

FR

FR

FR



COMMISSION DES COMMUNAUTÉS EUROPÉENNES

Bruxelles, le 11.11.2008
SEC(2008) 2713 final

DOCUMENT DE TRAVAIL DES SERVICES DE LA COMMISSION

**Résumé de l'analyse d'impact
accompagnant la
COMMUNICATION DE LA COMMISSION AU CONSEIL, AU PARLEMENT
EUROPÉEN, AU COMITÉ ÉCONOMIQUE ET SOCIAL EUROPÉEN ET AU
COMITÉ DES RÉGIONS
Les maladies rares: un défi pour l'Europe**

{COM(2008)679}
{SEC(2008)2712}

DOCUMENT DE TRAVAIL DES SERVICES DE LA COMMISSION

*Résumé de l'analyse d'impact
accompagnant la*

**COMMUNICATION DE LA COMMISSION AU CONSEIL, AU PARLEMENT
EUROPÉEN, AU COMITÉ ÉCONOMIQUE ET SOCIAL EUROPÉEN ET AU
COMITÉ DES RÉGIONS**

Les maladies rares: un défi pour l'Europe

TABLE DES MATIÈRES

1.	Introduction	3
2.	Définition du problème	3
2.1.	Manque de reconnaissance et de visibilité des maladies rares.....	3
2.2.	Absence de politiques concernant les maladies rares dans les États membres.....	3
2.3.	Manque d'efficacité des soins de santé, de la recherche et de la réglementation dans le domaine des maladies rares en Europe	3
2.3.1.	Accès inéquitable à des soins de santé spécialisés.....	3
2.3.2.	Recherche fragmentée.....	3
2.3.3.	Cadre législatif insuffisant	4
2.4.	Subsidiarité.....	4
2.4.1.	Critère de la nécessité.....	4
2.4.2.	Critère de la valeur ajoutée	4
3.	Objectifs à atteindre	5
3.1.	Améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares	5
3.2.	Soutenir les politiques concernant les maladies rares dans les États membres.....	5
3.3.	Développer la coopération, la coordination et la réglementation européennes dans le domaine des maladies rares.....	5
4.	Options envisageables.....	5
4.1.	Option de base.....	5
4.2.	Communication de la Commission et proposition de recommandation du Conseil ...	5
4.3.	Rétablissement d'un programme formel sur les maladies rares	6
5.	Analyse des incidences	6
5.1.	Incidences sociales	6
5.2.	Incidences environnementales	6
5.3.	Incidences économiques.....	6
6.	Comparaison des options	7
6.1.	Améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares	7
6.2.	Soutenir les politiques concernant les maladies rares dans les États membres.....	7
6.3.	Développer la coopération, la coordination et la réglementation européennes dans le domaine des maladies rares.....	8
6.4.	Résumé.....	9
7.	Suivi et évaluation.....	9
7.1.	Collecte de données.....	9
7.2.	Comitologie et mécanisme de contrôle.....	9

1. INTRODUCTION

Les maladies rares sont des maladies potentiellement mortelles ou entraînant une invalidité chronique qui se caractérisent par une faible prévalence et un haut degré de complexité. La plupart d'entre elles sont des maladies génétiques, les autres étant notamment des formes rares de cancers, des maladies auto-immunes, des malformations congénitales, ainsi que des maladies toxiques et infectieuses. Ces maladies requièrent une approche globale basée sur des efforts spécifiques et combinés visant à prévenir une morbidité significative ou une mortalité précoce évitable et à améliorer la qualité de vie ou le potentiel socio-économique des personnes touchées.

Sur le plan de la prévalence, une maladie rare est actuellement définie comme une maladie ne touchant pas plus de cinq personnes sur 10 000 dans l'Union européenne. Si ce taux de prévalence paraît peu élevé, il correspond, pour chaque maladie, à environ 246 000 personnes dans l'Union européenne des Vingt-sept. D'après les connaissances scientifiques actuelles, on estime qu'il existe entre 5 000 et 8 000 maladies rares différentes qui touchent, à un moment donné de la vie, jusqu'à 6 % de la population totale de l'UE. En d'autres termes, dans les 27 États membres, entre 29 et 36 millions de personnes souffrent ou souffriront d'une maladie rare.

2. DEFINITION DU PROBLEME

2.1. Manque de reconnaissance et de visibilité des maladies rares

Bien que les maladies rares contribuent largement à la morbidité et à la mortalité, elles sont généralement absentes des systèmes d'information sur les soins de santé, en raison de l'inexistence de systèmes de codification et de classification appropriés. L'absence d'identification formelle dans les systèmes de santé crée des obstacles médicaux et financiers qui empêchent le patient de recevoir un traitement pour une maladie qui, n'étant pas reconnue, ne se voit allouer ni fonds, ni ressources. Il y a donc instauration d'un cercle vicieux dans lequel l'inefficacité actuelle se perpétue. En outre, les erreurs ou l'absence de diagnostic constituent les principaux obstacles à une amélioration de la qualité de vie de milliers de patients atteints de maladies rares.

2.2. Absence de politiques concernant les maladies rares dans les États membres

Les ressources limitées disponibles pour les maladies rares sont fragmentées entre les États membres. Il est donc essentiel d'établir un plan spécifique pour concentrer et utiliser rationnellement ces ressources qui, sinon, descendraient en dessous du seuil d'efficacité. L'absence de politiques sanitaires spécifiques pour les maladies rares et le manque de connaissances à leur sujet se traduisent par des retards de diagnostic et des difficultés pour accéder aux soins.

2.3. Manque d'efficacité des soins de santé, de la recherche et de la réglementation dans le domaine des maladies rares en Europe

2.3.1. Accès inéquitable à des soins de santé spécialisés

On constate un manque de réseaux de référence et d'accès à des soins, des ressources et des compétences qui peuvent très bien n'être disponibles que dans un autre État membre.

2.3.2. Recherche fragmentée

Il existe un lien très étroit entre la recherche et les possibilités de diagnostic et de traitement des maladies rares, c'est pourquoi il est nécessaire d'intensifier la recherche sur ces maladies. Toutefois, ce processus est entravé par la mauvaise utilisation et la fragmentation des ressources limitées disponibles.

2.3.3. *Cadre législatif insuffisant*

Le cadre législatif actuellement en vigueur dans l'UE est mal adapté aux maladies rares. La législation communautaire existante, concernant par exemple les essais cliniques et l'autorisation de mise sur le marché de médicaments, se révèle inadaptée et insuffisante dès lors qu'elle est appliquée aux maladies rares.

2.4. **Subsidiarité**

Il n'existe probablement pas d'autre domaine de santé publique où les 27 approches nationales sont aussi inefficaces et inopérantes que dans celui des maladies rares. Eu égard au nombre réduit de patients atteints de telles maladies et à la nécessité de rassembler les ressources, la problématique des maladies rares, vu son ampleur et sa nature, exige, pour être réglée efficacement, une action au niveau européen, conformément à l'article 152 du traité instituant la Communauté européenne.

Il n'est pas possible que chaque État membre dispose d'un centre pour chaque maladie, eu égard au volume considérable de ressources que cela nécessiterait. L'idée est de faire voyager les compétences, plutôt que les patients – même si ceux-ci devraient également pouvoir se rendre dans les centres, en cas de besoin.

2.4.1. *Critère de la nécessité*

C'est essentiellement aux États membres qu'il incombe de protéger et d'améliorer la santé de leurs citoyens. Dans le cadre de cette mission, il leur appartient de déterminer l'organisation et la prestation des services de santé et des soins médicaux destinés aux patients souffrant d'une maladie rare. Toutefois, les objectifs fondamentaux de l'UE en ce qui concerne la libre circulation des patients, la reconnaissance équitable des maladies et l'accès équitable à des médicaments orphelins sûrs et efficaces, ou la recherche sur les maladies rares menée en collaboration ont forcément une dimension de santé publique à l'échelle de l'Union.

L'une des principales raisons pour lesquelles il est décidé d'agir aujourd'hui dans le domaine des maladies rares est le processus actuel de révision de la Classification internationale des maladies (CIM). Il est prévu de faire figurer les maladies rares dans la nouvelle CIM-11 et, pour le faire efficacement d'un point de vue européen, il doit exister un point de coordination central.

2.4.2. *Critère de la valeur ajoutée*

L'UE peut apporter une valeur ajoutée à travers toute une série d'activités. Celles-ci consistent notamment à s'efforcer d'atteindre une masse critique ou de réaliser des économies d'échelle. Il peut s'agir, par exemple, de partager des informations sur les maladies rares dont ne souffrent qu'un petit nombre de personnes dans chaque État membre ou de mener une recherche pluridisciplinaire en collaboration, ce qui s'avère le moyen le plus efficace de mieux comprendre les maladies et de mettre au point des méthodes préventives, diagnostiques et thérapeutiques. Des exemples clairs de valeur ajoutée peuvent être identifiés dans les quatre domaines suivants:

- réduction des inégalités en matière de santé dans l'UE;
- création d'un cadre cohérent pour l'identification des maladies rares et le partage d'informations à l'échelle européenne;
- valeur ajoutée d'une nouvelle approche des maladies rares par l'UE, amélioration de l'identification des maladies rares, ainsi que des informations et des connaissances les concernant, en vue de l'établissement d'une base solide pour le diagnostic et les soins aux patients;
- mise en place d'un cadre amélioré pour la recherche sur les maladies rares.

3. OBJECTIFS A ATTEINDRE

L'objectif général de l'action communautaire dans le domaine des maladies rares est d'aider les États membres à faire en sorte que la reconnaissance, la prévention, le diagnostic, le traitement, les soins et la recherche concernant les maladies rares soient efficaces et performants. Il s'appuie sur les objectifs stratégiques de prospérité, de solidarité et de sécurité que poursuit la Commission. Les trois objectifs spécifiques décrits ci-dessous doivent concourir à sa réalisation.

3.1. Améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares

La condition essentielle pour parvenir à de meilleures stratégies d'ensemble pour les maladies rares est la reconnaissance de ces maladies, dont dépend l'adoption de toutes les autres mesures appropriées. L'UE devrait coopérer étroitement avec l'OMS dans le cadre de la révision de la CIM actuelle, afin d'assurer une meilleure codification et une meilleure classification des maladies rares.

3.2. Soutenir les politiques concernant les maladies rares dans les États membres

Pour que l'action dans le domaine des maladies rares puisse être efficace et performante, elle doit s'inscrire dans une stratégie d'ensemble cohérente, mobilisant les ressources rares et éparpillées de manière coordonnée et bien établie, et intégrée dans un effort européen commun. Cet effort conjoint dépend lui-même d'une approche identique des travaux sur les maladies rares dans toute l'Union européenne, en vue d'établir une base de collaboration commune.

3.3. Développer la coopération, la coordination et la réglementation européennes dans le domaine des maladies rares

La Communauté devrait s'efforcer de mieux coordonner les politiques et les initiatives au niveau communautaire, et de renforcer la coopération entre les programmes de l'Union afin de tirer le meilleur profit des ressources disponibles pour la lutte contre les maladies rares au niveau de la Communauté, de manière à garantir, en particulier:

- une coordination efficace de la recherche et du développement technologique;
- l'accès des patients atteints de maladies rares à des soins de santé spécialisés appropriés, ainsi qu'à des services sociaux spécialisés et adaptés;
- l'adaptation du cadre législatif et du cadre d'action au niveau communautaire aux besoins spécifiques des maladies rares.

4. OPTIONS ENVISAGEABLES

4.1. Option de base

Poursuivre les travaux sur la base de projets, sans point de référence européen, dans les limites du cadre juridique actuel

Dans le cadre de cette option, la Commission continuerait à soutenir des projets individuels visant à améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares, sans adresser d'orientations formelles ou de recommandation aux États membres quant à la mise en place de stratégies efficaces et performantes.

4.2. Communication de la Commission et proposition de recommandation du Conseil

Dans le cadre de cette option, la Commission établirait une déclaration formelle concernant la définition des maladies rares dans l'UE, décrirait ses projets en matière de reconnaissance et de visibilité des maladies rares aux niveaux européen et mondial, et présenterait une stratégie globale pour les travaux européens sur les maladies rares.

La Commission présenterait également une proposition de recommandation du Conseil, invitant les États membres à élaborer des stratégies nationales globales et cohérentes pour les maladies rares.

4.3. Rétablissement d'un programme formel sur les maladies rares

Dans le cadre de cette option, la Commission proposerait d'établir un programme spécifique, ne comportant qu'une seule stratégie détaillée pour les soins de santé en rapport avec les maladies rares au niveau communautaire. Ce programme serait institué conformément à l'article 152 du traité CE, pour promouvoir des projets consacrés aux maladies rares, à l'instar de l'ancien programme spécifique sur les maladies rares. La Commission pourrait également adopter des mesures au titre du règlement du Parlement européen et du Conseil relatif aux statistiques communautaires de la santé publique et de la santé et de la sécurité au travail, en vue de mettre en place une prescription légale contraignante relative à la collecte de données sur les maladies rares par les États membres.

5. ANALYSE DES INCIDENCES

5.1. Incidences sociales

L'élaboration de stratégies nationales sur des bases entièrement nouvelles, dans le cadre de l'option de base, serait un processus complexe, qui exigerait un temps considérable. Il semble dès lors peu probable que les États membres puissent mettre en place de telles stratégies sans disposer d'un point de référence clair faisant la synthèse des meilleures pratiques existant dans toute l'Union. Un tel processus risquerait même de creuser les inégalités entre les États membres.

Une recommandation du Conseil permettrait aux États membres de prendre un engagement juridique et politique formel tout en disposant d'une certaine marge de manœuvre sur le plan de la mise en œuvre. Aux termes de l'article 152, une telle approche constitue un instrument approprié dans le domaine de la santé, dans la mesure où elle établit un juste équilibre entre, d'une part, des orientations concrètes et un engagement commun et, d'autre part, le respect du principe de subsidiarité. Elle déboucherait sur une plus grande équité et une qualité accrue dans la prestation de services et l'accès aux services et aurait donc un effet positif sur la santé de la population dans les États membres.

Le rétablissement d'un programme formel sur les maladies rares permettrait d'accroître l'efficacité des actions. Néanmoins, le gain serait minime, par comparaison avec une stratégie de la Commission. Par conséquent, le rétablissement d'un programme formel n'offrirait pas d'avantage significatif par rapport aux autres options présentées.

5.2. Incidences environnementales

Eu égard à la nature de l'initiative, les incidences environnementales sont négligeables et ne seront pas examinées plus avant.

5.3. Incidences économiques

Une intervention réussie dans le domaine des maladies rares pourrait également avoir des incidences économiques, sous la forme d'une meilleure utilisation des ressources en faveur desdites maladies. En France, la mise en place de la stratégie pluriannuelle (2005-2008) pour les maladies rares coûtera 86,66 millions d'euros, 20 millions d'euros supplémentaires devant être consacrés à la recherche. Pour de nombreux États membres, l'option de base n'est pas viable, en raison des conséquences budgétaires que l'établissement de telles stratégies aurait pour leurs pouvoirs publics, en l'absence d'orientations et d'une approche européenne.

Les travaux techniques liés à l'option prévoyant une recommandation du Conseil peuvent s'appuyer sur le programme de santé publique existant, ainsi que sur une centralisation des efforts, ce qui se révélera plus efficace et moins lourd pour les systèmes nationaux de santé et les pouvoirs publics.

Une action plus efficace dans le domaine des maladies rares entraînera des avantages substantiels, tant pour les patients individuels que pour les systèmes de santé en général (utilisation rationnelle des ressources). Étant donné le caractère non contraignant de l'initiative, les incidences escomptées ne devraient représenter une charge pour aucun groupe ni secteur.

La collecte de données sur les 5 000 à 8 000 maladies rares dans toute l'Union, qui serait rendue obligatoire par la troisième option, ferait peser une lourde charge administrative sur les pouvoirs publics. De plus, l'intégration des données collectées sur les maladies rares dans le système statistique européen aurait un coût supplémentaire non négligeable. Cette option soulève également des questions sur le plan de la subsidiarité, compte tenu des divergences dans l'organisation et la prestation des services de santé et des soins médicaux dans l'ensemble de l'Union. Le rétablissement d'un programme formel de l'UE sur les maladies rares pourrait profiter à des domaines tels que la recherche et le développement technologique. Néanmoins, pour être viable, un tel programme devrait être doté de moyens substantiels, aussi cette option ne semble-t-elle pas constituer l'approche la plus efficace.

6. COMPARAISON DES OPTIONS

6.1. Améliorer la reconnaissance et la visibilité des maladies rares

	Option de base	Communication de la Commission	Condition impérative de collecte de données
Avantages	Meilleure identification et meilleure catégorisation	Meilleure reconnaissance; engagement des acteurs concernés; adoption des résultats.	Amélioration du stock de données disponibles; meilleure surveillance de la santé publique; prestation de services améliorée et plus équitable.
Inconvénients	Diminution de la probabilité d'adoption de classifications; répétition et inefficacité des travaux; persistance des inégalités dans l'accès aux soins.	Réussite tributaire de la collaboration de toute une série de parties prenantes.	Lourde charge administrative; coût élevé de l'intégration des données dans le système statistique; niveau d'intervention disproportionné.

6.2. Soutenir les politiques concernant les maladies rares dans les États membres

	Option de base	Recommandation du Conseil	Stratégie au niveau de l'UE pour les soins de santé en rapport avec les maladies rares
Avantages	Souplesse maximale permettant aux États membres	Engagement politique et juridique formel;	Orientations détaillées au niveau de l'UE;

	d'organiser leurs systèmes de santé comme ils le souhaitent.	maintien d'une certaine souplesse; actions plus judicieuses et plus efficaces; mise en commun des ressources.	meilleure identification des meilleures pratiques; augmentation de l'offre de soins de santé.
Inconvénients	Persistance des inégalités dans l'accès aux soins de santé et la qualité de ceux-ci; absence de point de référence clair; mise en place inefficace de stratégies nationales; les ressources demeurent fragmentées.	Les États membres ne sont pas juridiquement tenus de s'y conformer.	Profonde restructuration des systèmes de santé nationaux; problèmes de subsidiarité.

6.3. Développer la coopération, la coordination et la réglementation européennes dans le domaine des maladies rares

	Option de base	Communication de la Commission	Rétablissement d'un programme sur les maladies rares
Avantages	Les actions communautaires existantes n'ont pas besoin d'être réorientées.	Plus grande équité dans l'accès aux soins de santé et la qualité de ceux-ci; renforcement de la coopération transfrontalière; diminution de la mortalité et de la morbidité; réduction des gaspillages de ressources; encouragement de la recherche; introduction de technologies facilitée.	Assure la visibilité politique du financement communautaire.
Inconvénients	Maintien d'actions inefficaces; creusement des inégalités; les ressources demeurent limitées et dispersées.	Dépend de la coopération de toute une série d'acteurs au niveau communautaire, à travers un large éventail de programmes.	Haut niveau de financement requis (que les perspectives financières actuelles ne permettent pas); absence d'intégration dans d'autres domaines d'action; approche inefficace.

6.4. Résumé

Compte tenu de ce qui précède, l'option privilégiée consiste à proposer une stratégie communautaire pour les maladies rares, présentée dans une communication de la Commission, tout en s'efforçant de parvenir à un engagement commun, sur la base d'une proposition connexe de recommandation du Conseil, fondée sur l'article 152 du traité CE, relative à l'établissement de stratégies globales et cohérentes pour les maladies rares.

7. SUIVI ET EVALUATION

7.1. Collecte de données

Un ensemble de données pour les indicateurs relatifs aux maladies rares sera établi, sur la base des travaux actuels des structures de soutien technique. Cet ensemble de données couvrira les domaines suivants (liste non exhaustive fournie à titre indicatif):

- démographie, épidémiologie et statut sanitaire;
- déterminants de la santé et facteurs socio-économiques;
- services de santé;
- recherche et développement technologique;
- équité, disparités régionales et initiatives de l'UE.

7.2. Comitologie et mécanisme de contrôle

Un comité consultatif de l'Union européenne sur les maladies rares (CCUEMR) sera créé en vue d'accomplir les tâches actuellement assurées par la task-force de l'Union européenne sur les maladies rares. Le futur CCUEMR sera composé de représentants des 27 États membres. En feront partie des experts participant à des projets relevant du programme de santé publique et du programme-cadre en matière de recherche et de développement, des représentants des associations de patients, des représentants de l'industrie et d'autres organismes intéressés.