



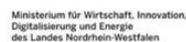
# RAPPORT DU WORK PACKAGE 1

**RAPPORT SUR L'ANALYSE DES MECANISMES JURIDIQUES, FINANCIERS ET DE  
REMBOURSEMENT DES MALADIES RARES POUR LES COÛTS DE TRAITEMENT  
DES PATIENTS ATTEINTS D'UNE MALADIE RARE DANS L'EMR**

<b>Partenaire principal du Work package</b>	<b>Maastricht University (Université de Maastricht)</b>
<b>N° et titre du WP</b>	WP 1
<b>N° et titre de l'activité</b>	Action 1.2 Situation juridique et financière pour les patients atteints d'une maladie rare dans l'EMR
<b>Niveau de diffusion</b>	Public
<b>Date de publication</b>	23/03/2020
<b>Statut</b>	Version finale
<b>Langues dans lesquelles le rapport est disponible</b>	EN – FR – NL - DE



With the support of



# TABLE DES MATIERES

Liste des auteurs.....	4
Description du projet.....	5
Clause de non-responsabilité .....	5
Résumé .....	6
Introduction .....	9
<b>1 Politiques relatives aux maladies rares .....</b>	<b>10</b>
1.1 Politiques européennes sur les maladies rares .....	10
1.1.1 Orientations des Plans d'action nationaux pour les maladies rares.....	10
1.1.2 Financement de projets pour les Maladies Rares.....	11
1.1.3 Comités d'experts de l'Union européenne .....	11
1.1.4 Réseaux Européens de Référence (ERN).....	12
1.1.5 Règlement concernant les médicaments orphelins.....	14
1.2 Politiques nationales.....	16
1.2.1 Plans nationaux pour les maladies rares .....	16
1.2.1.1 Allemagne .....	16
1.2.1.2 Belgique .....	16
1.2.1.3 Pays-Bas .....	17
1.2.1.4 Priorités et points d'action .....	17
1.2.1.5 Stratégies de mise en œuvre concernant les plans nationaux pour les maladies rares	27
1.2.1.5.1 Belgique .....	27
1.2.1.5.2 Pays-Bas .....	28
1.2.1.5.3 Allemagne .....	28
1.2.2 Politiques nationales relatives aux informations pour les maladies rares .....	29
1.2.2.1 Belgique .....	29
1.2.2.2 Pays-Bas .....	30
1.2.2.3 Allemagne .....	30
1.2.3 Développement des lignes directrices .....	31
1.2.3.1 Belgique .....	31
1.2.3.2 Pays-Bas .....	31
1.2.3.3 Allemagne .....	31
1.2.3.4 Comparaison .....	32
1.2.4 BeNeLuxA : une initiative de plusieurs pays collaborant sur les médicaments orphelins	32
1.2.5 Conclusions .....	32
<b>2 Dispositions relatives à l'accès aux soins de santé transfrontaliers.....</b>	<b>34</b>
2.1 Législation européenne .....	34
2.1.1 Règlements 883/2004 et 987/2009 .....	34
2.1.2 Directive 2011/24/UE .....	35
2.1.2.1 Champ d'application de la directive .....	35
2.1.2.2 Conditions pour l'autorisation préalable .....	36
2.1.2.3 Remboursement .....	36
2.1.2.4 Cadre juridique pour les structures de coopération volontaire .....	37
2.1.3 Comparaison entre les droits en vertu de la directive et les droits en vertu du règlement	39
2.1.4 Obstacles relatifs aux soins de santé transfrontaliers : L'exemple du traitement par hormone de croissance pour les enfants atteints du syndrome de Kabuki dans l'EMR .....	40

2.2	Accords multilatéraux pour les soins de santé transfrontaliers .....	42
2.2.1	IZOM.....	42
2.2.2	« Ostbelgien-Regelung » .....	43
<b>3</b>	<b>Autres dispositions et systèmes affectant la situation (financière) et les soins des patients atteints d'une maladie rare.....</b>	<b>46</b>
3.1	Brève introduction aux systèmes de soins de santé.....	46
3.1.1	Belgique .....	46
3.1.2	Pays-Bas .....	46
3.1.3	Allemagne .....	47
3.2	Médicaments orphelins .....	48
3.2.1	Belgique .....	48
3.2.2	Pays-Bas .....	49
3.2.3	Allemagne .....	50
3.3	SOINS de longue durée et Services sociaux .....	51
3.3.1	Belgique .....	51
3.3.2	Pays-Bas .....	52
3.3.3	Allemagne .....	53
3.4	Statut d'invalidité.....	54
3.4.1	Belgique .....	54
3.4.1.1	Reconnaissance générale de l'invalidité .....	55
3.4.1.2	Déclaration et reconnaissance de l'incapacité de travail pour des raisons de santé.....	56
3.4.2	Pays-Bas .....	56
3.4.2.1	Évaluation pour être enregistré en tant que travailleur invalide .....	57
3.4.2.2	Évaluation pour les soins de longue durée/soins en établissement.....	57
3.4.3	Allemagne .....	58
3.5	Télé médecine.....	60
3.5.1	Belgique .....	60
3.5.2	Pays-Bas .....	61
3.5.3	Allemagne .....	64
3.5.4	Niveaux législatif et réglementaire : les législations européennes applicables à la télé médecine .....	65
3.5.4.1	Mesures d'accompagnement pour la télé médecine dans la directive relative aux droits des patients .....	66
3.5.4.2	Le travail du réseau « santé en ligne » en vertu de l'article 14 .....	67
<b>4</b>	<b>Conclusions.....</b>	<b>70</b>
<b>5</b>	<b>Liste des abréviations et des acronymes .....</b>	<b>71</b>
<b>6</b>	<b>Bibliographie.....</b>	<b>73</b>

## LISTE DES AUTEURS

Prénom/Nom	Nom de l'institution	Adresse e-mail
<b>Auteur(s) principal(-aux)</b>		
Timo Clemens	Maastricht University (Université de Maastricht)	timo.clemens@maastrichtuniversity.nl
<b>Co-auteur(s)</b>		
Rok Hrzic	Maastricht University (Université de Maastricht)	r.hrzic@maastrichtuniversity.nl
Peter Schröder-Bäck	Maastricht University (Université de Maastricht)	peter.schroder@maastrichtuniversity.nl
Helmut Brand	Maastricht University (Université de Maastricht)	helmut.brand@maastrichtuniversity.nl

### Remerciements

Les auteurs aimeraient remercier Marlou Smits et Guido Willekens pour leur aimable collaboration concernant la collecte des données destinée à la comparaison des plans nationaux pour les maladies rares (Section 1.2.1) et de leurs stratégies de mise en œuvre (Section 1.2.1.2). Toute erreur qui pourrait subsister relève de la seule responsabilité des auteurs.

Le projet EMRaDi s'inscrit dans le cadre du programme Interreg V-A Euregio Meuse-Rhin et est financé par l'Union européenne et le Fonds européen de développement régional, à hauteur de 1 687 675 €.

Le programme Interreg V-A Euregio Meuse-Rhin (EMR) investira près de 100 millions d'euros dans le développement de la région Interreg d'ici 2020. Cette région s'étend depuis Louvain à l'ouest aux confins de Cologne à l'est et depuis Eindhoven au nord à la frontière luxembourgeoise au sud. Plus de 5,5 millions de personnes vivent dans cette région transfrontalière, où le meilleur de trois pays fusionne en une véritable culture européenne.

Grâce à l'investissement de fonds européens dans des projets Interreg, l'Union européenne investit directement dans le développement économique, l'innovation, le développement territorial et l'inclusion et l'éducation sociale de cette région.

*Avec le soutien de*



provincie limburg



Wallonie

Ministerium für Wirtschaft, Innovation,  
Digitalisierung und Energie  
des Landes Nordrhein-Westfalen



Rare diseases do not stop at borders

## DESCRIPTION DU PROJET

« EMRaDi » est l'acronyme d'**Euregio Meuse-Rhine Rare Diseases** (litt. maladies rares dans l'EMR). Le projet a commencé le 1er octobre 2016 et s'est terminé le 31 mars 2020.

Ce projet était une **coopération transfrontalière** entre des organismes assureurs, des hôpitaux universitaires, des associations de patients et une université de l'Euregio Meuse-Rhin. Il s'inscrivait dans le cadre du programme INTERREG V-A Euregio Meuse-Rhin.

Se basant sur leur longue expérience en matière de soins de santé transfrontaliers, les partenaires du projet ont décidé d'unir leurs forces dans le domaine spécifique des maladies rares. Le projet EMRaDi était novateur, car il était orienté vers le patient et présentait une approche intersectorielle. Le consortium des partenaires incluait les acteurs majeurs des systèmes de santé qui soutiennent les patients atteints de maladies rares et leurs proches dans leur trajet de patient quotidien.

À travers ses différentes **activités**, le projet EMRaDi a visé à :

- augmenter la transparence en matière de besoins et de disponibilité des services dans le domaine des maladies rares dans l'Euregio Meuse-Rhin (EMR) ;
- modéliser les *trajets de patients atteints de maladies rares* dans l'EMR afin d'élaborer des recommandations axées sur le patient et en synergie avec les mesures nationales et européennes ;
- améliorer le réseau des prestataires de soins, des organismes assureurs et des associations de patients et sensibiliser l'opinion (publique) aux maladies rares.

L'objectif global à long terme était d'**améliorer la qualité de vie de ces patients**.

[www.emradi.eu](http://www.emradi.eu)

## CLAUSE DE NON-RESPONSABILITE

Ce rapport a été élaboré dans le cadre du projet EMRaDi. Les faits et les opinions exprimés dans cette publication relèvent de la seule responsabilité des auteurs et ne reflètent pas nécessairement la position des organisations partenaires de l'EMRaDi.

Toutes les données personnelles recueillies tout au long du projet EMRaDi ont été traitées conformément au règlement européen 2016/679 (UE) sur la protection des données personnelles (RGPD). Le traitement des données relatives aux patients interviewés a respecté un protocole strict qui a été approuvé par les Comités d'éthique des trois hôpitaux universitaires participant au projet.

## RESUME

Le présent rapport sur la situation juridique et financière pour les patients atteints d'une maladie rare (MR) dans l'Euregio Meuse-Rhin (EMR) couvre une analyse des politiques nationales et européennes pertinentes sur les maladies rares, y compris une analyse comparative des directives et des plans d'action nationaux sur ces maladies. De plus, il identifie les possibilités d'accès aux soins de santé transfrontaliers sur la base de dispositions européennes, bilatérales et unilatérales existant dans l'EMR tout en analysant leur pertinence pour les patients atteints d'une MR. Enfin, il évalue d'autres dispositions nationales importantes, y compris la cartographie des mécanismes de remboursement relatifs aux médicaments orphelins et aux services sociaux, les procédures et les conditions d'octroi d'un statut d'invalidité et la portée des services de télémédecine.

Il y a vingt ans, l'Union européenne (UE) a commencé ses activités dans le domaine des maladies rares en se concentrant sur les médicaments orphelins ainsi que sur le financement de la création de réseaux et de la recherche médicale fondamentale pour comprendre certaines maladies rares. Dernièrement, l'UE a joué un rôle primordial en portant l'attention accordée aux MR jusqu'aux forums internationaux par le biais des Plans d'action nationaux (PAN) et en établissant des Réseaux Européens de Référence (ERN) qui devraient fournir une valeur ajoutée concrète au niveau européen pour les citoyens/patients atteints de MR. En ce qui concerne les PAN et les ERN, les avantages pratiques à plus grande échelle doivent encore être observés au cours des prochaines années en raison de la mise en œuvre actuelle des PAN, mais les ERN doivent être élargis dans le but d'étendre leurs activités.

À l'heure actuelle, une grande partie des politiques nationales concernant les MR se concentrent et sont regroupées dans les Plans nationaux pour les MR en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne. Les plans ne diffèrent pas beaucoup au niveau du contenu. Il existe uniquement des nuances concernant leurs activités, ce qui n'est pas surprenant vu le modèle commun de l'UE qu'ils suivent. Cependant, les trois pays présentent des stratégies de mise en œuvre différentes. Ce contraste se fait plus évident dans les autres politiques préexistantes (politiques d'information, développement de lignes directrices) qui ont été analysées dans cette section et qui présentent des différences en termes d'envergure et de centre d'intérêt.

C'est aux Pays-Bas que le développement de lignes directrices pour les MR semble être le plus avancé en raison des récents investissements dans la création de documents de qualité. Les autres développements de lignes directrices de pratique clinique (LDPC) sont plutôt déterminés par les médecins généralistes (MG) et les soins primaires. En Allemagne, au contraire, les démarches relatives au développement de lignes directrices appartiennent plutôt aux experts médicaux et à leurs sociétés scientifiques. La Belgique a quant à elle planifié le développement de lignes directrices de pratique clinique dans son plan national pour les MR.

En ce qui concerne les possibilités d'accès aux soins de santé transfrontaliers, la directive 2011/24/UE ne semble pas être un trajet adapté aux patients atteints de MR étant donné que les soins hospitaliers peuvent être soumis à une autorisation préalable. Cela signifie que certains soins destinés aux patients atteints de MR, qui ne sont pas (encore) inclus dans un ensemble d'avantages sociaux ou dans les régimes de remboursement standards, ne seront pas remboursés. De plus, les soins et les diagnostics relatifs aux maladies rares pourraient entraîner des factures ou des frais très élevés que les patients

Rare diseases do not stop at borders

doivent payer à l'avance. Au contraire, le règlement européen (CE) 883/2004 pourrait être un trajet adéquat pour les patients atteints de MR, car il implique moins d'administration et d'insécurité, mais est associé à l'obstacle que représente l'exigence d'une autorisation préalable.

Malgré la mise en place d'un cadre juridique pour les soins de santé transfrontaliers en Europe, des problèmes pratiques et administratifs se posent dans le traitement de certaines procédures ainsi que dans l'interprétation des dispositions. L'exemple du traitement par hormone de croissance pour les enfants atteints du syndrome de Kabuki nous éclaire sur ces obstacles.

Le règlement « Ostbelgien » (Ostbelgien-Regelung) donne accès aux services médicaux spécialisés de l'Hôpital universitaire d'Aix-la-Chapelle ainsi qu'à d'autres soins secondaires et tertiaires en langue allemande (dans la Région d'Aix-la-Chapelle, à Bitburg, à Daun et à Prüm), si ceux-ci ne sont pas disponibles dans la région frontalière germanophone de la Belgique et/ou sous certaines conditions. Compte tenu de la situation des patients atteints de MR résidant dans l'EMR, le règlement « Ostbelgien » ne parvient pas à tous les couvrir. Par conséquent, les patients belges provenant des autres régions ainsi que les patients allemands et néerlandais atteints de MR ne peuvent pas compter sur les dispositions de ce règlement, mais doivent se fier aux dispositions existantes de l'UE. Le règlement « Ostbelgien » n'accorde aucun accès aux soins secondaires et tertiaires dans les hôpitaux universitaires situés aux Pays-Bas et dans les autres régions d'Allemagne. Il couvre uniquement les autres traitements spécialisés auxiliaires (conseils nutritionnels spécifiques, kinésithérapie, etc.) dans le contexte d'une hospitalisation.

Des dispositions nationales détaillées sont mises en place en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne pour le financement des médicaments orphelins, telles que les programmes d'usage compassionnel, les plans pour encadrer l'usage « *off-label* »/hors indication des médicaments et les services sociaux incluant les soins de longue durée et l'établissement du statut d'invalidité. Ces dispositions varient bien évidemment entre la Belgique, les Pays-Bas et l'Allemagne en ce qui concerne les types d'institutions responsables, les procédures et les critères applicables. Cependant, leur fonctionnement dans la pratique et la mesure dans laquelle elles répondent aux cas de maladies rares sont soumis à des décisions au cas par cas et dépassent le champ d'application du présent rapport.

La normalisation officielle de la télémédecine et son interopérabilité n'ont pas encore été accomplies dans l'UE jusqu'à présent. En général, le cadre juridique européen incomplet et les questions portant sur le financement et le remboursement des services de télémédecine semblent avoir constitué des obstacles importants pour un déploiement à grande échelle des solutions de télémédecine interopérables. L'infrastructure du Réseau Européen de Référence n'a jusqu'à présent commencé à aborder ces problèmes que partiellement. Cependant, ces questions sont essentielles pour les patients atteints de maladies rares afin d'accéder plus facilement et plus largement à des traitements spécialisés dans toute l'UE et indépendamment des frontières.

Au cours des vingt dernières années, de nombreuses actions politiques nationales dans l'UE et un travail préparatoire ont permis de mettre les maladies rares à l'ordre du jour et de les porter à l'attention des organismes décisionnels, des professionnels de la santé et du grand public. Afin d'améliorer les soins et la situation des personnes atteintes d'une MR, de nombreuses étapes importantes ont été franchies, telles que la mise en place de structures comme les Centres d'expertise

nationaux et les Réseaux Européens de Référence, ou encore la transposition de plans d'action nationaux pour les MR. Cependant, beaucoup d'efforts sont encore nécessaires, tels que la création de registres pour les MR ou le déploiement d'une codification des MR à une échelle plus large, par exemple. De plus, une grande partie des initiatives lancées ces dernières années doivent encore prouver leur pertinence dans la pratique, car leur mise en œuvre est toujours en cours.

## INTRODUCTION

L'**objectif** de ce premier Work package 1 dans le cadre du projet EMRaDi est **d'améliorer la transparence en matière de besoins et de disponibilité des services dans le domaine des maladies rares dans l'EMR**. La sous-action 1.2 concerne la situation juridique et financière pour les patients atteints d'une maladie rare dans l'EMR (M1-M12) et couvre :

- une analyse comparative des plans d'action nationaux et des lignes directrices pour les maladies rares ;
- l'identification des possibilités des soins de santé transfrontaliers ;
- une analyse de la pertinence des autres politiques de l'UE ;
- la cartographie des mécanismes de remboursement des services de soins pour les patients atteints d'une MR.

(Extrait de la demande de projet)

### **Méthodologie**

L'action 1.2 met l'accent sur le niveau macro relatif aux mesures financières et juridiques. Ainsi, elle soutient l'objectif global du Work Package 1 (WP1) qui consiste à cartographier la situation actuelle réelle des patients atteints de MR et des soins dans l'EMR et à la comparer à la situation souhaitée sur la base des besoins de ces patients en matière d'actions ultérieures. De plus, les résultats de cette action seront utilisés pour formuler des recommandations destinées aux trajets de soins lors d'une prochaine étape.

Une analyse de la littérature et de la documentation a été effectuée. Sur la base des objectifs visés par le WP3, qui propose des modèles organisationnels pour la gestion des MR, les sources prévues et les aspects pertinents de la situation financière et juridique ont été inclus.

## 1 POLITIQUES RELATIVES AUX MALADIES RARES

Depuis vingt ans, les maladies rares sont devenues une plus grande priorité des actions de l'Union européenne dans le domaine de la santé en raison de leur rareté et des ressources limitées dont disposent les États membres. Les patients atteints de maladies rares (MR) sont susceptibles de tirer profit de la collaboration européenne qui consiste à mettre en commun des ressources, des connaissances et des informations.

Outre le développement d'un programme européen sur les MR, l'UE a amélioré son cadre stratégique pour les soins de santé transfrontaliers et l'a en partie associé au domaine des MR.

Ce chapitre évaluera aussi bien les politiques européennes sur les maladies rares que celles portant sur les soins de santé transfrontaliers.

### 1.1 POLITIQUES EUROPEENNES SUR LES MALADIES RARES

Une définition officielle d'une maladie rare (MR) dans l'Union européenne a été établie par le règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil, du 16 décembre 1999, concernant les médicaments orphelins (OMP)<sup>1</sup>. Ce règlement détermine les critères de désignation des médicaments orphelins et décrit les possibilités qui permettent de motiver la recherche et le développement dans ce domaine. Dans ce règlement, une maladie rare est définie comme :

Article 3(a)

*[...] une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur dix mille dans la Communauté<sup>2</sup>[...].*

#### 1.1.1 ORIENTATIONS DES PLANS D'ACTION NATIONAUX POUR LES MALADIES RARES

En 2009, la « recommandation relative à une action dans le domaine des maladies rares--- »<sup>3</sup> a été adoptée. La recommandation a fixé des actions dans lesquelles les États membres devraient se lancer, dont la mise en place de Plans d'action nationaux pour les maladies rares.<sup>4</sup> La création de Plans d'action nationaux (PAN) au sein des États membres a été facilitée par le Projet européen d'établissement des plans nationaux de lutte contre les maladies rares (EUROPLAN). Le projet EUROPLAN s'est basé sur trois lignes d'action principales afin de soutenir les PAN. Premièrement, l'EUROPLAN devait fournir des conseils sur la manière dont les États membres peuvent classer les priorités nationales en matière de soins pour les maladies rares et d'actions connexes. Deuxièmement, le projet a développé des indicateurs pour la mise en place des PAN et la manière dont ils peuvent être évalués. Troisièmement, les acteurs pertinents devaient être identifiés afin de garantir une large

<sup>1</sup> Moliner & Waligóra, 2013.

<sup>2</sup> Règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil, du 16 décembre 1999, concernant les médicaments orphelins.

<sup>3</sup> Recommandation du Conseil du 8 juin 2009 relative à une action dans le domaine des maladies rares (2009/C 151/02).

<sup>4</sup> Rodwell & Aymé, 2015

participation et de permettre de couvrir différentes perspectives dans le développement des plans. Le projet EUROPLAN a créé un manuel d'orientation et quatre rapports ont été rédigés.<sup>5</sup>

La Section 1.2.1 détaille et compare la manière dont la Belgique, les Pays-Bas et l'Allemagne ont mis en place la recommandation dans leurs plans nationaux pour les maladies rares.

### 1.1.2 FINANCEMENT DE PROJETS POUR LES MALADIES RARES

En plus de faciliter le développement des politiques relatives aux maladies rares au niveau des États membres, les politiques européennes sur les maladies rares ont pris de plus en plus d'importance.<sup>6</sup> La DG Santé via le programme Santé de la Commission européenne, a financé de multiples actions dans le domaine des maladies rares, y compris des activités de réseaux et le soutien aux groupes de défense pour les maladies rares.

### 1.1.3 COMITES D'EXPERTS DE L'UNION EUROPEENNE

Les activités d'un comité consultatif sur les maladies rares au niveau de la Commission européenne ont permis d'associer et de faciliter ces développements et ceux décrits dans ce chapitre. Depuis 2004, un comité est chargé de conseiller la Commission européenne sur ses politiques relatives aux maladies rares. Initialement, la *Task Force* Maladies Rares (2004-2009) comptait des responsables de projet dans le domaine des maladies rares, des experts désignés par les gouvernements nationaux et des représentants provenant d'autres organisations (DG Recherche, DG Entreprises, Eurostat, EMA, OMS, OCDE). Elle a récemment ouvert la voie à l'intégration des problèmes principaux concernant les maladies rares dans le programme. La *Task Force* ainsi que la Commission européenne ont fortement soutenu la rédaction de la Communication intitulée « Les maladies rares : un défi pour l'Europe » en 2007, qui a mené, en fin de compte, à l'adoption de la recommandation du Conseil européen relative à une « action dans le domaine des maladies rares » en juin 2009.<sup>7</sup>

En 2010, la *Task Force* a été remplacée par le Comité d'experts de l'Union européenne dans le domaine des maladies rares (EUCERD), qui :

*« [...] aide la Commission à concevoir et à mener les activités communautaires dans le domaine des maladies rares et incite les États membres et les parties prenantes à s'informer mutuellement de leurs connaissances, de leurs politiques et de leurs pratiques en la matière. »*  
(Article 2<sup>8</sup>)

Ce Comité était composé de 51 membres (Article 3), à savoir des représentants de tous les États membres et des groupes d'acteurs concernés - pour les critères exacts de composition, veuillez vous référer à l'article 3. Les résultats de l'EUCERD se traduisent par des recommandations sur :

<sup>5</sup> Taruscio et al., 2013

<sup>6</sup> Rodwell & Aymé, 2015, *op. cit.*

<sup>7</sup> <http://www.eucerd.eu/>

<sup>8</sup> DÉCISION DE LA COMMISSION du 30 novembre 2009 instituant un comité d'experts de l'Union européenne sur les maladies rares (2009/872/CE)

- les centres d'expertise,
- les Réseaux Européens de Référence,
- la valeur ajoutée clinique des médicaments orphelins,
- le flux d'informations, les registres et les collectes de données,
- les indicateurs relatifs aux plans nationaux et
- un avis sur la collaboration de l'UE dans le domaine du dépistage néonatal.

Ces dernières années, le travail de l'EUCERD a été déterminant dans l'avancement du programme des maladies rares. Il a permis d'établir les fondements pour les futurs développements dans le domaine. En 2014, le travail de l'EUCERD a été repris par le Groupe d'experts de la Commission européenne sur les maladies rares (2014-2018), qui comprenait des membres venant de différents horizons. En 2018, le mandat du Groupe d'experts sur les maladies rares a pris fin et un nouveau groupe a été établi, à savoir le Groupe de pilotage sur la promotion de la santé, la prévention des maladies et la gestion des maladies non transmissibles.

#### 1.1.4 RESEAUX EUROPEENS DE REFERENCE (ERN)

En mars 2017, la Commission européenne a lancé 24 Réseaux Européens de Référence (ERN) afin de créer des réseaux d'experts médicaux sur certaines maladies rares (*clusters*). Les ERN sont des réseaux qui permettent de partager des connaissances, des informations et une expertise au sein de tous les États membres afin de faire face aux défis des maladies rares en matière de diagnostics, de traitements et de soins. Leur objectif est d'améliorer la situation des patients atteints d'une maladie rare dans l'UE.<sup>9</sup> Vous trouverez un aperçu des spécialisations médicales et des maladies rares couvertes par les 24 ERN dans le tableau 1.

La base juridique pour l'établissement des ERN est l'article 12 de la directive 2011/24/UE. Les critères pour la mise en place et l'évaluation des ERN ont été établis dans deux actes d'exécution. La décision d'exécution et la décision déléguée de la commission sont entrées en vigueur en mai 2014, établissant le cadre juridique actuel pour les ERN et les centres d'expertise (CE). Les conditions applicables aux prestataires et aux réseaux sont exposées dans la décision déléguée tandis que la décision d'exécution décrit les conditions concernant la mise en place et l'évaluation des réseaux, ainsi que l'échange d'informations entre prestataires<sup>10</sup>.

Ensemble, les 24 ERN couvrent actuellement environ 900 unités de soins de santé dans 313 hôpitaux dispersés dans 26 pays. À la fin du mois de novembre 2018, plus de 250 cas de patients ont été discutés et des conseils ont été échangés dans ces réseaux. Au sein des ERN, il est jugé préférable d'effectuer des échanges transfrontaliers de dossiers et d'informations concernant les patients, plutôt que de faire voyager ces derniers. À cet égard, les réseaux européens de référence utilisent une

<sup>9</sup> Taruscio et al., 2014.

<sup>10</sup> 2014/287/EU : Décision d'exécution de la Commission du 10 mars 2014 établissant les critères de mise en place et d'évaluation des réseaux européens de référence et de leurs membres et de facilitation des échanges d'informations et de connaissances liées à la mise en place de ces réseaux et à leur évaluation (JO, L 147/79, 17/05/2014, p. 79-87, 2014/286/UE). Décision déléguée de la Commission du 10 mars 2014 établissant les critères et conditions que doivent remplir les réseaux européens de référence et les prestataires de soins de santé qui souhaitent adhérer à un réseau européen de référence (JO, L 147/71, 17/05/2014, p. 71-78).

plateforme informatique et des applications de télémédecine pour effectuer des consultations virtuelles<sup>11</sup>.

Cependant, plusieurs défis et priorités dans un avenir proche ont été identifiés afin de consolider le travail des ERN :

- L'intégration des ERN dans les systèmes nationaux de soins santé ;
- L'amélioration de la couverture géographique des pays qui sont moins représentés dans les ERN actuels ;
- Le développement de lignes directrices cliniques et de registres de patients pour les maladies rares sous la conduite des ERN ;
- Le financement des ERN, y compris le financement du travail des experts concernant les activités des ERN ;
- La sensibilisation des patients et des professionnels de la santé ;
- Le soutien de la part des directeurs d'hôpitaux<sup>12</sup>.

**Tableau 1 : Les 24 ERN selon leurs spécialisations médicales ou les maladies rares concernées<sup>13</sup>**

ERN BOND	Réseau européen de référence dédié aux maladies osseuses
ERN CRANIO	Réseau européen de référence dédié aux anomalies cranofaciales et aux maladies oto-rhino-laryngologiques (ORL)
Endo-ERN	Réseau européen de référence dédié aux maladies endocriniennes
ERN EpiCARE	Réseau européen de référence dédié aux épilepsies
ERKNet	Réseau européen de référence dédié aux maladies rénales
ERN-RND	Réseau européen de référence dédié aux maladies neurologiques
ERNICA	Réseau européen de référence dédié aux anomalies congénitales et héréditaires
ERN LUNG	Réseau européen de référence dédié aux maladies pulmonaires
ERN Skin	Réseau européen de référence dédié aux maladies dermatologiques
ERN EURACAN	Réseau européen de référence dédié aux cancers chez les adultes (tumeurs solides)
ERN EuroBloodNet	Réseau européen de référence dédié aux maladies hématologiques
ERN eUROGEN	Réseau européen de référence dédié aux maladies et affections urogénitales
ERN EURO-NMD	Réseau européen de référence dédié aux maladies neuromusculaires
ERN EYE	Réseau européen de référence dédié aux maladies oculaires
ERN GENTURIS	Réseau européen de référence dédié aux syndromes de prédisposition génétique aux tumeurs

<sup>11</sup> Compte rendu de la 4<sup>e</sup> conférence sur les Réseaux Européens de Référence qui s'est tenue à Bruxelles le 21 et 22 novembre 2018 [https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev\\_20181121\\_frep\\_en.pdf](https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/ev_20181121_frep_en.pdf).

<sup>12</sup> *Ibid.*

<sup>13</sup> [https://ec.europa.eu/health/ern/networks\\_fr](https://ec.europa.eu/health/ern/networks_fr)

ERN GUARD-HEART	Réseau européen de référence dédié aux maladies cardiaques
ERN ITHACA	Réseau européen de référence dédié aux malformations congénitales et aux handicaps intellectuels rares
MetabERN	Réseau européen de référence dédié aux troubles héréditaires du métabolisme
ERN PaedCan	Réseau européen de référence dédié aux cancers pédiatriques (hématologie)
ERN RARE-LIVER	Réseau européen de référence dédié aux maladies hépatiques
ERN ReCONNET	Réseau européen de référence dédié aux maladies des tissus conjonctifs et musculosquelettiques
ERN RITA	Réseau européen de référence dédié au déficit immunitaire, aux maladies auto-inflammatoires et auto-immunes
ERN TRANSPLANT-CHILD	Réseau européen de référence dédié à la transplantation chez l'enfant
VASCERN	Réseau européen de référence dédié aux maladies vasculaires rares avec atteinte multisystémique

*Source : Site Internet de la Commission européenne*

La représentativité dans les réseaux européens de référence en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne est très bonne, avec 10 centres médicaux belges, 13 centres néerlandais et 42 cliniques allemandes participant à différents ERN. Les hôpitaux universitaires de l'Euregio Meuse-Rhin sont partenaires des réseaux européens de référence suivants, dont l'un est commun aux trois<sup>14</sup> :

**CHU Liège (n = 6) :** Endo-ERN, ERN EURACAN, ERN EuroBloodNet, ERN eUROGEN, ERN GENTURIS et MetabERN

**MUMC+ (n = 6) :** Endo-ERN, ERN EURACAN, ERN Euro-NMD, ERN ITHACA, MetabERN et ERN SKIN

**UKA (n = 2) :** Endo-ERN, ERN RARE-LIVER

### 1.1.5 REGLEMENT CONCERNANT LES MEDICAMENTS ORPHELINS

En 2000, le règlement (CE) n° 141/2000 concernant les médicaments orphelins a été promulgué et est devenu le premier règlement à l'échelle européenne sur ces médicaments.<sup>15</sup> Le règlement concernant les médicaments orphelins fournit des mesures incitatives dans les domaines de la recherche, du développement et du marketing des médicaments orphelins (OMP). Plus précisément, ces mesures impliquent :

- une période de dix ans d'exclusivité commerciale,

<sup>14</sup> *Ibid.*

<sup>15</sup> Aymé & Schmidtke, 2007

- des frais réduits et une assistance gratuite à l'élaboration de protocoles par l'Agence européenne des médicaments (EMA),
- une autorisation unique de mise sur le marché des médicaments orphelins (OMP) qui est valable dans l'ensemble de l'Union européenne.

L'Union européenne accorde donc des procédures d'autorisation de mise sur le marché et des droits de propriété intellectuelle favorables aux médicaments orphelins.<sup>16</sup> Selon Aymé et Schmidtke<sup>17</sup>, les règlements concernant les médicaments orphelins se sont avérés efficaces pour inciter l'industrie pharmaceutique, en particulier les petites entreprises de biotechnologie, à trouver leur créneau dans le domaine des maladies rares. Cependant, l'UE n'a pas encore réussi à influencer sur les contrôles nationaux des prix pour les produits pharmaceutiques<sup>18</sup>. Même si la directive 89/105/CEE du Conseil concernant la transparence présente les délais pour les décisions nationales sur les prix et les remboursements, les médicaments orphelins bénéficiant d'une autorisation de mise sur le marché ne sont pas souvent accessibles dans les différents États membres après les dates spécifiques prévues<sup>19</sup>. Une proposition de révision de la directive 89/109/CEE a été finalement révoquée en 2015. Cependant, la Commission européenne évalue actuellement (2018/19) le règlement concernant les médicaments orphelins. De plus, des discussions ont été entamées, en particulier au sujet d'un éventuel système de remboursement à l'échelle européenne<sup>20</sup>.

Par conséquent, l'Union européenne a commencé ses activités dans le domaine des maladies rares en se concentrant sur les médicaments orphelins et en soutenant les travaux préparatoires par le biais d'un financement du projet pour la création de réseaux et la recherche médicale fondamentale pour comprendre certaines maladies rares. Dernièrement, l'UE a joué un rôle primordial en portant l'attention accordée aux maladies rares jusqu'aux forums internationaux par le biais des Plans d'action nationaux et en créant un parfait exemple de valeur ajoutée de l'UE pour les citoyens grâce à l'établissement des réseaux européens de référence. En ce qui concerne les PAN et les ERN, les avantages pratiques à plus grande échelle doivent encore être observés au cours des prochaines années en raison de la mise en œuvre actuelle des PAN, mais les ERN doivent être élargis dans le but d'étendre leurs activités.

---

<sup>16</sup> Greer et al., 2014

<sup>17</sup> Aymé & Schmidtke, 2007

<sup>18</sup> Greer et al., 2014

<sup>19</sup> Aymé & Schmidtke, 2007

<sup>20</sup> 3<sup>e</sup> colloque multiacteurs d'EURORDIS sur l'amélioration de l'accès des patients aux thérapies pour les maladies rares, en février 2019

## 1.2 POLITIQUES NATIONALES

Les actions de l'Union européenne dans le domaine des maladies rares, et en particulier la recommandation du 8 juin 2009 relative à une action dans le domaine des maladies rares, ont préconisé la mise en place de plans pour les maladies rares au sein des États membres de l'UE. L'UE a soutenu la mise en place de ces plans grâce à une assistance technique. Les plans nationaux pour les maladies rares sont des plans d'action détaillés pour lesquels les gouvernements nationaux, ainsi que parfois les acteurs concernés, s'engagent à aborder un large éventail d'activités au profit des patients atteints d'une maladie rare. La Belgique, les Pays-Bas et l'Allemagne ont adopté leurs plans nationaux pour les maladies rares au deuxième semestre de 2013. Le point suivant décrit les plans pour les maladies rares dans ces trois pays ainsi que leurs priorités et leurs points d'action. L'état d'avancement de leur mise en œuvre sera également examiné.

### 1.2.1 PLANS NATIONAUX POUR LES MALADIES RARES

Les plans nationaux pour les maladies rares de la Belgique, des Pays-Bas et de l'Allemagne ont été publiés à la fin de 2013. Ci-dessous, nous donnons d'abord quelques éléments de contexte ainsi que des informations générales. Nous exposons ensuite les points communs au niveau du contenu (dus aux points prioritaires de la recommandation de l'UE), mais des différences peuvent également être observées. Vous trouverez également un tableau présentant un aperçu de ces données.

#### 1.2.1.1 ALLEMAGNE

Le plan d'action national allemand pour les personnes atteintes d'une maladie rare a été élaboré par le Collectif d'action national pour les personnes atteintes de maladie rare (NAMSE), qui a été créé par le Ministère fédéral de la Santé du gouvernement allemand, le ministère fédéral de l'Éducation et de la Recherche du gouvernement allemand, et l'Alliance pour les maladies rares chroniques (ACHSE). Le plan est structuré comme suit :

- Introduction au plan et importance de l'intégration des associations de patients ;
- Description des champs d'action, des recommandations et des actions proposées ;
- Sept champs d'action : soins/centres/réseaux, recherches, diagnostics, registres, gestion des informations, orientation des patients, mise en place/développement futur.

Après chaque champ d'action, une certaine tâche est attribuée à une institution dans le cadre de cette action, suivie du délai dans lequel celle-ci doit être effectuée.

#### 1.2.1.2 BELGIQUE

Le plan belge pour les maladies rares a été établi par le Fonds pour les maladies rares et les médicaments orphelins (Fondation Roi Baudouin), le SPF Santé publique, le cabinet de la ministre des Affaires sociales et de la Santé publique, l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) et l'Institut Scientifique de la Santé (appelé maintenant Sciensano). Le plan comporte quatre domaines principaux, dans lesquels 20 champs d'action sont répartis.

Les quatre domaines sont les suivants :

- accès aux diagnostics et aux informations pour le patient ;
- optimisation des soins ;
- amélioration de l'acquisition des connaissances ;
- gouvernance et durabilité.

Après chaque action, le document indique à qui l'action est attribuée, sur quelle base légale elle est fondée, quel est le budget alloué pour réaliser les tâches et quand l'action doit commencer.

### 1.2.1.3 PAYS-BAS

Le plan national néerlandais pour les maladies rares a été rédigé par l'Organisation néerlandaise pour la recherche et le développement dans le domaine de la santé (ZonMw). Après une introduction générale sur les développements nationaux et européens, le plan est divisé en six catégories :

- la méconnaissance des maladies rares ;
- la transmission d'informations et la communication ;
- la disponibilité des traitements ;
- la recherche ;
- la responsabilisation des patients, à savoir leur offrir des moyens pour faire entendre leur voix ; et
- la direction et la continuité.

Chaque section examine ce qui existe déjà et ce qui manque dans le domaine en question. Ensuite, le plan donne un aperçu des champs d'action spécifiques, indiquant à qui l'action est attribuée. Enfin, il présente des conclusions et des priorités, avec un délai pour leur mise en œuvre.

### 1.2.1.4 PRIORITES ET POINTS D'ACTION

Les plans d'action nationaux pour les maladies rares présentent des points communs importants dans leur contenu en raison du fait que les priorités concernant leur mise en œuvre ont été prévues par la recommandation du Conseil de l'Union européenne<sup>21</sup>. Cependant, certaines différences peuvent également être constatées. Le tableau ci-après présente d'abord les titres utilisés par les auteurs pour rassembler les activités proposées. Ensuite, les activités sont regroupées selon les six domaines prioritaires mentionnés dans la recommandation du Conseil, à savoir :

- i) définition, codification et recensement adéquats des maladies rares
- ii) recherche sur les maladies rares
- iii) centres d'expertise et réseaux européens de référence pour les maladies rares
- iv) rassemblement de l'expertise dans le domaine des maladies rares au niveau européen
- v) responsabilisation des associations de patients
- vi) viabilité

<sup>21</sup> Recommandation du Conseil (2009/C 151/02)

Les instances qui ont créé les plans avec les acteurs gouvernementaux	ACHSE (Allemagne)	INAMI + Fonds pour les maladies rares et les médicaments orphelins (Fondation Roi Baudouin) (Belgique)	ZonMw (Pays-Bas)
<b>Structure des sujets</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>(1) Soins, centres, réseaux (1-7)</li> <li>(2) Recherches (8-16)</li> <li>(3) Diagnostics (17-26)</li> <li>(4) Registres (27-32)</li> <li>(5) Gestion des informations (33-47)</li> <li>(6) Orientation des patients (48-51)</li> <li>(7) Mise en place et développements futurs (52)</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>(1) Diagnostic et information au patient</li> <li>(2) Optimisation des soins</li> <li>(3) Amélioration de l'acquisition des connaissances</li> <li>(4) Gouvernance et durabilité</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>(1) (Mé)connaissance des maladies rares</li> <li>(2) Transmission d'informations et communication</li> <li>(3) Disponibilité des traitements</li> <li>(4) Recherche</li> <li>(5) Responsabilisation des patients (leur donner une voix)</li> <li>(6) Direction et continuité</li> </ul>
<b>Nombre d'actions</b>	52	20	48

	Allemagne	Belgique	Pays-Bas
Actions appartenant au domaine :	(19) Harmoniser le système de codification pour tous les patients atteints d'une MR en utilisant la classification Orphanet conjointement au code CIM-10-GM et en tenant compte du code CIM-11	(16) Créer un registre national central pour les maladies rares  (19) Améliorer la codification et la terminologie	4.3.2.9 Développer une codification pour les MR ou utiliser la classification Orphanet  4.3.2.10 Établir un registre pour les MR
<b>Définition, codification et recensement adéquats des maladies rares</b>	(27) Mettre en place un portail Internet des registres concernant les MR		5.3.10 Développer et financer une base de données de suivi pour le dépistage néonatal (NEORAH) destinée à la recherche à long terme
Codification	(28) Établir un comité de pilotage des « registres pour les maladies rares »		5.3.11 Intégrer les registres et les biobanques dans le CE néerlandais
Registres	(29) Développer un registre prototype pour les « registres spécifiques aux maladies rares »		
Bases de données	(30,31) Établir un registre pour les patients avec un diagnostic incertain		

Actions appartenant au domaine :  
**Recherche sur les maladies rares**

(32) Établir un projet pour un « registre non spécifique à la maladie »

(5) Décrire les soins des patients atteints d'une maladie rare qui prennent des médicaments orphelins ainsi que leur financement

(6) Prendre en compte les avis d'experts sur l'utilisation des données collectées régulièrement pour les MR

(7) Mener une étude sur l'usage « off-label » des médicaments

(8) Mettre en place et développer des centres de séquençage pour les MR

(9) Utiliser des modèles animaux ou cellulaires pour expliquer la pathophysiologie des MR

(10) Développer des procédures de diagnostic pour les MR

(15) Identifier les besoins médicaux non satisfaits

besoins

4.3.3.2 Mener des recherches sur l'efficacité de l'utilisation des médicaments orphelins

4.3.3.3 Mener des recherches et collecter des données sur l'utilisation off-label des médicaments

5.3.1 Améliorer les outils de détection et de reconnaissance des MR par les médecins généralistes, les cliniques et les soins de santé destinés aux enfants

5.3.2 Accroître la connaissance des maladies rares et faciliter leur recherche dans la littérature en ajoutant les termes de recherche « maladie rare » ou « maladie orpheline » dans le texte de l'article scientifique

5.3.3 Déterminer les différents aspects sur lesquels la recherche portant sur les MR devrait mettre l'accent

(11) Spécialiser les unités de recherches cliniques dédiées à l'étude des MR

(12) Mener des recherches relatives aux services de santé afin d'identifier les manques (et les solutions potentielles) dans la recherche sur les soins pour les MR

(13) Conserver les aspects éthiques, juridiques et sociaux du programme de financement

(14) Créer une plateforme coopérative pour favoriser l'engagement entre les universités et les entreprises

(15) Poursuivre le développement stratégique du financement de la recherche concernant la coopération internationale dans le domaine des MR

(16) Permettre une coopération entre la recherche clinique et fondamentale dans les centres de type A (centres de référence)

(48) Inclure les expériences des patients dans la recherche axée sur

5.3.4 Promouvoir la recherche concernant les traitements avec des produits pharmaceutiques existants qui ne sont pas (encore) autorisés pour la maladie concernée (utilisation off-label)

5.3.5 Mener plus de recherches sur l'amélioration des tests génétiques

5.3.6 Soutenir la recherche pluridisciplinaire nationale et internationale

5.3.7 Impliquer les patients lorsqu'il faut choisir les priorités des nouveaux programmes de recherche

5.3.8 Mener une recherche internationale sur les nouvelles méthodes d'ETS concernant les médicaments orphelins

5.3.9 Soutenir les partenariats entre les secteurs public et privé pour le développement de traitements

5.3.12 Concentrer la recherche sur les MR spécifiques dans les centres d'expertise (CE) respectifs

Rare diseases do not stop at borders

les patients et les projets de soins de santé

5.3.13 Éliminer les obstacles entravant le développement des nouvelles aides et thérapies

Actions appartenant au domaine :

**Centres d'expertise et réseaux européens de référence pour les maladies rares**

Trajets

Coordination des soins

Télémedecine

Publication et mobilité de l'expertise

(1) Mettre en œuvre le modèle à trois niveaux des « centres pour les maladies rares (A, B, C) »

(2) Mettre en place les normes et l'inspection de conformité pour les centres

(4) Déterminer la nécessité de se procurer des médicaments pour les personnes atteintes d'une MR

(17) Analyser ce qui est nécessaire afin d'assurer une coopération entre les centres et les prestataires de soins primaires

(18) Documenter le trajet vers le diagnostic depuis le premier contact avec le prestataire de soins primaires jusqu'au centre concerné

(20, 21) Recourir à des outils (en ligne) de diagnostic utilisés lors des soins primaires pour fournir un diagnostic (différentiel) pour les

(1) Améliorer le financement pour les tests de diagnostic et le suivi des patients

(2) Établir et améliorer la gestion de la qualité dans les CE

(3) Développer les consultations génétiques au sein des CE existants et au-delà

(4) Établir des consultations pluridisciplinaires

(5) Assurer une communication axée sur les patients

(7) Réunir l'expertise et les prestations de soins au sein des CE, y compris le coordinateur des soins

(8) Établir un centre d'expertise pour l'hémophilie

3.3.1 Améliorer les diagnostics différentiels des MR en utilisant les TIC

3.3.2 Améliorer la connaissance sur les symptômes des MR et les tests de diagnostic

3.3.4 Améliorer l'accès général aux informations en utilisant un langage simple

4.3.1.2 Vérifier régulièrement s'il ne faut pas agrandir la liste des maladies entraînant un dépistage néonatal

4.3.1.3 Améliorer les outils pour le diagnostic des MR héréditaires

4.3.1.4 Sensibiliser aux aspects génétiques des MR et développer les informations à ce sujet

4.3.2.1 Les CE exercent leurs activités conformément à la loi néerlandaise sur les actes médicaux spéciaux (« Wet op Bijzondere Medische Verrichtingen »)

Rare diseases do not stop at borders

MR (en plus des maladies plus courantes)	(9) Obtenir l'agrément « fonction des MR », y compris pour la coordination	4.3.2.2 Désigner des CE de manière transparente et en se fondant sur des critères
(22) Évaluer si les soins dispensés aux personnes suspectées d'être atteintes d'une MR, mais qui n'ont pas reçu de diagnostic confirmé, sont suffisamment pris en compte dans le barème tarifaire allemand	(10) Améliorer le réseautage entre les CE, les ERN et les acteurs concernés	4.3.2.3 Les gestionnaires sont responsables du fonctionnement des CE
(23) Entreprendre des consultations sur l'introduction des technologies NGS dans le barème tarifaire uniforme	(11) Créer de nouveaux centres d'expertise	4.3.2.4 Les CE fournissent des soins pluridisciplinaires et disposent d'un coordinateur impliqué dans le trajet de transfert
(47) Identifier et évaluer l'offre de télémédecine pour les maladies rares	(12) Améliorer l'accès à la nutrition médicale ainsi que son financement	4.3.2.5 Les CE soutiennent le développement des lignes directrices relatives aux soins
	(13) Améliorer la communication en utilisant le dossier patient multidisciplinaire (DPM)	4.3.2.6 Sensibiliser davantage aux soins préconceptionnels standards
	(14) Besoins médicaux non satisfaits : améliorer l'accès aux services médicaux ainsi que leur financement	4.3.2.7 Sensibiliser davantage aux conseils sur la préconception et l'hérédité
		4.3.2.8 Fournir des soins localement accompagnés d'une meilleure coordination en collaboration avec les CE  4.3.2.11 Coordonner les soins pour les MR

Actions appartenant au domaine :

**Rassemblement de l'expertise dans le domaine des maladies rares (au niveau européen)**

(24, 25, 26) Développer des lignes directrices pour les MR

(33-35) Créer une liste de contrôle concernant les « critères pour informer correctement les patients sur les maladies rares »

(40, 41, 42) Créer un catalogue basé sur les compétences pour enseigner les objectifs aux étudiants en médecine, y compris des questions d'examen

(43) Établir des lignes directrices destinées aux médecins qui contiennent des informations concernant les MR dans le but d'une formation continue et avancée

(44, 45) Les cours de formation continue prennent les MR en considération

(18) Former les prestataires de soins

4.3.3.6 Mettre en place des trajets de soins pour les MR

2.3.1 Améliorer la connaissance des prestataires de soins primaires, des assureurs et des organismes décisionnels

2.3.2 Augmenter la vigilance et les connaissances par rapport aux MR par le biais d'une formation (supplémentaire) pour les étudiants et les médecins actuels

4.3.1.1 Augmenter la vigilance pour les MR

**Actions appartenant au domaine : Responsabilisation des associations de patients**

Sensibiliser

Renforcer les capacités

Former

Échanger des informations

(36) Développer un concept relatif aux communications et aux procédures communes pour les relations publiques dans le domaine des maladies rares

(37, 38, 39) Créer un portail central d'informations pour les maladies rares

(46) Développer un concept pour les activités de relations publiques du NAMSE

(49) Le Medical Advisory Service (MDS) peut servir de point de contact pour les organisations de patients

(50) Soutenir les activités des associations de patients et leurs qualifications

(51) Soutenir l'intégration des associations nationales de patients dans les coopérations européennes concernant les maladies rares

(6) EUROPLAN : Conférence nationale en 2014 avec RadiOrg

(17) Soutenir Orphanet Belgique

3.3.3 Créer un portail ou un centre d'appels pour les MR destiné aux patients

3.3.5 Créer un centre d'appels pour les personnes rencontrant des problèmes à recevoir des soins ou à être remboursées

3.3.6 Inventorier toutes les associations de patients et de proches concernant les MR aux Pays-Bas

3.3.7 Les associations de patients, les associations scientifiques, etc. devraient organiser plus souvent des symposiums afin de sensibiliser davantage aux MR

6.3.1 Renforcer et élargir la collaboration entre les associations de patients en ce qui concerne les aspects génériques des MR

6.3.3 Promouvoir une collaboration étroite entre les associations de patients et les organismes assureurs

Actions appartenant au domaine :

**Viabilité**

Financer

Coopérer

(3) Évaluer le processus de désignation et les éléments de financement pour les centres d'expertise

(52) Évaluer et suivre la mise en œuvre du plan d'action dans les délais prévus

(20) Évaluer et suivre le Plan belge des maladies rares

4.3.3.1 Les politiques relatives au remboursement des médicaments orphelins devraient prendre en compte certaines caractéristiques des MR

4.3.3.4 L'achat des soins doit être conforme à la désignation des CE

4.3.3.5 Appliquer une législation pour les soins de santé transfrontaliers aux Pays-Bas

7.3.1 Nommer un coordinateur pour la mise en œuvre du plan

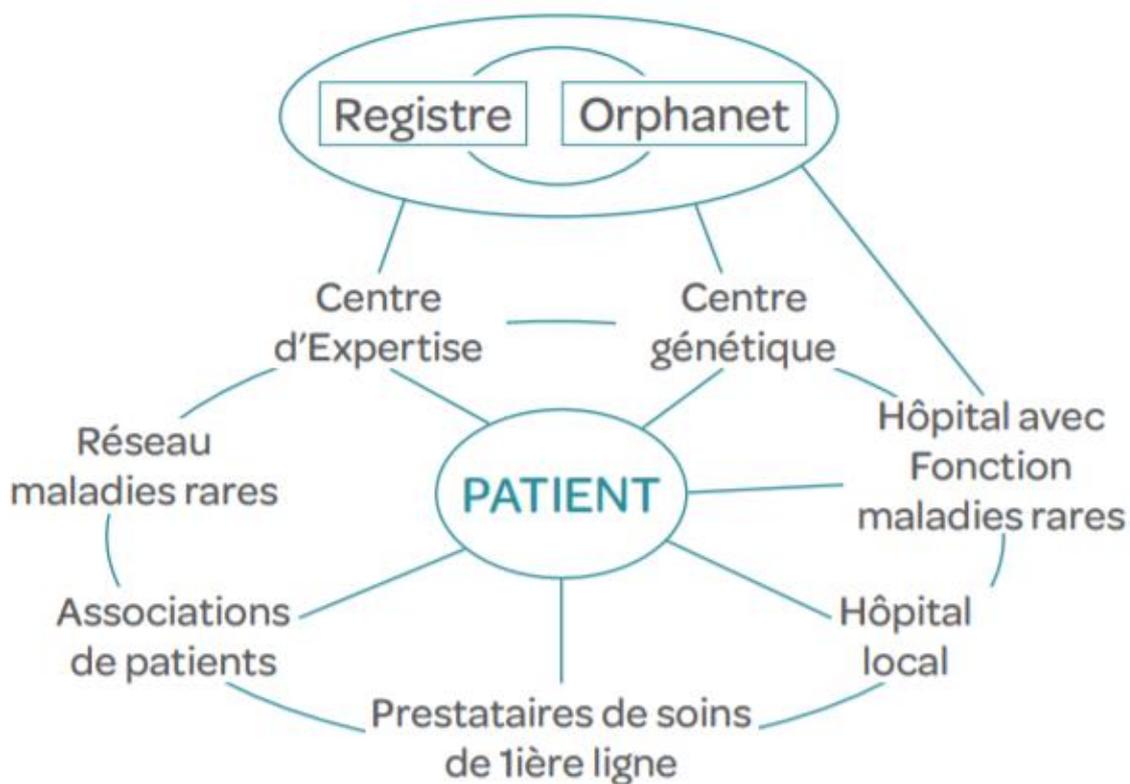
7.3.1 Établir un organe consultatif

### 1.2.1.5 STRATEGIES DE MISE EN ŒUVRE CONCERNANT LES PLANS NATIONAUX POUR LES MALADIES RARES

#### 1.2.1.5.1 BELGIQUE

Le plan national est mis en œuvre par les institutions gouvernementales. Un groupe de pilotage sur les maladies rares a été établi. Le groupe se compose de membres provenant de différents acteurs gouvernementaux, du ministère de la Santé, de l'Institut national d'assurance maladie- invalidité (INAMI) et de l'Institut Scientifique de la Santé (ISP devenu Sciensano). Le groupe de pilotage supervise les activités, règle, le cas échéant, la mise en œuvre et détermine l'orientation globale<sup>22</sup>.

Figure 1 : Représentation schématique des acteurs impliqués dans la mise en œuvre



Auteur : Fonds maladies rares et médicaments orphelins (Fondation Roi Baudouin), 2015

<sup>22</sup> SPF Santé publique, 2013

Pour la mise en œuvre, un budget annuel de 15 millions d'euros a été attribué et sera divisé entre les différentes activités programmées. De plus, une équipe spécifique de mise en œuvre a été formée. L'idée d'une équipe de mise en œuvre a été empruntée à la France, où l'absence d'un organe unique de gestion de la coordination était la faiblesse du premier plan français. Outre la mise en œuvre, l'équipe sera responsable de la supervision et de l'évaluation<sup>23</sup>.

#### 1.2.1.5.2 PAYS-BAS

---

Les Pays-Bas avaient déjà instauré des actions pour améliorer la situation des patients atteints d'une maladie rare. Les activités actuelles présentées dans le plan seront en partie poursuivies et en partie modifiées<sup>24</sup>. La mise en œuvre du dernier plan national est planifiée par l'intermédiaire de différents acteurs, tels que les centres médicaux universitaires, les associations de patients, les gouvernements locaux et les prestataires de soins de santé. ZonMw a établi un secrétariat composé de différents acteurs, à savoir des patients, des assurances, des industries pharmaceutiques, des prestataires de soins de santé, des chercheurs et des autorités indépendantes. Le secrétariat facilitera le processus de mise en œuvre<sup>25</sup>.

Pour la mise en œuvre, aucun budget dédié n'a été attribué. Cependant, cette absence de budget a été soulignée comme étant une contrainte. Par conséquent, les Pays-Bas sont conscients du fait que la mise en œuvre peut occasionner des frais supplémentaires. Au contraire, plusieurs recommandations exigent une restructuration ou une réorganisation plutôt que des ressources financières supplémentaires<sup>26</sup>.

Afin de mettre en œuvre le plan national ultérieurement, quelques recommandations sont considérées comme plus urgentes que d'autres. Les recommandations plus urgentes se concentrent sur l'amélioration directe des soins de santé pour les patients atteints d'une maladie rare. L'amélioration des connaissances et du temps d'établissement du diagnostic en sont un exemple. Les recommandations à long terme portent, entre autres, sur la mise en place des programmes de recherche sur les maladies rares<sup>27</sup>.

#### 1.2.1.5.3 ALLEMAGNE

---

Le plan national allemand pour les maladies rares a été adopté par une coalition de 28 associations représentant l'ensemble des acteurs pertinents (NAMSE). Afin de guider la mise en œuvre des 52 points d'action, un secrétariat, un comité de pilotage comprenant tous les membres et des groupes de travail thématiques ont été créés. Le NAMSE est soutenu financièrement par le ministère allemand de la Santé.

---

<sup>23</sup> *Ibid.*

<sup>24</sup> VWS (ministère de la Santé, du Bien-être et des Sports), 2013

<sup>25</sup> *Ibid.*

<sup>26</sup> ZonMw, 2013

<sup>27</sup> *Ibid.*

Le secrétariat coordonne le travail du NAMSE, agit en tant que centre de communication, prépare des projets pilotes à mettre en place et facilite les rencontres entre le comité de pilotage et les groupes de travail. Le comité de pilotage du NAMSE définit les objectifs et la méthode de travail du NAMSE. Il fixe également les priorités thématiques pour les groupes de travail. Le secrétariat rassemble régulièrement des informations provenant de tous les partenaires du NAMSE sur l'état d'avancement de la mise en œuvre des 52 points d'action. Deux fois par an, le secrétariat fait un compte rendu des progrès du comité de pilotage. Le premier rapport de suivi a été publié en 2017, et un bilan en 2019<sup>28</sup>.

## 1.2.2 POLITIQUES NATIONALES RELATIVES AUX INFORMATIONS POUR LES MALADIES RARES

Si l'on compare la situation avec celle des patients atteints d'une maladie courante, les patients atteints d'une maladie rare sont confrontés au problème de l'absence réelle d'informations. Les connaissances médicales n'existent peut-être pas ou alors se concentrent dans les centres d'expertise spécialisés. De plus, d'autres informations utiles se limitent parfois aux associations de patients et à d'autres cercles. Cette section passe en revue les politiques et les sources relatives aux informations présentes en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne. La section suivante recensera les lignes directrices existantes pour les maladies rares.

### 1.2.2.1 BELGIQUE

La *Rare Diseases Belgium* (RaDiOrg) est l'association faitière nationale pour les patients atteints d'une maladie rare. Elle héberge un site web qui fournit des informations sur les maladies rares et sur les groupes de patients atteints de ces maladies en Belgique. De plus, plusieurs acteurs intègrent des liens sur leurs sites web vers les versions d'Orphanet en néerlandais et en français, considéré comme une autre source d'information en Belgique.

RaDiOrg offre un service national d'assistance téléphonique via le formulaire de contact sur son site web, en coordination avec Orphanet Belgique, afin d'aider les patients atteints d'une maladie rare. Néanmoins, les centres d'expertise belges ont pour mission de fournir des informations spécifiques sur la maladie aux patients atteints d'une maladie rare et aux membres de leur famille.

Sur la base du plan national pour les maladies rares, des développements régionaux sont également en cours, à des rythmes différents. En Flandre, le réseau flamand pour les maladies rares a été lancé fin 2017. Le réseau flamand pour les maladies rares est une association de fait entre les hôpitaux universitaires flamands (tous reconnus comme « fonctions maladies rares »), les hôpitaux généraux (Zorgnet-ICURO) et le cercle des médecins généralistes (Domus Medica). RaDiOrg et la Vlaams Patiëntenplatform sont des membres consultatifs du réseau.

Un travail préparatoire pour un réseau similaire a été effectué en Wallonie et à Bruxelles, mais le réseau n'avait pas encore été initié à la fin de 2019. La ligne « Maladies rares » de la Rare Disorders Belgium (RDB) est une initiative supplémentaire pour les patients francophones ([secretariat@rd-b.be](mailto:secretariat@rd-b.be)) 0800 9 2802 (appel gratuit).

<sup>28</sup> [www.namse.de](http://www.namse.de)

Sites web belges pertinents sur les maladies rares :

[www.radiorg.be](http://www.radiorg.be)

<http://vlaamspatientenplatform.be/themas/zeldzame-ziekten>

#### 1.2.2.2 PAYS-BAS

Des informations sur plus de 500 maladies rares destinées aux patients et aux professionnels sont enregistrées sur le site web [www.erfelijkheid.nl](http://www.erfelijkheid.nl), modéré par l'Erfocentrum. Ce site fournit des informations publiques, parfois sous forme de vidéos, sur les problèmes liés à la génétique, à la biomédecine et à la grossesse. Cependant, quelques autres associations fournissent également des informations sur (les aspects spécifiques) des maladies rares.

L'Erfocentrum gère également un service d'assistance pour les maladies rares. Il fournit des informations et répond à des questions concernant les maladies génétiques et rares, ainsi que la grossesse. Ce service d'assistance est joignable par téléphone ou par e-mail. L'Erfocentrum est financé par le ministère néerlandais de la Santé et a été initialement développé par la VSOP. Suite à une scission en 2000, il est devenu une association indépendante d'informations pour les maladies rares.

Sites web néerlandais pertinents sur les maladies rares :

<http://www.vsop.nl/>

<https://www.trfportal.nl/>

<https://www.kiesbeter.nl/artikelen/zorgthemas/topreferente-zorg/index>

[www.erfocentrum.nl](http://www.erfocentrum.nl)

[www.zichtopzeldzaam.nl](http://www.zichtopzeldzaam.nl)

[www.zeldzameaandoening.nl](http://www.zeldzameaandoening.nl)

#### 1.2.2.3 ALLEMAGNE

ZIPSE est le portail central d'informations pour les maladies rares en Allemagne : <https://www.portal-se.de/>.

ZIPSE est un portail qui fournit des informations existant déjà sur d'autres sites web. ZIPSE est géré par l'université d'Hanovre, l'hôpital universitaire de Francfort et l'ACHSE. Il est financé par le ministère allemand de la Santé et fait partie du programme de mise en œuvre du plan national allemand pour les maladies rares (NAMSE).

ZIPSE ne génère aucune nouvelle information, mais communique des liens vers des sites web dont la qualité est vérifiée et les informations sont structurées en fonction des thèmes et des différents groupes d'utilisateurs. ZIPSE s'adresse aux patients, à leurs proches et aux professionnels. En plus de ZIPSE, le portail allemand d'Orphanet est souvent consulté et constitue une importante source d'informations concernant les maladies rares en Allemagne.

Actuellement, il n'y a aucun service d'assistance pour les maladies rares en Allemagne. Cependant, ZIPSE renvoie à une série de services d'assistance pour des maladies rares spécifiques et à des centres d'informations plus générales pour les patients. Un des services d'assistance mentionnés est géré par

Rare diseases do not stop at borders

l'ACHSE, c' est un service d'assistance financé par des fonds privés pour les personnes atteintes d'une maladie rare.

Sites web allemands pertinents sur les maladies rares :

[www.achse-online.de](http://www.achse-online.de)

[www.namse.de](http://www.namse.de)

<https://www.se-atlas.de/>

<https://www.portal-se.de/>

### 1.2.3 DEVELOPPEMENT DES LIGNES DIRECTRICES

#### 1.2.3.1 BELGIQUE

La Belgique n'a mis en place aucune ligne directrice de pratique clinique (LDPC) sur les maladies rares au niveau national (en novembre 2016)<sup>29</sup>. Les propositions relatives au plan national pour les maladies rares prévoyaient le développement de lignes directrices de pratique clinique.

#### 1.2.3.2 PAYS-BAS

Le site web « Zorgstandaarden Zeldzame Aandoeningen », hébergé par la VSOP, fournit des LDPC pour les maladies rares aux Pays-Bas. En novembre 2018, un total de 13 LDPC spécifiques aux maladies ont été publiées et deux autres sont en préparation. Des lignes directrices sur des thèmes génériques (n = 9), tels que la communication, les soins préconceptionnels et prénataux, l'autogestion et d'autres documents concernant la qualité, sont également disponibles<sup>30</sup>.

À l'heure actuelle, une transition des LDPC vers des normes de qualité pour les maladies rares est en préparation, accompagnée d'une publication des documents de référence et des lignes directrices sur le processus et les critères utiles pour établir des directives de qualité pour les maladies rares<sup>31</sup>.

La base de données Zorginstituut Nederland (ZIN) rassemble les lignes directrices disponibles aux Pays-Bas et aborde les maladies ainsi que les phénomènes courants observés dans les soins de première ligne<sup>32</sup>.

#### 1.2.3.3 ALLEMAGNE

La base de données de l'AWMF (l'association des sociétés médicales scientifiques d'Allemagne ou *Arbeitsgemeinschaft Wissenschaftlicher Medizinischer Fachgesellschaften*) contient plusieurs LDPC pour les maladies rares. Ces LDPC concernent notamment l'ataxie, la mucoviscidose, l'hyperplasie

<sup>29</sup> Source RD action

<sup>30</sup> <http://www.zorgstandaarden.net/nl/home>

<sup>31</sup> <https://kwaliteitvoorzeldzaam.nl/>

<sup>32</sup> <https://www.zorginzicht.nl/bibliotheek/Paginas/Overzicht.aspx?type=Kwaliteitsstandaarden>

congénitale des surrénales, la myopathie, la dystrophie, la maladie de Huntington et la myasthénie auto-immune<sup>33</sup>.

#### 1.2.3.4 COMPARAISON

En général, c'est aux Pays-Bas que le développement de lignes directrices pour les maladies rares semble être le plus avancé en raison des investissements de la VSOP dans la création de produits de qualité. Les autres développements de LDPC sont plutôt menés par des médecins généralistes (MG) et des prestataires de soins primaires. En Allemagne, au contraire, les démarches relatives au développement de lignes directrices appartiennent plutôt aux experts médicaux et à leurs sociétés. La Belgique a quant à elle planifié le développement de lignes directrices de pratique clinique dans son plan national pour les maladies rares.

#### 1.2.4 BENELUXA : UNE INITIATIVE DE PLUSIEURS PAYS COLLABORANT SUR LES MEDICAMENTS ORPHELINS

Cette section décrit sommairement l'initiative BeNeLuxA, qui est une initiative multilatérale pour des activités et un travail communs et pertinents pour les maladies rares. Le BeNeLuxA implique la Belgique et les Pays-Bas, mais pas l'Allemagne. Les pays qui font partie de l'initiative sont la Belgique, les Pays-Bas, le Luxembourg et l'Autriche (ci-après BeNeLuxA), qui ont ensuite été rejoints par l'Irlande. Cette initiative prévoit une collaboration volontaire et intensive concernant :

- L'évaluation des technologies de la santé (ETS) ;
- L'Horizon Scanning ;
- Les informations sur les marchés pharmaceutiques, y compris les prix ;
- Certains registres spécifiques aux maladies ;
- Le prix et le remboursement, y compris des négociations communes.

Les objectifs généraux des systèmes de soins de santé partenaires concernent l'accès aux médicaments innovants, à commencer par les médicaments orphelins, à des prix abordables dans leurs pays. Le levier permettant d'atteindre cet objectif est le grand nombre de patients, qui devrait entraîner une augmentation du pouvoir d'achat. De plus, le travail commun concernant l'évaluation des technologies de la santé et l'Horizon Scanning permet d'éviter les doublons dans chacun des pays. Le travail sur le prix et le remboursement, y compris les négociations, vient tout juste d'être entamé avec quelques principes et lignes directrices qui ont été développés. Cependant, l'achat concret de médicaments n'a pas encore été effectué (juin 2019).<sup>34 35</sup>

#### 1.2.5 CONCLUSIONS

En conclusion, à l'heure actuelle, une grande partie des politiques nationales concernant les maladies rares se concentre et est regroupée dans les Plans nationaux pour les maladies rares en Belgique, aux

<sup>33</sup> <https://www.awmf.org/leitlinien/aktuelle-leitlinien.html>

<sup>34</sup> Pour plus d'informations concernant les initiatives d'achats communs en général, veuillez vous référer à : Espin et al, 2016 1

<sup>35</sup> <http://beneluxa.org/>

Pays-Bas et en Allemagne. À première vue, les plans ne diffèrent pas beaucoup au niveau du contenu. Il existe uniquement des nuances concernant leurs activités. Cependant, les pays présentent des stratégies de mise en œuvre différentes. Ce contraste se fait plus évident dans les autres politiques préexistantes (politiques d'information, développement de lignes directrices, etc.) qui ont été analysées dans cette section et qui présentent des différences en termes d'envergure et de centre d'intérêt.

## 2 DISPOSITIONS RELATIVES A L'ACCES AUX SOINS DE SANTE TRANSFRONTALIERS

Afin de mettre en évidence les possibilités et les implications de la mobilité transfrontalière des patients et de l'expertise des professionnels pour les patients atteints d'une maladie rare, cette section présentera d'abord la législation européenne. Ensuite, elle passera en revue le projet IZOM en tant qu'accord trilatéral entre la Belgique, les Pays-Bas et l'Allemagne. Enfin, le règlement « Ostbelgien », une disposition belge, sera examiné.

### 2.1 LEGISLATION EUROPEENNE

Cette section passe en revue les dispositions pertinentes de la directive 2011/24/UE, ainsi que le règlement 883/2004 et le règlement 987/2009 concernant les soins de santé transfrontaliers.

#### 2.1.1 REGLEMENTS 883/2004 ET 987/2009

L'analyse portera essentiellement sur les soins programmés à l'étranger, car le règlement prévoit spécifiquement un système de remboursement des soins d'urgence (soins non programmés) pendant un séjour à l'étranger.

Le règlement (CE) 883/2004 (le règlement de base) et le règlement (CE) 987/2009 (le règlement d'application) portant sur la coordination des systèmes de sécurité sociale fournissent des mécanismes pour la coordination des systèmes de sécurité sociale visant différents aspects, tels que les prestations de pension, de chômage, de maladie, de maternité et les prestations pour des soins de longue durée.

En ce qui concerne les prestations de maladie, la coordination implique un accès aux soins d'urgence (soins non programmés) en utilisant la carte européenne d'assurance maladie lorsque le patient séjourne dans un des États membres, autre son État membre compétent. De plus, il couvre les situations où le but du voyage est de recevoir des soins (soins programmés). Dans ces cas, le règlement 883/2004 prévoit qu'une autorisation doit être accordée avant de recevoir un traitement.

#### Article 20

##### ***Déplacement aux fins de bénéficier de prestations en nature — Autorisation de recevoir un traitement adapté en dehors de l'État membre de résidence***

*1. À moins que le présent règlement n'en dispose autrement, une personne assurée se rendant dans un autre État membre aux fins de bénéficier de prestations en nature pendant son séjour demande une autorisation à l'institution compétente.*

*2. La personne assurée qui est autorisée par l'institution compétente à se rendre dans un autre État membre aux fins d'y recevoir le traitement adapté à son état bénéficie des prestations en nature servies, pour le compte de l'institution compétente, par l'institution du lieu de séjour, selon les dispositions de la législation qu'elle applique, comme si elle était assurée en vertu de cette législation. L'autorisation est accordée lorsque les soins dont il s'agit figurent parmi les prestations prévues par la législation de l'État membre sur le territoire duquel réside l'intéressé*

*et que ces soins ne peuvent lui être dispensés dans un délai acceptable sur le plan médical, compte tenu de son état actuel de santé et de l'évolution probable de la maladie.*

Par conséquent, la condition de l'autorisation préalable (Formulaire S2) représente un gros obstacle pour les patients atteints d'une maladie rare cherchant des soins transfrontaliers. Cependant, si l'autorisation est accordée, le règlement permet au patient d'accéder aux traitements sans aucune avance de frais et garantit également au patient d'être traité comme un assuré social national de l'État membre qui fournit le traitement. Généralement, cette garantie offre des prestations plus complètes que la directive 2001/24/UE.

### 2.1.2 DIRECTIVE 2011/24/UE

Cette section met d'abord en évidence les dispositions concernant l'accès et le remboursement pour les soins de santé transfrontaliers. Ensuite, les dispositions du chapitre IV qui prévoient des « mesures d'accompagnement » pour la coopération transfrontalière en matière de soins de santé sont présentées. Ces mesures permettent de faciliter, en partie directement, en partie indirectement, les soins transfrontaliers pour les patients atteints de maladies rares.

#### 2.1.2.1 CHAMP D'APPLICATION DE LA DIRECTIVE

##### Article 1 Objet et champ d'application

*3. La présente directive n'est pas applicable :*

*(a) aux services dans le domaine des soins de longue durée dont le but est d'aider les personnes qui ont besoin d'aide pour accomplir des tâches quotidiennes courantes ;*

*[...]*

*4. La présente directive ne porte pas atteinte aux dispositions législatives et réglementaires des États membres en matière d'organisation et de financement des soins de santé dans des situations sans rapport avec les soins de santé transfrontaliers. En particulier, rien dans la présente directive n'oblige un État membre à rembourser des coûts des soins de santé dispensés par des prestataires de soins de santé établis sur son propre territoire si ces prestataires ne font pas partie du système de sécurité sociale ou du système de santé publique dudit État membre.*

Lorsqu'il s'agit d'appliquer ces dispositions aux maladies rares, il s'avère que les patients atteints d'une maladie rare, qui font face à des limitations et des invalidités complexes et variées en ce qui concerne leur état physique et mental, ne peuvent pas accéder à une assistance avec des soins de longue durée spécialisés à l'étranger au moyen de ladite directive.

De plus, étant donné qu'une certaine proportion des traitements pour les maladies rares est innovante et financée par des programmes spécialisés, l'accès aux soins de santé transfrontaliers peut

être interdit par les dispositions de l'article 1 (4), qui soumet le remboursement des soins de santé transfrontaliers à la condition que ce genre de soins soit normalement financé par le système de sécurité sociale de ce pays.

### 2.1.2.2 CONDITIONS POUR L'AUTORISATION PREALABLE

Non seulement le champ d'application de la présente directive limite l'utilisation des soins de santé transfrontaliers par les patients atteints d'une maladie rare, mais les conditions pour l'autorisation préalable prévoient également des limitations pratiques. Les dispositions respectives sont les suivantes :

#### Article 8 Soins de santé susceptibles d'être soumis à autorisation préalable

*2. Les soins de santé susceptibles d'être soumis à autorisation préalable sont limités aux soins de santé qui :*

*(a) sont soumis à des impératifs de planification liés à l'objectif de garantir sur le territoire de l'État membre concerné un accès suffisant et permanent à une gamme équilibrée de soins de qualité élevée ou à la volonté d'assurer une maîtrise des coûts et d'éviter autant que possible tout gaspillage de ressources financières, techniques et humaines et :*

*(i) impliquent le séjour du patient concerné à l'hôpital pour au moins une nuit ; ou*

*(ii) nécessitent un recours à des infrastructures ou à des équipements médicaux hautement spécialisés et coûteux ;*

*[...]*

*4. Lorsqu'un patient atteint ou présumé atteint d'une maladie rare sollicite une autorisation préalable, un examen clinique peut être effectué par des experts du domaine. S'il est impossible de trouver des experts dans l'État membre d'affiliation ou si l'avis rendu par l'expert n'est pas concluant, l'État membre d'affiliation peut solliciter un avis scientifique.*

En ce qui concerne les maladies rares, il convient de constater qu'un nombre important de diagnostics et de traitements est fourni dans le cadre hospitalier, ce qui implique des hospitalisations ou l'utilisation d'infrastructures hautement spécialisées. Par conséquent, dans ces cas, les États membres peuvent exiger une autorisation préalable au remboursement, qui sera accordé ultérieurement. Cette autorisation préalable n'apporte donc aucune valeur ajoutée pour de nombreux patients atteints d'une maladie rare par rapport aux droits accordés par les règlements (voir la section ci-dessus). Selon le rapport d'évaluation de 2018 effectué par la Commission européenne, les Pays-Bas font partie des six pays qui n'exigent pas une autorisation préalable en vertu de la directive, mais limitent la somme remboursée.

### 2.1.2.3 REMBOURSEMENT

Indépendamment des droits pour accéder aux soins transfrontaliers et pour les recevoir, cette section examine les conditions pour le remboursement.

## Article 7 Principes généraux applicables au remboursement des coûts

4. *Les coûts des soins de santé transfrontaliers sont remboursés ou payés directement par l'État membre d'affiliation à hauteur des coûts qu'il aurait pris en charge si ces soins de santé avaient été dispensés sur son territoire, sans que le remboursement excède les coûts réels des soins de santé reçus.*

Cette disposition semble représenter un problème particulier pour les patients atteints d'une maladie rares résidant dans des pays où les prix sont bas et désirant être traités dans des pays où les prix sont élevés. Elle ne pose pas de problème aux patients voyageant entre la Belgique, l'Allemagne et les Pays-Bas, où les niveaux de prix sont assez similaires. Cependant, dans la pratique, des différences concernant le type de traitement inclus et remboursé dans le cadre d'un certain diagnostic ou d'un certain épisode du traitement peuvent exister entre les pays en général. Ces différences ont été spécifiquement soulignées auparavant pour la situation belgo-néerlandaise. Ces différences peuvent conduire à la situation où, dans certains cas, les patients se retrouvent avec une partie importante des coûts initiaux à payer. À cet égard, la Commission européenne a mené un exercice de facturation en 2015 dans les États membres afin d'analyser les types d'informations qui sont fournies sur les factures nationales selon quatre procédures communes (dont deux se basent sur les soins ambulatoires et deux sur les soins hospitaliers). La CE a conclu qu'aucune approche commune n'était possible au vu de la diversité des informations fournies sur les factures.<sup>36</sup>

### 2.1.2.4 CADRE JURIDIQUE POUR LES STRUCTURES DE COOPERATION VOLONTAIRE

Dans le chapitre IV, la directive fournit des mesures d'accompagnement aux soins de santé transfrontaliers sur la base de structures de coopération volontaire. À l'article 10 et en rapport avec l'article 6, la directive prévoit la mise en place de points de contact nationaux pour les soins de santé transfrontaliers et, à l'article 12 et 13, elle prévoit le soutien et la facilitation de la création de réseaux européens de référence.

## Article 10 Assistance mutuelle et coopération

1. *Les États membres se prêtent l'assistance mutuelle nécessaire à la mise en œuvre de la présente directive, notamment par la coopération sur les normes et orientations en matière de qualité et de sécurité et par l'échange d'informations, en particulier entre leurs points de contact nationaux **conformément à l'article 6**, y compris sur les dispositions relatives à la surveillance et à l'assistance mutuelle pour préciser le contenu des factures.*  
(...)

---

<sup>36</sup> Groupe d'experts sur les soins de santé transfrontaliers, 11 mars 2016, à Bruxelles, documents de la réunion disponibles sur [https://ec.europa.eu/health/cross-border-healthcare-expert-group/20160311\\_en](https://ec.europa.eu/health/cross-border-healthcare-expert-group/20160311_en)

## Article 6 Points de contact nationaux pour les soins de santé transfrontaliers

1. *Chaque État membre désigne un ou plusieurs points de contact nationaux pour les soins de santé transfrontaliers et en communique le nom et les coordonnées à la Commission. La Commission et les États membres mettent ces informations à disposition du public. Les États membres veillent à ce que les points de contact nationaux consultent les associations de patients, les prestataires de soins de santé et les assureurs de soins de santé.*  
(...)

Cette disposition a mené à la mise en place de points de contact nationaux pour les soins de santé transfrontaliers dans chaque État membre. Les PCN ont été créés pour être le portail d'informations destiné aux citoyens d'un État membre ainsi qu'aux patients d'autres États membres qui y cherchent des soins. Pour les patients, les points de contact nationaux présentent l'avantage de regrouper et de présenter de manière compréhensible des informations sur les droits des patients en ce qui concerne les soins de santé transfrontaliers. Alors qu'il conviendrait de saluer la création des PCN en tant que centre d'informations supplémentaire et point de contact pour les patients en général, les informations sont actuellement éparpillées. En effet, elles ne sont généralement pas présentées de manière adaptée aux patients, ce qui est d'autant plus vrai pour les informations sur les maladies rares faisant grandement défaut. En plus d'avoir pour mission de fournir des informations et de conseiller les patients, les PCN servent également à coordonner les actions au niveau européen concernant les aspects pratiques des soins de santé transfrontaliers, ce qui bénéficierait également aux expériences des patients atteints d'une maladie rare.

## Article 12 Réseaux européens de référence

- (1) *La Commission aide les États membres à créer des réseaux européens de référence entre prestataires de soins de santé et centres d'expertise dans les États membres, en particulier dans le domaine des maladies rares.*
  - (2) [...]
  - (3) *Les États membres sont encouragés à faciliter la création des réseaux européens de référence :*
    - (a) *en mettant en contact les prestataires de soins de santé et les centres d'expertise appropriés sur tout leur territoire et en assurant la diffusion de l'information auprès des prestataires de soins de santé et des centres d'expertise appropriés sur tout leur territoire ;*
    - (b) *en encourageant la participation des prestataires de soins de santé et des centres d'expertise aux réseaux européens de référence.*
- (...)

De plus, l'article 13 encourage la coopération spécifiquement dans le domaine des maladies rares :

## Article 13 Maladies rares

*La Commission aide les États membres à coopérer au développement de moyens de diagnostic et de traitement, en visant notamment à :*

- (a) *faire connaître aux professionnels de la santé les outils mis à leur disposition à l'échelle de l'Union pour les aider au diagnostic correct des maladies rares, en particulier la base Orphanet et les réseaux européens de référence ;*

(b) faire connaître aux patients, aux professionnels de la santé et aux organismes responsables du financement de soins de santé les possibilités offertes par le règlement (CE) no 883/2004 pour le transfert de patients atteints de maladies rares vers d'autres États membres, même pour des diagnostics et des traitements qui ne sont pas disponibles dans l'État membre d'affiliation.

Cette disposition a mené à la mise en place de 24 Réseaux Européens de Référence pour les maladies rares en mars 2017, qui sont traités en détail dans la Section 1.1.4.

### 2.1.3 COMPARAISON ENTRE LES DROITS EN VERTU DE LA DIRECTIVE ET LES DROITS EN VERTU DU RÈGLEMENT

Les différences entre l'accès aux soins transfrontaliers en vertu de la directive 2011/24/UE et celui en vertu des règlements 883/2004 et 987/2009 peuvent être résumées comme suit :

#### Droits en vertu des règlements :

- Si une autorisation préalable est accordée, les patients seront remboursés conformément aux tarifs de l'État membre des soins ;
- Le remboursement est coordonné entre les institutions concernées (prestataire, assurance) ;
- Le patient est traité conformément aux règles de l'État membre accordant les soins ;
- Cela s'applique uniquement aux prestataires de soins du système public de soins de santé ;

#### Autres droits en vertu de la directive :

- Les patients ont la possibilité d'accéder aux soins de santé à l'étranger (au moins pour les traitements non hospitaliers) ;
- Il n'y a pas de formalités supplémentaires à faire avant de recevoir des soins ;
- Le patient a la possibilité d'accéder aux prestataires de soins publics et privés.
- MAIS : les patients doivent toujours payer à l'avance pour les soins reçus conformément à la directive ;
- MAIS : le remboursement *ne s'élève qu'*au montant auquel ils auraient droit dans le régime public de leur pays de résidence.

En conclusion, il est possible d'affirmer que la directive 2011/24/UE ne semble pas être un trajet adapté aux patients atteints d'une maladie rare, et ce pour plusieurs raisons. Premièrement, les soins hospitaliers peuvent être soumis à une autorisation préalable. Deuxièmement, certains soins destinés à ces patients ne sont pas (encore) présents dans un ensemble d'avantages ou dans les régimes de remboursement standards. Troisièmement, les frais à avancer peuvent être assez élevés. Au contraire, le règlement européen 883/2004 pourrait être un trajet adéquat pour les patients atteints d'une maladie rare, car il implique moins d'administration et d'insécurité, mais il est associé à l'obstacle que représente l'exigence d'une autorisation préalable.

Malgré un cadre juridique établi pour les soins transfrontaliers en Europe, des problèmes se posent aux niveaux pratique et administratif dans le traitement de certaines procédures et l'interprétation de certaines dispositions. La section suivante en donnera un exemple.

#### 2.1.4 OBSTACLES RELATIFS AUX SOINS DE SANTE TRANSFRONTALIERS : L'EXEMPLE DU TRAITEMENT PAR HORMONE DE CROISSANCE POUR LES ENFANTS ATTEINTS DU SYNDROME DE KABUKI DANS L'EMR

Le centre d'expertise pour le syndrome de Kabuki au MUMC+, situé à Maastricht, aux Pays-Bas, conseille les enfants atteints de cette maladie et qui montrent un retard de croissance (ainsi que leurs parents) sur le fait de commencer un traitement par hormone de croissance. Une étude prospective appliquant les hormones de croissance à dix-neuf enfants atteints du syndrome de Kabuki<sup>37</sup> a montré des effets positifs en ce qui concerne la récupération dans le modèle de croissance<sup>38</sup>, l'augmentation de la dépense énergétique<sup>39</sup> et la diminution de l'hyperlaxité articulaire<sup>40</sup>.

Démontrés par des méthodes de recherche clinique, les effets positifs du traitement par hormone de croissance ont amené le législateur néerlandais à inclure ce traitement dans la formule de base néerlandaise. En d'autres mots, le traitement est remboursé par les organismes assureurs néerlandais.

Étant donné la réputation du centre d'expertise pour le syndrome de Kabuki de Maastricht, la proximité géographique et le fait qu'ils parlent la même langue, des familles/patients flamand(e)s veulent se rendre dans ce centre pour recevoir des conseils. Cependant, les organismes assureurs belges ont refusé, jusqu'à présent, le remboursement du traitement par hormone de croissance parce que ce traitement n'est pas reconnu pour le syndrome de Kabuki en Belgique.

Afin d'accéder aux soins à Maastricht, les patients belges auraient comme seule possibilité de contester le refus d'autorisation par leur organisme assureur devant les tribunaux belges et, par conséquent, devant la Cour de justice de l'Union européenne. Conformément à la jurisprudence, en particulier l'affaire C-157/99 Geraets-Smits et Peerbooms, ainsi que l'affaire C-173/09 Elchinov, il serait nécessaire de réévaluer la pertinence d'une dérogation à la règle de l'autorisation préalable dans l'étude de cas, car elle prévoit deux conditions dans lesquelles une autorisation préalable **ne peut pas** être refusée :

- 1) lorsque les soins dont il s'agit figurent parmi les prestations prévues par la législation de l'État membre sur le territoire duquel réside l'intéressé
- 2) et que ces soins ne peuvent lui être dispensés dans un délai acceptable sur le plan médical, compte tenu de son état actuel de santé et de l'évolution probable de la maladie. (Règlement 883/2004, article 20[2])

Dans les deux affaires, les patients ont voyagé à l'étranger pour recevoir un traitement et ont réclamé un remboursement par la suite, estimant que le traitement adéquat n'était pas disponible dans leur

<sup>37</sup> Schott *et al*, 2017

<sup>38</sup> *Ibid.*

<sup>39</sup> Straetemans, Schott *et al*, 2019

<sup>40</sup> Schott *et al*, 2019

pays de résidence. Dans l'affaire C-157/99 Geraets-Smits et Peerbooms, la demande concernait un traitement expérimental et pluridisciplinaire pour la maladie de Parkinson et une thérapie par neurostimulation pour les patients dans le coma. Dans l'affaire C-173/09 Elchinov, la demande concernait une chirurgie oculaire spécialisée.

Il convient de noter que les affaires susmentionnées portent sur des cas où le traitement n'était pas remboursé *ET* n'était pas disponible dans l'État membre des personnes concernées. L'exemple du traitement par hormone de croissance pour le syndrome de Kabuki concerne un traitement destiné aux patients belges qui n'est pas remboursé parce que l'indication pour le traitement (et, par conséquent, le remboursement) n'a pas encore été établie. Cependant, des traitements en tant que tels, c'est-à-dire la disponibilité des médicaments et de l'expertise des médecins qui les prescrivent, seraient présents en Belgique.

Compte tenu des incertitudes concernant la décision de l'affaire en question et des quelques années qui sont généralement nécessaires avant qu'une décision préjudicielle ne soit rendue par la Cour de justice de l'Union européenne (du premier examen devant le tribunal national, à la CJUE, en passant par les tribunaux nationaux supérieurs), cette option ne donne pas accès au traitement pour les patients belges dans un délai raisonnable. Par conséquent, l'association belge des patients et le centre d'expertise pour le syndrome de Kabuki à Maastricht ont entamé des entretiens avec les autorités belges afin de déterminer si les traitements peuvent être ajoutés à la formule de base en Belgique (voir le rapport WP4 relatif à la mise en réseau, la formation et l'échange d'expertise entre professionnels de la santé pour plus de détails).

## 2.2 ACCORDS MULTILATERAUX POUR LES SOINS DE SANTE TRANSFRONTALIERS

En plus des règlements européens, les Etats concernés peuvent faciliter les soins de santé transfrontaliers grâce à des accords bilatéraux ou multilatéraux afin d'organiser des mouvements transfrontaliers de manière pratique et en prenant en compte la situation et les besoins des individus. Ces accords sont également une longue tradition dans l'Euregio Meuse-Rhin. Ce rapport analysera l'IZOM (Integratie Zorg op Maat) et l'« Ostbelgien-Regelung », ainsi que leur utilisation pour les patients atteints d'une maladie rare. Il n'abordera pas les autres accords existants dans l'EMR et qui ont une portée limitée, tels que le PICU (Pediatric Intensive Care Unit). Le PICU est un accord concernant les soins d'urgences pour les enfants et les nouveau-nés entre l'AZ Vesalius à Tongres (Belgique) et le MUMC+ à Maastricht (Pays-Bas).

### 2.2.1 IZOM

À la fin des années 1990, les organismes assureurs dans l'Eurégio Mause-Rhin ont cherché à vérifier si une initiative qui faciliterait la mobilité transfrontalière des patients pouvait être mise en œuvre. En 2000, l'IZOM est entré en vigueur et a été signé par les organismes assureurs participant. Il a été initié par l'AOK, le CZ et la MC, qui ont été ensuite rejoints par d'autres organismes assureurs. Jusqu'en juin 2017, l'IZOM a permis aux citoyens résidant dans l'EMR d'accéder plus facilement aux soins ambulatoires, aux spécialistes et aux soins hospitaliers associés, aux médicaments et aux dispositifs médicaux transfrontaliers. Par exemple, les citoyens habitant dans la province belge du Limbourg pouvaient accéder aux hôpitaux dans la province néerlandaise du Limbourg. De plus, les citoyens habitant dans la communauté germanophone de Belgique pouvaient accéder aux soins spécialisés à l'Hôpital universitaire d'Aix-la-Chapelle, ce qui leur permettait de communiquer dans leur langue maternelle. L'IZOM a également aidé les patients néerlandais se trouvant sur une liste d'attente à obtenir plus rapidement un traitement dans un hôpital belge (ou allemand) pour certaines procédures.

Les patients devaient obtenir un formulaire administratif E112+ (aujourd'hui appelé S2+) de la part de leurs organismes assureurs afin d'accéder aux soins de santé transfrontaliers. Les formulaires fournis étaient parfois limités à une certaine sous-spécialité médicale. En outre, certains prestataires de soins (les médecins généralistes, les dentistes) n'étaient pas couverts par la convention IZOM. Dans le cadre de la convention IZOM, les patients étaient traités comme s'ils résidaient dans l'État membre dans lequel ils suivaient le traitement (ce qui peut être comparé au règlement 883/2004). À cette époque, le choix et les raisons personnelles des patients qui souhaitaient obtenir des soins de santé transfrontaliers étaient des arguments valables pour accorder un formulaire administratif E112+.

Concernant les aspects positifs, l'IZOM a principalement permis de faciliter les soins de santé transfrontaliers dans l'EMR pour les patients belges. En effet, le nombre de formulaires E112+/S2 accordés par les organismes assureurs était dix fois plus élevé en Belgique (15 807 en 2014), comparé aux autres pays participants (1281 en 2014 aux Pays-Bas). En résumé, le projet semblait correspondre aux besoins des patients dans l'Euregio Meuse-Rhin en ce qui concerne les soins de santé transfrontaliers, mais il était plus pertinent pour les patients belges.

Suite à la décision de deux assurances allemandes de vouloir se retirer de l'accord IZOM et à l'évaluation du programme par l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI) belge, l'IZOM a pris fin le 30/06/2017. Une période provisoire a été convenue de juillet à décembre 2017. Depuis le 1<sup>er</sup> janvier 2018, la mobilité des patients dans l'Euregio Meuse-Rhin relève des différentes dispositions relatives aux soins de santé transfrontaliers qui sont prévues par le règlement 883/2004 et la directive 2011/24/UE. Un accord bilatéral entre l'AOK (Allemagne) et le CZ (Pays-Bas) reste en vigueur afin de faciliter les soins de santé transfrontaliers entre les Pays-Bas et l'Allemagne.

Pour les patients habitant dans la communauté germanophone de Belgique, l'« Ostbelgien-Regelung » (le règlement pour l'Est de la Belgique) a été mis en place. Celui-ci sera abordé dans la section suivante.

### 2.2.2 « OSTBELGIEN-REGELUNG »

Le nouvel « Ostbelgien-Regelung » (le règlement pour l'Est de la Belgique) n'est pas un accord bilatéral, mais une simple disposition juridique belge qui régit un accès plus simple aux soins de santé transfrontaliers en Allemagne pour une population circonscrite géographiquement en Belgique et limitée à certains prestataires de soins de santé allemands dans les régions frontalières. Le règlement « Ostbelgien » applique en partie les dispositions prévues par la législation européenne pour réglementer les soins de santé transfrontaliers. Il est actuellement en vigueur, et ce jusqu'à la fin de 2020.

Les citoyens habitant dans les communes belges suivantes peuvent s'appuyer sur les nouvelles dispositions :

Eupen, La Calamine, Lontzen, Raeren, Amblève, Bullange, Burg-Reuland, Bütgenbach, Saint-Vith, Malmedy, Waimes, Baelen, Plombières et Welkenraedt.

Ils peuvent accéder aux services de santé dans les villes et les régions frontalières allemandes suivantes :

Ville d'Aix-la-Chapelle, Wegberg, Wassenberg, Waldfeucht, Heinsberg, Hückelhoven, Erkelenz, Selfkant, Gangelt, Geilenkirchen, Übach-Palenberg, Jülich, Niederzier, Inden, Langerwehe, Düren, Merzenich, Nörvenich, Hürtgenwald, Kreuzau, Vettweiss, Nideggen, Heimbach, Baesweiler, Herzogenrath, Alsdorf, Würselen, Eschweiler, Stolberg, Roetgen, Simmerath, Monschau, Zülpich, Weilerswist, Mechernich, Euskirchen, Schleiden, Kall, Nettersheim, Bad Münstereifel, Hellenthal, Dahlem, Blankenheim, Bitburg, Daun.

L'« Ostbelgien-Regelung » couvre les services assurés par des médecins spécialistes, les soins hospitaliers et les cliniques de jour.

Le remboursement est accordé :

- **Pour les services des médecins spécialistes** en Allemagne :
  1. Sans recommandation de la part d'un spécialiste belge, le patient doit d'abord payer les frais et ensuite les déclarer à l'organisme assureur belge. Le remboursement est prévu pour :

- a. Les montants jusqu'à 200 € : 75 % des frais pour les soins assurés par des médecins spécialistes ; les autres soins sont remboursés sur la base des tarifs belges ;
  - b. Les montants supérieurs à 200 € : les frais sont remboursés sur la base des tarifs belges pour le traitement concerné.
2. Avec une recommandation et le formulaire S2 (autorisation préalable), il n'est pas nécessaire de payer à l'avance. Cependant, le remboursement s'effectue conformément aux tarifs allemands :
- a. Si un spécialiste belge recommande un spécialiste allemand qui se situe dans l'une des régions frontalières susmentionnées ;
  - b. Si un pédiatre qui exerce dans une des communes belges incluses dans le règlement recommande un pédiatre allemand qui exerce dans l'une des régions frontalières susmentionnées ;
  - c. S'il est question d'un service assuré par un (neuro)psychiatre pédiatrique allemand.
- **Pour les services hospitaliers et les cliniques de jour en Allemagne :**
    1. Il n'est pas nécessaire de payer à l'avance, mais le remboursement s'effectue conformément aux tarifs allemands :
      - a. Si un spécialiste belge recommande un hôpital ou une clinique de jour situés dans l'une des régions frontalières susmentionnées ;
      - b. Si le patient doit poursuivre un traitement donné par un médecin spécialiste qui exerce sa profession en Allemagne, dans une des régions frontalières susmentionnées, et pour lequel un formulaire S2 a été accordé préalablement ;
      - c. Si le patient doit poursuivre un traitement donné par un médecin spécialiste qui exerce sa profession en Allemagne, dans une des régions frontalières susmentionnées, et pour lequel le patient a reçu auparavant un remboursement de 75 % du montant payé.

Les services suivants **ne** sont **pas couverts** par l'« Ostbelgien-Regelung » (liste non exhaustive) :

- Les services assurés par des prestataires de soins de santé allemands en dehors des régions allemandes mentionnées ;
- Les produits pharmaceutiques qui ne sont pas couverts par le système d'assurance belge ;
- Les services non médicaux ;
- Les soins qui ne sont pas couverts par le système d'assurance belge ;
- La chirurgie esthétique ;
- Les soins d'urgence (couverts par la CEAM).

Pour les patients atteints d'une maladie rare qui entrent dans les critères de l'« Ostbelgien-Regelung » et qui ont besoin d'un médecin spécialiste ou d'autres soins de santé, ce règlement permet d'accéder :

- Aux traitements/soins assurés par des médecins spécialistes à l'Hôpital universitaire d'Aix-la-Chapelle et dans d'autres cliniques et par des médecins spécialistes situés dans les régions frontalières allemandes mentionnées ;
- Aux soins secondaires et tertiaires dans la langue maternelle allemande dans le cas où ces soins ne sont pas accessibles dans la région frontalière allemande en Belgique ;

Rare diseases do not stop at borders

- Aux traitements/soins/prestations fournis par des médecins spécialistes dans des hôpitaux, ceux-ci étant le prolongement d'un traitement commencé dans l'Est de la Belgique ou fourni par un spécialiste allemand, à condition que le formulaire S2 ait été accordé préalablement.

Compte tenu de la situation des patients atteints d'une maladie rare dans toute l'EMR, l'« Ostbelgien-Regelung » ne parvient pas à :

- Couvrir les patients atteints d'une maladie rare dans l'ensemble de l'Euregio Meuse-Rhin étant donné que le champ d'application de ce règlement est limité à l'Est de la Belgique. Par conséquent, les patients belges provenant des autres régions ainsi que les patients allemands et néerlandais atteints d'une maladie rare ne peuvent pas compter sur ce règlement, mais doivent se fier aux dispositions de l'UE.
- Garantir un accès aux soins secondaires et tertiaires dans les hôpitaux universitaires situés aux Pays-Bas et dans d'autres régions de l'Allemagne. L'Hôpital universitaire d'Aix-la-Chapelle, malgré ses larges compétences, ne fournit pas un niveau approprié d'expertise pour l'ensemble des domaines relatifs aux maladies rares.
- Fournir une couverture autre que celle pour les traitements accordés par les médecins spécialistes. Pour certaines maladies rares, les traitements spécialisés auxiliaires (tels que les conseils nutritionnels particuliers, la kinésithérapie, etc.) sont essentiels pour un traitement symptomatique.

### 3 AUTRES DISPOSITIONS ET SYSTEMES AFFECTANT LA SITUATION (FINANCIERE) ET LES SOINS DES PATIENTS ATTEINTS D'UNE MALADIE RARE

Afin d'éclairer davantage la situation (financière) et les soins des patients atteints d'une maladie rare, cette section aborde les dispositions nationales relatives à l'accès aux médicaments pour les maladies orphelines et aux services sociaux. Elle portera également sur les dispositions relatives à l'octroi d'un statut d'invalidité, ainsi que l'étendue actuelle des services de télémédecine, le remboursement y afférent et une brève analyse juridique des services de télémédecine.

#### 3.1 BREVE INTRODUCTION AUX SYSTEMES DE SOINS DE SANTE

Pour commencer, un résumé des caractéristiques de base des systèmes de soins de santé belges, néerlandais et allemands permet de fournir le contexte pour les analyses qui suivront dans cette section.

##### 3.1.1 BELGIQUE

Le système de soins de santé belge peut être caractérisé comme un système d'assurance sociale qui est principalement financé par des cotisations sociales proportionnelles aux revenus. Les Belges doivent s'assurer auprès d'un des organismes assureurs, qui fournissent une assurance obligatoire et une assurance complémentaire, ou auprès de la Caisse auxiliaire d'assurance maladie-invalidité (CAAMI), qui ne fournit que l'assurance obligatoire. Le système d'assurance maladie est géré par l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI). La gestion du système implique le corporatisme, ainsi que des négociations entre différents intervenants, tels que les prestataires de soins de santé et les organismes assureurs. L'élaboration des politiques est partagée entre les autorités fédérales et les entités fédérées (régions et communautés). Le mécanisme de paiement principal est le paiement à l'acte et les Belges contribuent au financement par le biais des tickets modérateurs et de différents suppléments<sup>41</sup>.

Pour plus d'informations, voir : Gerkens S, Merkur S. Belgium : Health system review. Health Systems in Transition, 2010, 12(5):1–266.

##### 3.1.2 PAYS-BAS

Le système de soins de santé néerlandais est également un système d'assurance sociale avec, cependant, des ressources considérables (13 %) qui proviennent de l'imposition générale. Les citoyens néerlandais paient une prime communautaire (385 €) à leur assureur en plus d'une prime proportionnelle au revenu. Les organismes assureurs et les prestataires de soins négocient pour le compte des services en ce qui concerne les prix et la qualité des soins. Depuis 2006, le gouvernement néerlandais a pris un peu de recul par rapport au contrôle direct du marché, bien que les interventions du gouvernement soient encore fréquentes. Les structures de gestion sont assez centralisées, même si une certaine décentralisation a eu lieu récemment en ce qui concerne les soins de longue durée. Les prestataires de soins néerlandais sont des institutions indépendantes à but non lucratif. Les hôpitaux

<sup>41</sup> Gerkens S & Merkur S., 2010

sont payés grâce à un type de système adapté de groupe homogène de malades (GHM) appelé DBC (*Diagnose Behandel Combinaties*). La rémunération des médecins généralistes est une combinaison de paiements à l'acte, de capitation, de paiements regroupés pour les soins intégrés et de paiements à la performance.<sup>42</sup>

Pour plus d'informations, voir : Kroneman M., Boerma W., van den Berg M., Groenewegen P., de Jong J., van Ginneken E. (2016). The Netherlands: health system review. *Health Systems in Transition*, 2016 ; 18(2):1–239.

### 3.1.3 ALLEMAGNE

Le système de soins de santé allemand peut également être caractérisé comme un système d'assurance sociale. Ce système est divisé en deux parties qui travaillent en parallèle : l'assurance maladie légale et l'assurance maladie privée. 85 % de la population est couverte par l'assurance maladie légale auprès d'un des 114 organismes assureurs. 11 % des Allemands sont couverts par l'assurance maladie privée substitutive. Les structures de gestion sont caractérisées par le corporatisme qui implique des institutions autonomes. Les pouvoirs décisionnels sont traditionnellement partagés entre le niveau fédéral à Berlin et le niveau régional (Länder). Les caractéristiques du système comprennent le libre choix des prestataires et l'accès à tous les niveaux de soins pour les citoyens. Les hôpitaux sont soit publics, soit privés à but non lucratif ou privés à but lucratif. Leur financement est basé sur un système de GHM pour les services fournis, alors que les coûts d'investissement sont payés par le Länder (Dualismus). Les honoraires des médecins au sein de l'assurance maladie légale sont payés par capitation selon la morbidité et influencée par le nombre de actes fournis.<sup>43</sup>

Pour plus d'informations, voir : Busse R., Blümel M. Germany: health system review. *Health Systems in Transition*, 2014, 16(2):1-296.

<sup>42</sup> Kroneman M., Boerma W., van den Berg M., Groenewegen P., de Jong J., van Ginneken E., 2016

<sup>43</sup> Busse R. & Blümel M., 2014

## 3.2 MEDICAMENTS ORPHELINS

Cette section examinera les dispositions spécifiques relatives à l'accès des patients atteints d'une maladie rare aux produits médicaux, y compris les programmes d'usage compassionnel et les dispositions relatives à l'utilisation hors indication des médicaments.

### 3.2.1 BELGIQUE

La décision générale sur le remboursement d'un médicament est prise par le ministre des Affaires sociales, sur avis de la Commission de remboursement des médicaments (CRM), ainsi que par le ministre des Finances et avec l'accord du ministre du Budget. Les médicaments orphelins suivent la même procédure que les médicaments dits de « classe 1 », c'est-à-dire les produits pour lesquels la firme demande une plus-value thérapeutique. Cependant, contrairement aux médicaments de classe 1, les médicaments orphelins ne sont pas soumis à une évaluation pharmaco économique. Une décision sur le remboursement est prise dans les 180 jours suivant l'introduction de la demande de remboursement.<sup>44</sup>

En février 2018, parmi les 149 médicaments orphelins autorisés par l'Agence européenne des médicaments (EMA), approximativement deux tiers ont obtenu une autorisation de remboursement en Belgique. La plupart du temps, les médicaments orphelins sont totalement remboursés. Pour certains médicaments, le remboursement dépend de l'ordonnance prescrite par des spécialistes associés à un centre de référence qui fournit des traitements.

Pour les décisions individuelles au cas par cas, le spécialiste prescripteur doit obtenir l'autorisation d'un médecin-conseil de l'organisme assureur du patient pour prescrire un médicament. Le médecin-conseil peut demander l'avis d'un « Collège de médecins pour les Médicaments Orphelins » (CMMO) au sein de l'INAMI, mais rien ne l'y oblige. En pratique, tous les organismes assureurs ont convenu de renvoyer toutes les demandes au Collège de médecins pour les Médicaments Orphelins (CMMO), s'il en existe un. Il existe différents collèges pour des médicaments distincts et la Commission de remboursement des médicaments décide s'il convient ou non d'établir un collège. Ces collèges évaluent également les conditions de remboursement existantes pour ces médicaments. À la fin de 2018, il y avait treize collèges pour environ quarante médicaments orphelins.

La part des médicaments orphelins dans le budget total de l'INAMI consacré aux médicaments est passée de 4 % en 2009 à plus de 8 % en 2016.

Lorsqu'il n'y a pas de remboursement régulier possible selon la procédure générale de l'INAMI, il existe trois systèmes qui permettent un accès supplémentaire aux médicaments orphelins :

- Les programmes d'usage compassionnel pour les médicaments sans autorisation de mise sur le marché en Belgique ;
- Les programmes médicaux d'urgence pour les médicaments avec autorisation de mise sur le marché en Belgique, mais utilisés pour une autre indication ;

<sup>44</sup> Arrêté royal du 8 juillet 2004 relatif au remboursement des médicaments orphelins, Moniteur belge, 20 juillet 2004

- L'intervention du Fonds spécial de solidarité (FSS) comme décrit sur le site web de l'INAMI<sup>45</sup>.

En 2007, les médicaments orphelins représentaient environ 35 % du budget total du FSS.

### 3.2.2 PAYS-BAS

Pour obtenir le remboursement des médicaments orphelins, le fabricant de produits pharmaceutiques doit déposer un dossier de remboursement auprès du Zorginstituut Nederland (ZIN), l'organe consultatif en matière de remboursement. Au final, le gouvernement décidera si les médicaments sont remboursés ou non. Lorsqu'il n'existe pas de médicament enregistré pour une maladie rare, le traitement peut être payé si la maladie est très rare (< 1/150 000 habitants), s'il n'y a pas d'autre solution et s'il existe des preuves scientifiques relatives à l'utilisation du médicament pour la maladie concernée. Les frais sont couverts par l'organisme assureur, qui peut obtenir des conseils scientifiques auprès du ZIN concernant les preuves existantes.

Les patients atteints d'une maladie rare peuvent bénéficier d'une prescription d'un médicament non autorisé (médicaments non autorisés, utilisation hors indication). Pour ce faire, les médecins prescripteurs doivent obtenir l'autorisation de l'inspecteur de la santé publique. Cependant, le médicament prescrit n'est pas remboursé, sauf si l'organisme assureur en décide autrement.

L'autorisation de fournir un produit pharmaceutique sans autorisation de mise sur le marché doit être obtenue auprès du *College ter beoordeling van Geneesmiddelen* (CBG, à savoir l'organe exécutif ayant la compétence pour enregistrer les médicaments, les refuser ou les radier) conformément à l'article 3:17 de la loi sur les médicaments.

Cette demande d'autorisation doit contenir une définition du groupe de patients et doit préciser quels patients correspondent à la définition.

La demande pour l'usage compassionnel doit définir les patients à couvrir et doit inclure les indications suivantes :

- Une indication claire de l'usage compassionnel dans le cas où il n'y aurait aucun médicament alternatif enregistré ;
- Une confirmation que le critère énoncé à l'article 83(2) du règlement (CE) 726/2004, établissant des procédures communautaires pour l'autorisation et la surveillance en ce qui concerne les médicaments à usage humain et à usage vétérinaire, et instituant une Agence européenne des médicaments, est rempli et qu'il y a, par conséquent, une nécessité de créer un programme d'usage compassionnel ;
- Un aperçu des données (pré)cliniques disponibles et, le cas échéant, des données de qualité ;
- Un aperçu de toutes les études en cours et de la manière dont la firme assure que le programme d'usage compassionnel n'interfère pas avec celles-ci ;
- Des informations sur la phase dans laquelle se trouve l'éventuelle procédure d'autorisation de mise sur le marché (il devrait y avoir un enregistrement efficace dans un avenir proche) ;

<sup>45</sup> En français : <https://www.riziv.fgov.be/fr/themes/cout-remboursement/par-mutualite/fonds-solidarite/Pages/default.aspx> et en néerlandais : <https://www.riziv.fgov.be/nl/themes/kost-terugbetaling/door-ziekenfonds/bijzonder-solidariteitsfonds/Paginas/default.aspx>

- Des précisions dans le cas où un programme d'usage compassionnel a été lancé dans les autres pays de l'UE ;
- Des précisions dans le cas où un dossier d'autorisation de mise sur le marché a été transmis au Comité des médicaments à usage humain ou dans le cas où ce Comité a donné un avis sur un programme d'usage compassionnel.<sup>46</sup>

### 3.2.3 ALLEMAGNE

Indépendamment de la prévalence de la maladie, l'utilisation hors indication des médicaments est remboursée par l'assurance maladie légale (GKV) sous réserve des conditions suivantes :

- Le médicament sera utilisé pour traiter une maladie grave ou mortelle ;
- Il n'existe pas de traitement pharmaceutique disposant d'une autorisation de mise sur le marché en Allemagne ;
- Il existe des preuves scientifiques concernant ses effets thérapeutiques positifs.

En Allemagne, comme dans beaucoup d'autres pays européens, si aucun autre médicament n'existe, il est fondamentalement possible d'administrer des médicaments efficaces à des patients gravement malades, même avant toute autorisation de mise sur le marché. En 2005, en vertu de l'article 83 du règlement (CE) n° 726/2004, le gouvernement allemand a mis en place des règles générales relatives à de tels médicaments sous la forme d'un programme d'usage compassionnel<sup>47</sup>. En 2009, il a ajouté que la mise à disposition d'un médicament dans de tels cas devait être gratuite. Une ordonnance, entrée en vigueur en 2010, fixait des dispositions particulières pour la procédure appropriée relative aux programmes d'usage compassionnel. Une fois autorisés, tous les médicaments orphelins sont totalement remboursés par l'assurance maladie légale.

<sup>46</sup> Hoorneman, W., de Vrey, R., Essink, B. & A Chistyakova, 2015

<sup>47</sup> Section 21.2.6 de la loi allemande sur les médicaments

### 3.3 SOINS DE LONGUE DUREE ET SERVICES SOCIAUX

Cette section décrit l'accès aux soins de longue durée ainsi que leurs champs d'application en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne, afin de fournir un aperçu des avantages dont bénéficient les patients atteints d'une maladie rare, qui sont invalides ou qui nécessitent des soins.

#### 3.3.1 BELGIQUE

Les services de soins de longue durée (SLD) en Belgique répondent aux besoins des citoyens dépendants, tels que les personnes âgées et les personnes souffrant d'un handicap ou d'une maladie chronique. Les services sociaux comprennent des prestations en espèces et en nature, ainsi que des possibilités d'allocations de soins. Cependant, le système possède plusieurs niveaux. En effet, il est en partie lié à l'organisme assureur et est également financé par celui-ci. Les soins à domicile et la kinésithérapie sont gérés au niveau national/fédéral, tandis que les services sociaux, tels que les soins en établissement et les allocations de soins, relèvent des compétences régionales/communautaires depuis 2019.

L'Agence flamande pour les Personnes handicapées (VAPH) est responsable du financement des services de soins pour les personnes handicapées en Flandre. En Wallonie et à Bruxelles, les institutions responsables sont respectivement l'AViQ et le service PHARE. Dans la communauté germanophone (même si elle fait partie de la Wallonie), il s'agit de la DSL (*Dienststelle für Selbstbestimmtes Leben*).

Cependant, l'allocation de remplacement de revenus et l'allocation d'intégration pour les personnes handicapées sont gérées au niveau fédéral par l'INAMI .

L'administration fédérale belge gère les services de soins de longue durée les plus importants. Les prestations en nature et en espèces sont déléguées aux régions/communautés. En plus des soins en établissement, les soins communautaires impliquant les soins et l'aide à domicile sont cofinancés par les régions/communautés et grâce à la participation aux frais des bénéficiaires (15 à 20 %). Il existe également un système de chèques (titres-services) pour l'aide ménagère à domicile organisés par les régions/communes.

Les services sociaux dans le cadre des soins/de l'aide à domicile ou en établissement sont très développés en Belgique, tant par leur nombre que par leur portée. Cependant, du point de vue des bénéficiaires, des inquiétudes se font ressentir en ce qui concerne l'accessibilité financière à ces services en raison de leur commercialisation croissante<sup>48</sup>.

La Belgique dispose d'un système bien développé pour les congés pour soins, qui ont été étendus afin de mieux soutenir les aidants proches qui sont en âge de travailler<sup>49</sup>. Des soins de répit et d'autres programmes récréatifs thérapeutiques existent en général, mais ils ne sont pas spécifiquement dédiés aux maladies rares. Cependant, un élément de financement est intégré dans le programme sur les

<sup>48</sup> Pacolet J. & Frederic De Wispelaere F., 2018

<sup>49</sup> *Ibid.*

maladies chroniques pour financer des structures de soins de répit destinées aux enfants atteints d'une maladie chronique, y compris ceux atteints d'une maladie orpheline.

L'INAMI rembourse les frais de transport pour les enfants qui suivent un traitement dans un centre d'expertise<sup>50</sup>.

<b>Un aperçu non exhaustif des prestations en espèces et en nature pour les SLD et les congés pour soins en Belgique</b>		
<b>Prestations en nature</b>	<b>Prestations en espèces</b>	<b>Congés pour soins</b>
Soins à domicile et aide à domicile	Allocations familiales : allocations supplémentaires pour les enfants atteints d'un handicap et âgés de moins de 21 ans	Crédit-temps avec motif
Soins médicaux à domicile	Allocations pour l'aide aux personnes âgées (APA)	Congé thématique : pause-carrière dans le contexte d'un congé pour soins, d'un congé pour assistance médicale ou pour soins palliatifs
Centres de soins de jour et de court séjour	Allocations d'intégration (AI) pour les personnes handicapées	Soins palliatifs pour les travailleurs indépendants
Résidences-services	Assurance dépendance flamande	
Maisons de repos et maisons de repos et soins		
Système de titres-services		

Extrait de : Jozef Pacolet & Frederic De Wispelaere (2018), ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Belgium 2018, Brussels: European Commission

### 3.3.2 PAYS-BAS

Aux Pays-Bas, le cadre juridique relatif aux soins de longue durée comprend la Loi sur l'aide sociale (*Wet Maatschappelijke Ondersteuning, WMO*) et la Loi sur les soins de longue durée (*Wet Langdurige Zorg, WLZ*). La Loi sur l'aide sociale est réglementée par les communes. Cette loi prévoit :

- Des services généraux, par exemple la mise à disposition de services de repas à domicile ou des activités de jour dans un centre communautaire ;
- Des services adaptés aux besoins des clients spécifiques en ce qui concerne leur capacité d'adaptation, par exemple des soins de répit, des aides, une adaptation du logement, une aide à domicile et un soutien à la participation à la société, comme les activités de jour, le transport, etc.

La Loi sur les soins de longue durée, qui concernent aussi bien les soins en établissement que certains types de soins à domicile, est appliquée par les centres de soins régionaux. Les services fournis dans le cadre de ces deux régimes donnent généralement lieu à des prestations en nature, mais les citoyens

<sup>50</sup> Rodwell C. & Aymé S., eds., 2014

peuvent également demander des prestations en espèces (*persoonsgebonden budget*, PGB) pour passer des contrats pour leurs soins eux-mêmes. Les communes soutiennent les aidants proches en fournissant des informations, des conseils, des soins de répit et de la reconnaissance.

Des conseillers de la WMO (*WMO-consulenten*) et/ou des équipes sociales de proximité (SNT) déterminent les besoins en matière de services adaptés dans le cadre de la WMO, ce qui est pertinent pour les patients atteints d'une maladie rare. Cependant, il n'existe aucune norme objective, mais plutôt un jugement au cas par cas en ce qui concerne le type de soins, de soutien et de responsabilités (restantes).

La Loi sur les soins de longue durée est appliquée par trente-deux centres de soins régionaux (*zorgkantoren*), qui souscrivent des contrats avec les organismes prestataires privés et en assurent le contrôle. En fonction des profils de soins, le soutien financier en vertu de la Loi sur les soins de longue durée précise le type de soins dont chaque patient a besoin. Les soins comprennent non seulement les soins en établissement, les centres de rééducation et les résidences pour les personnes handicapées, mais également certains types des soins prodigués à domicile.

Le Centre d'évaluation des besoins de soins (*Centrum Indicatiestelling Zorg*, CIZ) détermine l'admissibilité d'une personne en fonction :

- Du besoin de soins à long terme impliquant une présence de presque 24 heures sur 24 ;
- Du besoin de soins à long terme impliquant un contrôle permanent.

Disposant d'un budget personnalisé, les personnes peuvent engager et payer leurs propres aidants, qui peuvent être des membres de la famille ou des amis. Un contrat doit être établi et doit indiquer le type de soins prodigués. La Banque des assurances sociales (SVB) gère les budgets personnalisés. Le bénéficiaire des soins est tenu de verser un minimum de 25 € par heure à l'aidant, qui est responsable de payer les impôts sur ce montant.

Les prestations en espèces, telles que les budgets personnalisés, existent également dans le cadre de la Loi sur l'aide sociale et sont gérées par les communes. La commune détermine l'admissibilité et se procure les budgets personnalisés auprès du budget prévu par la Loi sur l'aide sociale. Si une personne a besoin de soins plus intensifs et d'une plus longue durée, le CIZ doit effectuer une recommandation avant qu'elle ne puisse demander un budget personnalisé<sup>51</sup>.

### 3.3.3 ALLEMAGNE

En Allemagne, les soins de longue durée sont institutionnalisés par l'assurance de soins de longue durée. Ce système d'assurance de soins de longue durée couvre uniquement une partie des frais relatifs aux soins de longue durée. Les frais restants doivent être couverts par les personnes qui ont besoin de ces soins, par leurs enfants ou, si ce n'est pas possible, par les prestations sociales communales. Toutes les personnes qui ont besoin de soins (personnes âgées, adultes et enfants présentant un handicap) peuvent avoir droit au système d'assurance de soins de longue durée, indépendamment de l'âge.

<sup>51</sup> Kelders, Y & de Vaan, K., 2018

Les prestations pour les soins de longue durée sont accordées en fonction de l'évaluation du niveau de soins requis et des modalités de soins choisies. Les prestations de l'assurance ne diffèrent pas entre les régions et ne sont pas limitées dans le temps. Les différentes modalités de soins sont les suivantes :

- Allocations de soins (prestations en espèces), impliquant souvent des soins fournis par des aidants proches (famille ou amis). La personne reçoit un budget à dépenser pour recevoir des soins ;
- Soins à domicile (prestations en nature) : Un prestataire de soins professionnel engagé par l'Assurance soins de longue durée rend régulièrement visite au bénéficiaire à son domicile et est directement rémunéré par l'assurance ;
- Soins en établissement : L'assurance soins de longue durée couvre les dépenses pour les soins de base, le soutien social relatif aux soins donnés par les aidants proches, les aides et les soins médicaux prescrits. La personne qui habite dans une résidence est tenue de couvrir les frais de logement et de nourriture.

Prestations supplémentaires fournies par l'assurance soins de longue durée :

- Soins de répit pour un maximum de six semaines par an ;
- Soins temporaires en établissement, tels que les soins de jour et de nuit ;
- Soins de courte durée pour faire face aux crises de soins à domicile ou à la suite d'une hospitalisation ;
- Équipement médical à domicile (tel qu'un lit spécial) et allocations pour payer les frais d'adaptation du domicile.

Depuis 2017, les systèmes de prestations distinguent cinq niveaux de soins. Ces niveaux se basent sur les troubles physiques, mentaux et psychologiques. Le niveau des soins continuera à être officiellement évalué par le service médical de l'assurance maladie (MDK)<sup>52</sup>.

### 3.4 STATUT D'INVALIDITE

Cette section a pour but d'examiner les étapes générales de la procédure et les conditions à remplir pour l'octroi du statut d'invalidité au sein des trois pays concernés. Ensuite, elle examinera plus en détail les conditions, les étapes et les faits concernant un statut d'invalidité lié à un problème médical/mauvais état de santé.

#### 3.4.1 BELGIQUE

En Belgique, l'INAMI, l'institut national d'assurance maladie - invalidité, a pour mission d'évaluer la capacité fonctionnelle afin de déterminer le droit relatif à l'octroi d'une allocation de remplacement de revenus ou d'une pension d'invalidité. L'INAMI est une institution fédérale qui agit en tant qu'organe consultatif indépendant et qui sert d'intermédiaire entre les organismes assureurs, les prestataires de soins individuels, les établissements de soins, les représentants des syndicats et les employeurs.

<sup>52</sup> Gerlinger, T., 2018

Les citoyens belges demandent des prestations d'invalidité auprès de leur organisme assureur et de leurs services sociaux. Les médecins généralistes des patients fournissent des preuves pour appuyer la demande. Selon le code CIM-10 ou la CISP-2, les médecins généralistes fournissent des informations sur les symptômes, le diagnostic ou les troubles fonctionnels du patient<sup>53</sup>.

### 3.4.1.1 RECONNAISSANCE GÉNÉRALE DE L'INVALIDITÉ

Les différentes caractéristiques du système belge pour l'octroi d'un statut d'invalidité sont les suivantes :

- L'objectif de l'évaluation : évaluation à des fins multiples (accès à diverses prestations d'invalidité) ;
- Le type d'évaluation : l'évaluation est basée sur les scores d'activité, principalement d'ordre fonctionnel, et dont certains sont relatifs à l'environnement du demandeur ;
- Une combinaison de pièces justificatives : simulation du degré d'autonomie (*simulatiestoel zelfredzaamheid*), attestation médicale ou lettre d'un médecin/médecin généraliste qui soigne le demandeur, et interaction personnelle, telle qu'une visite à domicile d'un médecin ;
- Les conditions requises : l'autonomie est évaluée selon six critères : se déplacer, cuisiner et manger, faire sa toilette et s'habiller, entretenir son habitation et accomplir les tâches ménagères, évaluer et éviter le danger, entretenir des contacts avec d'autres personnes. Chaque critère peut être coté (0 à 3 points). Il n'existe aucune information à propos du « critère » ou de la « limite ».
- Le médecin évaluateur détermine le « nombre de points » et, par conséquent, décide si le demandeur a le droit de recevoir un certain soutien social ou une allocation de remplacement de revenus.

L'inscription générale des personnes handicapées est liée aux 5 principaux systèmes de prestations ou d'aides fournis par l'INAMI. Les cinq prestations principales sont :

- 1 l'allocation d'intégration (21-65 ans) = pour les personnes qui ont des difficultés à effectuer les activités quotidiennes ;
- 2 l'allocation de remplacement de revenus (21-65 ans) = pour les personnes qui rencontrent des difficultés sur le marché du travail ;
- 3 l'allocation pour l'aide aux personnes âgées (+ 65 ans) ;
- 4 la possibilité, par exemple, d'obtenir une carte de réduction nationale pour les transports en commun ou une carte de stationnement ;
- 5 les allocations familiales supplémentaires (> 21 ans) (cf. exemple 2 dans la partie 1 ci-dessus).

Une allocation de remplacement de revenus (ARR) peut être accordée à une personne handicapée si le handicap de cette personne limite sa capacité à travailler et, par conséquent, sa capacité à gagner un revenu en travaillant. Cependant, ces allocations sont liées à un certain nombre de conditions,

---

<sup>53</sup> Waddington, L., 2018

telles que la nationalité, l'âge, le lieu de résidence ou le revenu (de la personne handicapée, mais également de la personne avec laquelle ladite personne handicapée forme un ménage)<sup>54</sup>.

#### 3.4.1.2 DECLARATION ET RECONNAISSANCE DE L'INCAPACITE DE TRAVAIL POUR DES RAISONS DE SANTE

L'INAMI détermine si une personne est incapable de travailler pour des raisons de santé et établit une distinction entre :

- les personnes qui sont en « incapacité de travail » pendant une période de moins d'un an - Ces personnes reçoivent une allocation de remplacement de revenus pendant le temps nécessaire.
- les personnes qui sont en « incapacité de travail » pendant une période de plus d'un an - Celles-ci reçoivent une « pension d'invalidité ».

En termes de processus, les citoyens belges doivent d'abord se rendre auprès de leur organisme assureur pour déposer leur demande. Ensuite, un médecin (le médecin généraliste de la personne) doit compléter le formulaire de demande. Le médecin-conseil de l'organisme assureur doit reconnaître la personne comme étant « incapable de travailler ». Le médecin-conseil rend visite au demandeur à son domicile et effectue l'évaluation sur la base de cette consultation<sup>55</sup>.

Après une période de six mois, la personne est convoquée pour effectuer un examen médical obligatoire. Cet examen permet de déterminer si la personne peut toujours être « reconnue » comme étant incapable de travailler.<sup>56</sup>

Le système belge est remarquable dans le contexte européen en ce qui concerne les documents d'orientation qu'il fournit aux médecins évaluateurs afin de permettre une décision fondée sur le statut d'invalidité<sup>57</sup>.

Cependant, le Comité des droits des personnes handicapées de l'ONU a conseillé à la Belgique de consulter les organisations représentatives des personnes handicapées afin de s'assurer que les critères d'admissibilité et les évaluations pour certaines prestations mentionnées soient plus clairement liés aux définitions existantes sur le handicap<sup>58</sup>.

#### 3.4.2 PAYS-BAS

<sup>54</sup> De Bruycker, S., 2018

<sup>55</sup> Gerlinger, T., 2018

<sup>56</sup> Waddington, L., 2018

<sup>57</sup> Gerlinger, T., 2018

<sup>58</sup> Comité des droits des personnes handicapées (2014), Observations finales concernant le rapport initial de la Belgique, 28 octobre 2014, CRPD/C/BEL/CO/1

Aux Pays-Bas, le médecin introduit directement une demande de pension d'invalidité à l'Organisme de gestion des assurances sociales (*UWV, Uitvoeringsinstituut Werknemersverzekeringen*). Le patient est ensuite évalué par un médecin de l'UWV et par un spécialiste dans le domaine du travail. Le médecin de l'assurance évalue d'abord les limitations fonctionnelles du demandeur sur la base d'une interview du patient, d'un examen médical et des dossiers médicaux des autres médecins traitants. Le spécialiste dans le domaine du travail évalue la somme d'argent que le patient est théoriquement capable de gagner dans le cadre d'un travail approprié.

#### 3.4.2.1 ÉVALUATION POUR ETRE ENREGISTRE EN TANT QUE TRAVAILLEUR INVALIDE

Les différentes caractéristiques du système néerlandais pour l'octroi d'un statut d'invalidité sont les suivantes :

- L'objectif d'évaluation : reconnaissance du statut d'invalidité officiel (par exemple un registre général).
- Les prestations associées (dans le cas où le statut est octroyé) : traitement bénéfique (par exemple la possibilité de postuler pour des emplois soumis à des quotas).
- Le type d'évaluation : évaluation des limitations fonctionnelles et de la perte économique (par exemple la perte du revenu à cause de l'invalidité).
- Les conditions requises : il s'agit d'une évaluation de la perte de revenu ou de la perte de capacité de gain.
- La méthode : exercice sur papier et interview.
- L'évaluateur : les fonctionnaires, y compris un médecin de l'assurance et un spécialiste dans le domaine du travail.
- Le décideur : l'autorité administrative autonome de l'UWV.<sup>59</sup>

Ces limitations peuvent être de nature physique ou mentale. Les limitations au travail sont spécifiquement enregistrées dans une liste normalisée (la liste de compétences fonctionnelles).

Les critiques sur le système néerlandais portaient sur le fait que les interviews sont effectuées de manière trop superficielle, ne nécessitant pas de limitations d'activité suffisamment détaillées<sup>60</sup>, et que les évaluations du nombre de bénéficiaires ont conduit à augmenter les seuils d'admissibilité<sup>61</sup>. De plus, les inquiétudes se sont multipliées à propos de la validité des évaluations des experts en ce qui concerne les demandes du lieu de travail et les critères appliqués pour les évaluer<sup>62</sup>.

#### 3.4.2.2 ÉVALUATION POUR LES SOINS DE LONGUE DUREE/SOINS EN ETABLISSEMENT

L'évaluation pour les soins de longue durée/soins en établissement est un processus en deux étapes :

<sup>59</sup> Smits, J., 2018

<sup>60</sup> Spanjer, J., Brouwer, S., and Groothoff, J., 2010

<sup>61</sup> Gerlinger, T., 2018

<sup>62</sup> Geiger, B., Garthwaite, K., Warren, J., and Bamba, C., 2017

- L'état de santé et le trouble sont évalués (sur la base des dossiers médicaux).
  - Les enfants doivent avoir un handicap intellectuel (test de QI).
  - Les adultes doivent avoir une maladie somatique, une maladie psychogériatrique ou un handicap intellectuel, physique ou sensoriel, et
- Avoir besoin d'une « surveillance constante afin d'éviter une aggravation ou de graves dommages chez le demandeur, OU
- Avoir besoin de soins dans une proximité immédiate, 24 heures sur 24, parce qu'ils ne peuvent pas appeler à l'aide, OU
- Souffrir de troubles physiques qui les placeraient dans une situation très dangereuse, à moins qu'ils ne bénéficient d'une assistance, de soins infirmiers constants, OU
- Avoir un besoin constant d'un(e) assistant(e) qui prend en charge les tâches, les soins personnels et la direction dans la vie »<sup>63</sup>.

Il appartient à l'autorité administrative du CIZ d'évaluer si les demandeurs remplissent ces conditions.<sup>64</sup>

### 3.4.3 ALLEMAGNE

En Allemagne, différentes autorités gouvernementales (Länder) sont responsables de l'évaluation du statut d'invalidité.

Les différentes caractéristiques du système allemand pour l'octroi d'un statut d'invalidité sont les suivantes :

- L'objectif de l'évaluation : évaluation à des fins multiples, y compris pour déterminer l'accès aux prestations d'invalidité et l'octroi de la carte d'invalidité. Le type et le niveau d'invalidité sont pertinents pour plusieurs services concernés.
- Les prestations associées (dans le cas où le statut est octroyé) : des prestations en espèces (par exemple la pension), des prestations en nature (par exemple les services), un traitement bénéfique (par exemple la possibilité de postuler pour des emplois soumis à des quotas), des réductions ou des concessions (par exemple les réductions d'impôts).
- Le type d'évaluation : évaluation des troubles, y compris du type et du niveau spécifique du trouble en utilisant un formulaire de demande, sur lequel il faut décrire l'invalidité en détail. En général, un document supplémentaire du médecin doit être inclus.
- La méthode : pièces justificatives.
- L'évaluateur : un fonctionnaire et un expert médical pour l'évaluation.
- Le décideur : un fonctionnaire, qui décide sur la base de l'évaluation de l'expert médical.

Détails supplémentaires concernant l'évaluation : le niveau d'invalidité est établi par l'expert médical qui résume les conséquences du handicap ou des handicaps dans tous les aspects de la vie (privés et professionnels).

L'invalidité est établie lorsque le degré de limitation est évalué à minimum 20 %. L'invalidité grave est établie si la limitation équivaut à 50 % ou plus. Le degré d'invalidité (catégorisé comme le pourcentage

<sup>63</sup> Centrum Indicatiestelling Zorg (CIZ), 2018

<sup>64</sup> Smits, J., 2018

d'invalidité arrondi à la dizaine la plus proche) est évalué sur la base d'un examen médical. Dans le cas de troubles multiples, le degré est évalué en fonction des conséquences générales. La relation entre les troubles des personnes et les limitations auxquelles elles font face dans la vie quotidienne est prise en compte. Une évaluation de l'invalidité n'est pas nécessaire si une évaluation a déjà été effectuée dans le cadre d'un certificat de pension ou d'un certificat donné par une autre autorité compétente.

Si une personne a droit à une pension d'invalidité, cela dépend toujours de sa capacité en ce qui concerne toutes les activités relatives au marché du travail général. Le service de sécurité sociale de l'institution d'assurance pension détermine la capacité pour chaque individu concerné, qui est mesurée comme étant le nombre d'heures dans une journée de travail qu'un assuré peut effectuer sur le marché du travail général. Par conséquent, en plus de la pension d'invalidité complète, il existe également des pensions partielles. En fonction de la source, la pension partielle attribuée peut s'élever à un tiers, à la moitié ou à deux tiers de la pension complète parce qu'on peut supposer que la personne concernée peut encore toucher un revenu partiel.<sup>65</sup>

Le Comité des droits des personnes handicapées de l'ONU a conseillé à l'Allemagne d'appliquer la définition juridique de l'invalidité dans toutes les lois et tous les règlements<sup>66</sup>.

---

<sup>65</sup> Schrötle, M., Anders, P., Sarkissian, H., C Pierl, C., 2018

<sup>66</sup> Comité des droits des personnes handicapées (2015), Observations finales concernant le rapport initial de l'Allemagne, 13 mai 2015, CRPD/C/DEU/CO/1

### 3.5 TELEMEDECINE

La collaboration pluridisciplinaire et l'échange d'informations entre les experts médicaux et paramédicaux sont essentiels dans les soins prodigués aux patients atteints d'une maladie rare. La collaboration et les échanges ont été facilités et soutenus structurellement grâce à la désignation de centres d'expertise nationaux et de réseaux européens de référence (ERN). En ce qui concerne les ERN, la Commission européenne a fourni une plateforme sur Internet, le Clinical Patient Management System (CPMS), permettant d'effectuer des consultations en ligne et des échanges de données pour les cas de maladies rares. Les experts des ERN sont supposés se réunir grâce au CPMS afin de discuter des cas complexes et demander un deuxième avis. Cependant, cette plateforme n'est actuellement pas totalement opérationnelle<sup>67</sup>.

Néanmoins, le fait que l'expertise relative aux maladies rares soit répartie dans différents pays et dans l'ensemble de l'Europe constitue un argument solide pour que la télémédecine puisse et doit être utilisée dans les soins aux patients atteints d'une maladie rare en ce qui concerne les procédures de diagnostic, les consultations de médecin à médecin, les conseils aux patients et l'échange de données. Par conséquent, cette section cartographie les types de services de soins de santé en ligne et de télémédecine qui sont actuellement remboursés en Belgique, aux Pays-Bas et en Allemagne afin d'exposer le contexte national dans lequel les services de télémédecine (transfrontaliers) trouveraient actuellement une place.

Afin d'évaluer la situation, trois transformations possibles pour l'application de la télémédecine ont été définies et diffusées en tant que réponses au sein du consortium :

- E-mail/appel en visio-conférence avec un patient ;
- Diagnostics et suivis spéciaux en utilisant les applications de télémédecine (par exemple grâce à des vidéos ou des photos, des transferts de données) ;
- Traitement thérapeutique en utilisant la télémédecine.

De plus, nous évaluons (1) le type de services et de traitements qui existent, (2) les conditions requises et (3) la manière dont ils sont remboursés.

#### 3.5.1 BELGIQUE

Actuellement (octobre 2019), les services de télémédecine ne sont pas intégrés dans les services de remboursement standards en raison de l'obligation rigoureuse d'une présence physique inscrite dans la loi belge. Cependant, la ministre de la Santé, Maggie de Block, a placé la numérisation des soins de santé en tête de son programme ministériel avec le lancement de plusieurs projets et initiatives pilotes, tels que l'utilisation d'applications santé.

<sup>67</sup> <http://www.ern-rnd.eu/cpms/>

<b>Applications de télémédecine – Belgique</b>				
<b>Transformation</b>	<b>Télétraitement ou service</b>	<b>Conditions</b>	<b>Remboursement</b>	
E-mail/visio-conférence avec un patient	N'existe actuellement	pas	<i>Critère de la présence physique inscrit dans la loi</i>	Non applicable
Diagnostics et suivis spéciaux en utilisant les applications de télémédecine (par exemple grâce à des vidéos, des photos ou des transferts de données)	N'existe actuellement	pas	<i>Critère de la présence physique inscrit dans la loi</i>	Non applicable
Traitement thérapeutique en utilisant la télémédecine	N'existe actuellement	pas	<i>Critère de la présence physique inscrit dans la loi</i>	Non applicable
Autre				

### 3.5.2 PAYS-BAS

Aux Pays-Bas, la télémédecine a déjà été largement intégrée dans les prestations de soins et les autorités ont déjà annoncé de nouveaux développements, ainsi qu'une plus grande flexibilité en 2020<sup>68</sup>. Les transformations concernent des applications de médecin à patient et de médecin à médecin. Il est remarquable de constater que les consultations des médecins généralistes avec les patients ne soient plus remboursées en fonction de leur mode, mais uniquement en fonction de leur durée et indépendamment du fait qu'il s'agisse d'une consultation en personne, par téléphone, visio-conférence ou e-mail.

<sup>68</sup> <https://magazines.nza.nl/standvandezorg/2019/07/flexibiliteit-in-de-regels-voor-de-zorg-in-2020>

<b>Applications de la télémédecine – Pays-Bas</b>			
<b>Transformation</b>	<b>Télétraitement ou téléservice</b>	<b>Conditions</b>	<b>Remboursement</b>
E-mail/visio-conférence avec un patient	<p><b>médecin généraliste :</b></p> <p>Consultations avec le patient par téléphone, visio-conférence ou mail</p> <p><b>Hôpital</b></p> <p>Consultation de suivi à distance soit :</p> <p>par écran interposé (190161),</p> <p>par téléphone (190162), ou</p> <p>par écrit (190163)</p> <p>Consultation initiale à distance, consultation par écran interposé</p>	<p>Contact initial en personne</p> <p>Si le contenu et la durée sont les mêmes que les consultations en personne</p> <p>Contact initial en personne</p> <p>Durée identique requise</p> <p>Service identique possible par rapport à une visite en personne</p>	<p>Autorité néerlandaise des soins de santé (NZA), Lignes directrices pour le remboursement des services de soins de santé en ligne</p> <p>Service de consultation courte, de consultation ou de consultation longue</p> <p>En personne, par téléphone, par e-mail ou dans n'importe quel autre cadre</p>
Diagnostiques et suivis spéciaux en utilisant les applications de télémédecine (par exemple grâce à	<p>Télésuivi des activités de soins (03133)</p> <p>Exemples mentionnés :</p>	Contact initial en personne	Voir ci-dessus NZA

Rare diseases do not stop at borders

des vidéos, des photos ou des transferts de données)	Application MijnIBDcoach ou bronchopneumopathie chronique obstructive (BPCO)		
--	--	--	--

**Applications de la télémédecine – Pays-Bas : suite**

<b>Transformation</b>	<b>Télétraitement ou service</b>	<b>Conditions</b>	<b>Remboursement</b>
Traitement thérapeutique en utilisant la télémédecine	<p>Les médecins généralistes peuvent partager des photos avec les dermatologues</p> <p>Téléconsultation/évaluation des diagnostics par un médecin spécialiste à la demande du médecin généraliste (39 757, 39 929)</p> <p>Exemples : électrocardiogramme, Holter, fonction pulmonaire, etc.</p>	<p>Contact initial en personne</p> <p>Contact initial en personne</p>	<p>Voir ci-dessus NZA</p> <p>Téléservice en dermatologie</p>
Autre	<p>Consultation d'un spécialiste par le médecin généraliste lors de la visite du patient</p> <p>Le médecin généraliste peut faire appel à l'expertise d'un autre spécialiste ou d'expert médical afin de déterminer le traitement</p>	Contact initial en personne	<p>Voir ci-dessus NZA</p> <p>Service de consultation conjointe (<i>meeijkijk consult</i>)</p>

### 3.5.3 ALLEMAGNE

En Allemagne, le nombre et le champ d'application des services de télémédecine qui peuvent être remboursés sont plus limités et se concentrent sur quelques applications. Cependant, comme en Belgique, la télémédecine et les services de soins de santé en ligne prennent actuellement de l'ampleur, notamment grâce à un projet régional restreint visant à étudier la possibilité d'abolir l'interdiction de traiter les patients à distance (*Fernbehandlungsverbot*). De plus, les dernières propositions du gouvernement en automne 2019 comprennent l'utilisation d'applications santé sur prescription, des réductions de remboursement pour les médecins qui n'ont pas encore rejoint l'infrastructure télématique en 2020, et l'utilisation de toutes les données des patients pour les recherches dans le domaine de la santé.

<b>Applications de la télémédecine – Allemagne</b>			
<b>Transformation</b>	<b>Télétraitement ou service</b>	<b>Conditions</b>	<b>Remboursement</b>
E-mail/visio-conférence avec un patient	Consultation de suivi par vidéo, par exemple pour l'évaluation des plaies chroniques	Messagerie électronique sécurisée et Skype Entreprise  Autorisation du patient  Calculable une fois par trimestre si le patient avait contacté personnellement le médecin au cours des trimestres précédents	Soins standards. Facturés par l'assurance maladie légale.  Remboursables au travers d'un poste de facturation de frais dans la nomenclature standard (EBM ou médecine factuelle) dans lequel les services médicaux contractuels sont mentionnés.
Diagnostics et suivis spéciaux en utilisant les applications de télémédecine (par exemple grâce à des vidéos, des photos ou des	Analyse fonctionnelle télé médicale d'un défibrillateur automatique implantable.	Possible avec l'autorisation du patient	Soins standards. Facturés par l'assurance maladie légale.  Remboursables selon le type de prise en charge inclus dans le répertoire standard (EBM ou médecine factuelle) dans

transferts de données)			lequel les services médicaux contractuels sont mentionnés.
Traitement thérapeutique en utilisant la télémedecine	Téléthérapie, pour les maladies mentales par exemple.	Possible avec l'autorisation du patient	À payer personnellement. Certains organismes assureurs offrent ce service à leurs assurés ( <i>contrat de distribution sélective</i> ).
Autre			

### 3.5.4 NIVEAUX LEGISLATIF ET REGLEMENTAIRE : LES LEGISLATIONS EUROPEENNES APPLICABLES A LA TELEMEDECINE

En vue de dépasser le cadre national de la télémedecine, cette section fournit une analyse des lois et des actions applicables au niveau européen afin de faciliter la mise en place de la télémedecine dans les États membres de l'UE en mettant l'accent sur l'interopérabilité transfrontalière et les services de télémedecine.

En ce qui concerne les niveaux législatif et réglementaire de la télémedecine, ou plus largement de la santé en ligne, les dispositions faisant partie des soins de santé sont considérées comme un service au sens des articles 56 et 57 du TFUE, et, par conséquent, sont soumises aux droits à la libre circulation. De plus, un nombre de règlements et de directives dans la législation européenne secondaire sur la sécurité, la vie privée, le consentement éclairé et la confidentialité sont applicables à la télémedecine, tels que :

- Le Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD)<sup>69</sup>
- La directive e-privacy<sup>70</sup>
- Le règlement sur l'identification électronique (eIDAS)<sup>71</sup>
- La directive e-commerce<sup>72</sup>

<sup>69</sup> Règlement (UE) 2016/679 du Parlement européen et du Conseil du 27 avril 2016 relatif à la protection des personnes physiques à l'égard du traitement des données à caractère personnel et à la libre circulation de ces données, et abrogeant la directive 95/46/CE, JO L 119/1.

<sup>70</sup> Directive 2002/58/CE du Parlement européen et du Conseil du 12 juillet 2002 concernant le traitement des données à caractère personnel et la protection de la vie privée dans le secteur des communications électroniques [2002] JO L 201/37

<sup>71</sup> Règlement (UE) n° 910/2014 du Parlement européen et du Conseil du 23 juillet 2014 sur l'identification électronique et les services de confiance pour les transactions électroniques au sein du marché intérieur

<sup>72</sup> Directive 2000/31/CE du Parlement européen et du Conseil du 8 juin 2000 relative à certains aspects juridiques des services de la société de l'information, et notamment du commerce électronique, dans le marché intérieur [2000] JO L 178/1

- La directive relative à la cybersécurité (SRI)<sup>73</sup>
- Les dispositifs médicaux<sup>74</sup>
- Directive relative aux droits des patients<sup>75</sup>

Le cadre légal et réglementaire réparti entre l'Union européenne et les États membres a été analysé dans la littérature académique en mettant l'accent sur les niveaux nationaux et européens<sup>76 77</sup> et sur les différents outils de la télémédecine, tels que les dossiers médicaux électroniques, les applications de télémédecine ou de santé mobile (mHealth)<sup>78 79</sup>. Le cadre réglementaire a été évalué comme étant actuellement imparfait<sup>80</sup> et diversifié entre les États membres de l'UE<sup>81</sup>. Les questions de responsabilité relatives aux services de télémédecine transfrontalière sont l'une des lacunes juridiques importantes dans le système législatif de l'UE<sup>82</sup>. Étant donné le nombre déjà existant d'analyses juridiques et l'accent mis sur les activités de normalisation, le présent rapport se limitera à un examen approfondi de la directive relative aux droits des patients. En effet, celle-ci a des conséquences directes sur les activités de télémédecine **dans** les États membres de l'UE.

#### 3.5.4.1 MESURES D'ACCOMPAGNEMENT POUR LA TELEMEDECINE DANS LA DIRECTIVE RELATIVE AUX DROITS DES PATIENTS

En plus de la codification des droits pour la mobilité transfrontalière décrite ci-dessus, la directive relative aux droits des patients prévoit des « mesures d'accompagnement »<sup>83</sup> pour les soins de santé transfrontaliers par le biais de la télémédecine, comprenant entre autres :

- L'assistance mutuelle et la coopération en général visées à l'article 10, y compris la coopération au moyen des TIC (article 10.2) ;
- La reconnaissance des prescriptions établies dans un autre État membre visée à l'article 11, plus particulièrement l'adoption d'orientations destinées à aider les États membres à développer l'interopérabilité des prescriptions électroniques (article 11(2)(b)) ;
- La santé en ligne (article 14) qui implique

<sup>73</sup> Directive (UE) 2016/1148 du Parlement européen et du Conseil du 6 juillet 2016 concernant des mesures destinées à assurer un niveau élevé commun de sécurité des réseaux et des systèmes d'information dans l'Union [2016] JO L 194/1

<sup>74</sup> Règlement (UE) 2017/745 du Parlement européen et du Conseil du 5 avril 2017 relatif aux dispositifs médicaux [2017] JO L 117/1, Règlement (UE) 2017/746 du Parlement européen et du Conseil du 5 avril 2017 relatif aux dispositifs médicaux de diagnostic in vitro [2017] JO L 117/176

<sup>75</sup> Directive 2011/24/UE du Parlement européen et du Conseil du 9 mars 2011 relative à l'application des droits des patients en matière de soins de santé transfrontaliers [2011] JO L88/45

<sup>76</sup> Raposo, 2016 ; Kautsch et al., 2017 ; Stroetmann et al, 2012

<sup>77</sup> Callens, 2010

<sup>78</sup> Den Exter, 2017

<sup>79</sup> Crico et al, 2018

<sup>80</sup> Stroetmann et al., 2012

<sup>81</sup> Kautsch et al., 2017

<sup>82</sup> den Exter, 2017

<sup>83</sup> Sauter, 2011

- la mise en place d'un réseau constitué sur la base du volontariat reliant les autorités nationales chargées de la santé en ligne (article 14(1) et (3))
- la création des objectifs afin d'élaborer des orientations concernant
  - une liste non exhaustive de données à faire figurer dans le dossier des patients (article 14(2)(b)(i))
  - des méthodes concrètes permettant d'utiliser les données médicales à des fins de santé publique et de recherche (article 14(2)(b)(ii))
- le soutien aux États membres dans l'élaboration de mesures communes d'identification et d'authentification, afin de faciliter la transférabilité des données dans le cadre de soins de santé transfrontaliers (article 14(2)(c))

Ce mandat a été le point de départ du programme de travail relatif au réseau « santé en ligne » en vue du développement des lignes directrices comme indiqué dans la section suivante.

#### 3.5.4.2 LE TRAVAIL DU RESEAU « SANTE EN LIGNE » EN VERTU DE L'ARTICLE 14

En vertu de l'article 14(3) de la directive relative aux droits des patients, la Commission a mis en place le réseau des autorités nationales chargées de la santé en ligne (ci-après le réseau « santé en ligne ») par le biais de la décision d'exécution de la Commission 2011/890/UE<sup>84</sup>. Le réseau « santé en ligne » est composé de représentants provenant des autorités nationales des 28 États membres et de la Norvège. Le réseau se réunit deux fois par an. La participation au réseau « santé en ligne » est volontaire. Les résultats importants découlant du réseau « santé en ligne » comprennent les orientations concernant un ensemble de données minimal/non exhaustif figurant dans le dossier des patients pour l'échange électronique, conformément à la directive 2011/24/UE relative aux soins transfrontaliers publiées en 2013<sup>85</sup>, et les orientations concernant l'ensemble de données des prescriptions électroniques pour l'échange électronique, conformément à la directive 2011/24/UE relative aux soins de santé transfrontaliers publiées en 2014<sup>86</sup>. Ces deux groupes d'orientations ont été révisés en 2016 et complétés par une orientation générale relative à l'échange électronique de données de santé conformément à la directive 2011/24/UE relative aux soins de santé transfrontaliers<sup>87</sup>. Il convient de souligner que ces orientations sont volontaires, ne sont pas contraignantes et sont considérées comme un ensemble de recommandations pour les États membres.

<sup>84</sup> Décision d'exécution de la Commission 2011/890/UE du 22 décembre 2011 arrêtant les règles relatives à la création, à la gestion et au fonctionnement du réseau d'autorités nationales responsables de la santé en ligne [2011] JO L 344/48

<sup>85</sup> Commission européenne, réseau « santé en ligne », « Guidelines on minimum/non-exhaustive patient summary dataset for electronic exchange » (2013)

<sup>86</sup> Commission européenne, réseau « santé en ligne », « Guidelines on ePrescriptions dataset for electronic exchange under the Cross-Border Directive 2011/24/EU » (2014)

<sup>87</sup> Commission européenne, réseau « santé en ligne », « General Guideline on the electronic exchange of health data under Cross -Border Directive 2011/24/EU » (2016)

Les orientations concernant l'ensemble de données des prescriptions électroniques s'appuient essentiellement sur les éléments de données inscrits dans la directive d'exécution 2012/52/UE pour la reconnaissance des prescriptions médicales établies dans un autre État membre<sup>88</sup> et dans la norme internationale ISO 17523 spécifiant les exigences applicables aux prescriptions électroniques.

Tout d'abord, le champ d'application des orientations concernant le dossier des patients pour les soins non programmés est décrit pour les soins d'urgence ou les soins non programmés transfrontaliers, tandis que l'article 3(2) prévoit la possibilité d'utiliser le dossier du patient dans d'autres situations, l'article 3 faisant référence à l'utilisation pour les patients atteints de maladies rares. Les éléments de données utilisés pour le dossier du patient se basent sur les projets epSOS et EXPAND, ainsi que sur quelques autres projets financés par l'Union européenne. Les deux orientations contiennent une description détaillée de l'ensemble des données recommandées, y compris sur les chapitres relatifs aux variables, les éléments de données individuelles, ainsi que les descriptions et les définitions respectives.

Le CEN (Comité européen de normalisation) a rassemblé et soutenu les travaux préparatoires des orientations concernant le dossier des patients dans le projet epSOS et l'adoption de ces mêmes orientations par le réseau « santé en ligne » par l'adoption du projet de norme européenne 17269 concernant le dossier des patients pour les soins transfrontaliers non programmés.

Parmi les prochaines étapes de ces travaux figure un projet de recommandation de la Commission visant à établir un format pour un échange européen de dossiers médicaux électroniques (DME). En outre, le CEN prévoit que la coordination normalisée par le CEN/TC 251 pour les prescriptions électroniques et les registres des patients et des professionnels sera bientôt assurée<sup>89</sup>. Ces registres sont déjà en cours de discussion par le réseau « santé en ligne ».

Enfin, dans la communication de 2018 intitulée « Permettre la transformation numérique des services de santé et de soins dans le marché unique numérique »<sup>90</sup>, la Commission européenne présente un plan pour soutenir les objectifs des conclusions du Conseil de 2017 sur la santé dans la société numérique<sup>91</sup>. L'accent est principalement mis sur la normalisation à la suite d'une consultation d'acteurs qui ont accordé la priorité (i) aux normes en matière de qualité des données, de fiabilité et de cyber sécurité, (ii) aux dossiers de santé informatisés et (iii) à l'interopérabilité grâce à des formats d'échange ouverts<sup>92</sup>.

En résumé, le programme européen de santé en ligne accorde une attention particulière à l'interopérabilité entre les États membres et aux possibilités d'échanges entre les compétences en utilisant des services de télémédecine. Cela semble raisonnable dans une perspective européenne où

---

<sup>88</sup> Directive d'exécution 2012/52/UE de la Commission du 20 décembre 2012 établissant des mesures visant à faciliter la reconnaissance des prescriptions médicales établies dans un autre État membre [2012] JO L 356/88

<sup>89</sup> CEN, CEN/TC251, Business Plan 2015-2018 – Executive Summary

<sup>90</sup> Communication de la Commission « Permettre la transformation numérique des services de santé et de soins dans le marché unique numérique ; donner aux citoyens les moyens d'agir et construire une société plus saine » ; COM (2018) 233 final

<sup>91</sup> Conclusions du Conseil 2017/C 440/05 sur la santé dans la société numérique — réaliser des progrès en matière d'innovation fondée sur les données dans le domaine de la santé, JO C 440

<sup>92</sup> N° 89, COM (2018) 233 final

Le mandat de la directive relative aux droits des patients concerne la facilitation des soins transfrontaliers, l'importance d'étendre les droits à la libre circulation dans le marché intérieur et le principe de subsidiarité. Cependant, les États membres et les prestataires de soins rencontrent toujours actuellement des difficultés à mettre en place les cadres de télémédecine et l'interopérabilité au sein de leurs propres systèmes de soins de santé et au sein des frontières organisationnelles elles-mêmes. À cet égard, le travail de l'Union européenne devrait mettre davantage l'accent sur ces questions d'ordre interne en vue du déploiement national à plus grande échelle de la télémédecine.

La normalisation officielle de la santé en ligne/télémédecine et de l'interopérabilité n'a pas encore été réalisée dans l'UE malgré l'évolution rapide des innovations numériques et l'énorme soutien de l'Union européenne à tous les niveaux pendant ces vingt dernières années. Cependant, le mandat limité du traité en matière de normalisation, l'opposition des acteurs et le cadre juridique disparate concernant la santé en ligne semblent avoir constitué des obstacles importants au déploiement à grande échelle de solutions de télémédecine interopérables. Outre la législation et la normalisation, des questions restent, encore aujourd'hui, sans réponse, à savoir :

- Qui finance les infrastructures de télémédecine ?
- Comment les services de télémédecine sont-ils remboursés, non seulement au niveau national, mais surtout pour les soins transfrontaliers ?
- Comment sont-ils associés ou intégrés dans la pratique des soins hautement spécialisés pour les maladies rares entre les experts et les patients ?

L'infrastructure du Réseau Européen de Référence n'a jusqu'à présent commencé à aborder ces problèmes que partiellement. Cependant, ces questions sont essentielles pour les patients atteints d'une maladie rare afin d'accéder plus facilement et plus largement à des traitements spécialisés dans toute l'Union européenne et indépendamment des frontières.

## 4 CONCLUSIONS

Au cours des vingt dernières années, de nombreuses actions politiques et un travail préparatoire aux niveaux national et européen ont permis de mettre les maladies rares à l'ordre du jour et de les porter à l'attention des organismes décisionnels, des professionnels de la santé et du grand public. Afin d'améliorer les soins et la situation des personnes atteintes d'une maladie rare, de nombreuses étapes importantes ont été franchies, telles que la mise en place de structures comme les Centres d'expertise nationaux et les Réseaux Européens de Référence ou encore la transposition de plans d'action nationaux pour les maladies rares. Cependant, beaucoup d'efforts sont encore nécessaires, tels que la création de registres pour les maladies rares ou le déploiement d'une codification des maladies rares à une échelle plus large, par exemple. De plus, une grande partie des initiatives lancées ces dernières années doivent encore prouver leur pertinence dans la pratique, car leur mise en œuvre est toujours en cours.

En ce qui concerne les possibilités d'accès aux soins de santé transfrontaliers, le cadre juridique est en place et pourrait fonctionner raisonnablement pour le grand public ou les procédures et les maladies courantes. Cependant, pour les soins relatifs aux maladies rares, il existe des problèmes pratiques et administratifs qui sont clairs et détaillés parce que la connaissance et l'expérience concernant ces maladies et ces états de santé sont inévitablement absentes ou très limitées. Afin de bénéficier de l'expertise existante sur les maladies rares dans les hôpitaux universitaires d'Aix-la-Chapelle, de Maastricht et de Liège dans l'Euregio Meuse-Rhin, un accord/système est nécessaire pour réduire les obstacles décrits pour une région restreinte, l'EMR, une population restreinte et les patients atteints d'une maladie rares. Cet accord permettrait de limiter raisonnablement la portée financière et administrative, mais aiderait à améliorer la situation des patients atteints d'une maladie rare. Les améliorations comprennent un accès aux services de proximité, une interaction avec les professionnels dans leur langue maternelle et une réduction des inégalités existantes par rapport aux maladies courantes. Parallèlement, lorsqu'aucune expertise n'est présente dans le pays de résidence, les organismes assureurs sont encouragés à chercher toutes les possibilités disponibles dans le cadre juridique existant afin de garantir aux patients un accès à l'expertise médicale transfrontalière.

Les services de télémédecine sont actuellement déployés à plus grande échelle uniquement aux Pays-Bas. En Allemagne, la télémédecine n'a été intégrée dans les soins standards que récemment, avec un nombre limité de services de téléservice remboursés. En Belgique, la télémédecine est actuellement placée en haut du programme politique, mais des applications et des services plus concrets doivent encore être développés. Même lorsqu'ils ne sont pas associés aux structures du Réseau européen de référence, les services de télémédecine transfrontalière seraient pertinents pour les patients atteints d'une maladie rare parce qu'ils pourraient leur donner accès à la meilleure expertise possible ainsi qu'aux traitements et aux diagnostics de pointe dans toute l'Europe. Cependant, les services de télémédecine transfrontalière n'en sont qu'à leurs débuts, avec quelques projets pilotes existants et de nombreuses questions juridiques, financières et pratiques encore non résolues pour un déploiement à plus grande échelle.

## 5 LISTE DES ABBREVIATIONS ET DES ACRONYMES

(par ordre alphabétique)

<b>ACHSE</b>	Alliance pour les maladies rares chroniques (Allemagne)
<b>ASLD</b>	Assurance de soins de longue durée (Allemagne)
<b>AWMF</b>	Association des sociétés médicales scientifiques (Allemagne)
<b>BMBF</b>	Ministère fédéral allemand de l'Éducation et de la Recherche
<b>BMG</b>	Ministère fédéral allemand de la Santé
<b>BZZ</b>	Plan belge pour les maladies rares
<b>CE</b>	Centres d'expertise
<b>CE</b>	Commission européenne
<b>CEAM</b>	Carte européen d'assurance maladie
<b>CEN</b>	Comité européen de normalisation
<b>CIM</b>	Classification statistique internationale des maladies et des problèmes de santé connexes
<b>CMMO</b>	Collège de médecins pour les Médicaments Orphelins (Belgique)
<b>CPMS</b>	Clinical Patient Management System
<b>CRM</b>	Commission de remboursement des médicaments
<b>CZV</b>	Collège des assurances soins de santé aux Pays-Bas ( <i>College voor Zorgverzekeringen</i> )
<b>DBC</b>	Système adapté de groupe homogène de malades aux Pays-Bas ( <i>Diagnose Behandeling Combinaties</i> )
<b>DG</b>	Direction générale, Commission européenne
<b>DG SANTÉ</b>	Direction générale de la santé et de la sécurité alimentaire, Commission européenne
<b>DPM</b>	Dossier patient multidisciplinaire informatisé (Belgique)
<b>EM</b>	État membre de l'UE
<b>EMA</b>	Agence européenne des médicaments
<b>EMR</b>	Euregio Meuse-Rhin
<b>ERN</b>	Réseaux européens de référence
<b>ETS</b>	Évaluation des technologies de la santé
<b>EUCERD</b>	Comité d'experts de l'Union européenne dans le domaine des maladies rares
<b>EUROPLAN</b>	Projet européen d'établissement des plans nationaux de lutte contre les maladies rares
<b>Eurostat</b>	Office statistique de l'Union européenne
<b>FSS</b>	Fonds spécial de solidarité
<b>GHM</b>	Groupes homogènes de malades
<b>INAMI</b>	Institut national d'assurance maladie-invalidité (Belgique)
<b>IZOM</b>	<i>Integratie Zorg op Maat</i> (les soins de santé sur mesure) <u>convention transfrontalière</u>
<b>LDPC</b>	Lignes directrices de pratique clinique
<b>MG</b>	Médecin généraliste
<b>MR</b>	Maladies rares
<b>NAMSE</b>	Collectif d'action pour les personnes atteintes d'une maladie rare (Allemagne)
<b>NGS</b>	Séquençage de nouvelle génération ( <u>next-generation sequencing</u> )
<b>NL</b>	Pays-Bas
<b>NPZZ</b>	Plan national néerlandais pour les maladies rares ( <u>Pays-Bas</u> )
<b>OCDE</b>	Organisation de coopération et de développement économiques

Rare diseases do not stop at borders

<b>OMP</b>	Médicaments orphelins ( <i>Orphan Medical Product</i> )
<b>OMS</b>	Organisation mondiale de la santé
<b>ONU</b>	<a href="#">Organisation des Nations unies</a>
<b>Orphanet</b>	Réseau de 37 pays fournissant des informations sur les <del>MR</del> <u>maladies rares</u> et les médicaments orphelins
<b>PAN</b>	Plans d'action nationale <del>ux</del>
<b>PCN</b>	Point de contact national
<b>RadiOrg</b>	Rare Diseases Belgium – <u>association de patients</u>
<b>ISP</b>	Institut scientifique de santé publique ( <u>maintenant Sciensano</u> ) (Belgique)
<b>SLD</b>	Soins de longue durée
<b>SPF</b>	Service public fédéral (Belgique)
<b>TFEU</b>	Traité sur le fonctionnement de l'Union européenne
<b>TIC</b>	Technologies de l'information et de la communication
<b>UE</b>	Union européenne
<b><u>USIP (PICU)</u></b>	Unité de soins intensifs pédiatriques ( <i>Pediatric Intensive Care Unit</i> )
<b>VSOP</b>	Association nationale des patients atteints de maladies rares et génétiques (Pays-Bas)
<b>ZIN</b>	<i>Zorginstituut Nederland</i> ( <u>institut de santé des Pays-Bas</u> )
<b>ZIPSE</b>	<i>Zentrales Informationsportal über seltene Erkrankungen</i> (portail central d'information pour les maladies rares) <del>en</del> (Allemagne)
<b>ZonMw</b>	Organisation <del>néerlandaise</del> pour la recherche et le développement dans le domaine de la santé ( <u>Pays-Bas</u> )

## 6 BIBLIOGRAPHIE

Aymé, S. & Schmidtke, J. (2007). Networking for rare diseases: a necessity for Europe. *Bundesgesundheitsbl.* 50, 1477–1483.

Geiger, B., Garthwaite, K., Warren, J., and Bamba, C. (2017). Assessing work disability for social security benefits: international models for the direct assessment of work capacity, *Disability and Rehabilitation* ;40(24):2962-2970.

Busse R. & Blümel M. (2014) Germany: health system review. *Health Systems in Transition*, 2014, 16(2):1–296. Copenhagen: World Health Organization 2014 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Callens, S. (2010). The EU legal framework on e-health in Mossialos, E., Permanand, G., Baeten, R., & Hervey, T. K. (Eds.). (2010). *Health Systems Governance in Europe - The Role of European Union Law and Policy*. Cambridge: Cambridge University Press, pp.561-588.

Centrum Indicatiestelling Zorg (CIZ). (2018) Beleidsregels indicatiestelling Wet langdurige zorg (Wlz) 2018 (Policy rules assessment Long Term Care Act 2018). Retrieved from [https://www.ciz.nl/images/pdf/beleidsregels/Beleidsregels\\_indicatiestelling\\_Wlz\\_2018.pdf](https://www.ciz.nl/images/pdf/beleidsregels/Beleidsregels_indicatiestelling_Wlz_2018.pdf).

Crico et al. (2018). mHealth and telemedicine apps: in search of a common regulation. *ecancer*, 12:853.

De Bruycker, S. ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Belgium.

Den Exter, A. (2017). eHealth challenges under EU law in A. den Exter (ed.), *EU Law and Patient Mobility* (2017), Rotterdam: Erasmus University Press.

Espin et al. (2016). How can voluntary cross-border collaboration in public procurement improve access to health technologies in Europe? Policy Brief 21. Copenhagen: World Health Organization 2016 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

SPF Santé publique (2013) Plan belge pour les Maladies Rares. Bruxelles

Gerkens S. & Merkur S. (2010) Belgium: Health system review. *Health Systems in Transition*, 12(5):1–266. Copenhagen: World Health Organization 2010 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies)

Gerlinger, T. (2018), ESPN Thematic Report on Challenges in Long-Term Care Germany. Brussel: European Commission

Greer et al. (2014). Everything you always wanted to know about European Union health policies but were afraid to ask. Copenhagen: World Health Organization 2014 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Hoorneman, W., de Vrey, R., Essink, B. & A Chistyakova, 2015 Distribution and marketing of drugs in The Netherlands: overview. *Thomson Reuters Practical Law*. Retrieved from [https://uk.practicallaw.thomsonreuters.com/5-618-5575?transitionType=Default&contextData=\(sc.Default\)&firstPage=true&bhcp=1](https://uk.practicallaw.thomsonreuters.com/5-618-5575?transitionType=Default&contextData=(sc.Default)&firstPage=true&bhcp=1)

Kautsch et al. (2017). Setting the scene for the future: implications of key legal regulations for the development of e-health interoperability. *Int J Health Plann Mgmt*; 32:637-652,

Kelders Y & de Vaan, K (2018) ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Netherlands, Brussels: European Commission

Kroneman M., Boerma W., van den Berg M., Groenewegen P., de Jong J., van Ginneken E. (2016). The Netherlands: health system review. *Health Systems in Transition*, 2016; 18(2):1–239. Copenhagen: World Health Organization 2016 (acting as the host organization for, and secretariat of, the European Observatory on Health Systems and Policies).

Moliner, A. M., & Waligóra, J. (2013). The European union policy in the field of rare diseases. *Public Health Genomics*, 16(6), 268-277.

Pacolet J & De Wispelaere, F. (2018). ESPN Thematic Report on Challenges in long-term care Belgium 2018, Brussels: European Commission.

Raposo, V. (2016). Telemedicine: the legal framework (or lack of it) in Europe. *GMS Health Techn Assess*; 12:Doc03.

Rodwell C. & Aymé S. (eds) (2014) 2014 Report on the State of the Art of Rare Disease Activities in Europe, July 2014, part V. Retrieved from <http://www.eucerd.eu/upload/file/Reports/2014ReportStateofArtRDActivitiesV.pdf>

Rodwell, C., & Aymé, S. (2015). Rare disease policies to improve care for patients in Europe. *Biochimica et Biophysica Acta (BBA)-Molecular Basis of Disease*, 1852(10), 2329-2335.

Sauter, W. (2011) Harmonisation in healthcare: the EU patients' rights Directive. TILEC Discussion Paper No 2011-030.

Schott D, A, Gerver W, J, M, Stumpel C, T, R, M. (2017). Growth Hormone Therapy in Children with Kabuki Syndrome: 1-year Treatment Results. *Horm Res Paediatr*; 88:258-264.

Schott D.A. Stumpel, C, T, R, M. & Klaassens, M (2019) Hypermobility in individuals with Kabuki syndrome: The effect of growth hormone treatment. *Am J Med Genet.*2019;179A:219–223.

Schröttle, M., Anders, P., Sarkissian, H., C Pierl, C. (2018). ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Germany.

Smits, J. (2018). ANED 2017-18 – Disability assessment – Country report Netherlands.

Spanjer, J., Brouwer, S., and Groothoff, J. (2010). Instruments used to assess functional limitations in workers' compensation claimants: a systematic review, in Spanjer, J. (2010), The disability assessment structured interview: its reliability and validity in work disability assessment, University Medical Centre Groningen, University of Groningen

Straetemans, S., Schott, D. A., Plasqui, G., Dotremont, H., Gerver-Jansen, A. J. G. M., Verrijken, A., Westerterp, K., Zimmermann, L. J. I., & Gerver, W-J. M. (2019). Effect of growth hormone treatment on energy expenditure and its relation to first-year growth response in children. *European Journal of Applied Physiology*, 119(2), 409-418.

Stroetmann et al. (2012). Legal challenges on the road towards interoperable eHealth Solutions in Europe. *EJBI*, 8(2):3-10, p.5

Taruscio, D., Gentile, A. E., De Santis, M., Ferrelli, R. M., De La Paz, M. P., Hens, M. & Weinman, A. (2013). EUROPLAN: a project to support the development of national plans on rare diseases in Europe. *Public Health Genomics*, 16(6), 278-287.

Taruscio, D., Gentile, A. E., Evangelista, T., Frazzica, R. G., Bushby, K., & Montserrat, A. M. (2014). Centres of Expertise and European Reference Networks: key issues in the field of rare diseases. The EUCERD Recommendations. *Blood Transfusion*, 12(Suppl 3), s621.

VWS. (2013). Strategy of the Netherlands in the field of rare diseases. The Hague: Ministry of Health, Welfare and Sport. Extrait le 16 juin 2018 de

<https://www.government.nl/documents/reports/2013/01/24/strategy-of-the-netherlands-in-the-field-of-rare-diseases>

Waddington, L. (2018) Disability Assessment in European States ANED Synthesis Report. European Commission. Extrait de

[https://sid.usal.es/idocs/F8/FDO27447/ANED\\_2017\\_18\\_Disability\\_assessment\\_synthesis\\_report.pdf](https://sid.usal.es/idocs/F8/FDO27447/ANED_2017_18_Disability_assessment_synthesis_report.pdf)

ZonMw. (2013). Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. Extrait le 8 mai 2018 de <http://www.nfu.nl/img/pdf/nationaal-plan-zeldzame-ziekten.pdf>