

BONNE SANTÉ ET BIEN-ÊTRE

Responsables des objectifs :

Michela Gabaldo, Fondazione Telethon
Holm Graeßner, ERN RND et Université
de Tübingen
Victoria Hedley, Rare 2030 et Université
de Newcastle-upon-Tyne
Elizabeth Vroom, Fondation Globale
Duchenne et EURORDIS

Avec le soutien de:

Matt Bolz-Johnson, EURORDIS
Inés Hernando, EURORDIS

Description de l'objectif

Donner les moyens de vivre une vie saine et promouvoir le bien-être de toutes les personnes atteintes d'une maladie rare, à tout âge.

Le 3^{ème} Objectif de développement durable (ODD), à savoir *Permettre à tous de vivre en bonne santé et promouvoir le bien-être de tous à tout âge*, est étroitement lié au concept de Couverture sanitaire universelle (CSU). Assurer cette couverture consiste à donner accès au diagnostic au bon moment, ainsi qu'à des soins et à des traitements efficaces, adaptés, sûrs et abordables pour obtenir de meilleurs résultats.

La communauté des maladies rares imagine un avenir où les pays, avec une solidarité accrue, surmonteront la fragmentation des soins de santé et les inégalités d'accès. Cela passera par des systèmes de santé et d'assurance sociale interconnectés qui répondent aux besoins en évolution des 30 millions de personnes atteintes d'une maladie rare en Europe.

Si les [recommandations de l'étude prospective Rare2030](#) prescrivent des orientations générales sur la manière de réaliser un tel projet sur les dix prochaines années, la communauté maladies rares doit encore définir les modalités organisationnelles et institutionnelles qui nous aideront à concrétiser ce scénario ambitieux. Le but est de transformer les prestations de soins et obtenir de meilleurs résultats en santé. Dans un premier temps, il s'agit d'identifier les mesures spécifiques à adopter pour renforcer les arrangements institutionnels encadrant les systèmes de santé de façon à remédier aux difficultés d'accès bien connues auxquelles sont confrontées les personnes atteintes d'une maladie rare. Dans un second temps, il est question de proposer des solutions innovantes pour lutter contre les problèmes naissants qui nécessitent une transformation plus profonde de nos systèmes de santé.

Les **séances A** porteront sur les difficultés bien connues « d'accès ». Elles exploreront des mesures immédiates, des approches à portée de main, pour améliorer l'accès de toutes les personnes atteintes d'une maladie rare à des outils de diagnostic efficaces, à des services de soin ultra-spécialisés, et aux traitements et interventions associés. Les **séances B** viseront à imaginer de nouvelles solutions face aux nouveaux problèmes. Elles inviteront à réfléchir aux arrangements pan-européens qui sous-tendront le futur système de santé de l'UE en matière de maladies rares dans le but d'assurer des prestations de soins de santé hautement spécialisées pour les maladies ultra-rares, ainsi que la délivrance de médicaments innovants

Chaque session comportera un atelier de bonnes pratiques, éléments de preuve à l'appui, suivi d'un atelier sur la formulation des politiques. Ateliers et séances porteront à la fois sur les aspects en amont (dépistage et diagnostic) et en aval (soins de santé et traitements) en vue d'élaborer des propositions qui tiennent compte autant que possible des interdépendances entre les services de santé.

D'autres éléments clés de la Couverture sanitaire universelle (CSU) comme la protection financière, la promotion du bien-être et de l'inclusion sociale, seront abordés dans les séances relevant des Objectifs 2 et 3.

Séance A: Renforcer les systèmes de santé nationaux pour améliorer l'accès aux technologies de dépistages, aux soins et aux traitements efficaces

Première Session : Mardi 28 juin 2022, 14 :00- 15 :30 HNEC

Bonnes Pratiques et Preuves

Cette session présentera des preuves et des bonnes pratiques tout au long du continuum de soins afin d'inspirer l'action politique à court terme au niveau européen et/ou national. Les participants apprendront quels sont les principaux facteurs personnels et externes qui influent sur l'accès des patients au diagnostic, selon les résultats de la dernière enquête du Rare Barometer Voices sur le diagnostic. Ils découvriront également comment les parcours de soins bien conçus, qui optimisent l'accès aux centres d'experts en maladies rares, peuvent améliorer l'expérience des patients en matière de soins.

Plusieurs études de cas montreront comment ces centres experts en maladies rares peuvent organiser la continuité et la coordination des soins avec les services sociaux et présenteront des approches innovantes pour améliorer l'accès des personnes vivant avec une maladie rare aux thérapies connexes.

Présidée par : Elizabeth Vroom, Présidente, World Duchenne Organisation et membre du conseil, EURORDIS

Conférenciers :

Sandra Courbier, Directrice de Recherche Sociale et du programme Rare Barometer, EURORDIS

Sanne Bouwman, Conseillère en Marketing et Communication, ParkinsonNet

Julie Vallortigara, Chercheuse associée, Département des neurosciences cliniques et du mouvement, Collège Universitaire de Londres

Vinciane Quoidbach, Conseil Européen du Cerveau

Johanna Blom, Physiothérapeute, Service de Neurologie de l'Hôpital Universitaire de Skåne à Malmö, Suède

Monika Benson, Directrice, Dystonia Europe

Eduard Pellicer, Travailleur social, Patients Chroniques Complexes, Hôpital Sant Joan de Déu, Barcelon

Deuxième Session : Mardi 28 juin 2022, 16 :00-17 :30 HNEC

Session sur la formulation des politiques

Cette session s'appuiera sur les expériences et les idées partagées lors de la première session pour proposer des recommandations politiques concrètes pour améliorer l'accès i) aux technologies et services de diagnostic efficaces, ii) aux soins de santé hautement spécialisés et iii) aux services paramédicaux et thérapeutiques. Les conférenciers identifieront des mesures spécifiques pour supprimer les obstacles à l'accès aux technologies de diagnostic pour les maladies rares et renforcer les capacités des systèmes de santé à traiter le nombre croissant de personnes diagnostiquées. Le panel discutera également des mesures politiques et organisationnelles visant à optimiser la conception des parcours de soins afin d'accélérer l'accès aux soins spécialisés, ainsi que les moyens de garantir un accès continu et, en temps voulu, aux services de santé et aux services des soins.

Présidé par : Holm Graessner, Chef de l'Unité de Gestion de la Recherche, COO Centre for Rare Diseases Tübingen et Coordinateur, ERN-RND

Elizabeth Vroom, Présidente, World Duchenne Organisation et membre du conseil, EURORDIS

Conférenciers :

Laurence Faivre, Professeur, Université de Bourgogne- Praticienne Hospitalière

Hortensia Gimeno, Directrice associée pour la recherche et l'efficacité clinique, National Health Service, Royaume-Uni

Holm Graessner, Chef de l'Unité de Gestion de la Recherche, COO Centre for Rare Diseases Tübingen et Coordinateur, ERN-RND

Eileen Treacy, Consultante en métabolisme à l'hôpital universitaire Mater Misericordiae

Séance B : L'invention des systèmes de santé novateurs afin de relever les défis nouveaux et émergents.

Première Session : Mardi 28 juin 2022, 14 :00- 15 :30 HNEC

Bonnes pratiques et preuves

Cette session présentera une série de bonnes pratiques dans le vaste domaine de « l'innovation à travers le parcours de soins ». Elle commencera par les applications accélérées des technologies génomiques, l'expansion des panels de dépistage néonatal pour les maladies pouvant être traitées, et l'intégration d'approches diagnostiques pour les cas non diagnostiqués. Toutes ces approches devraient servir à faciliter un diagnostic précis et rapide et offrir la possibilité à toutes les personnes vivant avec une maladie rare d'accéder aux soins de qualité.

L'augmentation d'individus diagnostiqués avec précision doit s'accompagner d'approches tout aussi innovantes pour « ouvrir la voie » aux thérapies curatives et transformatrices. C'est pourquoi cette session examinera également l'innovation dans les systèmes de santé pour délivrer et accéder aux soins hautement spécialisés pour les maladies très rares. Ces innovations doivent s'accompagner de l'intention d'accélérer le rythme auquel les thérapies innovantes deviennent accessibles aux personnes atteintes de maladies rares.

Présidée par : Victoria Hedley, Responsable Politique, Rare2030 Foresight Study et Université de Newcastle-Upon-Tyne

Conferenciers :

Michela Gabaldo, Chef, Gestion de Projets Translational et Affaires Réglementaires chez Fondazione Téléthon.

Mark Briggs, Directeur adjoint de l'innovation, Cardiff and Vale University Health Board, Royaume-Uni

Marie-Christine Ouillade, Conseil d'administration, AFM-Téléthon & SMA Europe

Tudor Groza, Chef d'équipe Phénomique, Institut Européen de Bioinformatique

Olaf Riess, Chef de l'Institut de Génétique Médicale et de Génomique Appliquée

Deuxième Session : Mardi 28 juin 2022, 16 :00-17 :30 HNEC

Session sur la formulation des politiques

Une « vie saine » et un plus grand bien-être pour les personnes atteintes de maladies rares ne sont possibles qu'en adoptant une approche politique coordonnée qui libère le potentiel d'innovation dans de multiples domaines. Ces domaines sont notamment les systèmes digitaux, les technologies génomiques, l'infrastructure des systèmes de santé, les processus de fabrication, le développement de la main-d'œuvre, le renforcement des connaissances et le partage des données. Outre le fait qu'elles couvrent de multiples disciplines, les politiques de soutien à l'innovation dans les systèmes de santé pour les maladies rares doivent souvent franchir de nombreuses frontières géographiques.

Sur la base des bonnes pratiques et des idées partagées lors de la première session, un groupe d'experts discutera les possibilités d'accroître l'innovation afin d'augmenter l'espérance de vie et d'améliorer la qualité de vie des 30 millions d'européens atteints d'une maladie rare ou d'un cancer rare.

En reconnaissance de la nécessité d'une action concertée, cette session abordera certains éléments fondamentaux d'un nouveau cadre stratégique pour les maladies rares, en identifiant les points où l'innovation peut être mieux exploitée pour permettre aux citoyens de l'UE de bénéficier de thérapies innovantes. Les avantages et les inconvénients- et la faisibilité- des différentes approches seront discutés, en considérant les outils, programmes et approches sous-développés qui existent déjà. L'avenir de politiques radicalement nouvelles sera également envisagé.

La session examinera si le cadre juridique et institutionnel existant dans le domaine de la santé offre la flexibilité nécessaire pour suivre le rythme de l'évolution de l'innovation, ainsi que pour développer une plus grande collaboration informelle ou formelle au sein de l'Union Européenne. S'il a la capacité de centraliser la planification ainsi que l'organisation des services, d'adopter une approche systémique globale pour accélérer l'adoption et l'accès de l'innovation dans les services de première ligne- l'accès à l'innovation pour tous.

Présidé par :

Michela Gabaldo, Chef, Gestion de Projets Translationnels et Affaires Réglementaires chez Fondazione Tèléthon.

Conférenciers :

Nick Meade, Directeur général, Interim et directeur des politiques, Genetic Alliance UK

Eva Schoeters, Directrice, RaDiOrg- Organisation des Maladies Rares Belgique

Giancarlo La Marca, Chef adjoint du laboratoire de dépistage néonatal, de chimie clinique et de pharmacologie, Hôpital des Enfants de Meyer, Italie

Wendy van Zelst-Stams, généticienne clinique, Centre Médical de l'Université Raboud, Pays-Bas

Victoria Hedley, Responsable Politique, Rare2030 Foresight Study et Université de Newcastle-Upon-Tyne

