

RARE DISEASE NEWS

Actualités dans les maladies rares

ETAT DES LIEUX DES POLITIQUES DE SANTE DEDIEES AUX MALADIES RARES DANS DOUZE PAYS DE L'EURASIE

Marcin Czech et coll.

Malgré un effort d'harmonisation sur le plan européen et international, les politiques de santé dédiées aux maladies rares varient considérablement d'un pays à l'autre avec pour conséquence un accès aux médicaments orphelins très hétérogène pour les patients selon leur pays d'origine. Une revue publiée en 2020 dans *Frontiers in Public Health* a examiné de manière approfondie les différentes politiques de santé "maladies rares" de douze pays d'Europe et d'Asie.

Les pays sélectionnés pour la revue comprenaient six pays de l'Union Européenne dont la France, le Royaume-Uni, la Turquie, la Russie ainsi que d'anciens pays soviétiques (Arménie, Kazakhstan et Ukraine). Pour chacun de ces pays, les auteurs ont comparé les politiques de santé en matière de maladies rares en s'intéressant aux seuils retenus pour la définition d'une maladie rare, au dépistage néonatal, aux différents registres cliniques mis en place, aux plans nationaux existants ou prévus, et aux conditions d'accès et de remboursements des médicaments orphelins.

Si tous les pays examinés ont bien mis en place un dépistage néonatal des maladies rares, le nombre de maladies dépistées (de 2 à 35) est très variable. Les pays en tête du classement dans ce domaine sont les Pays-Bas et la Pologne tandis que la France est à la traîne avec seulement 5 maladies dépistées chez le nouveau-né.

La plupart des pays disposent de registres de maladies rares avec une couverture régionale, nationale, européenne ou internationale. Les auteurs notent que leur nombre a pu augmenter ces dernières années grâce aux plans nationaux et à une meilleure coopération scientifique internationale. La France fait partie des trois pays disposant d'un registre centralisé (BNDMR, Banque Nationale des Données Maladies Rares). Des plans nationaux "maladies rares" ont été répertoriés dans tous les pays de l'UE mais leur mise en œuvre pratique se fait encore attendre dans certains pays. La France fait figure de bonne élève en la matière puisqu'elle est le premier pays d'Europe à avoir mis en place un plan national dès 2004, devançant les exigences de l'UE.

Le nombre de médicaments orphelins remboursés varie considérablement selon les pays, couvrant la quasi-intégralité des médicaments orphelins disponibles pour la France, l'Allemagne et les Pays-Bas, à aucun d'entre eux pour l'Arménie. Les règles de remboursement sont extrêmes hétérogènes selon les pays, et les auteurs notent une tendance à des conditions de remboursement plus strictes pour les médicaments coûteux (orphelins).

Les variations dans les politiques nationales dédiées aux maladies rares sont à l'origine d'une inégalité d'accès aux soins pour les patients atteints de maladies rares. Les auteurs de la revue plaident pour une poursuite des efforts d'harmonisation et de coopération internationales, pour le bénéfice des patients.

Référence

Czech M, Baran-Kooiker A, Atikeler K, *et al.* A Review of Rare Disease Policies and Orphan Drug Reimbursement Systems in 12 Eurasian Countries. *Front Public Heal.* 2020; 7:416.