

Rare Disease Day, 6 mars 2021, Berne

Speaking Note de Madame Anne Lévy, directrice de l'Office fédéral de la santé publique

La version orale fait foi

Chère Madame,

Mesdames, Messieurs,

Je vous remercie vivement de votre invitation au *Rare Disease Day*, qui se déroule cette année dans des circonstances particulières. Je suis heureuse que vous ayez pu organiser cette manifestation importante malgré les contraintes imposées par la pandémie. J'ai ainsi l'occasion de mieux connaître votre communauté et d'en apprendre davantage sur les maladies rares.

L'élan dont font preuve les patients et votre organisation faitière convainc et motive. Je note que ProRaris, en collaboration avec les différents acteurs des soins de santé, de l'administration publique et de la recherche, a réalisé des progrès considérables dont bénéficieront les personnes concernées. Ces dix dernières années ont été marquées par de grandes avancées dans le

domaine des maladies rares ; cela me rend optimiste.

Permettez-moi de rappeler brièvement les développements positifs les plus récents.

- Comme vous l'avez entendu ce matin, l'association Coordination nationale des maladies rares (kosek) fait preuve de dynamisme. En 2020, elle a pu publier une première liste comprenant six centres de diagnostic reconnus. Elle examine actuellement d'autres requêtes. Les deux projets pilotes impliquant les centres de référence pour les maladies neuromusculaires et les troubles du métabolisme rares, ainsi que les réseaux associés, sont en bonne voie. Un plus grand nombre de centres pourront postuler ces prochaines années. On se rapprochera ainsi nettement des objectifs fixés dans le cadre du concept national maladies rares : accélérer l'établissement du diagnostic et améliorer à long terme les soins dispensés dans les centres spécialisés.
- L'Office fédéral de la santé publique se

réjouit d'avoir pu accorder en septembre 2020 une aide financière au Registre suisse des maladies rares, en vertu de la loi sur l'enregistrement des maladies oncologiques. Cette aide s'élève à 250 000 francs par an sur une période de cinq ans, de 2020 à 2024. Ce registre constituera une base solide pour le développement futur des connaissances épidémiologiques. Les registres peuvent soutenir la recherche sur le développement et le déroulement des maladies, le traitement et les soins. Ils aident à recruter des participants aux études et facilitent l'analyse des données sur la recherche et les soins. Des patients pourront participer à des études menées en Suisse et à l'étranger. J'espère naturellement que vous pourrez me communiquer des résultats positifs lors du prochain *Rare Disease Day*. Il va de soi que l'ensemble des informations seront recueillies dans le respect de la protection des données et seront collectées uniquement avec le consentement des patients. Il ne fait aucun doute que ce registre contribuera de manière déterminante à améliorer les soins.

- Passons maintenant à la mise à jour de la liste des infirmités congénitales par l'Office fédéral des assurances sociales (OFAS), qui fait également partie du concept national maladies rares. L'actualisation de la liste s'est achevée en 2020. ProRaris, en sa qualité de membre du groupe d'accompagnement de l'OFAS, a représenté les intérêts des patients. Il est notamment prévu d'intégrer des maladies rares dans cette liste et de désormais faire prendre en charge leurs coûts de traitement par l'assurance-invalidité. La mise à jour régulière de la liste sera simplifiée, et les critères d'admission des infirmités congénitales dans la liste seront dorénavant précisés dans le règlement sur l'assurance-invalidité (RAI). L'OFAS prévoit que le Conseil fédéral fasse entrer cette liste en vigueur en 2022.
- Je tiens ici à souligner que ProRaris, en tant que représentant des patients, a directement contribué aux succès mentionnés précédemment. À mon sens, la prise en considération étroite des personnes

concernées a facilité l'élaboration de solutions applicables à long terme. Votre engagement sert de référence pour d'autres domaines de la politique sanitaire. Je ne saurais donc vous en être assez reconnaissante.

Les défis ne manquent pas, et nous allons devoir les relever. Dans ce but, le Conseil fédéral a publié à la mi-février un rapport intitulé « *Bases légales et cadre financier visant à garantir la fourniture des soins dans le domaine des maladies rares* ». Le rapport dépeint la situation actuelle et présente les défis concrets et les possibilités pour agir. Il aborde cette question sous l'angle de la prise en charge, de la rémunération, de la formation initiale, postgrade et continue, de la recherche, de l'information et des contacts à l'échelle internationale, des thèmes déjà pris en compte dans le concept national maladies rares de 2014.

Le Conseil fédéral accorde une importance particulière aux options qui encouragent à créer des structures de prise en charge spécialisées ainsi qu'à préparer et diffuser des informations aux personnes concernées et aux professionnels de la

santé.

Nous l'avons déjà évoqué : la désignation des structures de prise en charge spécialisées sous la direction de la kosek est en cours. Nous avons entendu les critiques du rapport et nous les prendrons en compte. Mais nous restons confiants quant à l'aboutissement de ce processus basé sur le volontariat. Il s'agit maintenant de progresser le plus possible sur la base de ce rapport. Je serais très heureuse de constater dans cinq ans que la durée pour obtenir un diagnostic correct a été nettement réduite et que la très grande majorité des personnes concernées sont satisfaites de leurs soins.

En matière d'information, l'OFSP, la Conférence suisse des directrices et directeurs cantonaux de la santé (CDS), ProRaris et la kosek travaillent depuis longtemps à un guide d'orientation efficace. Il sera publié sur Internet. Le besoin en informations facilement accessibles des professionnels de la santé et des personnes atteintes de maladies rares est avéré. Et il ne se limite pas aux aspects purement médicaux. Il faut également indiquer les points de contact pour obtenir des conseils sur les

questions juridiques, administratives et sociales ainsi que sur les questions liées à la formation et à la profession. À ce sujet, le rapport du Conseil fédéral constate que les organisations de patients ne disposent pas de ressources financières suffisantes pour assurer l'élaboration et la diffusion d'informations fiables et pratiques. En outre, l'expertise des organisations de patients est indispensable si l'on veut dispenser des soins efficaces. Le Conseil fédéral propose donc d'examiner si et comment une base légale doit être créée pour financer l'activité d'information et de conseil fournie par les organisations de patients.

Quelques mots encore sur la prise en charge des médicaments utilisés « hors étiquette », une situation courante dans le cas des maladies rares. Le régime de l'assurance-maladie obligatoire n'impose pas la prise en charge de tels médicaments. Toutefois, le corps médical peut déposer des demandes de prise en charge de médicaments dans des cas particuliers. Les assureurs sont ensuite libres d'examiner ces demandes et de décider s'il y a lieu, au sens des articles 71a-71d de l'ordonnance sur l'assurance-maladie, de rembourser ces médicaments. L'Office

fédéral de la santé publique s'est à nouveau penché sur ces articles et a communiqué les résultats de son évaluation en décembre 2020. Il reste d'avis que la prise en charge des médicaments essentiels dans des cas particuliers est une composante importante des soins apportés à la population suisse. L'évaluation a aussi montré qu'il était nécessaire d'agir dans ce domaine. L'Office fédéral de la santé publique prévoit donc, en collaboration avec les acteurs concernés, de mettre en œuvre des mesures concrètes et propose de réviser les dispositions légales correspondantes. Son objectif est d'uniformiser l'évaluation et d'accroître l'efficacité.

Ma brève intervention ne me permet d'aborder qu'un nombre restreint de thèmes. Dans votre travail quotidien, beaucoup d'entre vous œuvrent à améliorer la situation des personnes atteintes de maladies rares. Soyez-en chaleureusement remerciés. Les maladies rares sont un thème important, d'autant plus que l'égalité des chances fait partie des priorités de la stratégie Santé2030 du Conseil fédéral.

Je me réjouis de poursuivre la collaboration

constructive avec vous à l'avenir. Je vous remercie de votre attention et vous souhaite une fin d'après-midi des plus instructives.