d'action dans les autres pays membres de l'UE. C'est pour nous la certitude que tous les efforts seront maintenus, les moyens pérennes, et que des avancées nouvelles seront trouvées grâce à la synergie créée par la collaboration de tous en Europe pour le bien de très nombreux malades. En effet, les recherches menées sur des maladies rares, et l'histiocytose en particulier, contribuent également à la connaissance de maladies plus fréquentes.

Question 1 : La définition actuelle des maladies rares dans l'UE est-elle satisfaisante?

► **Nous souhaitons le maintien de cette définition.**

C'est la définition utilisée actuellement dans les différentes institutions européennes et dans tous les documents officiels au niveau européen, ainsi que dans la majorité des Etats membres. C'est aussi celle utilisée en France pour l'établissement des centres de référence.

Question 2 : Reconnaissez-vous la nécessité pressante d'améliorer la codification et la classification dans ce domaine?

► **Oui, il y a urgence pour une bonne prise en compte des maladies rares.**

L'absence de données statistiques est un frein à la prise en compte de nos maladies.

Question 3 : Un inventaire européen des maladies rares permettrait-il à votre système national/régional de mieux appréhender ces maladies ?

► **Oui, il est important qu'un inventaire soit tenu à jour avec une aide à la recherche documentaire. Il est impératif que tous les professionnels puissent avoir connaissance des informations sur les maladies rares quand ils la recherchent mais aussi que la publicité des moyens d'information soit faite partout. Par exemple campagne nationale pour la connaissance des maladies rares et des organismes qui s'en occupent.**

Question 4 : Les réseaux européens de référence devraient-ils privilégier le transfert des connaissances? La mobilité des patients? Les deux? De quelle manière?

Question 5 : Des outils électroniques en ligne devraient-ils être mis en place dans ce domaine?

► **Assurément, la mise en place de réseaux européens de centres de référence pour les maladies rares et le développement des technologies électroniques permettant des services en ligne aux professionnels, chercheurs et associations de malades (cf. le projet ‘histio net’ déposé auprès de la DG Sanco pour l’histiocytose – coordinateur Dr Jean Donadieu -Centre de référence français pour l’histiocytose en pédiatrie) vont dans l’idéal permettre aux patients de ne pas se déplacer et pouvoir assurer une prise en charge maximale adéquate au plus près des malades.**

Toutefois, nous souhaitons que les malades puissent quand cela est nécessaire, avoir la possibilité de consulter dans un autre lieu en Europe que leur propre pays. Le coût devant être supporté par un système de solidarité nationale ou aide sur des fonds européens (ex. sécurité sociale, mutuelle, aide particulière, partenariat, fonds dédiés...)

Question 8 : A propos des médicaments.

► **Tout d’abord, nous voulons souligner l’importance qu’il y a parfois à ‘soutenir’ le maintien de médicaments existants qui, bien que prévus pour une autre indication, ont fait la preuve de leur efficacité pour certaines maladies rares et cessent d’être produits pour cause de ‘non rentabilité’.**

Par exemple pour notre maladie sous sa forme cutanée, l’application d’une pommade en chimio locale donnait de bons résultats en France et cela depuis 40 ans sans effets secondaires. Nos enfants, en l’absence de fabrication de ce produit doivent subir une chimio générale beaucoup plus contraignante. C’est inacceptable pour les familles.

Question 8 : D’après vous, la solution aux problèmes d’accessibilité aux médicaments orphelins devrait-elle être trouvée à l’échelon national ou à l’échelon communautaire?

► **Il est fondamental que tous les malades puissent avoir accès aux médicaments orphelins pour leur maladie. Un recours doit être mis en place au niveau UE si la question ne peut être traitée à l’échelon national.**

Une évaluation à l’échelon européen de la valeur ajoutée médicale des nouveaux médicaments devrait permettre une incitation plus grande dans les états où l’accès est difficile voire impossible. La possibilité d’accès doit être facilitée d’un état à l’autre grâce à la mise en place de protocoles de soins établis en commun ou existant dans un état, quelque soit le pays du demandeur du médicament.

Question 10 : Quels sont les types de services sociaux et éducatifs destinés aux patients de maladies rares et à leur famille qui devraient être recommandés au niveau de l’UE et au niveau national ?

► **Comme beaucoup d’autres, nous rencontrons de grandes difficultés pour la prise en charge psychologique de nos malades atteints des formes chroniques de la maladie histiocytose et des formes neurologiques, neuro tumorales et dégénératives. L’évaluation et la prise en compte de ces problèmes ne sont pas encore réalisés, les structures d’accueil, de prise en charge hors familles manquent cruellement ainsi que les simples possibilités d’activités extérieures.**

Il est urgent que l’UE et les états membres participent à la mise en place des recommandations pour une vie décente pour toutes ces malades et familles.

Une aide financière de l’UE est au-delà du constat, indispensable pour des plans d’action en faveur des personnes handicapées mais pas seulement. Nos malades atteints de manière chronique sont souvent dans l’attente de réponses à leur mauvaise qualité de vie imposée par la maladie et sans ‘reconnaissance handicapé’.

Question 11 : Quels sont le modèle de gouvernance et le régime de financement qui s'appliqueraient le mieux aux registres, aux bases de données et aux banques de données biologiques?

► **Les registres, les bases de données et les collections d'échantillons biologiques doivent pouvoir bénéficier de financements de long terme au plan national et européen. Cependant, nous ne voulons pas que ces biens communs ne trouvent de financement qu'auprès des industriels du médicament, car ce sont des outils au service de multiples acteurs qui représentent des « trésors » publics. Leur établissement se fait généralement grâce au soutien des associations de malades qui participent non seulement au financement initial mais organisent aussi la collecte des données et des échantillons. De ce fait, les patients doivent être associés à la gestion des registres de patients et des banques de données. Les patients sont plus que des fournisseurs de matériel biologique, et ont le droit de participer aux prises de décisions qui les concernent directement tant au niveau national que communautaire.**

Question 12 : Comment percevez-vous le rôle des partenaires (industrie et organismes de bienfaisance) dans le cadre d'une action européenne dans le domaine des maladies rares? Quel serait le modèle le plus approprié?

► **Nous défendons le modèle de l'engagement de l'Etat dans le financement des actions de santé publique et de recherche mais pensons aussi que les défis nécessitent une mobilisation de tous les acteurs y compris des industriels et des organisations caritatives. Cependant il faut veiller à ce que l'intérêt public prévale.**

Question 13 : Êtes-vous d'accord avec l'idée d'établir des plans d'action? Si oui, ces plans devraient-ils être établis au niveau national ou au niveau des régions de votre pays?

► **Pour établir des plans d'action, il est important d'avoir en premier une concertation nationale mais pour des pays vastes une concertation régionale doit avoir lieu également car la prise en charge des malades au quotidien se fait au plus près du domicile. En France un plan national maladies rares a été mis en place mais se termine en 2008. Nous souhaitons que les actions entreprises perdurent au-delà du plan car elles ont fait progresser la situation.**

Question 14 : Pensez-vous qu'il soit nécessaire de créer une nouvelle agence européenne pour les maladies rares et de lancer une étude de faisabilité en 2009?

► **Compte tenu de ce que nous avons mentionné plus haut, nous sommes favorables à la création d'une agence européenne des maladies rares. Il est cependant impératif que celle-ci dispose des moyens financiers nécessaires pour pérenniser les actions entreprises. Ce qui nous semble important c'est d'assurer une politique à long terme dans les différents domaines :**

- **domaine de l'information : soutien à Orphanet et aux réseaux européens de maladies**
- **domaine de la recherche et de ses infrastructures : réseaux de recherche, registres, banque biologiques, plates-formes technologiques ...**
- **domaine de la prise en charge des malades : réseaux européens de centres de référence, médicaments.**

En effet, actuellement le financement de ces activités dépend d'appels d'offre et de l'attribution de fonds sur la base de projets qu'il faut régulièrement déposer et pour lesquels il faut se battre tous les 3 ou 5 ans.

Pour le domaine précis de la recherche, des synergies doivent impérativement être incitées au niveau européen, par la possibilité d'obtention des fonds nécessaires et pérennes fournis à ce niveau. Afin que les progrès espérés par des millions de malades aboutissent à la connaissance de leur maladie et leur propose les traitements spécifiques pour leur meilleure santé... personnelle et de tous.