

ZELDZAME ZIEKTEN
Policy Forum
MALADIES RARES

FORUM POLITIQUE

« Equité dans les soins de santé,
y compris pour les maladies rares »
Dialogue entre patients,
experts et décideurs politiques

07.11.2024

RAPPORT DE SYNTHÈSE

UNE INITIATIVE DE



EN COLLABORATION AVEC



INTRODUCTION

Ce rapport présente une synthèse concise des présentations et des débats qui ont eu lieu dans le cadre du forum politique «Équité dans les soins de santé, y compris pour les maladies rares. Dialogue entre patients, experts et décideurs politiques», qui s'est tenu le jeudi 7 novembre 2024 à la Chambre des représentants. Près d'une centaine de participants étaient présents, dont des députés, des représentants de patients, des fonctionnaires de plusieurs administrations concernées (Sciensano, l'Agence belge des Données (de soins) de Santé (ADS), l'Institut national d'assurance maladie-invalidité – INAMI, le Centre Fédéral d'Expertise des Soins de Santé – KCE, et le Service Public Fédéral Santé publique), des prestataires de soins de santé et des représentants de l'industrie pharmaceutique. Le forum politique était organisé par l'Universitair Ziekenhuis Leuven (UZ Leuven), Rare Diseases Belgium (RaDiOrg) et la Rare Disease Diagnosis Alliance (RADDIAL), avec le soutien des sept autres fonctions maladies rares des hôpitaux universitaires belges suivants : Cliniques Universitaires Saint-Luc, Centre hospitalier universitaire de Liège, Hôpital Universitaire de Bruxelles - H.U.B, Grand Hôpital de Charleroi, Universitair Ziekenhuis Antwerpen, Universitair Ziekenhuis Brussel et Universitair Ziekenhuis Gent.



CONTEXTE

Dans notre pays, plus d'un demi-million de personnes sont atteintes d'une maladie rare, c'est-à-dire d'une maladie potentiellement mortelle et/ou chroniquement invalidante dont la prévalence est inférieure à 5/10.000 habitants. Nombre d'entre elles attendent très longtemps avant de recevoir un diagnostic et un traitement approprié - en moyenne, il faut 4,9 années pour qu'un patient atteint d'une maladie rare obtienne un diagnostic précis¹. Cette longue attente a un impact considérable sur la santé, avec des complications pourtant évitables, et de nombreuses occasions manquées d'améliorer la qualité de vie.

La sensibilisation aux maladies rares a indéniablement progressé ces dernières années. Le Plan belge pour les maladies rares, lancé en 2013, a permis de progresser dans plusieurs domaines-clés, mais certaines actions essentielles demeurent en suspens ou incomplètes à ce jour. Néanmoins, les maladies rares ont conservé leur place sur l'agenda politique et sociétal, grâce aux efforts constants de nombreux acteurs.

De nombreux défis restent à relever dans le domaine des maladies rares. Certains points prioritaires ont été exposés dans un Mémorandum à l'attention des décideurs politiques. Élaboré par l'association faitière belge des personnes atteintes de maladies rares (Rare Diseases Belgium – RaDiOrg) et le Collège belge de génétique et des maladies rares, ce document fut envoyé aux présidents des partis belges peu avant les élections de juin 2024. En juin 2023, la Rare Disease Diagnosis Alliance (RADDIAL) avait également publié un mémorandum spécifique, visant à améliorer le processus de diagnostic pour les patients atteints de maladies rares, contenant 12 recommandations politiques validées et approuvées par de nombreux experts dans le domaine.



¹ Eurordis, «Rare Barometer Survey», 2022

CONTEXTE

Le forum politique du 7 novembre 2024, visait à faciliter un dialogue entre experts, représentants des patients et responsables politiques sur les mesures à adopter pour relever ces défis et améliorer la prise en charge des patients atteints de maladies rares.

Le forum a été organisé grâce à la collaboration des huit fonctions maladies rares²- des hôpitaux universitaires liés à un centre de génétique humaine et reconnu pour leur compétence en matière de diagnostic, traitement et suivi interdisciplinaires des patients atteints de maladies rares – en partenariat avec RaDiOrg et RADDIAL.

Les organisateurs soulignent que le nouveau Plan belge annoncé pour les maladies rares ne doit pas rester lettre morte, mais doit être mis en œuvre de manière effective, en tenant compte des compétences politiques des différentes autorités et de leur cohérence mutuelle. Ce nouveau Plan est indispensable pour assurer la mise en œuvre d'une politique de santé coordonnée et garantir des résultats de santé optimaux pour plus de 500 000 Belges vivant avec une maladie rare, ainsi que leurs proches.



² Universitair Ziekenhuis Leuven, Universitair Ziekenhuis Antwerpen, Universitair Ziekenhuis Brussel, Universitair Ziekenhuis Gent, Cliniques Universitaires Saint-Luc, Centre hospitalier universitaire de Liège, Hôpital Universitaire de Bruxelles - H.U.B. et Grand Hôpital de Charleroi

1^{ER} THÈME :

Réseaux européens de référence (ERN) et leur intégration dans les réseaux nationaux

(JARDIN : Joint Action on Integration of ERNs into National Healthcare Systems)

Introduction par : Béatrice Gulbis (Hôpital Universitaire de Bruxelles - H.U.B.)

Débat avec : Jan Bertels (Vooruit), Hervé Cornillie (MR), Jeremie Vaneeckhout (Groen)
et Nawal Farih (CD&V)

Dans son introduction, la Professeure Béatrice Gulbis a exposé le fonctionnement des réseaux européens de référence (European Reference Networks – ERN, en anglais), qui visent à améliorer l'accès des patients aux soins spécialisés dans l'ensemble de l'Union européenne (UE) en connectant plus de 1.600 unités de soins dans 27 pays. Elle a expliqué que la Belgique rencontre des difficultés à intégrer pleinement ces réseaux dans son système de soins de santé national, en raison de l'absence de reconnaissance ou d'accréditation formelle des ERN au niveau belge. De plus, il existe une fragmentation de l'expertise et des ressources parmi les fonctions hospitalières belges impliquées.

La création de réseaux d'expertise belges désignés communiquant avec les ERN, est la voie à suivre. Une meilleure coopération entre les experts des fonctions hospitalières et d'autres niveaux de soins doit être davantage formalisée, par exemple en intégrant les ERN dans les réseaux d'expertise nationaux. De tels réseaux nationaux d'expertise en maladies rares peuvent considérablement améliorer l'accès des patients à la connaissance et à l'expertise. Ils peuvent également servir de partenaires aux décideurs politiques dans le développement de soins optimaux pour les patients atteints de maladies rares, la mise en œuvre de registres efficaces et possiblement même pour informer les décisions sur le remboursement et les modalités d'accès anticipé aux traitements innovants.

En outre, afin d'améliorer l'accessibilité aux ERN pour les patients dans l'Europe, l'UE a financé un projet de trois ans appelé «Joint Action on Integration of European Reference Networks into National Healthcare Systems» («JARDIN»). Cette initiative vise à intégrer les ERN dans les systèmes nationaux de soins de santé. Le Service Public Fédéral Santé et Sciensano participent au paquet de travail 8 consacré à la gestion des données. L'objectif est d'élaborer des recommandations pour garantir l'interopérabilité des structures de données au niveau des Etats-membres (local, régional, national) et au niveau européen. La Professeure Gulbis a conclu qu'un soutien durable et un modèle de gouvernance sont nécessaires pour s'assurer que les réseaux d'expertise belges répondent aux besoins locaux et aux normes européennes en matière de données.



1^{ER} THÈME

Lors du débat, l'importance de l'enregistrement des données de santé des patients pour les avancées de la recherche et les politiques de santé a été mise en avant. Les systèmes d'enregistrement des données patients sont actuellement sous-optimaux, bien que la création de l'Espace européen des données de santé soit considérée comme un pas important dans la bonne direction et comme une impulsion pour améliorer l'enregistrement des patients. Il appartiendra à l'Agence belge des Données (de soins) de Santé d'opérationnaliser cet enregistrement, qui devrait idéalement déboucher sur un flux unique de données. La mise en place de centres de référence désignés pouvant communiquer avec les ERN a également été mentionnée comme une mesure possible.

Une représentante de Sciensano a souligné que le cadre juridique pour la coopération avec d'autres acteurs des soins de santé sur les données d'enregistrement des patients fait actuellement défaut. Ce cadre devrait inclure le(s) langage(s) de codes préférentiels : le code ORPHA spécifique aux maladies rares et/ou le code SNOMED plus généralisé et bientôt obligatoire ; et les incitations/obligations de codage par les prestataires de soins de santé. Un échange de vues a eu lieu sur le souhait de rendre obligatoire l'enregistrement des données des patients par le corps médical. Si une telle obligation devait être imposée, les moyens mis à la disposition des acteurs concernés devraient augmenter en conséquence. Un échange de vues a également abordé l'importance d'un enregistrement uniforme des données par tous les acteurs concernés. Bien que cette uniformité soit jugée utile, il a également été rappelé que, par le passé, aucun consensus politique n'a été trouvé quant à une telle obligation - Sciensano s'occupe actuellement de l'enregistrement.

En outre, les moyens financiers de Sciensano devraient également être augmentés en fonction du nombre croissant d'enregistrements. Il a également été noté que seules deux personnes à Sciensano s'occupent actuellement de l'enregistrement des données maladies rares, ce qui est insuffisant comparé aux 30 personnes qui travaillent sur le registre du cancer. Un consensus semble se dégager sur le fait que le personnel de soins de santé a besoin de plus de formation, mais surtout de plus de soutien, pour assurer le succès de cet effort d'enregistrement de données.



1^{ER} THÈME

RECOMMANDATIONS POLITIQUES :

1.

L'INTÉGRATION DES RÉSEAUX EUROPÉENS DE RÉFÉRENCE (ERN) DANS LES SYSTÈMES DE SANTÉ NATIONAUX

- Mettre en place des réseaux nationaux d'experts en maladies rares qui s'alignent sur la structure et les objectifs des réseaux européens de référence.
- Élaborer un modèle de gouvernance pour garantir que ces réseaux répondent aux besoins locaux en matière de soins de santé tout en restant compatibles avec les normes européennes.
- Faciliter la coopération entre les experts hospitaliers et les autres niveaux de soins afin d'améliorer l'accès des patients à l'expertise et de favoriser une prise en charge optimale des maladies rares.

2.

L'OPTIMISATION DE L'ENREGISTREMENT DES DONNÉES RELATIVES AUX PATIENTS

- Opérationnaliser l'enregistrement des données patients dans un cadre unique et normalisé, éventuellement par l'intermédiaire de l'Agence belge des Données de santé (ADS), en s'appuyant sur des systèmes tels que l'Espace européen des données de santé (EEDS).
- Mettre en place un cadre juridique permettant la collaboration entre les acteurs du secteur de la santé, en adoptant le code ORPHA spécifique aux maladies rares et le code général SNOMED.
- Allouer des ressources financières et humaines supplémentaires à des institutions telles que Sciensano afin de gérer efficacement les efforts d'enregistrement élargis.

3.

LE SOUTIEN ET FORMATION DES PROFESSIONNELS DE LA SANTÉ

- Renforcer le soutien et la formation des professionnels de la santé afin de garantir l'efficacité de l'enregistrement des données et des soins aux patients dans le cadre du réseau européen de santé (ERN).

2^{ÈME} THÈME :

L'identification transparente de l'expertise en matière de maladies rares et la simplification de l'accès à cette expertise



Introduction par :

Marion Delcroix (UZ Leuven)

Débat avec :

Kathleen Depoorter (N-VA),

Dirk Devroey (Open VLD), Jean-François Gatelier

(Les Engagés), et Jeremie Vaneekhout (Groen)

Dans son introduction, la Professeure Marion Delcroix a abordé les lacunes actuelles de la Belgique en matière d'identification et de valorisation de l'expertise dans le domaine des maladies rares. L'expertise en matière de maladies rares n'est pas clairement identifiée ce qui rend difficile pour les patients de la trouver. Des obstacles tels qu'un paysage politique fragmenté et un financement systémique limité empêchent la mise en place d'un cadre unifié. La professeure Delcroix a proposé de formaliser les processus de reconnaissance de l'expertise et d'encourager la collaboration politique pour améliorer la visibilité et l'accessibilité des centres de soins spécialisés pour les patients atteints de maladies rares.

Le cadre juridique de la reconnaissance de l'expertise est insuffisamment défini, avec des ambiguïtés persistantes concernant la répartition des pouvoirs entre les différents niveaux politiques. Une méthodologie d'identification de l'expertise doit être développée et mise en œuvre - elle est attendue depuis 2013. La gestion des systèmes nationaux d'accréditation/désignation demande du temps et des ressources. Dans d'autres États membres européens, un comité national coordonne le processus de désignation/accréditation, tandis qu'un groupe consultatif indépendant détermine, par exemple, les priorités et approuve les demandes de reconnaissances d'expertise. La capacité de l'équipe nationale à traiter le volume de candidatures est inévitablement le facteur limitant la vitesse à laquelle le nombre de centres d'excellence peuvent être désignés chaque année. Étant donné que les ERN appliquent la méthodologie susmentionnée pour l'inclusion des centres nationaux, leurs critères et documents pourraient être utilisés pour identifier et reconnaître les centres d'excellence belges. En règle générale, une expression d'intérêt ascendante par les hôpitaux ou les équipes cliniques constitue une bonne méthode pour commencer à identifier l'expertise disponible par le biais d'un processus de candidature. Étant donné que de nombreux aspects de la création de centres d'expertise relèvent de la compétence des régions, des accords interministériels devront également être conclus pour garantir l'application uniforme des mêmes critères dans toutes les régions.

2^{ÈME} THÈME

Au cours du débat, de nombreux décideurs politiques ont exprimé leur volonté d'élaborer un Plan belge actualisé pour les maladies rares. Sensibiliser les décideurs politiques à l'importance de faire progresser la politique en matière de maladies rares est essentiel pour y parvenir. Cela dit, les parties prenantes présentes ont exprimé leur inquiétude quant au fait qu'un Plan belge pour les maladies rares actualisé à lui seul ne suffirait pas à répondre efficacement et rapidement aux défis existants. Un véritable engagement en faveur des besoins des patients atteints de maladies rares devrait s'exprimer au moyen d'un plan d'action comportant des objectifs clairs et concrets, un calendrier et les moyens nécessaires.

Il a également été souligné qu'il faudra prendre en compte l'équilibre entre l'augmentation des moyens financiers et une allocation efficace de ceux-ci. La question de la régionalisation par rapport à la fédéralisation a également été soulevée, et la plupart des décideurs politiques ont convenu que le niveau fédéral devrait être responsable de la concentration et de la reconnaissance de l'expertise.

La Professeure Marion Delcroix a également évoqué la nécessité de créer des incitations pour que les hôpitaux collaborent et veillent à ce que les prestataires de soins de santé soient en mesure de référer des patients vers les centres d'expertise désignés. L'amélioration des possibilités pratiques de référer, plutôt que l'imposition d'une obligation de référer des patients, a été mise en avant. Les membres du panel ont exprimé des avis divergents sur la pertinence d'une telle obligation de référer, et il a été suggéré que les décideurs politiques collaborent étroitement avec le secteur académique et les professionnels de première et deuxième ligne sur cette question. Outre le Plan belge pour les maladies rares actualisé, il a été souligné qu'un modèle de coopération plus étroite entre les acteurs des soins de santé devrait être développé. Les interventions du public ont notamment souligné que le Plan belge pour les maladies rares actuel ne facilite pas suffisamment le bon fonctionnement de tous les acteurs du secteur des soins de santé, ce qui devrait être amélioré dans le Plan actualisé.



RECOMMANDATIONS POLITIQUES :

1.

UN CADRE UNIFORMISÉ POUR L'IDENTIFICATION ET LA RECONNAISSANCE DE L'EXPERTISE

- Formaliser le processus de reconnaissance de l'expertise dans le domaine des maladies rares en mettant en œuvre une méthodologie nationale claire.
- Utiliser les critères des réseaux européens de référence (ERN) comme base pour l'accréditation des centres d'expertise belges.
- Constituer une équipe nationale chargée de coordonner le processus de désignation, avec le soutien d'un groupe consultatif indépendant chargé de classer les demandes par ordre de priorité et de les approuver.

2.

CRÉER ET METTRE EN ŒUVRE UN PLAN BELGE ACTUALISÉ POUR LES MALADIES RARES

- Mettre à jour le Plan belge de lutte contre les maladies rares et y inclure un plan d'action détaillé avec des objectifs clairs, des échéances et des ressources allouées.
- Veiller à ce que le gouvernement fédéral prenne en charge la coordination de la reconnaissance de l'expertise, avec des accords interministériels pour traiter efficacement les responsabilités régionales.
- Trouver un équilibre entre l'augmentation du financement et une allocation efficace afin de maximiser l'impact.

3.

AMÉLIORER L'ACCÈS ET LES SYSTÈMES DE RÉFÉRENCE POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES.

- Développer des incitations à la coopération inter-hospitalière et équiper les prestataires de soins de santé pour qu'ils puissent référer efficacement les patients vers des centres spécialisés.
- Améliorer les systèmes de référence, en collaboration avec le secteur académique et les professionnels de première et deuxième lignes.

3^{ÈME} THÈME :

Une approche multidisciplinaire et intégrée avec gestion de cas pour chaque patient souffrant d'une maladie rare et complexe



Introduction par :

Eva Schoeters

(Rare Diseases Belgium – RaDiOrg)

Débat avec :

Jan Bertels (Vooruit), Kathleen

Depoorter (N-VA), Caroline Désir (PS),

et Jean-François Gatelier (Les Engagés)

Dans son introduction, Eva Schoeters a mis en lumière l'importance d'une approche multidisciplinaire et intégrée des soins pour tous les cas de maladies complexes et rares. À minima, cette approche devrait prévoir des trajets de soins individuels, des consultations multidisciplinaires régulières - au sein des centres médicaux et de manière transmurale - ainsi qu'une gestion efficace des cas. Elle a ajouté l'importance de la prise en charge des frais de transport et de traitement à l'étranger lorsque cela est nécessaire.

Elle a également pointé la non-équité du système de santé actuel, où la qualité des soins dépend de la visibilité d'une maladie et de l'attention qu'elle reçoit des décideurs politiques. Cette situation désavantage les maladies moins courantes et moins connues, y compris la plupart des maladies rares. Mme Schoeters a par ailleurs remis en question le bien fondé du système actuel de conventions, y compris la convention générique proposée sur les maladies rares, se demandant si elles sont les bons outils pour résoudre ce problème vu la lourdeur et lenteur du processus. Elle a soutenu que des soins de santé intégrés et spécialisés permettraient d'améliorer considérablement les résultats pour les patients atteints de maladies rares, en répondant aux défis spécifiques.

3^{ÈME} THÈME

Au cours du débat, les membres du panel ont partagé le point de vue selon lequel des progrès peuvent être réalisés en ce qui concerne l'offre d'un parcours de soins intégrés pour les patients atteints de maladies rares. À cet égard, il a été suggéré de déterminer en premier lieu quelles maladies pourraient bénéficier de ce parcours, et d'allouer des budgets de soins adéquats. Les membres du panel conviennent que la détermination de quelles maladies seraient éligibles pour ce parcours nécessite un exercice délicat et bien réfléchi. À cet égard, il a également été souligné qu'il ne fallait pas négliger les maladies représentées par un très petit nombre de patients.

Les interventions du public ont souligné l'importance de prendre des actions décisives, allant au-delà de la simple volonté de changement. L'écosystème émergent des acteurs technologiques innovants doit également être considéré comme des acteurs potentiellement importants dans les trajets de soins intégrés où le patient doit être placé au centre. Les membres du panel ont convenu que le patient devrait toujours être au centre des préoccupations, et ils ont admis que les entreprises technologiques pourraient être impliquées dans cet exercice.



3^{ÈME} THÈME

RECOMMANDATIONS POLITIQUES :

1.

LA MISE EN ŒUVRE DE TRAJETS DE SOINS INTÉGRÉS

- Élaborer et mettre en œuvre des trajets de soins intégrés pour les maladies rares et complexes, en garantissant des consultations multidisciplinaires régulières entre les centres médicaux et les structures de soins.
- Cette approche devrait inclure la gestion des cas et un accès équitable aux services nécessaires tels que le transport et le traitement à l'étranger.

2.

LES CRITÈRES INCLUSIFS D'ÉLIGIBILITÉ AUX TRAJETS DE SOINS

- Établir des critères mûrement réfléchis pour déterminer quelles maladies rares sont éligibles aux trajets de soins intégrés.
- Veiller à ce que même les maladies au très faible nombre de patients ne soient pas exclues, afin de promouvoir l'équité entre toutes les maladies rares.

3.

L'IMPLICATION DES TECHNOLOGIES INNOVANTES

- Envisager la participation des fournisseurs de technologies innovantes aux soins intégrés, en veillant à ce que le patient reste au centre du trajet.

SÉANCE DE QUESTIONS-RÉPONSES AVEC LE PUBLIC

Au cours de la séance de questions-réponses, les membres du public et les intervenants experts ont souligné qu'un Plan belge actualisé pour les maladies rares, avec des actions tangibles, devrait être un objectif important à court terme. Outre le Plan lui-même, la clarté doit être faite sur le calendrier et le budget alloué. D'autres points soulevés, incluent l'importance de surmonter les tabous pour parvenir à une action décisive, et de veiller à ce que les décideurs politiques restent constamment conscients de l'importance de progresser dans la politique relative aux maladies rares. Il a également été mentionné que les associations de patients jouent un rôle crucial en informant les patients des nouveaux développements importants, et qu'elles ont besoin d'un soutien accru de la part du gouvernement pour remplir leur rôle essentiel en tant que parties prenantes et représentants des patients dans le paysage des soins de santé.

SYNTHÈSE PAR LE MODÉRATEUR CHRISTOPHE DEBORSU & APPEL À L' ACTION PAR EVA SCHOETERS

En guise de conclusion, le modérateur a remercié les orateurs et les membres du public pour ce débat très animé et stimulant. Eva Schoeters a ensuite lancé un dernier appel aux décideurs politiques présents pour qu'ils restent sensibilisés aux politiques relatives aux maladies rares. Elle a souligné que les patients atteints de maladies rares sont très nombreux, contrairement à ce que le mot «rare» pourrait laisser entendre, car il existe énormément de maladies rares différentes. D'où l'importance des changements systémiques pour améliorer les soins de santé pour toutes les maladies à faible prévalence. Elle a demandé aux décideurs politiques de participer aux actions de RaDiOrg à l'occasion de la prochaine Journée des maladies rares le 28 février 2025.

PLUS D'INFORMATION
DISPONIBLE SUR
CE SITE :



À PROPOS DES COORGANISATEURS



Universitair Ziekenhuis Leuven, en collaboration avec les **sept autres fonctions maladies rares** - c'est-à-dire les centres reconnus de génétique humaine responsables du diagnostic interdisciplinaire, du traitement et du suivi des patients atteints de maladies rares.

Plus d'informations disponibles sur uzleuven.be :



RaDiOrg (Rare Diseases Belgium), l'association faitière belge des personnes atteintes de maladies rares. RaDiOrg est l'alliance nationale d'Eurordis, la fédération européenne des maladies rares.

Plus d'informations disponibles sur radiorg.be/fr/ :

Le mémorandum de RaDiOrg est disponible ici :



RADDIAL - L'Alliance pour le diagnostic des maladies rares (Rare Disease Diagnosis Alliance), une initiative de cinq sociétés pharmaceutiques visant à instaurer un large dialogue entre les parties prenantes afin d'accélérer le processus de diagnostic pour les patients atteints de maladies rares.

Le mémorandum de RADDIAL et d'autres informations sont disponibles sur raddial.be :



Ce rapport synthétise les discussions et les recommandations du forum politique « Equité dans les soins de santé, y compris pour les maladies rares. Dialogue entre patients, experts et décideurs politiques », qui s'est déroulé le jeudi 7 novembre 2024 à la Chambre des représentants. Les principaux thèmes abordés incluent l'intégration des réseaux européens de référence (ERN) dans les systèmes de soins de santé nationaux, l'identification et l'accès à l'expertise sur les maladies rares, et la mise en œuvre de soins multidisciplinaires et intégrés. Les participants ont souligné la nécessité d'un nouveau Plan belge pour les maladies rares, d'une meilleure coordination entre les différents niveaux de pouvoirs et de systèmes d'enregistrement des patients plus efficaces. Des recommandations concrètes et des appels à l'action ont été formulés pour améliorer la prise en charge des patients atteints de maladies rares en Belgique.

UNE INITIATIVE DE



EN COLLABORATION AVEC

