

**Association française  
de vestibulopathie bilatérale idiopathique (AFVBI)**

13 février 2008

Association loi de 1901  
Membre de l'Alliance Maladies Rares  
24 ter, rue Patenôtre  
78120 RAMBOUILLET

**CONTRIBUTION A LA CONSULTATION PUBLIQUE DE LA COMMISSION  
EUROPEENNE SUR LES MALADIES RARES**

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

La définition d'une maladie rare à 1 sur 2000 est actuellement majoritairement utilisée au sein de l'Union européenne (institutions, majorité des Etats membres, centres de référence en France, documents officiels au niveau européen). Changer cette définition maintenant serait inopérant et source de confusion.

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

Il est nécessaire de disposer d'une codification des maladies rares afin qu'elles puissent être suivies dans tous les systèmes d'information sur la santé. L'absence de données statistiques dans ce domaine constitue d'ailleurs un frein à la prise en compte de ces maladies.

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

A maladies rares, compétences rares. Il est impérativement nécessaire que se construise une véritable collaboration européenne entre centres de référence pour qu'ils puissent partager leur expertise. Sans avoir nécessairement à se déplacer, les patients pourraient voir leur dossier transmis si nécessaire pour avis.

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

La mise en place d'outils électroniques est fondamentale à bien des égards pour les malades et les associations de malades. Elle devrait constituer un pilier de la stratégie communautaire dans le domaine des maladies rares.

*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 ?*

L'accès aux nouveaux médicaments constitue un problème central dans beaucoup de pays européens. Pour que tous les malades puissent bénéficier des innovations thérapeutiques, une des pistes à explorer pourrait consister à mettre en place une évaluation à l'échelon européen de la valeur ajoutée médicale des nouveaux médicaments, tout en laissant à chaque pays la décision de rembourser ou non.

*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 ?*

Ce type de services a un impact important sur le quotidien des malades. Le développement des échanges entre ces services et la mutualisation de leurs expériences est à rechercher et à encourager.

*Question 11 : quels sont les modèles de gouvernance et le régime de financement qui s'appliqueraient le mieux aux registres, aux bases de données et aux banques de données biologiques ?*

Il est primordial que les registres, les bases de données et les collections d'échantillons biologiques puissent bénéficier de financements de long terme et ne pas reposer sur le seul financement des industriels du médicament. Compte tenu de l'implication et du rôle important joué par les associations de malades dans ce domaine, il s'avère légitime que les patients qui sont plus que des fournisseurs de matériel biologique soient associés à la gestion des registres et banques de données ainsi qu'à la prise de décisions les concernant directement.

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

S'agissant d'actions de santé publique et de recherche relevant de l'intérêt général, l'engagement financier de l'Etat doit être privilégié. Néanmoins, compte tenu des divers enjeux et défis, une mobilisation de tous les acteurs y compris les industriels et les organisations caritatives paraît nécessaire tout en veillant 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 ?*

L'expérience positive menée en France avec un plan national maladies rares qui se termine en 2008 milite en faveur de son extension aux autres pays. Pour les pays importants, il est nécessaire d'avoir une concertation nationale mais aussi régionale car la prise en charge des malades au quotidien se fait au plus près du domicile. Les deux approches s'avèrent donc nécessaires : nationale et régionale, pour les pays importants.

*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 ?*

La création d'une agence européenne des maladies rares peut s'avérer positive à condition qu'elle dispose des moyens financiers nécessaires pour pérenniser les actions dans ce domaine. Ce qui paraît important, c'est d'assurer une politique à long terme dans le domaine de l'information (Orphanet), des infrastructures de recherche et des réseaux européens des centres de référence. Actuellement, le financement de ces activités n'est pas assuré dans la durée et la continuité car tributaire de procédures et de crédits sur la base de projets qu'il faut régulièrement déposer et soutenir tous les 3 ou 5 ans.

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.