

IV. Maladies rares

Nombre - Diagnostic - Traitement - Plan maladies rares - Normes d'agrément - Actions - Budget - Hôpitaux - Régime central - Réseaux européens de référence - Médicaments orphelins - Remboursements

Question n° 476 posée le 6 mars 2020 à Madame la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique et de l'Asile et la Migration, par Monsieur le Représentant BURTON⁸

La Belgique compte 500.000 personnes atteintes de maladies orphelines. Ces maladies touchent 5 % de la population mondiale. Il y a plusieurs causes sous-jacentes à ces maladies mais 72 % d'entre-elles sont d'origine génétique. Le nombre total de ces maladies est de 6.100 actuellement.

Le problème de ces maladies est évidemment leur rareté et leur diversité. 30 % des enfants atteints décèdent avant l'âge de cinq ans. Or, il faut en moyenne quatre à cinq ans à un malade pour obtenir un diagnostic correct. Enfin, si un traitement existe, il est souvent inabordable car la faible demande et les coûts de recherche et développement le rendent onéreux. Pour cela, la Belgique a lancé il y a six ans un plan maladies rares mais cela n'a rien changé.

Les termes maladies rares ou maladies orphelines regroupent des maladies n'ayant souvent rien en commun si ce n'est leur caractère peu fréquent. Il est d'ailleurs préjudiciable qu'elles ne soient pas toutes reconnues vis-à-vis des traitements et des remboursements de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI). Comme le montre l'histoire de Pia en 2019, certains médicaments sont excessivement chers et ne sont pas remboursés.

1. Qu'en est-il du plan maladies rares ? Combien de demandes d'aides sont mises en œuvre par an ?
2. Comptez-vous accroître les remboursements pour les traitements liés à ces maladies ?
3. Comment une maladie rare est-elle reconnue ? Quels en sont les critères ?

Réponse

Il convient tout d'abord de souligner que la plupart des actions du Plan maladies rares ont été réalisées :

Dans le cadre de l'accès au diagnostic, les tests génétiques effectués à l'étranger sont financés via une convention entre l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) et les centres de génétique.

1. Bulletin n° 027, Chambre, session ordinaire 2019-2020, p. 142.

Concernant l'optimisation des soins, des normes d'agrément ont été établies pour les fonctions et les réseaux maladies rares (A.R. du 25.04.2014, publié au M.B. le 08.08.2014) et des centres d'expertise pour l'hémophilie ont été créés. Entre-temps, les entités fédérées ont agréé sept hôpitaux pour la fonction maladies rares et les soins sont organisés en réseaux de groupes de maladies rares, pour permettre l'échange d'expertise et offrir au patient les meilleures possibilités de diagnostic et de traitement. Le gouvernement fédéral a réservé un budget d'un million d'EUR par an aux hôpitaux disposant d'une fonction agréée maladies rares pour poursuivre l'optimisation de la fonction maladies rares.

Dans le cadre de la gestion des informations sur les maladies rares, un Registre central des maladies rares a été établi et se développe progressivement.

Compte tenu du morcellement des connaissances et du nombre limité de patients, la coopération à l'échelle européenne en matière de maladies rares reste cruciale. Les réseaux européens de référence, lancés en 2017 et impliquant plus de 900 équipes d'experts spécialisés, apporteront certainement une nouvelle plus-value. En Belgique, 68 équipes d'experts de 10 hôpitaux participent aux réseaux européens de référence.

Nous avons également conclu une convention avec le Grand-Duché de Luxembourg, les Pays-Bas, l'Autriche et l'Irlande sur les médicaments orphelins. En négociant avec l'industrie pharmaceutique d'autres pays, nous pouvons mieux contrôler le prix des médicaments orphelins.

Pour pouvoir offrir les meilleurs soins possibles aux patients atteints d'une maladie rare, il importera de continuer à se concentrer sur l'organisation des soins en fonctions et réseaux au niveau national et sur la coopération dans le cadre des réseaux européens de référence, de même que sur le développement du Registre central des maladies rares et sur la collaboration internationale dans le domaine des médicaments orphelins.

Le remboursement des médicaments pour les maladies rares et les maladies éligibles à ce remboursement font l'objet d'une décision au sein des organes de concertation de l'INAMI, en accord avec les prestataires de soins et les O.A., sur la base des données scientifiques probantes les plus récentes et disponibles. Sous la précédente législature, des médicaments pour 33 nouvelles indications ont été approuvés avec un système de remboursement correspondant.