

**28 FEBRUARY  
2019**



**RARE DISEASE DAY.ORG**

**#RareDiseaseDay**

**28 février 2019**

## Edition spéciale

pharma.be, l'association de l'industrie pharmaceutique innovante, soutient la Journée internationale des maladies rares. Cliquez ici pour découvrir l'avant-propos de Catherine Rutten



### Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

Scientifiquement, les maladies rares constituent l'un des problèmes de santé les plus complexes de notre temps. Une maladie rare ne touche pas plus de 5 personnes sur 10.000.

[En savoir plus](#)



### Le médicament orphelin, un médicament à part

Les médicaments orphelins sont des médicaments à usage humain destinés au traitement de maladies graves et rares. Le statut de « médicament orphelin » est accordé au niveau européen.

[En savoir plus](#)

### 7 nouveaux médicaments orphelins disponibles pour les patients en Belgique en 2018

Outre les nouveaux médicaments approuvés l'année dernière, une centaine d'études cliniques destinées à aider les patients atteints de maladies rares se déroulent en Belgique.

[En savoir plus](#)



## Œuvrer à un accès plus rapide pour le patient

Depuis le 1er janvier 2019, le fonctionnement des Collèges des médicaments orphelins a été revu. L'objectif : accélérer l'accès pour les patients.

[En savoir plus](#)



## 21 nouveaux médicaments orphelins ont été approuvés par l'EMA en 2018

Sur 84 avis positifs rendus l'année dernière par l'Agence européenne du médicament pour l'approbation de nouveaux médicaments, 21 portaient sur des médicaments orphelins.

[En savoir plus](#)

## Média

pharma.be meets

**LARA BLOOM**  
International Executive Director,  
Ehlers-Danlos Society



**Le syndrome d'Ehlers-Danlos est une maladie génétique héréditaire..**

[Découvrez ici le témoignage de Lara Bloom. Elle évoque la place centrale du patient..](#)



**Filip est atteint d'achondroplasie, une maladie génétique rare.**

[Vous pouvez voir ici le témoignage de Filip et de sa maman.](#)

## 28 février 2019

Chers lecteurs,

Chaque année, le 28 février, **la Journée internationale des maladies rares** est organisée. Elle est née en 2008 à l'initiative de patients qui souhaitaient attirer l'attention sur ces pathologies.

Aujourd'hui, cette journée rassemble des millions de personnes dans le monde.

Le slogan cette année est « Rares, fiers, soyons solidaires ». pharma.be, l'association de l'industrie pharmaceutique innovante, soutient cette journée d'action.

Beaucoup de choses se passent dans le secteur (bio)pharmaceutique belge au niveau de la recherche de nouvelles thérapies pour ces maladies qui touchent moins de 5 personnes sur 10.000. Outre les nouveaux médicaments approuvés l'année dernière, une centaine d'études cliniques destinées à mettre au point les thérapies de demain dans ce domaine si spécifique se déroulent en Belgique. Au total, plus d'1/4 des études cliniques en cours dans notre pays portent sur des maladies rares(1), contre 1/5 en moyenne pour d'autres pays européens(2).

Toutefois, en Belgique, nous constatons que l'an dernier, le nombre de médicaments orphelins ayant obtenu une autorisation de remboursement a diminué (7 en 2018, contre 12 en 2017). Afin d'aider au plus vite les patients, pharma.be plaide pour un deuxième plan pour les maladies rares (après avis du Comité de gestion du Fonds Maladies Rares et Médicaments Orphelins créé au sein de la Fondation Roi Baudouin).

Dans cette newsletter, vous pourrez en apprendre plus sur les maladies rares. Je vous invite également à écouter les témoignages de Filip atteint d'achondroplasie et de Lara Bloom qui nous parle de l'importance du diagnostic et de l'écoute du patient.

Bonne lecture,.



Catherine Rutten  
CEO pharma.be

(1) Source : Monitor Deloitte analyses based on EU Clinical Trials Register data (2017).

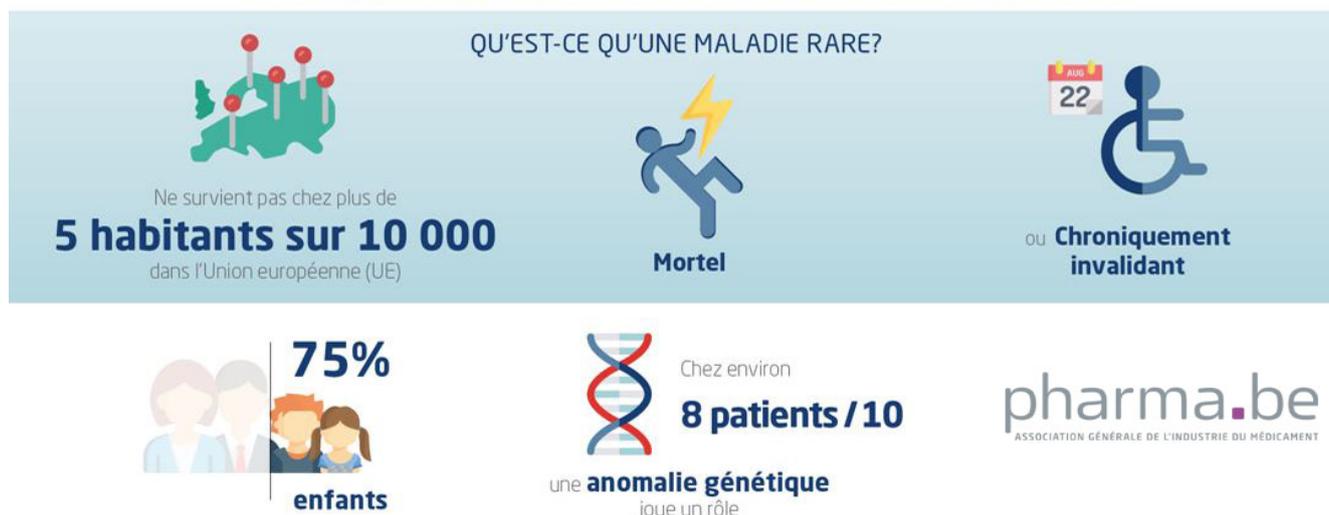
(2) La moyenne du groupe européen des pays de référence, dont la France et les Pays-Bas, est de 20,6%, et 27,1% pour la Belgique.

## Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

Scientifiquement, les maladies rares constituent l'un des problèmes de santé les plus complexes de notre temps. Une maladie rare est, selon la définition retenue par l'Union européenne, une maladie qui menace la vie ou provoque un déclin progressif des fonctions physiques ou cognitives et qui ne touche pas plus de 5 personnes sur 10.000.

Pourtant, 6 à 8% de la population serait atteinte par une ou plusieurs de ces pathologies, ce qui équivaut à 30 millions de personnes à l'échelle européenne et représente entre 60.000 et 100.000 personnes en Belgique. Ce paradoxe est dû au fait que, s'il y a peu de patients par maladie, il existe entre 6.000 et 8.000 maladies rares, dont la plupart sont d'origine génétique.

## MALADIES RARES ET MÉDICAMENTS ORPHELINS RARES, MAIS AVEC UN IMPACT IMPORTANT



La faible prévalence de ces maladies rend leur diagnostic et leur prise en charge extrêmement difficiles. Il n'y a bien souvent pas de médicaments permettant un traitement. Des actions spécifiques étaient dès lors nécessaires pour répondre aux besoins médicaux importants des patients, tant en matière de survie que de qualité de vie.

Compte tenu du défi que les maladies rares représentent pour la santé publique, l'UE a instauré depuis 2000, une politique spécifique afin d'encourager la recherche et le développement (R&D) de médicaments orphelins.

La recherche pharmaceutique a fait un bond en avant : en effet, en 2018, le nombre de médicaments orphelins enregistrés en Europe était de 149 (1)..

(1) Source : European Medicines Agency (EMA)

## Les médicaments orphelins

Les médicaments orphelins sont des médicaments à usage humain destinés au traitement de maladies graves et rares. Un médicament est désigné comme " orphelin " lorsqu'il est utilisé pour traiter une maladie mettant la vie du patient en danger ou une maladie très invalidante et touchant tout au plus 5 personnes sur 10.000 dans l'Union européenne.

Le statut de « médicament orphelin » est accordé au niveau européen par la Commission Européenne. Le Comité pour les médicaments orphelins (COMP) est chargé de l'évaluation scientifique des demandes de désignation. Il se réunit sous les auspices de l'Agence européenne des médicaments (European Medicines Agency – EMA).

Les médicaments orphelins ont une procédure d'autorisation de mise sur le marché spécifique. Afin de stimuler leur développement, un certain nombre d'incitants pour les entreprises (bio)pharmaceutiques existent comme, entre autres, une exclusivité commerciale de dix ans pour ces médicaments après l'autorisation de mise sur le marché.

Le statut de " médicament orphelin " expire soit dix ans après la délivrance de la première autorisation de mise sur le marché, soit à la demande de l'entreprise.

Certains médicaments plus anciens (avant l'entrée en vigueur du Règlement européen) ont également reçu le statut de " médicament orphelin " par les autorités belges (l'AFMPS). Ceux-ci répondent aux mêmes règles que celles concernant les médicaments orphelins européens.

Source: Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS)

La brochure de pharma.be sur les maladies rares et les médicaments orphelins est disponible [en cliquant ici](#).

## 28 février 2019 - Journée internationale des maladies rares

### 7 nouveaux médicaments orphelins disponibles pour les patients en Belgique en 2018

Les maladies rares touchent moins de 5 personnes sur 10.000. Ces maladies mettent la vie des patients en danger ou entraînent une invalidité chronique. Les scientifiques estiment que le nombre de ces pathologies est compris entre 6000 et 8000. Dans 75 pour cent des cas, les maladies rares se déclarent chez les enfants.

Chaque année, le 28 février, la Journée internationale des maladies rares est organisée pour demander plus d'attention à ce groupe diversifié de maladies. pharma.be, l'association de l'industrie pharmaceutique innovante, soutient cette journée d'action.

**Catherine Rutten, CEO pharma.be** : « L'année 2018 a été marquée par la mise à disposition, en Belgique, de 7 nouveaux médicaments orphelins pour les patients atteints de maladies rares. Au total, 88 médicaments orphelins sont remboursés dans notre pays. Afin d'aider au plus vite les patients en attente de nouveaux traitements, nous devons tout mettre en œuvre pour soutenir la recherche scientifique. C'est pourquoi pharma.be plaide pour un deuxième plan pour les maladies rares ».

**Kristel de Gauquier, Directrice Médicale pharma.be** : « Le secteur (bio)pharmaceutique belge est très actif en matière de recherche sur les maladies rares. En Belgique, 1/4 des études cliniques destinées à mettre au point de nouveaux médicaments portent sur ces maladies si spécifiques[1]. Il s'agit d'une proportion nettement supérieure à la moyenne d'autres pays de l'Union européenne.[2]»

[1] Monitor Deloitte analyses based on EU Clinical Trials Register data

[2] La moyenne du groupe européen des pays de référence, dont la France et les Pays-Bas, est de 20,6%, et 27,1% pour la Belgique.

## Œuvrer à un accès plus rapide pour le patient

Afin de faciliter et d'accélérer l'accès des patients aux médicaments orphelins, la législation belge a été modifiée récemment. L'arrêté royal du 08/07/2004 relatif au remboursement des médicaments orphelins et des médicaments pour maladies rares a été adapté par l'arrêté royal du 6 décembre 2018. Depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2019, le fonctionnement des collèges des médicaments orphelins qui analysent les demandes individuelles de remboursement a été modifié.

Les principaux changements portent sur :

- **Les délais** : Le délai maximum pour l'examen d'une demande individuelle est désormais fixé à 30 jours ouvrables.
- **La visibilité** : Tout document rédigé par le Collège de médecins concerné, comme par exemple les lignes directrices sur le contenu nécessaire pour une demande individuelle de remboursement, sera disponible via le site web de l'INAMI. De cette manière, le dossier de demande aura plus de chance d'être complet dès sa soumission.
- **Les autorisations** : sauf s'il l'estime nécessaire, le médecin conseil des mutuelles n'aura plus l'obligation de consulter le collège à partir de la 2<sup>e</sup> prolongation.

Afin de poursuivre cette évolution positive, pharma.be plaide pour un deuxième plan pour les maladies rares (après avis du Comité de gestion du Fonds Maladies Rares et Médicaments Orphelins créé au sein de la Fondation Roi Baudouin).

Il serait également souhaitable que l'évaluation de ces médicaments tienne compte de :

- La rareté de la maladie et ses implications pour la collecte de preuves scientifiques et leur évaluation.
- La gravité de la maladie et ses conséquences pour le patient et son environnement.
- La disponibilité limitée d'alternatives efficaces..

## Le rapport de l'EMA : « human medicines highlights 2018 »

L'Agence européenne du médicament (EMA) a publié son rapport « Human medicines highlights 2018 ». On y retrouve les recommandations de l'EMA concernant l'autorisation de nouveaux médicaments en 2018. On y apprend ainsi que 84 avis positifs autorisant la mise sur le marché de nouveaux médicaments (ou nouvelles indications) ont été rendus. Parmi ces avis, 21 portent sur des médicaments orphelins.



### Des domaines thérapeutiques variés

Domaines thérapeutiques concernés par les 21 médicaments orphelins autorisés en 2018 :

- Hématologie : 6 médicaments
- Cancer : 5 médicaments
- Neurologie : 3 médicaments
- Endocrinologie : 3 médicaments
- Pneumologie / allergologie : 2 médicaments
- Ophtalmologie : 1 médicament
- Métabolisme : 1 médicament

[Découvrez ici](#) le rapport complet de l'EMA