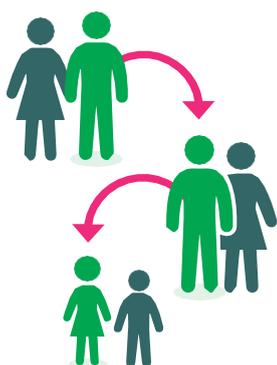


## Améliorer l'accès aux soins et aux traitements pour les patients et les familles atteints de la maladie de Huntington

À la suite d'une table ronde virtuelle sur les politiques de santé organisée le 3 décembre 2020 par l'Association Européenne Huntington (EHA) et la Fédération Européenne des Associations Neurologiques (EFNA) avec le soutien financier de Roche, les organisations et parties prenantes suivantes appellent à poursuivre l'action européenne et nationale pour améliorer la qualité des soins et des traitements pour les personnes vivant avec la maladie de Huntington. Le soutien des décideurs politiques aux niveaux national et international est crucial pour permettre de prendre les mesures nécessaires pour améliorer la qualité de vie des personnes touchées par la maladie de Huntington. Cette déclaration consensuelle énonce un certain nombre de recommandations où l'action multipartite pourrait aider à surmonter certains des principaux défis auxquels sont confrontées les personnes touchées par la maladie de Huntington.



### À propos de la maladie de Huntington



La maladie de Huntington est une maladie rare, génétique, neurodégénérative et finalement mortelle qui a un impact dévastateur sur les familles à travers les générations. Vivre avec la maladie de Huntington s'accompagne d'un certain nombre de défis de santé et de société, y compris de graves symptômes aux multiples facettes, d'une invalidité de longue durée, d'une lutte contre la stigmatisation, d'un isolement social, d'une perte de revenus et de soutien social et d'une augmentation de la charge de soins pour les familles, pour n'en citer que quelques-uns.

Il y a un manque de compréhension de la maladie de Huntington chez les professionnels de la santé, de nombreux patients luttant pour recevoir les soins dont ils ont besoin et recevant parfois des informations erronées de la part des professionnels de la santé. En outre, les opinions varient sur les meilleures pratiques dans la maladie de Huntington, étant donné les nombreuses approches différentes en matière de soins et de traitement d'un pays à l'autre, tant en Europe qu'à l'échelle mondiale.

Il est clair que des changements sont nécessaires au sein des systèmes de soins de santé pour soutenir un meilleur accès aux soins et aux traitements pour les patients atteints de la maladie de Huntington. L'amélioration des connaissances des professionnels de la santé et des services sociaux, ainsi qu'une approche multidisciplinaire et holistique des soins et des traitements sont essentielles pour combler les lacunes actuelles. Pour combler ces lacunes, nous avons besoin de patients et de soignants bien informés et activés; une compréhension de l'endroit où accéder au soutien pour les patients et les familles; des possibilités de



participation des utilisateurs; combinant le soutien à la santé physique, au bien-être mental et les contacts sociaux; et, surtout, nous devons lutter contre la stigmatisation qui entoure cette communauté de patients.

Il est primordial d'accélérer la recherche sur les traitements de la maladie de Huntington et d'autres maladies neurodégénératives. En outre, les méthodes de mesure des fonctions cognitives et des symptômes non moteurs, tels que le contrôle émotionnel, doivent être améliorées. Un autre facteur qui a un impact significatif sur la qualité de vie des patients atteints de la maladie de Huntington et de leurs familles est la santé mentale, un domaine dans lequel la recherche est actuellement très insuffisante. Les programmes de recherche et d'innovation de l'UE, tels qu'Horizon Europe, peuvent être mis à profit pour soutenir ce type de recherche en réunissant l'expertise de tous les États membres de l'UE pour améliorer la façon dont les soins sont dispensés et la façon dont la recherche pour les maladies rares est menée.

En outre, des défis subsistent autour de l'accès des patients aux médicaments pour les maladies rares, avec des inégalités d'accès majeures entre l'Europe de l'Est/Ouest et l'Europe du Nord/Sud. Le marché européen est fragmenté par de multiples processus HTA (« Health Technology Assessments »), de tarification et de remboursement. En général, aucun pays n'a suffisamment de connaissances sur les maladies rares pour les évaluer par lui-même. Nous devons coordonner les efforts visant à renforcer l'accent mis sur la recherche, de meilleurs essais cliniques, un dialogue précoce sur la valeur des thérapies et une discussion conjointe sur l'HTA au niveau européen.

Le regain d'élan de l'UE en matière de politique de santé à la suite du COVID-19 et les récentes propositions visant à construire une Union Européenne de la santé sont des signaux encourageants pour la communauté des maladies rares. Nous devons tirer parti de cet élan pour nous assurer d'améliorer la prestation de services de santé aux patients atteints de la maladie de Huntington, et aux patients atteints de maladies rares en général, dans toute l'UE. Une étroite collaboration entre les décideurs et les autres parties prenantes sera essentielle pour y parvenir.

La Stratégie pharmaceutique pour l'Europe, publiée en novembre 2020, touche à de nombreux domaines où une coopération accrue est nécessaire, notamment les données, la transparence des coûts et des prix, et l'achat conjoint de thérapies à coût élevé. La Stratégie a beaucoup de potentiel, mais il sera important que les initiatives qu'elle inclut soient réellement liées entre elles pour parvenir à un traitement meilleur et plus abordable tout en veillant à ce que l'Europe reste à l'avant-garde de l'innovation dans le domaine de la santé.

Dans la phase de rétablissement post-COVID-19, nous devons donner une voix aux maladies qui n'ont pas reçu l'attention qu'elles méritent au cours des dernières années et veiller à ce qu'elles ne soient pas éclipsées par la pandémie, mais plutôt que les patients atteints de maladies rares soient au centre de la phase de rétablissement et au-delà.

Certaines des leçons tirées de la pandémie covid-19 s'appliquent à la gestion des maladies rares, y compris la lutte contre les inégalités en matière de santé qui persistent dans toute l'UE. Cette crise sanitaire a mis en lumière l'état des systèmes de santé essentiels et a ouvert le champ des possibilités avec la télémédecine, l'augmentation des investissements dans les soins de santé et l'accélération des essais cliniques, entre autres. Cela devrait maintenant devenir une réalité dans d'autres domaines de la santé, y compris les maladies rares.



## Appels à l'action



# 1 COMBLER LES LACUNES EN MATIÈRE DE SOINS ET DE TRAITEMENT POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE LA MALADIE DE HUNTINGTON

### Actions au niveau national:

#### Intégration des réseaux de référence européens dans les systèmes de santé nationaux

Pour mettre en œuvre les changements nécessaires pour soutenir les personnes vivant avec la maladie de Huntington, nous avons besoin que les États membres de l'UE intègrent les réseaux de référence européens (ERN) dans leurs stratégies en matière de maladies rares.

Cela permettra de faire en sorte que les ERN deviennent un point d'accès centralisé pour les patients et d'assurer l'harmonisation de l'information et des normes de soins entre les États membres.

#### Partager une expertise spécifique aux maladies par l'intermédiaire des réseaux de référence européens.

Les États membres de l'UE doivent être plus proactifs, augmenter les ressources pour leurs membres de l'ERN et organiser des réseaux nationaux pour permettre à l'expertise de passer de l'ERN au patient et vice versa. Les États membres devraient partager les meilleures pratiques pour veiller à ce que les solutions soient mises en œuvre efficacement dans toute l'Europe.

#### Adoption de lignes directrices internationales sur la maladie de Huntington.

Le Réseau européen de référence pour les maladies neurologiques rares (ERN-RND) a publié des Lignes directrices internationales pour le traitement de la maladie de Huntington. Ces lignes directrices internationales devraient être approuvées et adoptées par toutes les autorités sanitaires nationales et devraient constituer une orientation pour le développement des services. Cela permettrait d'assurer la cohérence et l'accès à des soins et à un soutien multidisciplinaires de haute qualité pour toutes les personnes touchées par la maladie de Huntington.

**Assurer une approche multidisciplinaire des soins.** Étant donné qu'aucun traitement modificateur ou curatif de la maladie n'est encore disponible pour la maladie de Huntington, il est crucial de se concentrer sur la gestion des symptômes et l'amélioration de la qualité de vie. Cela comprend le traitement des symptômes psychiatriques, la physiothérapie, la prise en charge nutritionnelle, le soutien psychologique, l'ergothérapie, entre autres. L'accès à ces options est très variable dans différents pays et de nombreux patients n'y ont qu'un accès limité ou nul. Le soutien d'équipes multidisciplinaires est également essentiel et les lignes directrices internationales de l'ERN-RND sur la maladie de Huntington, reflétant cette maladie, devraient être adoptées dans tous les pays européens afin de garantir aux patients l'accès aux soins de haute qualité dont ils ont besoin.



### Actions au niveau de l'UE:

**Optimiser les programmes de formation des professionnels de la santé et les programmes de bourses/échanges.** Les ERN vont au-delà de la coopération clinique; ils peuvent également offrir des activités de formation professionnelle pour partager les connaissances des experts et offrir aux jeunes professionnels une formation approfondie. Des mesures devraient être prises pour s'assurer que ces possibilités de formation atteignent le plus grand nombre possible de professionnels de la santé. Les ERN devraient également être des points focaux de recherche et d'échanges avec les patients et les représentants des patients.

**Mise en œuvre de cadres juridiques pour les services fournis par European Reference Networks.** La COVID-19 a mis en évidence l'importance des cadres juridiques pour les graves menaces transfrontalières pour la santé et l'importance de renforcer la position de l'ECDC et de l'EMA. Pour les patients atteints de la maladie de Huntington, nous avons également besoin de cadres juridiques pour les services fournis, par exemple, en élaborant un programme éducatif pour attirer un plus grand nombre d'experts sur les maladies rares.





## 2

### S'ASSURER QUE LES PRIORITÉS DE RECHERCHE ONT LES PATIENTS À L'ESPRIT

*Actions au niveau de l'UE:*

#### Améliorer la participation des patients à la R&D.

Les patients atteints de la maladie de Huntington et leurs soignants devraient participer activement à la recherche pour s'assurer que leur voix est incluse. Habituellement, la recherche est exécutée dans des populations facilement accessibles avant d'examiner comment les populations réelles réagissent aux traitements. En améliorant la participation à la recherche d'une variété de patients atteints de la maladie de Huntington, les meilleurs résultats de recherche possibles peuvent être assurés. Les programmes européens de recherche et d'innovation, y compris Horizon Europe et l'Initiative pour une santé innovante, devraient garantir une participation significative des patients.

#### Tirer parti des programmes européens de recherche et d'innovation

Nous devons saisir les opportunités de recherche sur la maladie de Huntington dans le cadre de programmes européens de recherche et d'innovation, tels qu'Horizon Europe. Ces programmes devraient inclure des appels à la recherche qui offrent des opportunités pour la recherche sur la maladie de Huntington, y compris des appels autour des maladies rares et de la neurologie, ainsi que des besoins non satisfaits des patients.

## 3

### AMÉLIORER L'ACCÈS DES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES AU TRAITEMENT EN ENCOURAGEANT LA COOPÉRATION À L'ÉCHELLE DE L'UE EN MATIÈRE D'HTA ET DE TARIFICATION ET DE REMBOURSEMENT

*Action de l'UE et du niveau national :*

Améliorer l'HTA, les prix et les processus de remboursement dans toute l'UE pour un accès meilleur et plus égalitaire aux traitements contre les maladies rares.

Pour lutter contre les inégalités d'accès aux traitements contre les maladies rares dans toute l'UE, nous avons besoin d'une meilleure coopération. Les États membres de l'UE devraient s'employer à parvenir à un accord sur l'évaluation conjointe de l'HTA en Europe. L'UE devrait fournir une plate-forme pour un dialogue précoce sur la valeur des thérapies impliquant tous les États membres.

## 4

### TIRER PARTI DE LA REPRISE DE L'ÉLAN DE L'UE EN MATIÈRE DE POLITIQUE DE SANTÉ

*Actions au niveau de l'UE*

Garantir concrètement que la stratégie pharmaceutique pour l'Europe conduise à un accès meilleur et plus équitable au traitement pour les patients atteints de maladies rares dans toute l'UE. L'UE doit veiller à ce que les initiatives énoncées dans la stratégie pharmaceutique soient exécutées efficacement pour améliorer la coopération de l'UE, y compris, entre autres, une proposition législative sur un espace européen de données sur la santé et des mesures non législatives, telles que des lignes directrices, pour améliorer la transparence des coûts.

*Action de l'UE et du niveau national :*



Plaider pour que les gouvernements des États membres soutiennent le développement d'une forte Union Européenne de la Santé

Pour que les propositions de construction d'une Union européenne de la santé soient couronnées de succès, tous les États membres doivent être à bord. Toutes les associations d'intervenants qui ont un intérêt direct dans une Union européenne de la santé forte, dans laquelle tous les pays de l'UE travaillent ensemble pour mieux protéger la santé des citoyens et améliorer le traitement, devraient veiller à ce que leurs voix soient entendues au niveau national et plaider pour que les gouvernements des États membres acceptent de faire partie de l'Union européenne de la santé.

Participation active des groupes de patients et engagement avec les décideurs politiques pour s'assurer que la maladie de Huntington ait une plus grande visibilité sur l'ordre du jour des politiques aux niveaux régional et national

Les décideurs ont besoin des avis et commentaires des représentants de patients pour s'assurer qu'ils se battent pour des politiques qui répondent aux besoins de tous. Les groupes de patients doivent assurer une forte présence auprès des décideurs politiques aux niveaux européen et national afin de sensibiliser la population à la maladie de Huntington et veiller à ce que la perspective des patients atteints de la maladie de Huntington soit intégrée dans les politiques et initiatives pertinentes.

## 5

# PLACER LES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES AU CENTRE DU RÉTABLISSEMENT POST-COVID-19



### Actions au niveau national:



Mettre en œuvre des stratégies nationales pour les maladies rares qui comprennent des mesures spécifiques pour améliorer le traitement, les soins et le soutien à toutes les personnes touchées par la maladie de Huntington, y compris les patients, les familles et les soignants

Des stratégies nationales actualisées en matière de maladies rares constituent une étape importante pour améliorer les soins aux maladies rares dans chaque pays. Tous les États membres de l'UE devraient adopter et mettre en œuvre une stratégie nationale sur les maladies rares, y compris des mesures et des objectifs spécifiques sur la maladie de Huntington. Des stratégies nationales sont nécessaires pour l'élaboration d'une stratégie européenne.

Accroître les investissements dans les systèmes de soins de santé nationaux afin d'accroître la capacité et la résilience et de veiller à ce que tous les patients atteints de maladies rares puissent accéder aux soins dont ils ont besoin. Les États membres de l'UE doivent tirer les leçons de la pandémie covid-19 et continuer d'accroître leurs investissements dans leurs systèmes de soins de santé afin de s'assurer qu'ils sont robustes et qu'ils ont une capacité suffisante pour fournir d'excellents soins et un soutien à toutes les personnes touchées par une maladie rare, y compris en cas de pandémies futures.

### Actions au niveau de l'UE:

#### Renforcer les Réseaux de Référence Européens ERN.

Le nouveau programme EU4Health devrait être utilisé pour intensifier les réseaux de référence européens, notamment par le biais d'un financement et d'une intégration plus durables dans les filières de soins standard, et pour soutenir les registres des maladies au niveau européen, ou les alliances de registres nationaux avec des ensembles de données communs. Le cadre juridique de l'UE sur les soins de santé transfrontaliers devrait être renforcé pour soutenir le développement ultérieur des ERN.

# Synthèse des appels à l'action

## 1 COMBLER LES LACUNES EN MATIÈRE DE SOINS ET DE TRAITEMENT POUR LES PATIENTS ATTEINTS DE LA MALADIE DE HUNTINGTON

- Intégration des réseaux de référence européens dans les systèmes de santé nationaux
- Partager une expertise spécifique aux maladies rares à travers les réseaux de référence européens
- Adoption de lignes directrices internationales sur la maladie de Huntington
- Assurer une approche multidisciplinaire des soins aux patients atteints de la maladie de Huntington
- Optimiser les programmes de formation des professionnels de santé et les programmes de bourses/échanges
- Mise en œuvre de cadres juridiques pour les services fournis par les réseaux de référence européens

## 2 VEILLER À CE QUE LES PRIORITÉS DE RECHERCHE TIENNENT COMPTE DES PATIENTS

- Améliorer la participation des patients à la R&D
- Tirer parti des programmes européens de recherche et d'innovation

## 3 AMÉLIORER L'ACCÈS DES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES AU TRAITEMENT EN ENCOURAGEANT LA COOPÉRATION À L'ÉCHELLE DE L'UE EN MATIÈRE D'HTA ET DE TARIFICATION ET DE REMBOURSEMENT

- Améliorer les processus d'HTA, de tarification et de remboursement dans toute l'UE pour un accès meilleur et plus équitable aux traitements des maladies rares

## 4 TIRER PARTI DE LA REPRISE DE L'ÉLAN DE L'UE EN MATIÈRE DE POLITIQUE DE SANTÉ

- Garantir concrètement que la stratégie pharmaceutique pour l'Europe conduise à un meilleur accès au traitement pour les patients atteints de maladies rares dans toute l'UE
- Plaider pour que les gouvernements des États membres soutiennent le développement d'une Union européenne de la santé forte
- Participation active des groupes de patients auprès des décideurs politiques pour s'assurer que la maladie de Huntington aie une plus grande visibilité à l'agenda des politiques aux niveaux régional et national

## 5 PLACER LES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES AU CENTRE DU RÉTABLISSEMENT POST-COVID-19

- Mise en œuvre de stratégies nationales sur les maladies rares qui comprennent des mesures spécifiques pour améliorer le traitement, les soins et le soutien à toutes les personnes touchées par la maladie de Huntington, y compris les patients, les familles et les soignants
- Accroître les investissements dans les systèmes de santé nationaux afin d'accroître la capacité et la résilience et de veiller à ce que tous les patients atteints de maladies rares puissent accéder aux soins dont ils ont besoin
- Renforcer les réseaux de référence européens

### APPROUVÉ PAR:

SIRPA PIETIKÄINEN  
Member of the European  
Parliament EPP (Finland)

MARISA MATIAS  
Member of the European  
Parliament GUE/NGL (Portugal)



 Network  
Neurological Diseases  
(ERN-RND)

AVEC LE SOUTIEN DE EURORDIS :

