

Réunion d'information des membres – RIME du jeudi 25 septembre 2008

186 associations sont aujourd'hui membres de l'Alliance.

Yann Le Cam *Europe maladies rares – Présidence française de l'Union européenne*

Yann Le Cam a été délégué général de l'Alliance pendant 5 mois au moment de la création de la fédération. Aujourd'hui, il est directeur exécutif d'Eurordis.

A- Des repères sur l'Europe de la santé

La santé n'est pas une priorité de l'Union européenne car elle reste un domaine relevant de chaque état membre. Pour autant, le domaine de la santé publique est un thème nouveau de la Commission européenne avec une politique pluri-annuelle 2008-2013 et une politique de recherche en forte croissance avec le 7^{ème} Plan cadre recherche et développement (PCRD) 2008-2013. En revanche, l'Union européenne a une responsabilité importante dans la politique du médicament car le médicament reste un produit qui relève du marché commun de l'Union européenne.

Après des liens étroits entre les agences de sécurité du médicament, une agence européenne EMEA s'est créée. Grâce au marché unique, il y a une libre circulation des médicaments et aussi maintenant des malades avec la possibilité de consulter dans d'autres pays de l'Union européenne. La compétitivité européenne dans l'innovation est favorable au développement des médicaments orphelins.

L'Union européenne fonctionne avec des commissaires qui sont des ministres supranationaux et des programmes pluri-annuels soumis à des consultations publiques. Ces stratégies sont mis en place à travers des programmes qui se formalisent par des traités européens (c'est impossible pour la santé qui relève des états nationaux), des règlements (idem), des directives avec une obligation d'application dans les états nationaux (cf. directive sur les dons d'organes), des recommandations (texte voté en conseil des ministres politiquement fort mais sans obligation d'adaptation dans les états nationaux) et des communications.

Les institutions sont la Commission européenne, le Parlement européen, la Présidence avec un fait nouveau, la troïka qui lie la présidence du moment avec les deux suivantes pour une coordination des agendas. Il y a aussi la Cour de justice européenne qui prend des avis, avis qui créent des précédents comme pour la mobilité des patients au sein de l'Union européenne. L'agence européenne du médicament (EMA) est basé à Londres et le Centre européen de surveillance des maladies à Stockholm. L'Agence exécutive de santé et consommateurs est basée à Luxembourg.

B- La stratégie pour une Europe des maladies rares

En 1995, il n'y avait rien sur les maladies rares. En 1996, la Présidence française de l'Union européenne organise la première conférence européenne à l'Assemblée nationale avec la volonté de créer un texte sur les médicaments orphelins. En Conseil des ministres est adopté un mémorandum sur un règlement des médicaments orphelins par Simone Veil. En 1997 se crée Eurordis. Parce que le médicament relève du marché unique de l'Union européenne, Eurordis est entré dans l'Union européenne par ce biais avec en 1999 le règlement sur les médicaments orphelins, en 2006 avec le règlement sur l'usage pédiatrique des médicaments et en 2007 sur les thérapies avancées (bloqué un moment à cause de la polémique sur les cellules souches, le rapporteur du texte y étant farouchement opposé). Il est rare que des associations obtiennent ainsi trois règlements en si peu de temps. Eurordis a déposé des projets non pas pour obtenir des fonds mais pour faire bouger les politiques. Ainsi, en 2005, au Luxembourg, l'Union a financé la conférence européenne Maladies rares. Le groupe de travail, la Rare disease task force, présidé par Ségolène Aymé veut aller plus loin.

C- La présidence française de l'Union européenne et les maladies rares

Le 7^{ème} PCRD contribue à développer des appels d'offres par maladies. E-rare est un projet financé par l'Union. En septembre 2007, à Bruxelles, la Commission européenne a organisé une conférence sur les maladies rares. La stratégie de la Commission européenne pour la période 2008-2013 a pris les maladies rares dans ses objectifs sous la pression des associations. La directive sur l'offre de soins avec la mobilité des patients est sous présidence française. Cette directive autorise l'accès à des soins dans d'autres états si ces soins n'existent pas dans un état membre. Pour le moment, les familles doivent payer leurs soins puis être remboursés dans leur état. Les associations s'y opposent. De même, se crée l'idée de centres de référence européens suite au succès du Plan national maladies rares en France. S'y ajoute un autre groupe de travail, l'EU Pharma forum ; il travaille sur le prix des médicaments, sur le remboursement des traitements et le service médical rendu (avec l'idée d'un service médical rendu pris au niveau européen).

La consultation publique *Les maladies rares : un défi pour l'Europe* a eu 600 contributions de la part des associations et des familles européennes, ce qui est exceptionnel. L'Union européenne a été très surprise d'une telle mobilisation qu'elle n'a pas connue sur d'autres sujets. Ce texte donne des éléments de stratégie sur l'ensemble des problématiques des maladies rares. C'est un texte de référence. Le projet de texte a été adopté par le commissaire européen pour la santé en avril 2007 mais au printemps, il a fallu évaluer l'impact du texte et les associations ont eu du mal à élaborer cette évaluation car il existe peu d'éléments de mesure. Le 5 novembre, le texte doit être adopté par le collège des commissaires européens puis par le conseil des ministres de la santé européens et le Parlement européen.

Il existe un autre texte de recommandations sur les stratégies nationales maladies rares à l'image du Plan national maladies rares français en cours de validation par les autorités européennes.

Les maladies rares seront reconnues avec ces recommandations comme un enjeu de santé publique. S'élabore une stratégie de la Commission européenne sur les maladies rares dans les domaines de l'information, des réseaux de soins, de la mutualisation des connaissances, de la recherche, du développement des médicaments et de l'accès aux soins, à certains services sociaux et du soutien aux associations. La dynamique va aussi venir de la comparaison entre les plans nationaux maladies rares des différents états européens.

Les maladies rares ne sont pas hélas une priorité de la présidence française de l'Union européenne. Que s'est-il passé ? Probablement la maladie d'Alzheimer a mobilisé tout le ministère. Il n'y a jamais eu aussi une telle désorganisation au ministère et particulièrement au cabinet de Roselyne Bachelot. L'enjeu est l'adoption de la communication maladies rares sous la présidence française car la communication n'aura aucune chance de passer sous la présidence tchèque. La réunion des commissaires a lieu le 5 novembre mais les maladies rares ne figurent toujours pas au conseil des ministres de décembre 2008.

La recommandation du Conseil pour les stratégies nationales maladies rares ne sera probablement pas adopté sous la présidence française ou tchèque mais probablement suédoise.

Le 10 octobre a lieu le symposium européen Maladies rares. Les 13 et 14 octobre a lieu une conférence européenne interministérielle *L'Europe au service des patients* à l'Institut Pasteur. Les 16 et 17 octobre a lieu un colloque européen sur les thérapies innovantes pour les maladies rares à l'Assemblée nationale. La session du matin est gratuite. Il faut se rapprocher d'Isabelle Hoareau pour la prise en charge (100€ d'inscription). Le 6 novembre a lieu un colloque sur les cancers rares à Bruxelles. Le 18 novembre a lieu un colloque européen sur les stratégies et plans nationaux maladies rares au ministère de la santé. Au-delà, il y a l'idée d'un Europlan sur lequel travaille 19 États membres avec Eurordis. Les inscriptions peuvent se faire à partir du site d'Eurordis dans la rubrique « événements ».

D- Le rôle d'Eurordis

Eurordis devrait faire une conférence de presse après les manifestations de l'automne sur les maladies rares. En 2009, il y aura la journée des maladies rares le 28 février 2009, qui aura aussi

lieu au Canada et aux États-Unis. Eurordis développe un projet POLKA sur les centres d'expertise européens et leurs réseaux. Eurordis travaille aussi à une charte de travail entre les associations de patients et les centres de référence. Eurordis va aussi travailler à une enquête avec des patients européens sur 8 problématiques des maladies rares. A l'intérieur d'Eurordis se crée un réseau européen des alliances nationales maladies rares, l'aide à la constitution des fédérations européennes par maladies (il en existe aujourd'hui 24 et Eurordis va aider à la création de 4 autres), un réseau européen des lignes téléphoniques (avec des guides de bonnes pratiques, des logiciels identiques avec la possibilité pour les associations nationales d'y participer en utilisant par exemple les fiches d'écoute). La prochaine réunion d'Eurordis aura lieu à Athènes en 2009. Il faut aussi regarder les bourses « fellowships » d'Eurordis.

Françoise Antonini *Nouvelles de l'Alliance*

Le Plan national maladies rares (PNMR) a commencé à être évalué par le Haut comité de santé publique. Le directeur de ce comité est un ingénieur des Ponts et chaussées. L'Alliance a rappelé que le PNMR était court, 4 ans au lieu de 5 ans d'habitude et que l'évaluation était démarrée à 3 ans 1/2, autant dire que beaucoup de choses n'ont évidemment pas encore pu changer réellement (cf. errance diagnostique). Roselyne Bachelot a manifesté une volonté de poursuivre une action sur les maladies rares, la DHOS parle d'un nouveau plan. En tout cas, il n'y aura rien en 2009 puisque la loi de finances (santé publique) va être votée dans quelques jours. L'Alliance s'inquiète des financements du ministère pour l'Alliance et Orphanet. Le groupe évaluation du PNMR ne s'est jamais réuni.

L'Alliance a interrogé ses associations membres sur un nouveau Plan national maladies rares : tout d'abord, les associations demandent la prise en charge des traitements, la pérennisation des crédits de recherche et celle des centres de référence (CR). 10M€/an étaient votés pour la recherche sur 4 ans durant le PNMR, 50M€ ont été attribués, soit beaucoup plus que prévu. 200 postes de PH et 200 postes de non PH ont été créés dans les CR par le PNMR. Le PNMR reste peu lisible pour les malades. Les attributions des CR restent illusoire, l'idée que toute maladie ait un CR n'est pas possible. Chaque appel d'offres n'a pas été traité de la même manière, certains CR s'occupent d'une seule maladie, d'autres d'un groupe entier avec le même financement ! Il y a de gros problèmes, la plupart des CR ne peuvent pas tout faire et n'ont pas demandé assez de financement. Il n'y aura eu aucun effort pour l'épidémiologie des maladies rares dans le PNMR. Il y a eu peu de réflexion sur la prise en charge sociale des personnes atteintes de maladies rares.

Le PNMR est en totale contradiction avec la politique de santé publique actuelle : il tend vers un pilotage national avec une expertise unique sur le territoire alors que la politique générale va vers une régionalisation de la santé. L'Alliance demande que soit maintenu le Comité de labellisation (CNCL).

S'est créé une communauté maladies rares avec à la fois le monde médical, associatif et administratif que les autres mouvements associatifs observent de près.

Le référentiel d'évaluation des CR est sur le site de la Haute autorité de santé (HAS).

La lettre réseau à propos de l'article 56 est sur le site de la CNAM. Il suffit de la télécharger. Il y a maintenant une cellule maladies rares à la CNAM.