



## Renforcer la politique européenne en maladies rares

Mercredi 20 octobre 2021 de 8h30 à 10h

En 2021, plus de 30 millions de citoyens européens sont atteints par une maladie rare. De nombreuses avancées ont été faites sur le sujet, tant dans l'organisation de la recherche que dans l'harmonisation des réglementations des différents États membres. Avec la conviction que les technologies de rupture offertes par la recherche sont la réponse adéquate face aux pathologies rares, le think-tank « L'Europe de la santé » a organisé une table ronde sur le renforcement de la politique européenne contre les maladies rares. Scientifiques, institutionnels et industriels se sont réunis afin d'évoquer les grands enjeux médicaux, sociaux, économiques et industriels à court, moyen et long terme.

### Les avancées européennes dans le champ des maladies rares

Comme l'ont rappelé le docteur Agnès Saint-Raymond et Antoine Barouky, directeur France d'Alnylam Pharmaceuticals, la politique européenne en maladies rares menée depuis une vingtaine d'années a permis de mieux répondre aux besoins des patients. Le règlement orphelin instauré en 2000 met en place des mécanismes d'incitation destinés à favoriser la recherche, avec aujourd'hui un résultat probant de plus de 200 médicaments orphelins présents sur le marché. Selon Anne-Sophie Lapointe, cheffe de projet mission maladies rares au sein de la DGOS, la parole associative a été centrale dans la réflexion européenne sur la structuration d'une offre de soins pour les maladies rares. Comme l'a décrit Angélique Sauvestre, directrice de l'association Debra France, les associations sont en effet ces « travailleuses de l'ombre » qui, non seulement accompagnent les familles face à la maladie, mais lèvent également des fonds pour développer la recherche sur ces pathologies.

### Les axes d'amélioration de la politique européenne

Néanmoins, de nombreux axes d'amélioration ont été identifiés sur la politique autour des maladies rares en Europe. La question de la formation des étudiants en santé, pourtant essentielle car préfigurant la connaissance et l'attitude des professionnels de demain, n'aborde que trop peu les maladies rares selon Chloé Lebbos, vice-présidente de l'association européenne des étudiants en pharmacie (EPSA). Le manque d'interdisciplinarité, l'absence de développement des soft skills ainsi que les faibles connaissances économiques pour ceux souhaitant se tourner vers l'industrie sont autant de volets à renforcer dans les études de santé. Ce rapport à l'industrie s'avère d'autant plus crucial qu'il y a, selon Antoine Barouky, une nécessité de favoriser la mise en place d'une politique industrielle

européenne autour des maladies rares. Si, au niveau européen, l'évaluation des médicaments se fait de façon transparente, Agnès Saint-Raymond rappelle que ce n'est pas toujours le cas des évaluations nationales qui aboutissent *in fine* à des disparités dans l'accès au marché entre les pays, et ce au détriment des patients. Angélique Sauvestre a également souligné les problématiques de coordination des soins pour ces derniers avec de longs déplacements à effectuer, ainsi que le rôle de plus en plus important que l'on demande aux associations en oubliant parfois qu'elles reposent sur des bénévoles.

### **Les enjeux prioritaires de demain**

La prochaine politique européenne en maladies rares devra donc veiller à un meilleur accompagnement des patients, en prêtant attention à leur inclusion et à la protection de leurs données de santé. Leur partage est crucial pour la recherche mais ne doit se faire qu'avec l'accord des patients. L'intégration des données dans l'évaluation des traitements et des parcours de vie des patients pourrait constituer selon Anne-Sophie Lapointe un enjeu clé du prochain plan européen dans les maladies rares. Sur le plan industriel, Agnès Saint-Raymond a affirmé la nécessité de continuer à s'appuyer sur les mécanismes d'incitation prévus par le règlement orphelin tandis qu'Antoine Barouky a plaidé pour un plan européen sur la médecine génomique, « porteuse de fortes innovations pour nos systèmes de santé ». Les enjeux soulignés par Chloé Lebbos autour de la formation des étudiants en santé devront enfin constituer une priorité majeure en renforçant leur mobilité et leur sensibilisation, et ce par une meilleure inclusion dans l'élaboration des politiques de santé.