

# COMMISSION DE LA SANTÉ PUBLIQUE, DE L'ENVIRONNEMENT ET DU RENOUVEAU DE LA SOCIÉTÉ du 10 mars 2015

---

## Questions jointes de

- **M. Willy Demeyer à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "la mise en oeuvre du Plan belge pour les Maladies Rares"**
  
- **M. André Frédéric à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "le remboursement des médicaments orphelins"**
  
- **Mme Kattrin Jadin à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "le Plan belge pour les Maladies Rares"**
  
- **M. André Frédéric à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "la mise en oeuvre du Plan belge pour les Maladies Rares"**
  
- **Mme Catherine Fonck à la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique sur "la maladie de Verneuil"**

La **présidente**: La question n° 2506 de M. Willy Demeyer est retirée. Mme Jadin est absente.

**André Frédéric** (PS): Madame la présidente, madame la ministre, mes questions portent sur les médicaments orphelins et sur le plan belge pour les maladies rares. M. Demeyer a retiré sa question car il est à l'étranger.

Les maladies rares, souvent génétiques et dégénératives, touchent moins d'une personne sur deux mille. L'élaboration de leur traitement est donc souvent très longue, complexe et peu rentable puisque cela ne concerne qu'un petit groupe de patients. Pourtant, ces recherches sont fondamentales tant pour les patients souffrant de maladies rares que pour d'autres patients puisqu'elles peuvent également permettre de développer des traitements pour des pathologies bien plus courantes.

Il semble cependant que ces dernières années, l'industrie pharmaceutique soit plus encline à poursuivre des recherches concernant les maladies rares ou orphelines en raison non seulement des mécanismes incitatifs mis en place par l'Union européenne mais aussi de la simplification des procédures d'approbation des médicaments. Ainsi, en 2014, l'Agence européenne des médicaments aurait approuvé quatorze médicaments orphelins et une centaine de ces médicaments seraient actuellement disponibles pour les patients dans l'Union européenne.

En Belgique, il apparaît que soixante-neuf médicaments orphelins sont actuellement remboursés par l'INAMI sous certaines conditions, établies essentiellement sur base des données des études cliniques fournies par les firmes pharmaceutiques. Une approche spécifique et durable des maladies rares en Belgique semble donc indispensable pour que les entreprises pharmaceutiques puissent continuer à investir dans ce domaine.

Madame la ministre, pouvez-vous nous confirmer ces chiffres concernant le nombre de médicaments orphelins actuellement autorisés par l'Agence européenne des médicaments ainsi que ceux concernant le nombre de ces médicaments remboursés par l'assurance soins de santé? Comment expliquez-vous le fait que le nombre de médicaments orphelins enregistrés en Europe augmente plus rapidement que le nombre de médicaments remboursés par l'INAMI? Pouvez-vous nous expliquer concrètement sur quelles bases est déterminé le remboursement de ces médicaments en Belgique?

Le plan Maladies rares, adopté en février 2014, prévoyait notamment d'accélérer la prise en charge par l'assurance maladie de nouveaux traitements. Votre prédécesseur avait ainsi fait adopter le projet *Unmet medical needs* afin de permettre à des groupes de patients souffrant d'une maladie grave d'avoir accès plus rapidement à de nouveaux traitements innovants qui pourraient avoir un impact majeur sur leur santé, alors qu'aucun traitement efficace n'existe sur le marché. Pouvez-vous nous dire où en est ce projet et si de nouvelles mesures seront prises prochainement concernant l'accélération des procédures de remboursement de ces médicaments orphelins?

En février 2014, la ministre de la Santé, Laurette Onkelinx, avait initié le premier plan belge pour les maladies rares. Répondant à la recommandation de la Commission européenne, ce plan reprenait vingt actions prioritaires, regroupées au sein de quatre axes d'intervention à développer d'ici 2017. En 2014, ce plan avait bénéficié d'un budget de 15,7 millions d'euros. Si certaines avancées ont déjà eu lieu, il reste du chemin à parcourir tant les obstacles semblent s'accumuler. Ainsi, un des arrêtés d'exécution du plan a été porté devant la Cour constitutionnelle. De plus, l'ampleur de la réforme du financement des hôpitaux qui doit être menée conjointement mais surtout l'austérité budgétaire décidée par votre gouvernement pourraient vous empêcher de prendre les mesures contenues dans ce plan, notamment celles destinées à alléger la charge financière des patients.

Madame la ministre, les personnes qui souffrent d'une maladie rare s'impatientent. Elles ont besoin de solutions concrètes, et non d'un catalogue de bonnes intentions. Pouvez-vous dès lors nous détailler les mesures et actions déjà prises dans le cadre de ce plan? Pouvez-vous nous confirmer votre intention de poursuivre la mise en œuvre de ce plan dans son intégralité? Si oui, pouvez-vous nous donner un calendrier précis? La mise en œuvre du plan Maladies rares devant se faire conjointement entre l'État fédéral et les Régions, des contacts ont-ils déjà été pris en ce sens? Pouvez-vous nous dire si ce point sera bien abordé lors du prochain comité interministériel Santé?

**Catherine Fonck** (cdH): Madame la ministre, j'estime non pertinent le regroupement de questions portant sur les enjeux du plan Maladies rares – notamment l'accès aux médicaments – et sur une de ces pathologies. C'est pourquoi je vais transformer ma question n° 2793 relative à la maladie de Verneuil en question écrite. Il me semble essentiel de ne pas jouer une maladie contre une autre.

Il me paraît important d'obtenir une réponse à propos des maladies rares et des médicaments orphelins.  
Je vous remercie.

**Maggie De Block**, ministre: Ma réponse initiale était plutôt longue, puisque six questions m'avaient été posées.

Vous savez que les maladies orphelines sont reprises dans l'accord de gouvernement et constituent une priorité politique.

Parallèlement, au niveau européen, nous recherchons des solutions communes pour les défis comme les maladies rares. Pour le traitement d'infections complexes ou rares ou en cas de technologies ou d'infrastructures très coûteuses, nous évoluerons vers des soins hospitaliers spécialisés, intégrés dans un réseau clinique entre hôpitaux.

Dans ma note de politique générale du 13 novembre 2014, je précise également que la mise en œuvre du plan Maladies rares et Médicaments orphelins sera poursuivie au cours de cette législature.

Le plan a été adopté en 2013 et se compose de vingt actions assez précises concernant le diagnostic et l'information fournie au patient sur l'optimisation des soins ainsi que le renforcement de la recherche scientifique.

Plusieurs mesures importantes de ce plan ont été mises en œuvre en 2014. Premièrement, une convention relative à la sélection des laboratoires de référence pour les tests diagnostiques non génétiques a été signée en juillet 2014 entre l'Institut scientifique de Santé publique et l'INAMI pour la réalisation d'une étude de faisabilité. L'Institut scientifique mènera également une étude concernant la création d'un système de qualité dans les centres de génétique. Un rapport à ce sujet est attendu d'ici la fin de l'année.

Deuxièmement, des conventions ont également été conclues en 2014 avec de nouveaux centres de référence pour l'hémophilie.

Troisièmement, il est important pour les patients atteints d'une maladie rare de déterminer les centres qui disposent de l'expertise la plus adaptée pour leur maladie. C'est la raison pour laquelle nous avons prévu l'organisation de soins pour les maladies rares qui permet de reconnaître l'expertise et de la localiser. Des normes d'agrément pour les hôpitaux ont été élaborées à cet effet et les arrêtés royaux correspondant ont été publiés en août 2014. L'étape suivante de ce processus est la reconnaissance des centres par les Communautés et les Régions.

Quatrièmement, l'arrêté royal qui définit les conditions de l'accès accéléré et anticipé aux médicaments pour les patients atteints d'une maladie rare est entré en vigueur en décembre 2014.

Cinquièmement, le registre central des maladies rares intégré à l'Institut scientifique de Santé publique a été lancé ce mois-ci. Dans un premier temps, ce registre consignera les données relatives aux maladies rares fournies par les centres de génétique.

Sixièmement, l'Agence européenne des médicaments a lancé en 2014 l'évaluation des demandes d'autorisation de mise sur le marché de vingt et un médicaments orphelins.

Septièmement, le statut de maladie rare est en vigueur depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2013. Il est notamment question d'une maladie rare lorsqu'elle ne se présente qu'une seule fois sur deux mille habitants et est reprise dans les banques de données Orphanet. Les personnes concernées peuvent prétendre à une intervention supplémentaire de l'assurance maladie. Le maximum à facturer s'applique plus rapidement pour elles et, à partir de 2015, les patients concernés auront aussi droit au régime de tiers payant automatique.

Je souhaiterais en outre indiquer que la problématique des maladies rares est examinée avec les Communautés et les Régions dans le cadre de la conférence interministérielle Santé publique et plus particulièrement au sein du groupe de travail inter-cabinets Maladies chroniques. Les discussions au sein du groupe de travail de la Cellule inter-administrative pour le plan Maladies chroniques et rares du SPF Santé publique ont été relancées récemment. La décision de relancer cette Cellule et de fixer la composition de ces groupes de travail a été prise au début de ce mois.

Le groupe de travail Maladies chroniques a tenu sa première réunion et continuera de traiter ce thème dans le courant de 2015.

Enfin, je veux également prendre un certain nombre d'initiatives au niveau européen et avec mes collègues européens. Les travaux préparatoires à cet égard ont déjà commencé.

Les éléments suivants de ma réponse sont adressés à Mme Fonck et lui seront transmis de façon écrite.

**André Frédéric** (PS): Madame la ministre, je relirai avec intérêt le contenu de cette réponse assez précise qui m'est donnée.

Je vois qu'il y a une volonté de poursuivre ce qui avait été mis en œuvre sous le précédent gouvernement. Vingt actions étaient prévues dans le plan initial et j'ai pointé dans la réponse sept actions qui ont été menées ou qui sont en cours.

Je demanderais à la ministre de rester extrêmement attentive à la poursuite du plan, au fait aussi que ce plan dispose des moyens budgétaires financiers suffisants. Je resterai également extrêmement attentif au dossier.