



PRESENTATION ANNUELLE DES TRAVAUX DU PLAN NATIONAL MALADIES RARES 2018-2022



Vendredi 26 février 2021 à 14h





Perspectives européennes

M Antoni Montserrat Moliner (ALAN)





2020 un année tragique pour tous mais un année très actif pour l'action européenne dans le domaine de la santé et, notamment, les maladies rares.

Adoption du plan L'UE pour la santé (EU4Health) 2021-2027 – Une vision pour une Union européenne plus saine

Le programme «L'UE pour la santé» est la réponse de l'UE à la pandémie de COVID-19, qui a eu des conséquences considérables sur le personnel médical et de santé, les patients et les systèmes de santé en Europe.

En investissant **5,1 milliards d'euros**, ce qui en fait le plus vaste programme de santé jamais mis en place d'un point de vue financier, **«L'UE pour la santé» fournira des fonds aux pays de l'UE, aux organisations sanitaires et aux ONG.**





Passation conjointe de marché pour l'achat de contre-mesures médicales: garantir une préparation adéquate

L'accord de passation conjointe de marché pour les contre-mesures médicales a été approuvé par la Commission le 10 avril 2014.

Utilisation intensive pour l'achat des vaccins pour la COVID-19.

Une porte ouverte a la négociation centralisée pour l'achat des médicaments orphelins.

Déjà utilisé par la Belgique, les Pays Bas, le Luxembourg, l'Autriche et l'Irlande en 2015.

Une voie à approfondir.



Le plan cancer (Europe Beating Cancer Plan)

Au service aussi des patients atteints de cancers rares.

Comprenant 10 initiatives phares et de multiples mesures de soutien. Il sera mis en œuvre à l'aide de l'ensemble des instruments de financement de la Commission, un montant total de **4 milliards d'euros** étant réservé aux actions de lutte contre le cancer.

- **prévention, détection précoce, améliorer la qualité de vie**
- Initiative «**Diagnostic et traitement du cancer pour tous**» sera lancée d'ici à la fin 2021 afin d'améliorer l'accès à des diagnostics et des traitements innovants du cancer.
- Un nouveau **Centre de connaissances sur le cancer** sera fondé afin de contribuer à la coordination des initiatives scientifiques et techniques liées au cancer à l'échelle de l'Union.
- Une «**initiative européenne en matière d'imagerie sur le cancer**» sera mise en place pour soutenir le développement de nouveaux outils assistés par ordinateur afin d'améliorer la médecine personnalisée et les solutions innovantes.
- Une attention particulière sera accordée aux enfants, grâce au lancement de l'**initiative «Venir en aide aux enfants atteints d'un cancer»**
- Un **registre des inégalités face au cancer** sera créé en 2021.

Les réseaux européens de référence (ERN)

sont des réseaux virtuels réunissant des prestataires de soins de santé de toute l'Europe.

Ils ont pour objectif de faciliter les échanges sur des [maladies complexes ou rares](#) ou des affections qui nécessitent un traitement hautement spécialisé et une concentration des connaissances et des ressources.

[Les premiers réseaux ont été créés en mars 2017](#). Ils réunissent plus de 900 unités de soins hautement spécialisées établies dans plus de 300 hôpitaux, dans 26 États membres.

Actuellement, [24 réseaux européens de référence travaillent sur une série de questions thématiques](#), notamment les maladies des os, les cancers pédiatriques et l'immunodéficience.

Haute priorité aux ERN dans le EU4Health programme.

Le Luxembourg présent dans les ERN. Coordination à partir du CHL.

Le 11 août 2020, la Commission européenne a publié son évaluation sur la législation relative aux médicaments pour les maladies rares et pour les enfants.

Il s'agit de la première évaluation complète des deux règlements depuis leur adoption en 2000 et 2006 respectivement. Elles sont évaluées ensemble, étant donné que la majorité des maladies rares peuvent déjà apparaître chez les enfants et que de nombreuses maladies infantiles sont également rares.

L'évaluation a été menée conformément aux lignes directrices de la Commission pour une meilleure réglementation. Il visait à évaluer les forces et les faiblesses des deux règlements.

La Commission européenne réfléchit actuellement à des actions de suivi.

Pour la première fois, EURORDIS, aux côtés de son Conseil des alliances nationales, du Conseil des fédérations européennes et de ses membres, a défini 11 principes clés pour soutenir une approche européenne harmonisée du dépistage néonatal.



Les vastes inégalités à travers l'Europe, associées aux progrès technologiques et scientifiques, mettent en évidence le besoin urgent de sortir du statu quo.

Les principes indiquent clairement que le dépistage néonatal doit être organisé comme un système avec des rôles et des responsabilités clairement définis, et des structures de gouvernance et de responsabilité transparentes et solides.

Des normes de soutien psychologique, social et économique appropriées pour les familles dont le nouveau-né est dépisté devraient également être en place.

Les professionnels de la santé devraient recevoir une formation approfondie et il est nécessaire de sensibiliser davantage le public.

Comme tous les futurs citoyens devraient être dépistés, tout le monde doit comprendre le pourquoi et le comment du dépistage.

Des normes européennes devraient également être établies pour garantir que chaque parent en Europe puisse s'attendre au même moment, aux mêmes méthodes de collecte, au même suivi et aux mêmes informations lorsque leur bébé est dépisté.

EURORDIS demande la création d'un groupe de travail d'experts au niveau de l'Union européenne pour coordonner cette action, et pour que les institutions européennes approuvent ces initiatives.



Rare 2030 est une étude prospective qui rassemble les contributions d'un grand groupe de patients, de praticiens et de leaders d'opinion clés pour proposer des recommandations politiques qui nous mèneront à une politique améliorée et à un avenir meilleur pour les personnes vivant avec une maladie rare en Europe. Il s'agit d'un projet de deux ans qui a terminé par une présentation au Parlement européen le 23 février 2021 avec des recommandations sur les domaines les plus critiques nécessitant une politique solide.

Depuis l'adoption de la recommandation du Conseil sur l'action européenne dans le domaine des maladies rares en 2009, l'Union européenne a encouragé d'énormes progrès pour améliorer la vie des personnes atteintes de maladies rares. Rare 2030 guidera une réflexion sur la politique des maladies rares en Europe au cours des dix prochaines années et au-delà.

Quelle proposition ?

On propose aux institutions européennes l'adoption en 2023 d'une Recommandation du Conseil sur des actions intégrées dans le domaine des maladies rares.

