



INFLAM'ŒIL

13 rue Dubrunfaut

75012 Paris

www.inflamoeil.org

inflamoeil@yahoo.fr

Tél : 33 (0)1 74 05 74 23

Le 7 Avril 2008

CONSULTATION PUBLIQUE DE LA COMMISSION EUROPEENNE SUR LES MALADIES RARES

Réponse de l'Association INFLAM'ŒIL

L'Association Inflamm'œil, association de malades souffrant d'inflammation oculaire ou uvéite, membre de l'Alliance Maladies Rares, apprécie beaucoup la démarche de la Commission européenne et la remercie pour ses initiatives présentes et futures en faveur des maladies rares.

Notre sentiment général est que l'Europe devrait :

- favoriser l'élaboration d'organismes nationaux tel qu'il existe en France pour permettre aux malades de bénéficier d'un contact de proximité ; d'encourager la pérennité du plan maladies rares et celle de l'organisme Alliance Maladie rares par les autorités françaises.
- organiser au niveau européen des liens forts entre les communautés de malades, de renforcer la recherche européenne et permettre les échanges de connaissances et les expérimentations cliniques et scientifiques au niveau européen, autoriser la circulation des médicaments orphelins et des personnes malades lorsque l'extrême rareté de leur pathologie l'exige.
- Un financement diversifié indépendant de toute rentabilité industrielle et des pressions nationales devrait être mis en place pour inciter la recherche de nouveaux médicaments et l'aide aux personnes. Les associations de patients *doivent être associées* à la gestion de ces fonds.

Inflam'œil répond plus précisément à quelques questions.

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

La définition utilisée actuellement : la prévalence d'une maladie rare est au plus égale à 5/100 000, paraît raisonnable.

Nous souhaiterions cependant que les symptômes rares et graves médicalement parlant de certaines maladies plus courantes, soient assimilés aux maladies rares.

C'est le cas par exemple des panuvéites graves associées ou non à des maladies auto-immunes identifiées. La maladie de birdshot est reconnue comme maladie oculaire rare. Pourquoi les autres uvéites non infectieuses très sévères, rares elles aussi (prévalence inférieure à 5/100 000), qui mettent en danger l'avenir visuel du patient et qui nécessitent, comme la birdshot, l'utilisation à long terme de médicaments hors AMM issus de l'expérimentation scientifique, ne seraient pas assimilées à des maladies rares ?

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

La codification est souhaitable à condition qu'elle ne donne pas lieu à un cadre trop rigide, toute nouvelle connaissance dans le domaine des maladies rares pouvant conduire à une évolution de la codification.

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

Nous sommes très favorables à un inventaire européen des maladies rares et nous souhaitons qu'il soit en permanence enrichi par les informations épidémiologiques, scientifiques et médicales.

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

La mise en place des réseaux entre les médecins spécialisés et les scientifiques apparaît très souhaitable pour améliorer la prise en charge des malades. Ceux-ci ne devraient pas avoir à se déplacer, à l'exception de ceux qui souffrent d'une maladie rarissime ou nécessitant soit une technologie de pointe, soit une consultation spécialisée.

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

L'accessibilité des données, (protocoles et résultats) aux médecins, patients et scientifiques est indispensable.

Question 6 -8 Que peut-on faire pour améliorer l'accès à des tests de qualité pour les maladies rares ?

La solution aux problèmes d'accessibilité aux médicaments orphelins devrait-elle être trouvée à l'échelon national ou communautaire.

Un fonds européen pourrait être constitué pour améliorer l'accès aux examens et aux médicaments les plus coûteux. Le financement devrait être suffisamment diversifié pour être indépendant de toute rentabilité industrielle d'une recherche ou d'un produit et indépendant des pressions nationales.

Les associations de patients doivent être associées à la gestion de ces fonds.

La mise à disposition de ces fonds devrait être très immédiate pour les maladies dont l'évolution de la maladie est rapide.

Question 9 L'UE devrait-elle adopter un règlement sur les dispositifs médicaux et les méthodes de diagnostic destinées aux maladies rares ?

L'UE pourrait établir une liste de conseils. Un règlement paraît favoriser la rigidité d'un système qui devrait rester souple et évolutif.

Question 13 Etes vous d'accord avec l'idée d'établir des plans d'action ?

Nous souhaitons que le plan National maladies rares soit reconduit en France et qu'un maximum de pays européen suivent cet exemple au niveau national ou à défaut régional si la structure gouvernementale s'y prête.

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

Nouvelle ou pas, nous souhaitons que l'agence européenne soit créée de façon stable avec des fonds assurés à long terme. Les malades sont en majorité malade « à vie ». Un organisme de soutien stable ne peut que les rassurer.

This paper represents the views of its author on the subject. These views have not been adopted or in any way approved by the Commission and should not be relied upon as a statement of the Commission's or Health & Consumer Protection DG's views. The European Commission does not guarantee the accuracy of the data included in this paper, nor does it accept responsibility for any use made thereof.