



**BELGIUM**

**EUROPLAN ROUND TABLE**

*in the framework of the EU Joint Action RD-ACTION*

**6 October 2017, Brussels**

**FINAL REPORT**



Co-funded by  
the Health Programme  
of the European Union



# FOREWORD

The EUROPLAN national workshops / round tables are organised in many European countries as part of a coordinated and joint European effort to foster the development of comprehensive National Plans or Strategies for Rare Diseases addressing the unmet needs of patients living with a rare disease in Europe.

These National Plans and Strategies are intended to implement concrete national measures in key areas from research to codification of rare diseases, diagnosis, care and treatments as well as adapted social services for rare disease patients while integrating EU policies.

The EUROPLAN national conferences/ workshops are jointly organised in each country by a National Alliance of rare disease patients' organisations and EURORDIS–Rare Diseases Europe. **Rare Disease National Alliances and Patient Organisations have a crucial role to shape the national policies for rare diseases.**

The strength of EUROPLAN national conference/ workshop lies in its shared philosophy and format:

- **Patient-led:** National Alliances are in the best position to address patients' needs;
- **Multi-stakeholders:** National Alliances ensure to invite all stakeholders involved for a broad debate;
- **Integrating both the national and European approach to rare disease policy;**
- **Being part of an overarching European action** (project or Joint Action) that provides the legitimacy and the framework for the organisation of EUROPLAN national conferences/workshops;
- **Helping national authorities adhere to the obligations stemming from the Council Recommendation of 8 June 2009 on an action in the field of rare diseases.**

Since 2008, National Alliances and EURORDIS have been involved in promoting the adoption and implementation of National Plans and Strategies for rare diseases. Altogether, 41 EUROPLAN national conferences took place in the framework of the first EUROPLAN project (2008-2011) and the EU Joint Action of the European Committee of Experts on Rare Diseases – EUCERD - (2012-2015).

Within RD-ACTION (2015-2018), the second EU Joint Action for rare diseases, National Alliances and EURORDIS continue to get involved in a coordinated European effort to advocate for and promote integrated national policy measures that have an impact on the lives of people living with rare diseases.

The EUROPLAN national conferences or workshops taking place within RD-ACTION focus on specific themes identified by the National Alliances as the most pressing priorities to tackle with national authorities. These thematic priorities are addressed in sessions where all the stakeholders discuss relevant measures to be taken or ways to sustain the full implementation of already approved measures.

Each National Alliance prepares a final report on the national workshop, based on a common format such as the one that follows.

## GENERAL INFORMATION

<b>Country</b>	Belgium
<b>National Alliance (Organiser)</b>	RaDiOrg.be
<b>Date &amp; place of the national workshop/conference</b>	6 October, Brussels
<b>Website</b>	www.radiorg.be
<b>Members of the Steering Committee</b>	RaDiOrg et le Fonds Maladies Rares et Médicaments Orphelins
<b>Theme addressed</b>	<b>Governance of the Belgium National Plan for Rare Diseases</b>
<b>Annexes :</b>	I. Programme in English II. List of Participants (by stakeholders' categories)

## FINAL REPORT

### EUROPLAN Round Table on the Governance of the Belgium National Plan for Rare Diseases

**Attention** : les propos tenus par les intervenants n'engagent que ces derniers et ne constituent pas la position de Radiorg.be dans le cadre de cette table-ronde.

#### **LE DIAGNOSTIC**

Les représentantes de l'Institut de Santé Publique (ISP) évoquent brièvement le statut des mesures du Plan relatives au diagnostic : le registre central des maladies rares est créé, un budget est disponible pour les tests ADN envoyés à l'étranger.

Malgré ces avancées, les centres de génétiques assurant les **tests ADN** font face à un certain nombre de difficultés liés aux nouveaux types de tests (analyse d'exome ou de génome par exemple) et leurs remboursements. Ainsi, il est extrêmement difficile de développer des tests modernes dans le cadre de la nomenclature actuelle.

Un deuxième élément concerne **les tests adressés à l'étranger**, ce qui est très important en matière de maladies rares. En effet, pour certaines d'entre elles, il n'existe que quelques laboratoires dans le monde pouvant effectuer ces tests. Le budget prévu par la convention « conseil génétique » est

limité, et dès lors, les envois de tests à l'étranger sont limités aux cas où il y a un bénéfice thérapeutique immédiat à avoir un diagnostic final ou une nécessité d'un conseil génétique pour la famille.

Globalement, les tests génétiques sont sous-financés en Belgique. Actuellement, 40 millions d'€ sont dédiés à la génétique en Belgique dont seulement 2 millions réservés aux consultations génétiques ; c'est un budget par habitant beaucoup plus faible que dans nos pays voisins tels les Pays-Bas, l'Allemagne...

Cela pose plusieurs problèmes. D'une part, un manque d'égalité de traitement entre les patients car certains ne bénéficient pas d'un diagnostic définitif si leur test n'est pas envoyé à l'étranger, les patients n'ayant dès lors pas de nom à mettre sur leur maladie, ce qui est un problème en soi pour le patient, notamment d'ordre psychologique. D'autre part, la conséquence est que, si un traitement voit le jour pour la maladie rare concernée, ce patient n'y aura pas accès car il ne sera pas répertorié dans les bases de données ou les registres avec un diagnostic final.

L'accès des patients au diagnostic via des **consultations de conseil génétique** ou via des consultations multidisciplinaires est prévu dans le cadre de la fonction maladies rares. La Fonction Maladies Rares est une fonction hospitalière dont le but est de prendre en charge les patients atteints de maladies rares. Cette prise en charge implique un diagnostic aussi rapide que possible, un suivi, et le transfert des malades vers les unités de soins les plus aptes à prendre en charge leur pathologie. Il faut répondre bien sûr à de nombreuses conditions. 7 Fonctions Maladies Rares ont été reconnues en Belgique. Mais ici aussi, les patients font face à diverses difficultés. Le fait que les fonctions, bien que reconnues dès juin 2016, ne sont pas encore financées à ce jour, empêche les structures d'accueil de se créer. Aujourd'hui, les fonctions maladies rares restent, pour les patients, un concept abstrait, dénué de tout impact positif dans leur quotidien. La représentante du SPF confirme qu'un budget est bien prévu, mais ce budget devrait être libéré en juillet 2018 au plus tard. D'autre part, la Belgique compte trop peu de généticiens alors que la demande de tests a fortement augmenté ces dernières années, et pas seulement pour les maladies rares (pédiatrie, cancers...). Une des explications de ce manque de généticiens est, qu'encore récemment, cette spécialité n'était pas reconnue en Belgique.

Il y a aussi un manque de financement pour ces tests génétiques, et ce malgré la convention conseil génétique mise en place par l'INAMI, établie il y a quelques années.

Tous ces éléments impliquent des délais de rendez-vous très longs, ce qui veut dire un délai très long pour les patients en attente de diagnostic. L'errance de diagnostic reste une réalité pour les patients atteints de maladies rares, comme l'a illustré le représentant de l'association HTAP. Dans le cas de l'hypertension artérielle pulmonaire, maladie rare évolutive, le délai de diagnostic fait qu'une fois ce dernier établi, le patient peut avoir atteint un stade très avancé de la maladie avec des conséquences dramatiques et irréversibles pour celui-ci. Un des points identifiés par les patients est le manque de sensibilisation des médecins de première ligne (généralistes et médecins spécialistes) à la problématique des maladies rares. Dans le cas de l'HTAP pour laquelle il existe deux centres de prise en charge en Belgique (non officiellement reconnus), la difficulté est l'identification de la maladie par la première ligne qui permet l'orientation des patients vers ces centres.

- (1) Les fonctions maladies rares doivent être rapidement financées afin de mettre en place des structures d'accueil et de prise en charge pour les patients en attente de diagnostic. Ces structures seront multidisciplinaires ce qui permettra d'organiser un reviewing multidisciplinaire des dossiers et l'orientation des patients vers les meilleurs centres de prise en charge.
- (2) Les autorités doivent augmenter considérablement les budgets dédiés aux conseils génétiques et à l'envoi de tests à l'étranger. Accorder plus de budget à la génétique est une question de démocratie et d'égalité d'accès de tous les patients à un diagnostic.
- (3) Il est nécessaire de sensibiliser les médecins de première ligne, et ce en incluant les maladies rares dans le cursus des médecins. Cette sensibilisation des étudiants devrait se faire en incluant des témoignages d'errance de diagnostic de patients. Les facultés de médecine doivent être contactées dans ce sens.
- (4) Afin de réduire les délais pour les consultations génétiques, considérer :
  - La possibilité que les conseils génétiques ne soient pas obligatoirement prodigués par des médecins mais également par des « conseillers en génétiques »
  - La possibilité de mieux sélectionner en amont les motifs de consultation génétique
- (5) Identifier les maladies rares concernées par des tests néonataux (exemple de la Mucoviscidose) et organiser une concertation avec les Communautés politiques régionales compétentes en la matière
- (6) Importance d'intégrer les standards européens de codification dans le cadre du registre central des maladies rares (ICD code, Orpha code).

## **LA PRISE EN CHARGE DES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES**

Ce volet du Plan maladies rares comprend notamment la reconnaissance des fonctions et la mise en place des réseaux maladies rares, deux mesures préalables au développement de nouveaux centres de référence/expertise.

Cependant, aucun financement fédéral ne semble prévu avant mi-2018 pour cette mesure.

Lors de l'adoption du Plan en décembre 2013, l'ensemble des compétences santé concernées était du ressort du Fédéral. Entretemps, la 6<sup>ème</sup> Réforme de l'Etat a régionalisé certaines de ces compétences, de sorte que des mesures du Plan maladies rares voient aujourd'hui une mise en œuvre quelque peu différente au nord et au sud du pays.

Ainsi, cette réforme de l'Etat a transféré aux Entités fédérées la compétence de définir les normes de reconnaissance pour les centres d'expertise alors que le niveau fédéral reste bien compétent pour la désignation desdits centres.

De plus, d'autres réformes ont été lancées depuis 2013, comme celle relative à l'organisation hospitalière qui a également un impact sur la mise en œuvre du plan maladies rares, et singulièrement sur les mesures relatives au suivi du patient.

En termes de suivi et de monitoring, l'action 20 du Plan maladies rares prévoit la mise en place d'une équipe spécifique au sein du SPF Santé public. Cette même action prévoit la création d'un Comité de pilotage fédéral dont la mission est de superviser les travaux de mise en œuvre du Plan. Ce groupe de pilotage se réunit périodiquement afin de monitorer la mise en œuvre du Plan et d'adapter ce-dernier le cas échéant.

Au niveau des réalisations, le SPF santé public a été chargé des aspects réglementaires liés à la création des fonctions et réseaux maladies rares par la publication des Arrêtés Royaux nécessaires en 2014. Par la suite, les fonctions ont été reconnues par les entités fédérées en juin 2016. Les réseaux maladies rares doivent maintenant être établis.

Sur ce point, il apparaît que la Région Flamande a une longueur d'avance. Dès la publication de l'Arrêté Royal relatif aux fonctions, les autorités flamandes ont soutenu les CHU flamands pour qu'ils obtiennent cette reconnaissance. D'emblée les 4 CHU ont entamé une réflexion sur la création des réseaux maladies rares. La création concrète des 5 premiers réseaux (autour de 5 maladies rares/groupes de maladies rares) a été lancée en date du 9 octobre 2017. Les 5 premiers groupes de maladies couvertes sont les maladies métaboliques, les maladies neuromusculaires, les atteintes vasculaires multisystémiques et cardiaques, les maladies liées aux tissus conjonctifs et musculosquelettiques, maladies des os. Afin de coordonner ces travaux, il a été créé un organe (VNZZ - Vlaamse Netwerk voor Zeldzame Ziekten) réunissant les 4 CHU concernés (Leuven, Gent, Antwerpen, UZ Brussel), Zorgnet-Icuro (coupole des instituts de services de soins, surtout les hôpitaux généraux) et Domus medica (coupole des médecins généralistes), VPP (Vlaamse Patienten Platform qui est la fédération des patients flamands et Radiorg en tant que partenaires « conseillers ». Bien qu'il s'agisse de réseaux flamands, ces derniers établiront des collaborations avec les autres réseaux qui se développeront dans les autres régions du pays.

A l'inverse de la situation flamande, les hôpitaux francophones n'ont pas été soutenus par leurs autorités. Chaque hôpital ayant un centre de génétique s'est activé pour obtenir l'agrément de la Fonction maladies rares. Les trois hôpitaux universitaires avec centre génétique l'ont obtenu. Aujourd'hui St Luc (UCL), Erasme (ULB) et CHU Sart-Tilman (ULG) tentent de créer un réseau entre eux en y incluant l'IPG, Institut de Pathologie et de Génétique, centre de génétique n'ayant pas la fonction maladies rares, les soins de première ligne et les organisations de patients. L'intention est également de tisser des liens forts avec les réseaux flamands.

A titre d'exemple, la notion de réseau est décrite de façon abstraite dans l'Arrêté Royal, ce qui implique des interprétations potentiellement différentes par les différentes entités fédérées.

Il y a au moins 3 niveaux de réseaux à considérer : (1) réseau entre hôpitaux universitaires, (2) réseau entre hôpitaux universitaires et autres hôpitaux périphériques et enfin (3) des réseaux à l'échelle européenne (ERN) ! Tous ces niveaux de réseau sont importants. L'Arrêté Royal ne donne pas tous les détails, ce qui crée certaines incertitudes, mais également une implémentation plus sur mesure.

En ce qui concerne le suivi des patients, il est important qu'un lien soit fait avec le registre central des maladies rares. Les données qui s'y trouvent ne seront pas directement disponibles pour le patient mais elles le seront pour les soignants. Ces derniers devront d'ailleurs l'alimenter. Pour que ce soit un succès, il faut que ce registre soit simple, rapide à implémenter et qu'il récolte des données intéressantes et utiles.

Pour les patients et leurs représentants, ces avancées n'ont rien de tangible. Les patients ont besoin de prise en charge pluridisciplinaire, qui plus est tenant compte de la transition vers l'âge adulte. L'agrément des fonctions et la mise en place des réseaux sont des éléments positifs, mais ils doivent se traduire par une prise en charge concrète pour les patients via des centres d'expertise.

Pour les patients, il est essentiel que ces centres soient organisés autour de véritables expertises en matière de maladies rares. La cartographie de cette expertise au niveau belge avait été initiée par l'Institut de Santé Publique il y a quelques années mais ces travaux ont depuis été abandonnés.

## RECOMMANDATIONS

- (7) Pour renforcer la recommandation (1) quant à l'urgence du financement des coordinateurs de Fonctions maladies rares, on citera leur rôle d'accompagnement tout au long du trajet de la maladie
- (8) Les coordinateurs Réseaux maladies rares doivent être également rapidement financés, ceci afin d'organiser les activités du réseau et la participation aux réseaux internationaux
- (9) Les 9 Ministres Belges en charge de la Santé publique (Fédéral, Régions, et Communautés) doivent créer un groupe de travail dédié aux maladies rares, ce groupe de travail pouvant rapporter des thèmes à la Conférence Interministérielle de la Sécurité sociale. Par ailleurs, il est important que les fonctions maladies rare francophones obtiennent le soutien de leurs autorités régionales.
- (10) Les patients souffrant de maladies rares, leurs représentants et l'ensemble des parties-prenantes doivent recevoir régulièrement des informations des autorités compétentes quant aux progrès réalisés dans la mise en place du Plan Belge maladies rares. Ces informations devraient émaner du Comité de pilotage fédéral maladies rares.
- (11) Les travaux de cartographie de l'expertise maladies rares doivent être réactivés
- (12) La question de la transition vers l'âge adulte doit être abordée dans le cadre de la mise en place des centres d'expertise pour les maladies rares
- (13) Clarifier la notion de « réseaux » afin d'assurer une harmonisation dans la mise en œuvre des réseaux maladies rares dans les deux Régions (Flamande et wallonne)
- (14) Depuis le 1/10/2017, le pharmacien de référence a été créé en Belgique. Il est important d'en tenir compte dans le développement des réseaux avec la première ligne
- (15) S'assurer que les maladies ultra-rares soient bien prises en compte dans la création des réseaux maladies rares



## **LES MÉDICAMENTS ORPHELINS ET LES BESOINS MÉDICAUX NON COUVERTS**

Le développement de médicaments orphelins permet de couvrir des besoins médicaux non couverts

Depuis 17 ans, on a vu le nombre de médicaments orphelins augmenter considérablement. La réglementation européenne en la matière a joué un rôle important dans cette évolution, mais elle aurait été inutile sans la capacité d'innovation de l'industrie pharmaceutique.

Le véritable enjeu est COMMENT DONNER AUX PATIENTS ACCÈS À CETTE INNOVATION? Il s'agit bien de privilégier l'innovation rencontrant les besoins des patients. C'est précisément pour s'en assurer qu'un groupe de travail spécifique a été établi au sein de l'INAMI par application de l'action 15 du Plan « Inventaire des besoins non couverts ». Malheureusement, les représentants des patients déplorent son peu d'efficacité par rapport aux ambitions de départ.

Différents mécanismes existent pour accélérer l'accès aux traitements innovants : la participation à des essais cliniques, le bénéfice de la procédure dite du « compassionate use », le recours au fonds de solidarité ou la procédure dite ETR (Early Temporary Reimbursement). Cette procédure ETR a été mise en place par la mesure 14 du Plan maladies rares.

La mesure 14 du Plan maladies rares concerne l'Unmet Medical Need (UMN). L'objectif est de compléter les mode d'accès aux médicaments innovants via *la prise en charge plus rapide par l'assurance maladie de spécialités pharmaceutiques constituant des traitements innovants pour des pathologies graves ou mortelles pour lesquelles il n'existe pas d'alternative thérapeutique, et ce avant leur enregistrement au niveau européen pour les spécialités non encore autorisées, ou avant la reconnaissance d'une nouvelle indication pour laquelle il existe un besoin médical non rencontré pour les spécialités déjà autorisées.* ».

Ce mécanisme ETR a été mis en place en 2014, notamment en collaboration avec les représentants de l'industrie pharmaceutique.

Après 2 années d'existence, un constat d'échec s'est imposé car aucun dossier n'a été introduit dans ce cadre. Une des raisons principales était la crainte, pour l'industrie, que le prix fixé par la procédure de l'UMN devienne la référence lors de la procédure classique de remboursement pour le même médicament. Pour pallier cela, le principe du forfait a été introduit dans la mesure, ce qui a débouché au dépôt de deux dossiers. Ces derniers sont actuellement à l'étude auprès du collègue des médecins directeurs de l'INAMI.

L'accès aux médicaments en général et l'accès aux médicaments orphelins en particulier passe par la procédure de remboursement au niveau de l'INAMI (Commission de Remboursement de Médicaments CRM) dont fait partie la procédure dite de l'article 81. Ce dernier prévoit la signature d'un contrat entre la firme et les autorités publiques. Le nombre de ces contrats est en forte progression en Belgique. De l'avis du secteur, les dernières années, presque aucun nouveau médicament innovant ne peut encore entrer sur le marché belge sans passer par ces contrats. Mais, toujours selon l'avis du secteur, ces contrats ont permis jusqu'à présent que le patient belge ait accès aux nouveaux médicaments. Néanmoins, l'inconvénient de ce mécanisme est son opacité quant aux termes desdits contrats

La problématique de l'accès des patients aux traitements innovants est intimement liée à la capacité des Etats à assumer leur remboursement qui peut atteindre plusieurs centaines de milliers d'euros par patient.

Vu l'enjeu, il semble que cette question ne pourra pas trouver une réponse si elle n'est traitée qu'au niveau national. Il est absolument nécessaire d'adopter une approche supranationale en la matière. Il faut travailler à l'échelle EU, voire mondiale.

C'est à cette échelle qu'il faut innover pour se donner la capacité d'assumer ces coûts liés aux médicaments et soins innovants pour les patients atteints de maladies rares.

Il faudra trouver des solutions pour changer le système . Il s'agira là de changements fondamentaux dans la manière d'envisager la recherche, les partenariats public-universités-pharma, la justification des prix, la transparence. Vaste chantier.

RECOMMANDATIONS

- (16) Lorsque les centres d'expertise seront en place, le collège pour les médicaments orphelins ne devrait plus être requis
- (17) Les soignants doivent être informés de toutes les possibilités permettant de donner à leurs patients accès aux médicaments innovants, notamment via le fonds spécial de solidarité
- (18) La Belgique doit exiger que la commission EU installe une agence qui évalue les taux de remboursement dans les pays membres pour les traitements approuvés pour la mise sur le marché par EMA
- (19) Le remboursement des médicaments orphelins doit être basé sur des résultats thérapeutiques