



COMMISSION DES COMMUNAUTÉS EUROPÉENNES

Bruxelles, le 26.05.1997
COM(97) 225 final

97/0146 (COD)

COMMUNICATION DE LA COMMISSION
concernant un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares dans le cadre de
l'action dans le domaine de la santé publique.

Proposition de
DÉCISION DU PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL

adoptant un programme d'action communautaire 1999-2003 relatif aux maladies rares dans le
cadre de l'action dans le domaine de la santé publique.

(présentée par la Commission)

COMMUNICATION DE LA COMMISSION
concernant un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares dans le cadre de
l'action dans le domaine de la santé publique.

TABLE DES MATIÈRES

I.	INTRODUCTION	2
II.	ASPECTS IMPORTANTS DES MALADIES RARES	5
III.	DÉFINITION DES MALADIES RARES	7
IV.	ACTIONS DE SANTÉ PUBLIQUE DANS LES ÉTATS MEMBRES ET AU NIVEAU INTERNATIONAL CONCERNANT LES MALADIES RARES	9
V.	ACTIVITÉS COMMUNAUTAIRES EN RAPPORT AVEC LES MALADIES RARES	11
VI.	PLAN D'ACTION COMMUNAUTAIRE	11
VII.	CONSULTATION, ÉVALUATION ET RAPPORTS	17

I. INTRODUCTION

- 1 Dans sa communication COM(93) 559 final du 24 novembre 1993 concernant le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique, la Commission a défini les objectifs de protection de la santé figurant aux articles 3 point o) et 129 du traité instituant la Communauté européenne. Le rôle de la Communauté, tel qu'il est identifié, consiste à soutenir les efforts consentis par les États membres dans le domaine de la santé publique, à les assister dans la formulation et la réalisation d'objectifs et de stratégies et à contribuer à assurer un niveau élevé de protection sanitaire dans l'ensemble de la Communauté, en se fixant pour objectif les meilleurs résultats déjà atteints dans un domaine donné, en quelque endroit que ce soit dans la Communauté.
- 2 Lorsqu'elle engage une action sur la base de l'article 129, la Communauté doit s'attacher à la prévention des maladies, en particulier les "grands fléaux" et à la protection de la santé. Sur la base des critères fixés dans la communication de la Commission, les maladies rares ont été identifiées comme une priorité de l'action communautaire.
- 3 La santé publique concerne par définition les besoins sanitaires de l'ensemble de la population. Ceci signifie que les services et ressources sanitaires disponibles, en particulier les mesures de prévention, doivent être utilisés au bénéfice du plus grand nombre possible de personnes. Ce principe s'applique tout autant aux personnes touchées par les maladies rares qu'à celles touchées par les "grands fléaux". Cependant, la rareté même des maladies et affections à faible prévalence et le manque d'information qui en résulte à leur sujet peuvent avoir pour conséquence que de nombreuses personnes touchées ne bénéficient pas des ressources et services sanitaires dont elles ont besoin. La raison en est peut-être une pénurie particulière d'informations et de connaissances en la matière et l'absence de consensus sur une intervention appropriée pour une maladie rare spécifique.
- 4 La communication cadre de la Commission en matière de santé publique présente plusieurs critères pour déterminer les priorités communautaires. Il s'agit des éléments suivants: l'impact d'une maladie sur la morbidité et la mortalité, son impact socio-économique, la possibilité de mener une action préventive efficace et, surtout, la possibilité de compléter par des actions communautaires, en apportant une valeur ajoutée, l'action des États membres.

- 5 Il est clair que les maladies rares ne répondent pas aux critères lorsque l'on se place au niveau de la population. Toutefois, au niveau de l'individu et de la famille, elles constituent une cause non négligeable de morbidité, de mortalité ou de handicap prématurés. En ce qui concerne les possibilités de prévention, elles varient parmi les milliers de maladies rares; certaines sont susceptibles de faire l'objet d'une prévention, d'autres le seront peut-être à l'avenir. Cependant le critère final, celui de la valeur ajoutée communautaire, est particulièrement pertinent en ce qui concerne les maladies rares.
- 6 Il est évident que les maladies rares ou à faible prévalence ont un impact limité sur la société dans son ensemble et sont responsables d'une morbidité et d'une mortalité relativement peu élevées. Elles ne peuvent donc être considérées comme de grands fléaux. Toutefois, elles ne sont nullement négligeables d'un point de vue économique, car les conseils, diagnostics et interventions sanitaires mis en oeuvre ont tendance à coûter proportionnellement beaucoup plus cher que pour des affections plus communes.
- 7 À cet égard, la Communauté a beaucoup à offrir. Travailler au niveau communautaire peut présenter un grand nombre d'avantages. En particulier, étant donné la taille de la population de la Communauté, les cas individuels peuvent être rassemblés pour former un groupe beaucoup plus important partageant les mêmes caractéristiques. Ceci permet d'entreprendre une gamme d'actions beaucoup plus large et de lancer des actions coordonnées pour des patients qui, à défaut, pourraient se trouver isolés ou faire l'objet d'un diagnostic incorrect.
- 8 L'importance des maladies rares pour la santé publique peut également être envisagée d'une autre façon. Elles apparaissent parfois avec une plus grande fréquence dans des régions particulières et des groupes de population spécifiques, comme des communautés ethniques, que dans l'ensemble de la population nationale. Il est donc possible que les conséquences au niveau national soient faibles, alors qu'elles sont considérables au niveau régional ou au niveau du groupe concerné. C'est particulièrement vrai pour les maladies génétiques.
- 9 De plus, il convient de ne pas perdre de vue la question plus vaste des maladies qui sont rares dans la Communauté européenne mais courantes dans d'autres parties du monde. Nous pourrions utiliser nos compétences pour apporter une assistance dans la lutte contre les maladies tropicales, qui sont

rare dans nos contrées mais peuvent causer de grandes souffrances et coûter de nombreuses vies humaines dans les pays en développement.

- 10 En outre, certaines maladies de faible prévalence aujourd'hui pourraient devenir de grands fléaux à l'avenir. C'est possible, par exemple, si la maladie est causée par un agent inconnu, comme ce fut le cas du VIH pour le SIDA ou, plus récemment, de l'encéphalopathie spongiforme bovine (ESB) et de la maladie de Creutzfeldt-Jakob (MCJ). Un effet similaire peut être causé par un nouveau médicament, la thalidomide en étant une illustration évidente. Une approche communautaire coordonnée constitue une façon efficace d'aborder ces problèmes de santé potentiellement vastes.
- 11 Certaines maladies et en particulier des maladies contagieuses comme la poliomyélite sont devenues rares dans la Communauté, grâce à des mesures de prévention efficaces, notamment la vaccination des enfants. Toutefois, ces maladies peuvent réapparaître et réapparaissent effectivement par exemple si l'immunité de la population baisse. À cet égard, l'apparition soudaine de cas d'une telle maladie dans un pays peut constituer pour les autres un coup de semonce les avertissant que leurs vaccinations ou d'autres mesures de prévention sont peut-être en train de devenir inefficaces. Une action au niveau communautaire peut aider les États membres à déceler ces problèmes à un stade précoce et à coordonner leur réaction.
- 12 L'étiologie de nombreuses maladies, et en particulier les maladies rares, est inconnue. Les mesures de prévention dépendent de ces connaissances de base. Les milliers de maladies ou affections rares, leur faible prévalence et les moyens et budgets limités consacrés à la recherche scientifique pour découvrir leur étiologie rendent peu probables des progrès rapides dans leur traitement et leur guérison. La collaboration entre les États membres et le travail au niveau communautaire dans ce domaine peuvent donc apporter une valeur ajoutée aux actions des États membres individuels.
- 13 Les ressources limitées des systèmes de santé sont d'abord, et nécessairement, centrées sur les grands fléaux et il est donc probable que les maladies à faible prévalence ne reçoivent qu'une attention limitée dans les États membres pris séparément. Il entre dans le cadre de la politique communautaire de santé publique d'aider les États membres à faire l'usage le plus efficace des ressources à cet égard. Dans le cas de ces affections, de réelles économies d'échelle pourraient être réalisées en combinant au niveau communautaire les compétences et les ressources nationales limitées.

- 14 C'est pour ces raisons que la Commission a décidé de donner la priorité aux maladies rares dans le domaine de la santé publique.

II. ASPECTS IMPORTANTS DES MALADIES RARES

INFORMATION

- 15 Un nombre inconnu d'Européens souffrent de maladies rares. Pour bon nombre de ces maladies à faible prévalence, il n'existe aucune organisation d'assistance aux patients, ni aucun organisme consacré à la recherche, à la prévention, au diagnostic ou au traitement. Les informations de tous ordres pour les patients et leurs familles, les médecins, les chercheurs, les autorités sanitaires et le grand public font défaut ou ne sont guère diffusées.
- 16 En ce qui concerne les maladies rares, les sources de détection, d'identification et de soins médicaux appropriés sont limitées ou même inexistantes. Il n'existe que peu ou pas de moyens efficaces de prévention et de traitement; on ne sait parfois quelle information donner au patient et à sa famille sur l'évolution de la maladie, les possibilités d'éviter les risques et la création d'environnements et de modes de vie sains.
- 17 Aux États-Unis, la Commission nationale sur les maladies orphelines a entrepris une étude détaillée des problèmes rencontrés par la population du pays en rapport avec ces affections rares. Elle a constaté qu'un tiers des personnes concernées ont dû attendre 1 à 5 ans avant d'obtenir un diagnostic correct et que 15 % sont restées sans diagnostic pendant six ans ou plus. En outre, les coûts de ces affections, en termes financiers et humains, sont énormes. La moitié des patients ont déclaré que leurs maladies leur avaient occasionné de graves difficultés financières, à eux-mêmes et à leurs familles, et les avaient empêchés de travailler ou de suivre un enseignement.

GROUPES D'ASSISTANCE AUX PATIENTS

- 18 Les groupes d'assistance aux patients peuvent jouer un rôle clé dans les maladies rares. Un certain nombre de ces groupes, s'occupant des maladies rares, ont été créés au cours des dernières décennies, face au sentiment que les autorités publiques ne consacraient pas une attention suffisante à ces affections. En outre, ces groupes pratiquent une collaboration active au niveau

régional, national et international, souvent liée aux différents groupes de maladies. Il existe également plusieurs organisations internationales de coordination, comme l'EAGS (European Alliance of Genetic Support Groups). Toutes ces organisations disposent de connaissances considérables, acquises sur la base de leur propre expérience de la maladie. Il s'agit là de ressources particulièrement précieuses, étant donné les retards fréquents dans l'établissement du diagnostic, les connaissances limitées des prestataires de soins, le manque de médicaments et les problèmes d'assurance maladie.

“CLUSTERS”

- 19 Lorsque l'on considère les maladies et affections rares ou à faible prévalence, il est utile d'aborder la questions des “clusters”. Ceux-ci peuvent se définir comme une concentration dans le temps et dans l'espace de cas d'une maladie rare. En d'autres termes, il s'agit du fait que, dans une région donnée, au cours d'une période déterminée, une maladie rare s'est manifestée par des cas beaucoup plus nombreux que prévu d'après les données de référence ou les estimations concernant cette affection. Il est évident que les clusters doivent être traités efficacement (c'est-à-dire qu'il faut identifier une augmentation réelle, déterminer les facteurs de cause, évaluer les implications et apaiser les craintes de la population): un facteur local spécifique peut être à l'origine du phénomène ou avoir contribué à le provoquer et il doit être identifié.
- 20 Les actions relatives aux clusters doivent suivre un ordre particulier: tout d'abord, identification d'un cluster, par exemple par des systèmes d'alerte rapide; ensuite, utilisation de systèmes de contrôle et de surveillance pour établir une comparaison avec les données de référence établies pour les maladies concernées (toutefois, pour les maladies rares, ce processus pourrait s'avérer impossible, car les données épidémiologiques nécessaires pourraient faire défaut); enfin, il convient d'apaiser les inquiétudes du public en communiquant aussi exactement que possible les risques impliqués. Un traitement efficace des clusters présente de grands avantages pour la santé publique, non seulement parce que, en réagissant rapidement et correctement à un problème particulier, on peut contribuer à éviter qu'un cluster spécifique se transforme en problème de plus grande ampleur mais aussi, plus généralement, parce que cela suscite la confiance de la population dans la capacité des autorités à protéger la santé.

CLASSIFICATION DES MALADIES RARES

- 21 Une mauvaise classification des maladies à faible prévalence et un manque de reconnaissance officielle posent des problèmes pour l'identification, la détection, le traitement et la prévention de ces maladies. Les diagnostics identifiés dans la Classification internationale des maladies de l'OMS (CIM 10) sont groupés en 23 grandes catégories basées sur des systèmes d'organes; ces catégories sont subdivisées en 470 groupes en rapport avec le diagnostic. Dans certains cas, ces groupes n'accordent guère d'attention aux maladies individuelles.
- 22 En outre, la validité et l'utilité de ces classifications est limitée pour les maladies à faible prévalence. Dans de nombreux cas, ces maladies ne sont pas incluses dans les systèmes conventionnels de classification, comme la CIM et la classification des affections congénitales de l'Association pédiatrique britannique. Dans d'autres, la classification des maladies à faible prévalence est inappropriée ou inadéquate: le numéro de classification CIM attribué au syndrome de Marfan, par exemple, est partagé par plus de 20 autres affections.
- 23 Les termes de maladie rare ou maladie à faible prévalence se rapportent peut-être à plus de 5 000 affections ou maladies différentes. Il ne semble pas exister de dénominateur commun pour définir la notion de maladie rare. Certaines sont basées sur des syndromes (la combinaison de symptômes ou d'anomalies associés) ou sur des anomalies isolées ou sur des affections non associées. Il est évident que des priorités doivent être fixées lorsqu'il s'agit d'engager des actions au niveau communautaire.

III. DÉFINITION DES MALADIES RARES

PROBLÈMES POSÉS PAR UNE DÉFINITION NUMÉRIQUE

- 24 Il pourrait paraître simple de définir les maladies rares ou à faible prévalence en fonction du nombre de cas. Toutefois, pour les maladies rares, ces données n'existent pas ou, si elles existent, les chiffres produits sur la base des données rassemblées par des méthodes de routine ne sont que des estimations imprécises, qui sous-estiment vraisemblablement les taux réels.

- 25 L'établissement de taux de prévalence et d'incidence précis peut se heurter à plusieurs difficultés: différences dans la définition d'une maladie; manque de méthodes spécifiques pour contrôler les patients atteints de ces maladies à faible prévalence; faible précision du diagnostic, en particulier pour les maladies les moins graves; distorsion de l'information entre le rassemblement des données et l'analyse.
- 26 Les maladies bien connues peuvent être classifiées et sous-classifiées successivement. Par exemple, les cancers sont souvent différenciés par des classifications pathologiques, en sorte qu'un certain nombre remplirait les critères numériques en tant que cancers rares. En revanche, la classification des maladies moins connues est parfois basée sur des symptômes qui regroupent en fait plusieurs maladies. Il se peut ainsi que les maladies à faible prévalence soient incluses dans des entités plus vastes.

DÉFINITION PAR NOMBRE FIXE OU PAR LIMITE

- 27 Une façon de surmonter les problèmes liés à l'utilisation d'un nombre fixe pour la définition des maladies rares consiste à établir des limites. Les services de la Commission ont examiné cette question avec les experts nationaux. Plusieurs possibilités de fixation des limites ont été envisagées: un taux de mortalité ne dépassant pas un certain chiffre dans un certain nombre de pays de la Communauté ou une incidence ne dépassant une valeur donnée ou une prévalence ne dépassant pas une certaine valeur parmi les habitants de la Communauté. Une autre possibilité pourrait être le critère selon lequel l'affection ne compte pas au rang des 100 causes les plus fréquentes de morbidité et de mortalité dans la Communauté européenne.

DÉFINITION PROPOSÉE

- 28 Aux fins du présent programme, les maladies rares sont définies comme les maladies entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique, dont la prévalence est si faible qu'elles nécessitent des efforts combinés particuliers. Il s'agit des maladies dont la prévalence généralement reconnue dans la population communautaire totale est inférieure à 5 pour 10 000. En outre, les maladies spécifiquement visées par ce programme seront celles pour lesquelles des efforts combinés particuliers sont nécessaires pour veiller à éviter une morbidité ou mortalité prénatale et précoce importante, ou une diminution considérable de la qualité de vie ou du potentiel socio-économique de l'individu.

QUESTIONS EN RAPPORT AVEC LE DOMAINE CONSIDÉRÉ

- 29 Lorsque l'on envisage des mesures concernant les maladies rares, il convient de tenir compte également d'autres champs d'action communautaire en rapport avec ce domaine, comme la recherche, le développement et la commercialisation de produits orphelins, y compris les produits pharmaceutiques, qui sont principalement indiqués pour les maladies rares. Étant donné que les maladies rares touchent un nombre restreint de personnes, il est nécessaire d'établir une population suffisamment importante à des fins de recherche, comme les tests cliniques. La Communauté peut agir à cet égard. De même, l'intérêt commercial que le secteur industriel peut trouver dans le développement de médicaments pour un petit nombre de patients potentiels est limité. Il est donc nécessaire d'encourager l'investissement dans le contexte de la politique industrielle communautaire. Les actions dans ces domaines peuvent compléter efficacement les mesures de santé publique.
- 30 En ce qui concerne les médicaments orphelins, la Communauté a déjà engagé une action considérable. Récemment, par exemple, la Commission a soutenu des études sur la question, en vue de formuler une politique communautaire. Un groupe d'experts, composé de fonctionnaires et d'experts des États membres et d'autres pays, a été réuni en février 1995 pour examiner les conclusions de l'étude et tirer des conclusions. En 1995, cette question est restée à l'ordre du jour et elle a fait l'objet d'une résolution du Conseil le 20 décembre 1995, invitant la Commission à entreprendre de nouveaux travaux, particulièrement sur le développement et la commercialisation de médicaments orphelins.

IV. ACTIONS DE SANTÉ PUBLIQUE DANS LES ÉTATS MEMBRES ET AU NIVEAU INTERNATIONAL CONCERNANT LES MALADIES RARES

ÉTATS MEMBRES

- 31 Un certain nombre d'États membres mènent une action concernant des maladies rares particulières, au niveau de l'information, de la détection, de l'identification, de l'intervention et de la prévention, et également du soutien aux groupes d'assistance aux patients et à leur famille. Ainsi, le Royaume-Uni a mis sur pied un programme sur la maladie de Creutzfeldt-Jakob; la France a créé un centre d'information sur les maladies génétiques et dispose de

plusieurs centres bien établis pour le contrôle et la surveillance des affections congénitales; le Portugal, quant à lui, s'intéresse particulièrement à la paramyloïdose et engage des actions dans ce domaine.

- 32 Sur la base des informations reçues des États membres, il semblerait qu'un petit nombre d'entre eux seulement, notamment la France, la Suède et l'Italie, qui a créé une École européenne pour les maladies rares, tentent d'aborder la questions des maladies rares d'une façon systématique.

ACTIONS INTERNATIONALES

- 33 Le pays le plus avancé en la matière est les États-Unis. En 1983, une loi sur les médicaments orphelins a été adoptée pour accélérer le développement et la commercialisation des produits orphelins. La même année a vu la création de l'Organisation nationale pour les maladies rares (National Organisation for Rare Disorders), qui rassemble et soutient les organismes bénévoles qui viennent en aide aux personnes atteintes de maladies rares. Une Commission nationale sur les maladies orphelines (National Commission on Orphan Diseases) a été mise sur pied en 1985 pour examiner la politique nationale dans ce domaine. Elle a rendu son rapport en 1989. Ses principales recommandations étaient de mettre sur pied un foyer central pour favoriser la recherche et développement en matière de produits orphelins ainsi que leur commercialisation. En outre, un Office pour la recherche sur les maladies rares (Office of Rare Diseases) auprès des Instituts nationaux pour la santé (National Institutes of Health) a été créé. Dans le contexte de la coopération avec les pays tiers et à la suite du récent plan d'action commun UE-USA, les deux parties se sont entre autres engagées à créer une task force pour élaborer et mettre en oeuvre un système global d'alerte efficace et un réseau de réaction en matière de maladies transmissibles, y compris les maladies rares, tout en coopérant dans le cadre de leurs programmes respectifs dans le domaine de la santé et de la recherche.

V. ACTIVITÉS COMMUNAUTAIRES EN RAPPORT AVEC LES MALADIES RARES

CONSEIL

- 34 Dans la résolution du 20 décembre 1995¹ le Conseil et les ministres de la Santé, réunis au sein du Conseil, ont invité la Commission, en étroite coopération avec les autorités compétentes des États membres, à faire l'inventaire des connaissances et de l'expérience disponibles au niveau des États membres, de la Communauté et des organisations internationales et à étudier la situation des médicaments orphelins en Europe, en relation avec les maladies rares.

PARLEMENT EUROPÉEN

- 35 Dans sa résolution A4-0311/95² sur le programme d'action sociale à moyen terme 1995-1997, le Parlement a demandé à la Commission de présenter en bonne et due forme le programme d'action en matière de maladies rares prévu dans la communication cadre de la Commission concernant la santé publique.

COMITÉ ÉCONOMIQUE ET SOCIAL

- 36 Dans son avis, de portée fort vaste, du 6 juillet 1994 sur la communication cadre de la Commission concernant la santé publique, le Comité économique et social a pressé la Commission d'adopter une approche large du sujet et a souligné l'importance des maladies rares.

VI. PLAN D'ACTION COMMUNAUTAIRE

INFORMATION DE LA COMMUNAUTÉ EUROPÉENNE SUR LES MALADIES RARES

- 37 Des informations précises sont essentielles pour assurer l'efficacité des interventions concernant les maladies rares. Pour toute personne atteinte d'une maladie rare, le besoin le plus immédiat est celui d'un diagnostic exact, puis d'un traitement et de services d'assistance. Une fois le diagnostic établi, les patients et leur famille souhaitent tout savoir de leur maladie et deviennent

¹ JO n° C 350 du 30.12.1995, p. 3

² JO n° C 32 du 5.2.1996, pp. 15-24

souvent des experts en la matière. Ils veulent des informations sur la cause, le pronostic, la base génétique (si elle existe) et les manifestations futures de la maladie, l'existence d'interventions thérapeutiques efficaces ou, en leur absence, le comportement à adopter face à la maladie, ainsi que sur l'état actuel de la recherche. Les patients veulent également être renseignés sur les groupes d'assistance, les centres de traitement ou les centres spécialisés.

- 38 Toutes ces informations, lorsqu'elles existent, sont très dispersées. En outre, les informations disponibles peuvent avoir trait à une maladie en général ou à un groupe de personnes mais peuvent aussi être spécifiques à un individu, ce qui nécessite de prendre les mesures nécessaires pour assurer la confidentialité. Un autre problème est que plusieurs groupes différents, outre les personnes directement concernées par un cas individuel, ont besoin d'informations, à divers niveaux de détail. Il s'agit notamment des médecins et chercheurs, des organismes publics, des groupes d'assistance aux patients et de l'industrie pharmaceutique.
- 39 À la lumière des progrès importants de la génétique et des difficultés actuelles à obtenir des informations à jour sur les maladies rares, on constate le besoin pressant d'une base de données communautaire destinée à fournir des informations sur les maladies rares et d'un système de collecte et de diffusion des données.
- 40 Le développement d'un tel système communautaire doit être assuré en coordination étroite avec le programme télématique de la Communauté. Ceci pourrait contribuer à définir les exigences techniques pour la base de données et le système et à déterminer les mécanismes les plus efficaces de diffusion de l'information aux différents groupes d'intérêt et aux organismes concernés dans les États membres. Un réseau télématique reliant les personnes qui travaillent dans le domaine concerné fournirait également un mécanisme pour l'identification de recherches et de chercheurs et pour l'échange d'informations.
- 41 L'objectif de l'action communautaire pourrait être de fournir une meilleure information sur les maladies rares, en particulier aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs.
- 42 Les mesures à prendre pour atteindre cet objectif pourraient notamment être les suivantes:

- encourager et soutenir la création d'une base de données européenne des maladies rares, comprenant des entrées qui indiquent le nom de la maladie, les synonymes, une description générale, les symptômes, les causes, les tests diagnostiques disponibles, la population touchée, les traitements standard, les traitements en phase de recherche (lorsqu'ils existent) ainsi qu'une liste des sources à contacter pour plus d'informations sur la maladie;
- promouvoir l'accès à l'information et coordonner les systèmes et services d'information existants, en soutenant la création et le renforcement de réseaux au niveau local, régional, national et communautaire;
- organiser des réunions à caractère consensuel entre professionnels de la santé pour améliorer la détection précoce, l'identification, l'intervention et la prévention en matière de maladies rares.

GROUPES D'ASSISTANCE AUX PATIENTS ET À LA FAMILLE

- 43 Ces organisations ont un grand rôle à jouer. Elles contribuent au rassemblement, à la diffusion et à l'échange de connaissances et d'expériences, sensibilisent le public, stimulent la recherche et soulèvent des questions éthiques. Elles conseillent également les individus et veillent à la protection des intérêts des patients, par exemple au niveau de la confidentialité et de l'accord informé à donner aux interventions cliniques. Il importe de promouvoir le développement de ces groupes d'assistance aux patients, en sorte que toutes les régions de la Communauté soient couvertes de façon adéquate, et de les encourager à coopérer au niveau régional, national et européen. Il est également nécessaire de mettre sur pied au niveau communautaire une ou plusieurs organisations de coordination susceptibles d'assumer un rôle de centre d'échange, de liaison et d'assistance. Il existe déjà certaines organisations, comme l'EAGS (European Alliance of Genetic Support Groups), qui pourraient développer leurs activités dans ce sens.
- 44 L'un des objectifs de l'action communautaire pourrait être de créer, favoriser et renforcer des organisations bénévoles apportant une assistance aux personnes touchées directement ou indirectement par les maladies rares, comme diverses affections neurodégénératives.
- 45 Les mesures à prendre pour atteindre cet objectif pourraient notamment être les suivantes:
- promouvoir la création de groupes de personnes atteintes des mêmes maladies rares ou de professionnels concernés, afin de diffuser leur

expérience, de faciliter la formation et de coordonner leurs activités au niveau national et communautaire;

- promouvoir la collaboration et l'établissement de réseaux entre les groupes ainsi que la création et l'encouragement d'organismes de coordination qui s'attacheraient particulièrement à favoriser la continuité du travail et la coopération transnationale.

TRAITEMENT DES CLUSTERS DE MALADIES RARES

- 46 Le traitement efficace des clusters implique l'analyse, l'évaluation et la gestion du problème ainsi qu'une communication claire avec le public. Cette action est à la fois nécessaire et difficile. Le besoin est clair, étant donné que tout facteur local susceptible d'avoir causé le phénomène ou d'y avoir contribué doit être identifié. Cependant, la difficulté est bien réelle, car il existe de nombreuses raisons à identifier et toutes les possibilités doivent être envisagées et étudiées avant de proposer une association causale particulière. Toutefois, les clusters n'apparaissent que rarement, où que ce soit. Cela signifie que les personnes concernées par un cas individuel ont peu de chance d'acquérir l'expérience nécessaire.
- 47 Dans cette situation, il serait intéressant d'établir au sein de la Communauté des "équipes de réaction aux clusters de maladies rares", avec la participation de personnes disposant des compétences appropriées, qui pourraient assister les autorités locales concernées. L'expérience acquise récemment avec la maladie de Creutzfeldt-Jacob indique la nécessité d'une telle approche permettant de faire le meilleur usage des rares compétences dans l'évaluation et la gestion des risques.
- 48 Dans les cas de clusters de maladies rares, il serait nécessaire de créer des réseaux de points de convergence pour des maladies particulières ou des groupes de maladies apparentées, qui contribueraient à avertir rapidement des problèmes potentiels, à coordonner les recherches sur les clusters et à fournir aux équipes de réaction des informations intéressantes, par exemple sur les niveaux de prévalence prévus. Ces points de convergence nécessiteront un haut niveau de compétence en épidémiologie et statistiques et auront besoin des informations épidémiologiques disponibles sur les maladies à faible prévalence et qui proviennent des programmes de contrôle et de surveillance, tant au niveau communautaire que national et régional.

- 49 Comme indiqué ci-dessus, les données épidémiologiques pour les maladies rares ne sont pas complètes à l'heure actuelle. Ces données dépendent de l'existence de programmes de contrôle et de surveillance efficaces. La majorité des maladies rares sont congénitales et, dans ce domaine, un programme de suivi et de surveillance a été mis sur pied: EUROCAT (European Registration of Congenital Anomalies). Il s'agit d'une action concertée comptant essentiellement des participants des États membres, qui étudient une population au niveau local et parfois régional et examinent le nombre, le type et les causes possibles des affections congénitales en vue de les prévenir. La Commission apporte une contribution financière à EUROCAT. D'autres programmes de contrôle des affections congénitales existent dans les États membres et il est nécessaire d'établir une collaboration avec eux et avec les programmes qui contrôlent d'autres (groupes de) maladies rares pour permettre une utilisation et une analyse optimales des données disponibles.
- 50 L'objectif de l'action communautaire serait de veiller au traitement efficace du problème des clusters, qui présente une importance cruciale pour les maladies rares.
- 51 Les mesures à prendre pour atteindre cet objectif pourraient notamment être les suivantes:
- soutenir le contrôle des maladies rares (sentinelles), y compris les affections congénitales et génétiques ou les maladies de différents systèmes organiques et les techniques appropriées par les maladies à faible prévalence, afin de répondre d'une part aux exigences concernant la détection, le traitement et la recherche et, d'autre part, les exigences liées à une observation statistiquement pertinente;
 - promouvoir la création d'équipes de réaction aux maladies rares et des formations spécialisées pour les personnes qui étudient les clusters;
 - établir des systèmes de surveillance et détecter les clusters éventuels en temps utile;
 - encourager les échanges de connaissances dans l'évaluation, la communication et la gestion en matière de clusters de maladies rares associés à des causes exogènes.

PRODUITS ORPHELINS

- 52 Dans le contexte des travaux de la Communauté sur le contrôle et l'autorisation des produits pharmaceutiques, une proposition législative est en

cours de préparation, en vue de fixer un cadre juridique pour les “médicaments orphelins”. Celui-ci couvrira les domaines suivants: identification des médicaments orphelins, aide à la recherche, accès au marché et surveillance, y compris pharmacovigilance.

Dans le cadre de cette proposition, la Commission a l'intention de proposer une définition de ces produits, qui serait à peu près la suivante: toute substance ou combinaison de substances présentée comme une spécialité pharmaceutique:

- utilisée pour le traitement, la prévention ou le diagnostic d'une maladie entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique chez l'être humain,
- lorsque cette maladie ne touche pas plus de 5 personnes pour 10 000 dans l'Union européenne et que
- la rentabilité commerciale est insuffisante.

RECHERCHES DE LA COMMUNAUTÉ EUROPÉENNE SUR LES MALADIES RARES ET LES PRODUITS ORPHELINS

- 53 Le quatrième programme cadre (1994 - 1998), pour la recherche et le développement technologique³ en particulier le programme biomédecine et santé (Biomed 2), domaine I “Recherche pharmaceutique” et domaine 4.6 “Recherche sur les maladies rares” dans le domaine de la biomédecine et de la santé couvre les activités de recherche sur le développement des médicaments orphelins et soutient la recherche fondamentale et clinique sur les maladies rares.
- 54 Dans le domaine des “Maladies rares”, les tâches de recherche comprennent la définition des critères de diagnostic, des causes, des aspects génétiques et des méthodes de prévention, avec une attention particulière pour l'établissement au niveau européen d'observatoires épidémiologiques, de réseaux d'information et de registres des patients atteints de maladies rares, en vue d'accroître l'information disponible sur les maladies rares.
- 55 Dans le domaine de la “Recherche pharmaceutique”, l'objectif poursuivi est de soutenir la recherche sur le traitement des maladies rares, y compris des méthodologies pour les procédures rapides de développement de médicaments orphelins et la création de dépôts de médicaments orphelins en Europe.

³ décision 94/1110/CE du 26.04.1994, JO n° L 126 du 18.5.1994, p. 1, telle que modifiée par la décision 96/616/CE du 25.03.1996, JO n° L 86 du 4.4.1996, p. 69

VII. CONSULTATION, ÉVALUATION ET RAPPORTS

CONSULTATION

- 56 Les actions du présent programme seront mises en oeuvre en étroite collaboration avec les États membres, particulièrement en ce qui concerne la coordination de leurs politiques et programmes. Pour faciliter ce processus, la Commission propose de créer un comité consultatif composé de représentants des États membres. Des contacts appropriés seront également entretenus avec l'OMS, d'autres organisations internationales concernées et des pays tiers, selon les nécessités des actions du programme.

RAPPORTS D'ÉVALUATION

- 57 L'évaluation du programme sera réalisée dans deux rapports:
- un rapport intermédiaire au Conseil, au Parlement européen, au Comité économique et social et au Comité des régions. Le but du rapport intermédiaire est de veiller à ce que les institutions communautaires et, par leur intermédiaire, toutes les parties concernées, soient parfaitement informées de l'état d'avancement des actions entreprises. Il comprendra des informations sur les projets soutenus par les différentes actions;
 - un rapport final sur la mise en oeuvre du programme, qui comprendra une évaluation des actions entreprises et sera soumis aux institutions susmentionnées par la Commission à l'issue du programme.

ACTIVITÉS D'INFORMATION GÉNÉRALE

- 58 La Commission veillera à ce que les rapports sur les activités entreprises soient diffusés à toutes les parties concernées et au grand public.
- 59 L'action communautaire future en matière de santé publique concernant les maladies rares doit tenir compte des nombreux travaux déjà engagés, en particulier en vertu des articles 129 et 130 F du traité C.E. Conformément à l'article 129 du traité, la Communauté contribue à assurer un niveau élevé de protection de la santé humaine en encourageant la coopération entre les États membres, en appuyant leur action, en promouvant, en contact étroit avec eux, la coordination de leurs politiques et programmes et en favorisant la coopération avec les pays tiers et les organisations internationales compétentes en matière de santé publique.

**Proposition de
DÉCISION DU PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL**

**adoptant un programme d'action communautaire 1999-2003 relatif aux
maladies rares dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé
publique.**

EXPOSÉ DES MOTIFS

- 1 Dans sa communication COM(93) 559 final du 24 novembre 1993 concernant le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique, la Commission a décrit les principes et la stratégie à suivre pour entreprendre des activités communautaires visant à atteindre les objectifs de protection de la santé figurant aux articles 3 point o) et 129 du traité instituant la Communauté européenne.
- 2 Le rôle de la Communauté, tel qu'il est identifié, consiste à soutenir les efforts consentis par les États membres dans le domaine de la santé publique, à les assister dans la formulation et la réalisation d'objectifs et de stratégies et à contribuer à assurer un niveau élevé de protection sanitaire dans l'ensemble de la Communauté, en se fixant pour objectif les meilleurs résultats déjà atteints dans un domaine donné, en quelque endroit que ce soit dans la Communauté.
- 3 Conformément à l'article 129, la Commission présente des propositions pour l'adoption par le Parlement européen et le Conseil d'actions d'encouragement visant à contribuer à assurer un niveau élevé de protection de la santé humaine.
- 4 La communication de la Commission susmentionnée établit les critères permettant de déterminer les domaines prioritaires des programmes d'action communautaires. En application de ces critères, les maladies rares ont été identifiées comme l'un de ces domaines prioritaires.
- 5 La présente proposition de la Commission, fondée sur l'article 129 et déjà annoncée dans le programme de travail de la Commission pour 1996, correspond au principe de compétence partagée entre la Communauté et les États membres et vise à améliorer l'information sur les maladies rares, le soutien aux groupes d'assistance aux patients et l'analyse et la gestion des risques dans les cas de clusters de maladies rares. La présente action communautaire respectera les principes de subsidiarité et de proportionnalité.
- 6 Dans les domaines qui ne relèvent pas de sa compétence exclusive, comme l'action sur les maladies rares, la Communauté n'intervient, conformément au principe de subsidiarité, que si et dans la mesure où l'action envisagée,

en raison de ses dimensions ou de ses effets, peut être mieux réalisée au niveau communautaire.

- 7 Les maladies rares sont les maladies dont la prévalence généralement reconnue dans la population communautaire totale est inférieure à 5 pour 10 000. Les maladies spécifiquement visées par ce programme sont celles pour lesquelles des efforts combinés particuliers sont nécessaires pour veiller à éviter une morbidité ou mortalité prénatale et précoce importante, ou une diminution considérable de la qualité de vie ou du potentiel socio-économique de l'individu.
- 8 Le programme quinquennal proposé vise à compléter les travaux actuellement en cours dans les États membres en engageant des actions qui s'adressent au public, aux professionnels de la santé et aux autorités.
- 9 Dans le cadre des ressources limitées disponibles, il ne serait guère possible qu'un programme communautaire de santé publique porte sur les quelque 5 000 maladies rares et sur tous les aspects des maladies rares.
- 10 Dans la sélection des objectifs et la définition des actions à inclure dans le programme, il a été tenu compte de la situation actuelle dans les États membres et au niveau communautaire dans le domaine couvert par le programme. Le programme vise à réaliser un partage accéléré et efficace des supports d'information pour les groupes d'assistance aux patients et leurs organisations de coordination, à mettre sur pied des équipes de réaction efficaces pour les clusters et à accroître la coopération entre les États membres. Ceci évitera tout double emploi et accélérera l'adoption de la solution la plus appropriée aux problèmes communs à tous les États membres en ce qui concerne ces maladies.
- 11 Enfin, le critère de la valeur ajoutée communautaire s'applique particulièrement aux maladies rares, toutes les activités concernées présentant une dimension et des effets de nature à apporter une valeur ajoutée à tous les États membres.
- 12 Le présent programme est entrepris sur la base d'une décision du Parlement européen et du Conseil conformément à l'article 129. Il ne relève pas de la compétence exclusive de la Communauté et ne requiert pas l'harmonisation des dispositions nationales dans le domaine concerné.

- 13 Les actions mises en oeuvre dans le cadre du programme seront évaluées dans deux rapports: un rapport intermédiaire sur l'état d'avancement et un rapport final sur la mise en oeuvre du programme. Ces rapports comprendront des informations sur le financement communautaire dans les divers domaines d'action ainsi que les résultats des évaluations. Ils seront transmis au Conseil et au Parlement européen, ainsi qu'au Comité économique et social et au Comité des régions.

**Proposition de
DÉCISION DU PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL**

**adoptant un programme d'action communautaire 1999-2003 relatif aux
maladies rares dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé
publique.**

LE PARLEMENT EUROPÉEN ET LE CONSEIL DE L'UNION
EUROPÉENNE

vu le traité instituant la Communauté européenne, et notamment son article 129,

vu la proposition de la Commission¹,

vu l'avis du Comité économique et social²,

vu l'avis du Comité des régions³,

statuant conformément à la procédure visée à l'article 189 B du traité,

1. considérant que la rareté même des maladies et affections à faible prévalence et le manque d'information qui en résulte à leur sujet peuvent avoir pour conséquence que de nombreuses personnes touchées ne bénéficient pas des ressources et services sanitaires dont elles ont besoin;
2. considérant que, aux fins du présent programme, les maladies rares sont définies comme les maladies entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique, dont la prévalence est si faible que leur approche nécessite des efforts combinés particuliers;
3. considérant que, conformément à l'article 3 point o) du traité, l'action de la Communauté comporte une contribution à la réalisation d'un niveau élevé de protection de la santé;

¹ JO n°

² JO n°

³ JO n°

4. considérant que l'article 129 confère expressément une compétence à la Communauté dans ce domaine, dans la mesure où la Communauté y contribue en encourageant la coopération entre les États membres et, si nécessaire, en appuyant leur action, en promouvant la coordination de leurs politiques et programmes et en favorisant la coopération avec les pays tiers et les organisations internationales compétentes en matière de santé publique; considérant que l'action communautaire doit viser la prévention des maladies et la promotion de l'éducation et de l'information concernant la santé;
5. considérant que les maladies rares ont été identifiées comme un domaine prioritaire de l'action communautaire dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique⁴;
6. considérant que, dans sa résolution A4-0311/95 sur le programme d'action sociale à moyen terme 1995-1997⁵, le Parlement a demandé à la Commission de présenter en bonne et due forme le programme d'action en matière de maladies rares prévu dans la communication cadre de la Commission concernant la santé publique;
7. considérant que, dans les domaines qui ne relèvent pas de sa compétence exclusive, comme l'action concernant les maladies rares, la Communauté n'intervient, conformément au principe de subsidiarité, que si et dans la mesure où l'action envisagée, en raison de ses dimensions ou de ses effets, peut être mieux réalisée au niveau communautaire;
8. considérant que la Communauté peut apporter une valeur ajoutée aux actions des États membres concernant les maladies rares, par la coordination des mesures nationales, la diffusion de l'information et des expériences, la fixation de priorités en commun, le développement approprié de réseaux, la sélection de projets européens à l'échelle de la Communauté et la motivation et la mobilisation de toutes les personnes concernées;
9. considérant qu'il convient de favoriser la coopération avec les organisations internationales compétentes dans le domaine de la santé publique et avec les pays tiers;

⁴ COM(93) 559 final

⁵ JO n° C 32 du 5.2.1996, pp. 15-24

10. considérant que, en participant à l'amélioration de la connaissance et de la compréhension des maladies rares et à un élargissement de la diffusion de l'information à ce sujet, ainsi qu'en développant des actions complémentaires aux programmes et actions communautaires existants, tout en évitant les doubles emplois, le programme contribuera à la réalisation des objectifs de la Communauté visés à l'article 129;
11. considérant que, afin d'accroître la valeur et l'impact du programme, il convient de procéder à une évaluation continue des actions entreprises, particulièrement quant à leur efficacité et à la réalisation des objectifs fixés, en vue, le cas échéant, d'effectuer les ajustements nécessaires;
12. considérant que le présent programme doit avoir une durée de cinq ans, afin de disposer d'un temps suffisant pour mettre en oeuvre les actions visant à atteindre les objectifs fixés,
13. considérant que l'instauration de dispositions communautaires spécifiques contribuera à une information rapide des États membres en cas d'urgence, en sorte que la protection de la population puisse être assurée;
14. considérant que ces dispositions communautaires pour l'échange rapide d'informations n'affectent pas les droits et obligations des États membres en vertu des traités ou des conventions bilatérales ou multilatérales;
15. considérant qu'un accord sur un *modus vivendi* entre le Parlement européen, le Conseil et la Commission concernant les mesures d'exécution des actes arrêtés selon la procédure visée à l'article 189 B du traité a été conclu le 20 décembre 1994,
16. considérant que la présente décision établit une enveloppe financière qui constitue la référence privilégiée, au sens du point 1 de la déclaration du Parlement européen, du Conseil et de la Commission du 6 mars 1995, pour l'autorité budgétaire dans le cadre de la procédure budgétaire annuelle;
17. considérant que les perspectives financières de la Communauté sont valables jusqu'en 1999 et devront être révisées pour la période au delà de cette date;
18. considérant que le cadre financier des quatre dernières années du programme (2000-2003) sera déterminé après l'établissement des futures perspectives financières;

DÉCIDENT:

Article premier

Établissement du programme

1. Un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares, ci-après dénommé "présent programme", est adopté pour la période du 1er janvier 1999 au 31 décembre 2003 dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique.
2. Le but du présent programme est de contribuer à assurer un niveau élevé de protection de la santé en relation avec les maladies rares, en apportant des connaissances à leur sujet, en promouvant et en renforçant les groupes d'assistance aux patients et en favorisant la création d'équipes de réaction pour les clusters;
3. Les actions à mettre en oeuvre dans le cadre du présent programme et leurs objectifs spécifiques figurent en annexe sous les rubriques suivantes:
 - 1) Actions d'information communautaire sur les maladies rares
 - 2) Actions de soutien aux groupes d'assistance aux patients et à leur famille
 - 3) Actions relatives au traitement des clusters de maladies rares

Article 2

Mise en oeuvre

1. La Commission assure la mise en oeuvre, en étroite coopération avec les États membres, des actions qui figurent en annexe.
2. La Commission coopère avec les institutions et les organisations actives dans le domaine des maladies rares.

Article 3

Budget

1. Le cadre financier pour la mise en oeuvre du programme sera de 1,3 million d'écus pour l'année 1999, conformément aux perspectives financières actuelles. Le cadre financier pour les quatre années suivantes du programme (2000-2003) sera déterminé dans le détail après l'établissement des futures perspectives financières.
2. Les crédits annuels sont établis par l'autorité budgétaire conformément aux perspectives financières.

Article 4

Cohérence et complémentarité

La Commission veille à la cohérence et à la complémentarité entre les actions communautaires à mettre en oeuvre dans le cadre du présent programme et celles réalisées dans le cadre d'autres programmes et actions communautaires concernés.

Article 5

Comité

1. Pour la mise en oeuvre du présent plan d'action, la Commission est assistée par un comité consultatif, ci-après dénommé "le comité", composé des représentants des Etats membres et présidé par le représentant de la Commission.
2. Le représentant de la Commission soumet au comité un projet des mesures à prendre concernant, en particulier:
 - a) les critères et procédures de sélection et de financement des projets dans le cadre du présent programme;
 - b) la procédure d'évaluation.

Le comité rend son avis sur le projet dans un délai que le président peut fixer en fonction de l'urgence de la question en cause, si nécessaire en procédant à un vote.

L'avis est consigné au procès-verbal; en outre, chaque État membre a le droit de demander que sa position figure au procès-verbal.

La Commission tient le plus grand compte de l'avis rendu par le comité. Elle informe le comité de la façon dont elle a tenu compte de cet avis.

Le représentant de la Commission tient le comité régulièrement informé des propositions ou des initiatives communautaires et de la mise en oeuvre de programmes dans d'autres domaines en rapport avec la réalisation des objectifs du présent programme.

Article 6

Coopération internationale

1. Au cours de la mise en oeuvre du présent programme, la coopération avec les pays tiers et les organisations internationales compétentes dans le domaine de la santé publique sera encouragée.
2. Le présent programme est ouvert à la participation des pays associés de l'Europe centrale (PEC), conformément aux conditions fixées dans les accords d'association ou les protocoles additionnels y afférents, concernant la participation à des programmes communautaires. Le présent programme est ouvert à la participation de Chypre et de Malte sur la base de crédits supplémentaires selon les mêmes règles que celles appliquées aux pays de l'Association européenne de libre échange (AELE), conformément aux procédures à convenir avec ces pays.

Article 7

Suivi et évaluation

1. Dans le cadre de la mise en oeuvre de la présente décision, la Commission prend les mesures nécessaires pour assurer le suivi et l'évaluation continue du

programme, en tenant compte des objectifs généraux et spécifiques mentionnés à l'article 1 et dans l'annexe.

2. Au cours de la troisième année de fonctionnement du présent programme, la Commission présente un rapport d'évaluation au Parlement européen et au Conseil.
3. La Commission soumet au Parlement européen et au Conseil un rapport final à l'issue du programme.
4. La Commission intègre dans ces deux rapports les informations relatives au financement communautaire dans les différents domaines d'action et à la complémentarité avec les autres actions visées à l'article 4, ainsi que le résultat des évaluations. Ces rapports sont également soumis au Comité économique et social et au Comité des régions.

Fait à Bruxelles, le

Par le Parlement européen
Le président

Par le Conseil
Le président

ANNEXE

OBJECTIFS ET ACTIONS SPÉCIFIQUES

I. ACTIONS D'INFORMATION COMMUNAUTAIRE SUR LES MALADIES RARES

Objectif: fournir des connaissances sur les maladies rares, en particulier aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs.

1. Encourager et soutenir la création d'une base de données européenne des maladies rares, comprenant des entrées qui indiquent le nom de la maladie, les synonymes, une description générale, les symptômes, les causes, la population touchée, les traitements standard, les traitements en phase de recherche (lorsqu'ils existent) ainsi qu'une liste des sources à contacter pour plus d'informations sur la maladie.
2. Promouvoir l'accès à l'information et coordonner les systèmes et services d'information existants, en soutenant la création et le renforcement de réseaux au niveau local, régional, national et communautaire.
3. Organiser des réunions à caractère consensuel entre professionnels de la santé pour améliorer la détection précoce, l'identification, l'intervention et la prévention en matière de maladies rares.

II. ACTIONS DE SOUTIEN AUX GROUPES D'ASSISTANCE AUX PATIENTS ET À LEUR FAMILLE

Objectif: créer, favoriser et renforcer des organisations bénévoles apportant une assistance aux personnes touchées directement ou indirectement par les maladies rares.

4. Promouvoir la création de groupes de personnes atteintes des mêmes maladies rares ou de professionnels concernés, afin de diffuser leur

expérience, de faciliter la formation et de coordonner leurs activités au niveau national et communautaire.

5. Promouvoir la collaboration et l'établissement de réseaux entre les groupes ainsi que la création et l'encouragement d'organismes de coordination qui s'attacheraient particulièrement à favoriser la continuité du travail et la coopération transnationale.

III. ACTIONS RELATIVES AU TRAITEMENT DES CLUSTERS DE MALADIES RARES

Objectif: veiller au traitement efficace du problème des clusters, qui présente une importance cruciale pour les maladies rares.

6. Soutenir le contrôle des maladies rares (sentinelles), y compris les affections congénitales, ou les maladies de différents systèmes organiques et les techniques appropriées par les maladies à faible prévalence, afin de répondre d'une part aux exigences concernant la détection, le traitement et la recherche et, d'autre part, les exigences liées à une observation statistiquement pertinente
7. Promouvoir la création d'équipes de réaction aux maladies rares et des formations spécialisées pour les personnes qui étudient les clusters.
8. Soutenir les systèmes de surveillance et d'alerte rapide concernant les clusters.
9. Encourager les échanges de connaissances dans l'évaluation, la communication et la gestion en matière de clusters de maladies rares associés à des causes exogènes.

FICHE FINANCIÈRE

1 INTITULÉ DE L'ACTION

Proposition de décision du Parlement européen et du Conseil adoptant un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique

2 LIGNE BUDGÉTAIRE CONCERNÉE

B3-.....

3 BASE LÉGALE

Article 3 point o) et article 129 du traité instituant la Communauté européenne.

4 DESCRIPTION DE L'ACTION

4.1 Objectif général de l'action

Contribuer à atteindre les objectifs fixés par le traité:

- en vertu de l'article 3 point o), la Communauté est tenue de contribuer à la réalisation d'un niveau élevé de protection de la santé;
- l'article 129 impose à la Communauté de contribuer à assurer un niveau élevé de protection de la santé humaine, en particulier en encourageant la coopération entre les États membres et, si nécessaire, en appuyant leur action, en promouvant la coordination de leurs politiques et programmes et en favorisant la coopération avec les pays tiers et les organisations internationales compétentes en matière de santé publique. L'action communautaire vise la prévention des maladies, en particulier les grands fléaux, en encourageant la recherche sur leurs causes et leur transmission, ainsi que l'information et l'éducation concernant la santé.

L'objectif général du programme d'action est de contribuer à assurer un niveau élevé de protection de la santé en matière de maladies rares.

La méthode utilisée pour atteindre cet objectif consiste à entreprendre des actions qui:

- permettent de réaliser une gamme d'interventions beaucoup plus large et de lancer des actions coordonnées pour des patients qui, à défaut, pourraient se trouver isolés ou faire l'objet d'un diagnostic incorrect;
- fournissent des informations sur les maladies rares;
- renforcent l'organisation et la mise sur pied de groupes d'assistance aux patients et à leur famille;
- créent des équipes de réaction participant au traitement des clusters de maladies rares.

4.2 Période couverte par l'action et modalités prévues pour son renouvellement ou sa prorogation

- 5 ans: du 01.01.1999 au 31.12.2003
- Rapport sur la mise en oeuvre à transmettre au Conseil et au Parlement européen au cours de la troisième année du programme.
- Rapport au Conseil et au Parlement européen à l'issue du programme, avec les résultats des évaluations.

5 CLASSIFICATION DE LA DÉPENSE OU DE LA RECETTE

- Dépense non obligatoire
- Crédits dissociés

6 TYPE DE LA DÉPENSE OU DE LA RECETTE

Subvention pour cofinancement avec d'autres sources du secteur public et/ou privé (ne dépassant pas un certain pourcentage du coût total des projets proposés).

Le montant du financement accordé varie en fonction de la dimension de l'action à financer et de l'implication du programme dans les différentes activités prévues. Ce financement ne dépasse pas 70 % du budget prévisionnel total des projets proposés, sauf pour les réseaux et les travaux commandés et directement utiles à la Commission, pour lesquels la subvention peut être portée à 100 %.

7 INCIDENCE FINANCIÈRE

7.1 Mode de calcul du coût total de l'action (définition des coûts unitaires)

Le mode de calcul est déterminé par l'expérience acquise lors des précédentes activités en matière d'hygiène de l'environnement. Celles-ci comprennent les divers types d'actions communautaires citées au tableau 4 de la communication de la Commission COM(93) 559 final du 24 novembre 1993 et représentent 10 ans d'expérience de financement d'efforts de coopération dans le cadre des États membres et des organisations non gouvernementales, en ce qui concerne le rassemblement, l'analyse et la diffusion de l'information, la mise sur pied de réseaux, l'évaluation de la qualité de campagnes comme les semaines européennes, l'établissement de mécanismes et de procédures de consultation et de coopération pour la fixation d'objectifs communs, pour la coordination des politiques et pour la formulation et le développement de stratégies au niveau communautaire. Les coûts estimatifs spécifiques sont basés sur un financement de 100 % pour la moitié des actions à engager dans le cadre du présent programme et de 50 % pour l'autre moitié, en tablant sur une participation de la plupart ou de la totalité des États membres. Un montant de 1,3 million d'écus est jugé nécessaire pour la mise en oeuvre de ces activités au cours de l'année 1999. Le nouveau cadre budgétaire relatif aux quatre années suivantes de fonctionnement sera établi en 2000, en tenant compte des futures perspectives financières de la Communauté. Les dotations annuelles seront fixées selon les procédures budgétaires habituelles.

7.1.1 Base de données sur les maladies rares destinée aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs

Création d'une base de données européenne des maladies rares, comprenant des entrées qui indiquent le nom de la maladie, les synonymes, une description générale, les symptômes, les causes, la population touchée, les traitements standard, les traitements en phase de recherche (lorsqu'ils existent) ainsi qu'une liste des sources à contacter pour plus d'informations sur la maladie. Le coût de la mise en place de cette base de données en 1999 est de 600 000 écus.

L'organisation de réunions à caractère consensuel entre professionnels de la santé sur les maladies rares coûtera 100 000 écus en 1999.

7.1.2 Création d'organisations bénévoles en matière de maladies rares

Réunions visant à promouvoir la création d'organisations bénévoles apportant une assistance aux personnes touchées par les maladies rares, coût en 1999: 200 000 écus.

7.1.3 Traitement efficace des clusters de maladies rares

La création de mécanismes de contrôle des maladies rares (sentinelles) coûtera 300 000 écus en 1999.

La mise sur pied d'"équipes de réaction" aux maladies rares et de formations pour étudier les clusters coûtera 100 000 écus en 1999.

7.2 Ventilation par éléments du coût de l'action (en millions d'écus) - programmation indicative

OBJECTIF	DOMAINE D'ACTION	ANNÉE					
		1999	2000	2001	2002	2003	TOTAL
Fournir des connaissances sur les maladies rares, en particulier aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs.	Encourager et soutenir la création d'une base de données européenne des maladies rares, comprenant des entrées qui indiquent le nom de la maladie, les synonymes, une description générale, les symptômes, les causes, la population touchée, les traitements standard, les traitements en phase de recherche (lorsqu'ils existent) ainsi qu'une liste des sources à contacter pour plus d'informations sur la maladie.	0,6	–	–	–	–	0,6
	Promouvoir l'accès à l'information et coordonner les systèmes et services d'information existants, en soutenant la création et le renforcement de réseaux au niveau local, régional, national et communautaire.	–	–	–	–	–	–
	Organiser des réunions à caractère consensuel entre professionnels de la santé pour améliorer la détection précoce, l'identification, l'intervention et la prévention en matière de maladies rares.	0,1	–	–	–	–	0,1

Créer, favoriser et renforcer des organisations bénévoles apportant une assistance aux personnes touchées directement ou indirectement par les maladies rares.	Promouvoir la création de groupes de personnes atteintes des mêmes maladies rares ou de professionnels concernés, afin de diffuser leur expérience, de faciliter la formation et de coordonner leurs activités au niveau national et communautaire.	–	–	–	–	–	–
	Promouvoir la collaboration et l'établissement de réseaux entre les groupes ainsi que la création et l'encouragement d'organismes de coordination qui s'attacheraient particulièrement à favoriser la continuité du travail et la coopération transnationale.	0,2	–	–	–	–	0,2
Veiller au traitement efficace du problème des clusters, qui présente une importance cruciale pour les maladies rares.	Soutenir le contrôle des maladies rares (sentinelles), y compris les affections congénitales, ou les maladies de différents systèmes organiques et les techniques appropriées par les maladies à faible prévalence, afin de répondre d'une part aux exigences concernant la détection, le traitement et la recherche et, d'autre part, les exigences liées à une observation statistiquement pertinente.	0,3	–	–	–	–	0,3
	Promouvoir la création d'équipes de réaction aux maladies rares et des formations spécialisées pour les personnes qui étudient les clusters.	0,1	–	–	–	–	0,1
	Soutenir les systèmes de surveillance et d'alerte rapide concernant les clusters.	–	–	–	–	–	–
	Encourager les échanges de connaissances dans l'évaluation, la communication et la gestion en matière de clusters de maladies rares associés à des causes exogènes.	–	–	–	–	–	–
TOTAL		1,3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

7.3 Échéancier indicatif des crédits (en millions d'écus)

	1999	2000	2001	2002	2003	TOTAL
Crédits d'engagement	1,3	–	–	–	–	1,3
Crédits de paiement						
1999	0,78					0,78
2000	0,52					0,52
2001						
2002						
2003						
Exercices suivants						
TOTAL	1,3	p.m.	p.m.	p.m.	p.m.	1,3

8 DISPOSITIONS ANTI-FRAUDE PRÉVUES (ET RÉSULTATS DE LEUR MISE EN OEUVRE)

Les renseignements sur l'identité et la nature des bénéficiaires potentiels, à fournir dans les formulaires de demande de crédits, permettront d'en apprécier la fiabilité a priori.

Des dispositions anti-fraude (contrôles, rapports intermédiaires, rapport final) sont incluses dans les accords ou contrats conclus entre la Commission et les bénéficiaires. La Commission vérifie les rapports et la bonne exécution des travaux avant les paiements intermédiaires et finals.

La Commission effectue en outre des contrôles ponctuels de l'utilisation des crédits. Des contrôles portant sur les exercices budgétaires 1991 à 1995 ont déjà été effectués pour d'autres lignes budgétaires concernant la santé publique et se sont avérés efficaces.

9 ÉLÉMENTS D'ANALYSE COÛT-EFFICACITÉ

9.1 Objectifs spécifiques et quantifiables

Les mesures communautaires visent à contribuer à assurer un niveau élevé de protection de la santé en matière de maladies rares en fournissant des connaissances sur les maladies rares, en particulier aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs, en créant, favorisant et renforçant des organisations bénévoles apportant une assistance aux personnes touchées directement ou indirectement par les maladies rares et en veillant au traitement efficace du problème des clusters, qui présente une importance cruciale pour les maladies rares. À cet effet, les objectifs spécifiques suivants seront poursuivis.

Les indicateurs montrant si ces objectifs sont atteints ou non comprendront des mesures des types suivants:

- diffusion de l'information sur les maladies rares aux patients, aux professionnels de la santé et aux chercheurs;
- établissement d'une base de données européenne des maladies rares;
- disponibilité de documents consensuels sur la détection, l'identification, l'intervention et la prévention en matière de maladies rares;
- présence et fonctionnement d'organisations de patients actives dans le domaine des maladies rares, au niveau local, régional, national et communautaire;
- présence d'organisations de coordination au niveau communautaire pour la promotion de la collaboration concernant différentes maladies rares;
- existence d'équipes de réaction aux maladies rares et de systèmes d'échange, de surveillance et d'alerte rapide liés aux clusters de maladies rares.

Population visée

1. Autorités sanitaires compétentes des États membres, au niveau national, régional et local, et organisations internationales compétentes dans le domaine de la santé publique.
2. Groupes d'assistance aux patients, professionnels de la santé, associations sanitaires et médicales, institutions universitaires, etc.
3. ONG et autres organismes s'occupant des questions de santé, ainsi que le grand public.

9.2 Justifications de l'action

Lorsqu'elle engage une action sur la base de l'article 129, la Communauté doit s'attacher à la prévention des maladies et à la protection de la santé. La communication de la Commission concernant le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique¹ fixe des critères destinés à déterminer des domaines prioritaires pour les programmes communautaires. En application de ces critères, la communication cadre a évalué les différentes options d'approche des maladies, en particulier les grands fléaux et leurs causes sous-jacentes, par divers types d'actions communautaires et a retenu, sur la base des critères énumérés dans cette communication, huit domaines prioritaires, parmi lesquels les maladies rares.

Aux fins du présent programme, les maladies rares sont définies comme les maladies entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique, dont la prévalence est si faible qu'elles nécessitent des efforts combinés particuliers, nécessité démontrée sur la base d'une évaluation ex ante.

Le programme vise à réaliser un partage accéléré et efficace de l'information et de l'expérience, une compréhension dans l'ensemble de la Communauté des questions essentielles sur l'approche des maladies rares et une coopération accrue des États membres, afin d'éviter tout double emploi et d'accélérer l'adoption de la solution la plus appropriée aux problèmes communs à tous les États membres en ce qui concerne ces maladies. Cette contribution envisagée pour la Communauté et la Commission par l'article 129 fournit un cadre clair de règles communes.

Les interventions et l'attribution des crédits s'effectuent selon les modalités suivantes:

- application spécifique du principe de subsidiarité lors de l'identification des mesures à adopter et à cofinancer;
- identification et sélection de projets à cofinancer dans les domaines des maladies rares;
- application du principe de la valeur ajoutée communautaire, qui se traduira en particulier par la coordination des mesures nationales, la diffusion des informations et des expériences, la fixation de priorités, le développement approprié de réseaux, ainsi que la sélection de projets européens et la motivation et la mobilisation de toutes les personnes concernées.

¹ COM(93) 559 final du 23.11.1993

Deux méthodes seront employées pour mettre en oeuvre le programme. L'une consiste à soutenir des projets réalisés dans les États membres et au niveau communautaire. La sélection des projets prioritaires s'appuie, dans une large mesure, sur les objectifs généraux et intermédiaires. Quant à la mise en oeuvre des mesures elles-mêmes, elle dépend de la qualité et de l'efficacité des projets soumis au service compétent au cours de l'année. L'autre méthode consiste à engager les actions spécifiques nécessaires pour atteindre les objectifs du programme, qui seront intégralement financées par celui-ci.

Les critères de sélection des projets sont les suivants:

- compatibilité avec les objectifs et conformité avec au moins l'un des objectifs définis;
- examen de la "valeur ajoutée communautaire" des projets (participation transnationale, développement d'un modèle applicable dans d'autres États membres, informations utilisables dans d'autres États membres, etc.);
- efficacité et valeur supposées;
- clarté et justification des besoins;
- pertinence de la méthodologie retenue;
- compétence et expérience en matière d'organisation;
- adéquation du budget de l'action aux objectifs;
- soutien des partenaires nationaux aux projets;
- évaluation objective;
- avis du comité consultatif concerné.

Le budget proposé pour le présent programme, soit 1,3 mécu pour la première année, correspond à celui proposé simultanément pour les programmes d'action communautaire relatifs aux maladies rares et à la prévention des blessures. Ce parallélisme reflète le fait que la communication de la Commission concernant le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique (1993) accorde la même priorité à chacun de ces domaines d'action, une évaluation qui reste d'actualité. La somme proposée représente le strict minimum nécessaire au démarrage du programme.

9.3 Suivi et évaluation de l'action

9.3.1 Suivi de l'action

Le suivi de l'action au niveau communautaire est assuré par la Commission, qui soumet au Conseil, au Parlement européen, au Comité économique et social et au Comité des régions un rapport à mi-parcours et un rapport final à l'issue du

programme, en se fondant sur les rapports nationaux ainsi que sur les évaluations des actions effectuées dans le cadre du programme et des projets particuliers.

9.3.2 Évaluation

L'évaluation s'effectue de la façon suivante:

- une évaluation des principales actions et des projets subventionnés avec, au besoin, la participation d'experts indépendants;
- un rapport d'évaluation au cours de la troisième année;
- un rapport global sur la qualité et l'efficacité des projets mis en oeuvre dans le cadre du plan d'action, que la Commission soumet aux autres institutions communautaires à l'issue du programme.

Indicateurs de performance retenus pour cette évaluation:

- évaluation de projets par des fonctionnaires de la Commission et/ou des collaborateurs de ceux-ci;
- analyse des rapports intermédiaires sur les actions prévues et financées, permettant, si possible, une réorientation;
- études d'impact par des organismes externes;
- pertinence de la méthodologie utilisée par les organisateurs;
- adéquation du budget de l'action aux objectifs;
- compétence et expérience des organismes;
- diffusion des résultats.

Modalités et périodicité de l'évaluation:

- établissement de rapports intermédiaires et finals sur les différentes actions entreprises dans le domaine concerné;
- élaboration d'une fiche d'évaluation "type" de l'action, à transmettre par les bénéficiaires avec leurs rapports finals et contrôle de ces fiches par des fonctionnaires, soit au sein de la Commission, soit sur place.

10 DÉPENSES ADMINISTRATIVES (PARTIE A DU BUDGET)

La mobilisation effective des ressources administratives nécessaires résulte de la décision annuelle de la Commission sur l'attribution des ressources, compte tenu notamment des effectifs et des montants supplémentaires qui auront été accordés par l'autorité budgétaire.

10.1 Incidence sur le nombre de travailleurs

Types de travailleurs		Personnel menant l'action		Source des travailleurs		Durée
		Travailleurs permanents	Travailleurs temporaires	DG ou service	Personnel supplémentaire	
Fonctionnaires ou agents temporaires	A	1	0	1	0	
	B	1	0	1	0	
	C	1	0	1	0	
Autres ressources						
Total		3	0	3	0	

10.2 Incidence financière de l'emploi de personnel supplémentaire

10.3 Augmentation des autres dépenses de fonctionnement entraînées par l'action

Ligne budgétaire	Montants	Mode de calcul
Réunions A2510	104.250 écus	2 réunions du comité consultatif par an, 1 représentant par État membre = 2 réunions/an x 15 représentants x 695 écus/représentant x 5 ans = 104.250 écus

Les ressources nécessaires pour couvrir les dépenses ci-dessous pour la période de 5 ans seront obtenues par redéploiement des ressources financières existantes, sans recours à des ressources supplémentaires.

a) Dépenses de personnel (titres A1, A2 et A5)
 $3 \times 100.000 \text{ écus} \times 5 \text{ ans} = 1.500.000 \text{ écus}$

b) Dépenses de fonctionnement
Frais de réunions (A-250)
 $2 \text{ réunions/an} \times 15 \text{ experts} \times 825 \text{ écus/expert} \times 5 \text{ ans} = 123.750 \text{ écus}$
Frais de missions (A-130)
 $24 \text{ missions/an Bruxelles-Luxembourg} \times 200 \text{ écus/mission} \times 5 \text{ ans} = 24.000 \text{ écus}$
 $60 \text{ missions/an dans les États membres} \times 1000 \text{ écus/mission} \times 5 \text{ ans} = 300.000 \text{ écus}$

c) Total: 1.947.750 écus

ISSN 0254-1491

COM(97) 225 final

DOCUMENTS

FR

05

N° de catalogue : CB-CO-97-217-FR-C

ISBN 92-78-19713-0

Office des publications officielles des Communautés européennes

L-2985 Luxembourg