



#LE COMBAT CONTINUE

**Pour que les
maladies rares
deviennent
encore plus
rares**

#LE COMBAT CONTINUE

2

Qu'est-ce qu'une maladie rare ? ^{1,10}



1 habitant sur 2.000
dans l'U.E.



Mortel

ou



Chroniquement
invalidant



Plus de **6.000**
maladies rares
recensées



Causée par une
anomalie génétique
chez **7 patients sur 10**



75% des maladies
rares concernent
les **enfants**



Sans soins médicaux
précoces, **1 patient
sur 3 décède avant
son 5^e anniversaire**



Un grand nombre
de maladies rares
restent **inconnues**
de la science



Pratiquement **pas
d'information** sur les
causes, le déroulement,
les possibilités de
traitement et de guérison

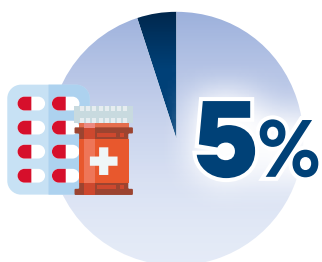
Un besoin médical important



Environ **500.000** Belges

sont atteints d'une maladie rare¹, par exemple⁹:

Spina bifida • Mucoviscidose • Maladie de Huntington
Neurofibromatose type I • Sclérose latérale amyotrophique (SLA)
Dystrophie musculaire de Duchenne • Phénylcétonurie • ...



des maladies rares² ont un traitement médicamenteux enregistré



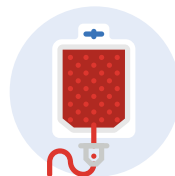
des programmes médicaux d'urgence ou d'usage compassionnel* concernent des médicaments orphelins

Mais un défi pour les entreprises innovantes^{11,12,13}

Un médicament orphelin est une spécialité pharmaceutique pour le traitement, le diagnostic ou la prévention d'une maladie rare.



La production est souvent **complexe** et **chronophage**



Le **nombre restreint de patients** constitue un grand défi pour la recherche clinique



Souvent des **petites entreprises** avec un portefeuille limité et un **groupe restreint de patients cibles**



Un cadre réglementaire spécifique est nécessaire

#LE COMBAT CONTINUE

4

La politique des médicaments orphelins fonctionne



Le règlement européen

encourage la recherche, le développement et la commercialisation des médicaments orphelins³:

- Attribution du statut orphelin
- Soutien au protocole lors du développement du produit
- Contributions réduites / exonérées
- Mesures de soutien supplémentaires pour les PME
- 10 ans d'exclusivité commerciale (12 ans pour les médicaments pédiatriques)

Au niveau belge, des mesures incitatives supplémentaires ont été prises pour permettre aux patients belges d'accéder aux médicaments orphelins :

- Taxe sur les médicaments réduite, avec la possibilité de prolonger le statut de médicament orphelin
- Exemption du prélèvement subsidiaire ("claw back")
- Cadre réglementaire clair pour les programmes médicaux d'urgence et les programmes d'usage compassionnel

En 2014, la Belgique était l'un des 20 pays européens à avoir élaboré un **plan national pour les maladies rares**⁷.

Le règlement porte ses fruits

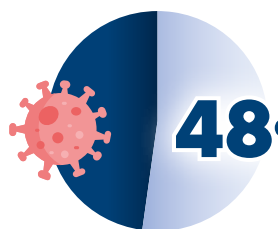


169

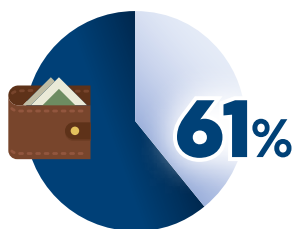
8

2000 → 2019

Augmentation des médicaments orphelins enregistrés auprès de l'EMA⁴
(l'EMA = l'Agence européenne des médicaments)



sont enregistrés dans le domaine de l'oncologie



sont actuellement remboursés en Belgique



+88%

2006 → 2016

Augmentation des études cliniques sur les maladies rares⁵



>20%

En Belgique, la part des études cliniques consacrée aux maladies orphelines est **supérieure à 20%**



24

Les hôpitaux belges sont étroitement **impliqués dans les 24 réseaux européens** de référence⁶



Maintenir les mesures existantes est indispensable

Le règlement européen et les incitations belges ont permis, au cours des vingt dernières années, des avancées majeures dans la disponibilité des médicaments orphelins pour de nombreux patients.

#LE COMBAT CONTINUE

6

Plan belge 1.0 pour les maladies rares : une première étape ¹⁴

1.0

Le Plan belge pour les maladies rares, ainsi que la réglementation européenne, ont conduit, au cours des vingt dernières années, à des **avancées majeures** dans **le diagnostic et la disponibilité des traitements** pour de nombreux patients.

Cela a été rendu possible grâce notamment à la consultation et à la **coopération entre les différents acteurs** du secteur :

- les patients
- les professionnels de la santé
- les pouvoirs publics
- les entreprises pharmaceutiques

Le premier Plan belge pour les maladies rares (publié en décembre 2013) définit **20 actions**, regroupées en **quatre domaines** :



Amélioration de l'accès au diagnostic et à l'information



Optimisation des soins



Gestion de la connaissance et de l'information

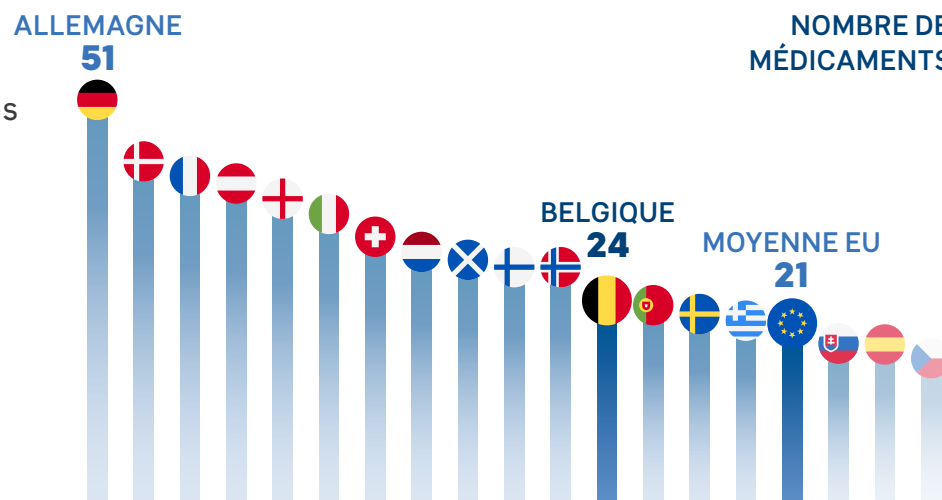


Gouvernance et durabilité

Il ne faut toutefois pas s'arrêter là : une évaluation et un suivi continu de la mise en œuvre des différentes actions, en concertation avec les parties prenantes, montrent qu'il est possible de faire encore plus si nous poursuivons ces activités et intensifions les efforts entrepris.

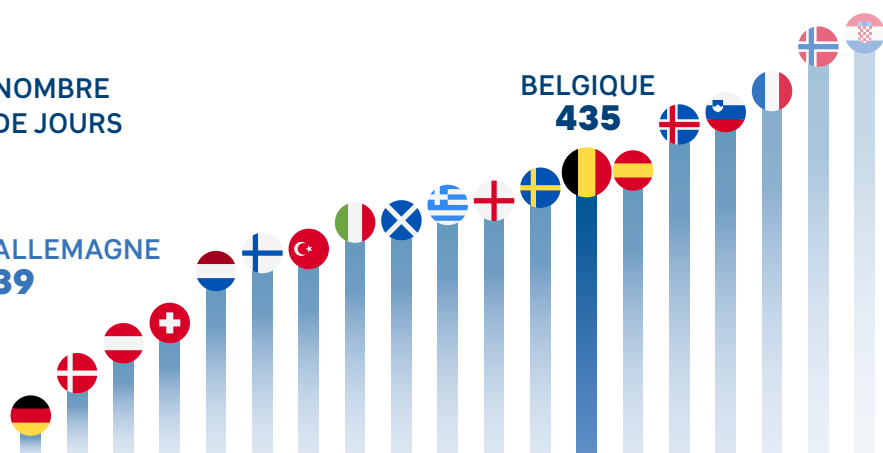
La Belgique, en milieu de peloton en termes d'accessibilité, peut mieux faire

Sur les 54 médicaments orphelins approuvés par l'EMA entre 2015 et 2018, seuls 24 (44%) étaient remboursés en Belgique fin 2018. La Belgique se classe en 12^e position à l'échelle européenne⁸.



NOMBRE DE JOURS

ALLEMAGNE
39



BELGIQUE
435

Le délai moyen entre l'autorisation de mise sur le marché et l'accès pour les patients était de 435 jours, soit 1 an et 2 mois pour la Belgique. Ainsi, elle se classe à la 13^e place en Europe⁸.



Un Plan belge 2.0 pour les maladies rares est nécessaire

7 ans après le premier plan, un nouveau Plan belge pour les maladies rares s'impose afin de poursuivre les actions et intensifier les efforts entrepris.



2.0

Assurer un accès rapide aux médicaments orphelins

- Utiliser l'**Horizon Scanning** et un **dialogue précoce avec les entreprises** pour anticiper l'arrivée de nouveaux médicaments orphelins
- **Obliger la réutilisation au niveau belge** de l'évaluation européenne de la valeur thérapeutique relative (lorsqu'elle est disponible)
- **Rembourser immédiatement, mais temporairement**, les médicaments orphelins, avec la possibilité de collecter des données de santé
- **Garantir l'approbation rapide des demandes individuelles de remboursement** des médicaments orphelins soumis à un Collège des Médecins, via un système d'approbation électronique

8

Situation actuelle



210 jours Procédure d'autorisation de mise sur le marché

Autorisation de mise sur le marché



180 jours CRM
Procédure de remboursement

Décision prix + remboursement

120 jours
GT contrat



Situation souhaitée

Pour les médicaments innovants



Remboursement immédiat, mais temporaire



150 à 210 jours Procédure d'autorisation de mise sur le marché



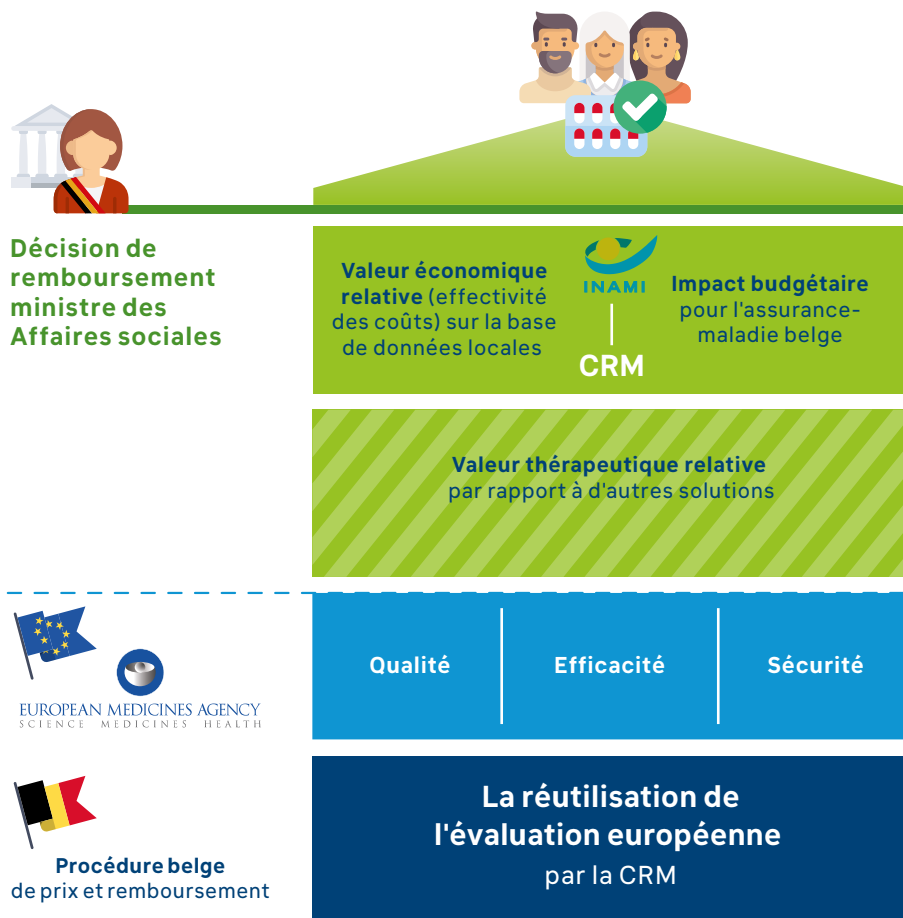
Plus rapide de 360 jours

Simultanément 180 jours CRM
+ 120 jours GT contrat

Viser la réutilisation des évaluations européennes dans la procédure de remboursement belge

Aujourd'hui

L'évaluation européenne de la qualité, de l'efficacité et de la sécurité du médicament est utilisée dans la procédure de remboursement belge



Demain

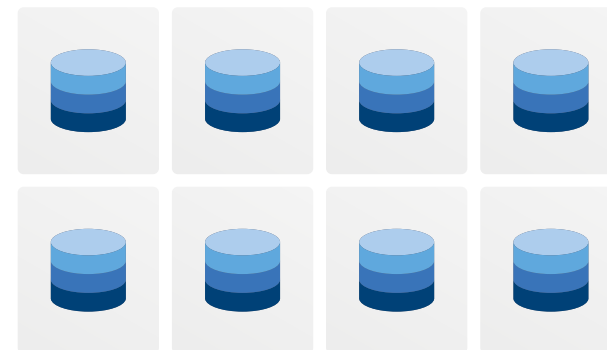
L'évaluation de la valeur thérapeutique relative devrait se dérouler aussi au niveau européen, ce qui permettrait d'éviter le double emploi dans la CRM



2.0

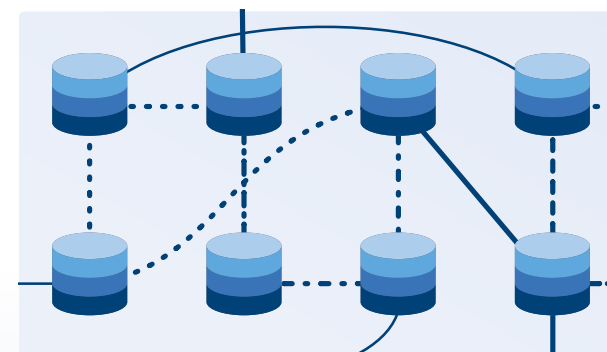
Développer un écosystème de données de santé

Maintenant:
bases de données
publiques
isolées



- ✓ Guichet unique
- ✓ 1 point de contact
- ✓ Retour rapide
- ✓ Protocole standardisé

Demain:
associer
les bases de
données



Chercheurs
des
institutions
publiques



Chercheurs
étrangers en
collaboration avec
leurs homologues
belges



Pouvoirs
publics



Médecins



Chercheurs des
entreprises

F indable = trouvable
A ccessible = accessible
I nteroperable = interchangeable
R eusable = réutilisable

L'objectif est de disposer de registres centralisés, complets et couplés au niveau international

2.0

Optimiser le dépistage et l'accès aux tests de diagnostic

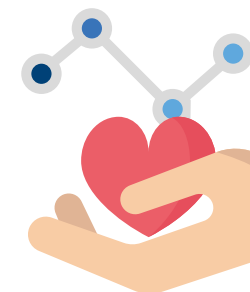
- Élargir et optimiser le **dépistage néonatal**
- **Identifier les lacunes** dans le remboursement des tests de diagnostic et assurer un **financement adéquat** dans toutes les régions



2.0

Optimiser le traitement et le suivi des patients

- **Impliquer les associations de patients spécifiques** dans l'évaluation par l'Inami des nouveaux médicaments orphelins
- **Mieux communiquer à propos des feuilles de route** disponibles pour les patients, et développer de nouvelles feuilles de route
- **Centraliser et consolider l'expertise** pour les maladies rares complexes
- **Élaborer un cadre réglementaire clair**, constructif et pérenne pour les **programmes de soutien aux patients**



Propositions de pharma.be pour que les maladies rares deviennent encore plus rares :

2.0

1. www.radiorg.be;
2. Global Genes, Rare diseases: Facts and Statistics, <https://globalgenes.org/rare-diseasesfacts-statistics/>;
3. <https://tinyurl.com/pharmabe03>;
4. EMA = l'Agence européenne des médicaments. <https://tinyurl.com/pharmabe04>;
5. Evaluating the Orphan Regulation and its impact on patients and rare disease R&D in the European Union. http://www.pugatch-consilium.com/reports/Benchmarking_success.pdf;
6. https://ec.europa.eu/health/ern/networks_en;
7. Rodwell C and Ayme S. Biochimica et Biophysica Acta 1852. 2015;2329-35;
8. WAIT Indicator 2019, <https://www.efpia.eu/media/554526/patients-wait-indicator-2019.pdf>;
9. Sciensano. <https://tinyurl.com/pharmabe09FR>
10. <https://www.eurordis.org>;
11. <https://tinyurl.com/pharmabe11>;
12. H. Dowden & all, Nat. Rev. Drug Discov. 18, 495-496, 2019;
13. Rollet et al. Orphanet Journal of Rare Diseases 2013, 8:109;
14. <https://www.college-genetics.be/pdf/PlanBelgeMaladiesRares.pdf>

Maintenir la réglementation européenne et les incitatifs belges



Conserver la réglementation européenne
et les exceptions et incitations belges
pour les médicaments orphelins

Développer un Plan belge 2.0



Assurer un accès rapide aux médicaments orphelins

- Utiliser l'**Horizon Scanning** et un **dialogue précoce** avec les **entreprises** pour anticiper l'arrivée de nouveaux médicaments orphelins
- **Obliger la réutilisation au niveau belge** de l'évaluation européenne de la valeur thérapeutique relative (lorsqu'elle est disponible)
- **Rembourser immédiatement, mais temporairement**, les médicaments orphelins, avec la possibilité de collecter des données de santé
- **Garantir l'approbation rapide des demandes individuelles de remboursement** des médicaments orphelins soumis à un Collège des Médecins, via un système d'approbation électronique



Développer un écosystème de données de santé



Optimiser l'accès aux tests de diagnostic des maladies rares

- Élargir et optimiser le **dépistage néonatal**
- **Identifier les lacunes** dans le remboursement des tests de diagnostic et assurer un **financement adéquat** dans toutes les régions



Optimiser le traitement et le suivi des patients

- **Impliquer les associations de patients spécifiques** dans l'évaluation par l'**Inami** des nouveaux médicaments orphelins
- **Mieux communiquer à propos des feuilles de route** disponibles pour les patients, et développer de nouvelles feuilles de route
- **Centraliser et consolider l'expertise** pour les maladies rares complexes
- **Élaborer un cadre réglementaire clair**, constructif et pérenne pour les **programmes de soutien aux patients**

pharma.be

pharma.be, l'Association Générale de l'Industrie du Médicament, regroupe en son sein plus de 130 entreprises pharmaceutiques innovantes actives en Belgique. Ces dernières se concentrent sur la recherche et le développement de nouveaux médicaments, tant à usage humain que vétérinaire, et emploient plus de 38.000 travailleurs dans le secteur pharmaceutique innovant.

Partenaire en matière de santé et d'innovation

En tant que partenaire à part entière des médecins, pharmaciens, hôpitaux, autorités et autres partenaires de la santé, pharma.be a pour mission de promouvoir les meilleurs soins de santé en encourageant l'innovation thérapeutique dans le domaine des médicaments à usage humain. Sa priorité absolue est donc de permettre aux patients un accès le plus rapide possible aux traitements les plus récents issus de la recherche et du développement.

pharma.be
ASSOCIATION GÉNÉRALE DE L'INDUSTRIE DU MÉDICAMENT