

PLAN BELGE POUR LES MALADIES RARES QUESTIONS & RÉPONSES

Ce document a été réalisé à l'initiative du Fonds Maladies Rares et Médicaments Orphelins, géré par la Fondation Roi Baudouin. Ont collaboré à ce texte : Jean-Jacques Cassiman, Lode De Bot, Ingrid Jageneau, André Lhoir, Peter Raeymaekers, Chris Van Hul. Ce document reflète la situation en janvier 2015.

1. QU'EST-CE QU'UN PLAN POUR LES MALADIES RARES ?	4
2. QU'EST-CE QUE LE PLAN BELGE POUR LES MALADIES RARES ?	5
3. POURQUOI UN PLAN MALADIES RARES ?	6
4. QUI EST CONCERNÉ PAR LE PLAN ?	7
5. EST-CE QUE MA MALADIE PEUT ÊTRE RECONNUE COMME UNE MALADIE RARE ?	9
6. QUE PUIS-JE ATTENDRE D'UN COUNSELING GÉNÉTIQUE ? ET QUELLE EST LA DIFFÉRENCE ENTRE UN COUNSELING GÉNÉTIQUE ET UNE CONSULTATION MULTIDISCIPLINAIRE ?	10
7. QUELLE EST LA TÂCHE D'UN COORDINATEUR DE SOINS ?	11
8. QUE SIGNIFIE LE STATUT AFFECTION CHRONIQUE ET QU'EST-CE QUE CELA SIGNIFIE POUR LES PERSONNES SOUFFRANT D'UNE MALADIE RARE ?	12
9. QU'EST-CE DES ÉTUDES CLINIQUES ET QUI PEUT Y PARTICIPER ?	15

1. QU'EST-CE QU'UN PLAN POUR LES MALADIES RARES ?

L'UE a défini les **maladies rares** comme des maladies de nature mortelle ou chroniquement invalidante affectant moins de 1 personne sur 2000 au sein de la population. La plupart de ces maladies sont génétiquement déterminées, mais elles comprennent aussi d'autres troubles : cancers rares, maladies rares du système immunitaire, malformations congénitales ainsi que quelques maladies toxiques ou infectieuses. Dans certains cas, la prévalence de ces maladies rares est largement inférieure à 1/2000 : par exemple 1/100.000 ou 1/1.000.000. Chacune doit être reconnue comme une entité médicale unique. La liste des maladies rares se trouve sur le site belge Orphanet ou sur son équivalent international www.orpha.net.

Une maladie « rare » entraîne des conséquences, car qui dit « rare » dit souvent « mal aimée ». Les patients souffrant d'une maladie rare se sentent souvent oubliés et abandonnés. Par les responsables politiques, par les médecins et autres prestataires de soins, mais aussi par l'industrie biopharmaceutique.

La Commission européenne a décidé d'agir. Pour 2013, elle a demandé à tous ses membres d'établir une stratégie ou **un plan** destiné aux patients souffrant d'une maladie rare.

2. QU'EST-CE QUE LE PLAN BELGE POUR LES MALADIES RARES ?

Début 2014, la Belgique a déployé son **Plan belge pour les maladies rares**. Celui-ci s'articule en 20 points d'action, répartis en 4 domaines. Le Plan a pour objectif de maintenir la qualité de vie des patients atteints d'une maladie rare et d'améliorer les connaissances, les informations et la sensibilisation sur ces maladies.

Le patient et son entourage occupent une place centrale dans le Plan. En effet, les 2 premiers domaines regroupent 14 actions concrètes destinées à influencer directement le diagnostic et les soins du patient.

Dans le **domaine 1**, 6 actions mettent l'accent sur **l'amélioration et l'accélération du diagnostic, l'instauration d'une équipe de spécialistes plus étendue** (y compris des généticiens) **ainsi que la mise en place d'une meilleure communication avec le patient et son entourage**. Ces actions impliquent également la création d'un centre d'appel spécialisé auquel les patients auront la possibilité de s'adresser de jour comme de nuit.

Le **domaine 2** s'occupe **d'améliorer le volet des soins** par le biais de 8 actions. Il s'agira principalement de mutualiser l'expertise à propos de plusieurs maladies dans des centres d'expertise et, si nécessaire, de faire suivre le patient par un coordinateur de soins pour tous les aspects de sa thérapie (médical, social, psychologique, administratif...). Par ailleurs, il est essentiel d'échanger des informations entre les centres

d'expertise et les prestataires de soins 'de proximité' (notamment les médecins généralistes, les kinés, les infirmiers à domicile...) par le biais d'un dossier de patient multidisciplinaire informatisé. Mais il est aussi important d'élaborer un réseau entre les différents experts belges et avec les collègues étrangers, et ce afin d'échanger des expériences et de favoriser la recherche.

Le domaine 3 comprend 4 actions visant à mutualiser **les connaissances existantes sur les maladies rares, à mieux les diffuser et à continuer à les élargir**.

Quant au **domaine 4**, il met en avant **le caractère dynamique du Plan**. L'initiative ne s'arrêtera sûrement pas là et il est prévu de créer une équipe spécifique chargée de l'évaluation et de la surveillance permanentes de la mise en œuvre des diverses actions et de la proposition de plusieurs actions.

Les 20 actions prévues dans ce Plan se fondent sur les 42 recommandations formulées fin 2011 par le Fonds Maladies rares et Médicaments orphelins (géré par la Fondation Roi Baudouin). Le gouvernement a prévu un budget total annuel de 15 millions d'euros destiné à l'application du Plan, et chaque action bénéficiera d'un budget spécifique.

Pour consulter la totalité du texte du Plan, rendez-vous sur : www.rare-diseases.be

3. POURQUOI UN PLAN MALADIES RARES ?

Qui dit 'rare' dit 'méconnu'. Méconnu par les médecins et le personnel soignant, par les mutuelles et les services sociaux, par la recherche scientifique et l'industrie pharmaceutique, mais aussi par les responsables politiques.

En raison de la rareté de la maladie, les médecins généralistes et les spécialistes manquent souvent de connaissances spécifiques pour établir un diagnostic adéquat ou pour traiter la maladie de manière optimale.

Dans la plupart des cas – et souvent pendant des années –, les patients atteints d'une maladie rare doivent chercher un médecin (et autres prestataires de soins, comme des kinés, des diététiciens...) disposant d'une expertise suffisante.

Les maladies rares sont souvent chroniques, complexes, et dans de nombreux cas, graves ou mortelles. En effet, elles peuvent toucher plusieurs organes et/ou nécessiter une combinaison de soins médicamenteux et non médicamenteux. Une thérapie de ce type demande

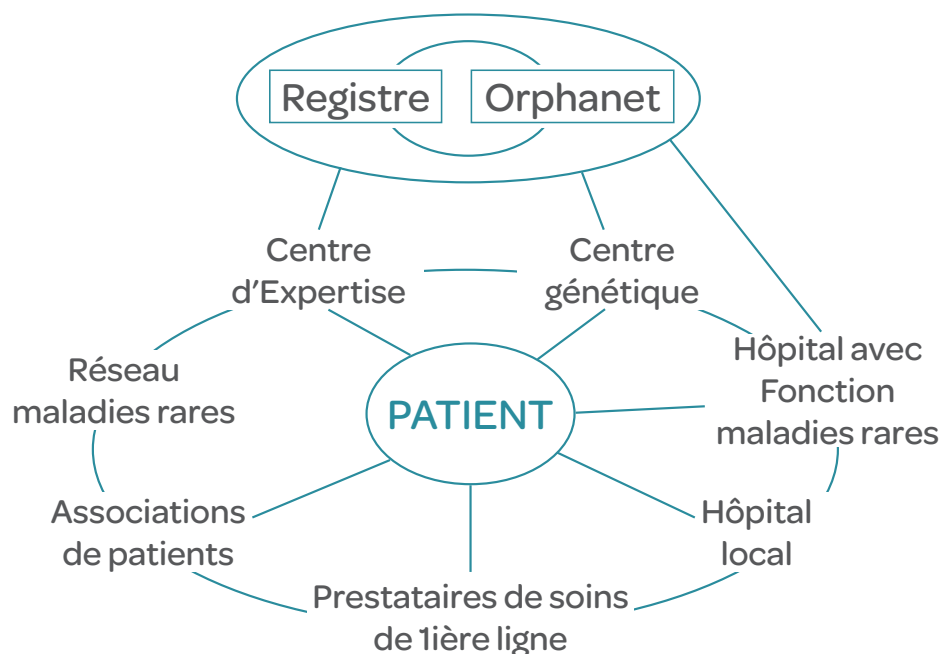
de la coordination entre les différents intervenants, c'est pourquoi on se tourne souvent vers des soins multidisciplinaires dans des équipes d'experts.

Malgré les incitants émanants de l'UE et des USA, il n'existe de médicaments spécifiques (lesdits « médicaments orphelins ») que pour une petite minorité de patients souffrant d'une maladie rare.

La prévention, l'apparition et l'évolution de la plupart des maladies rares sont encore très méconnues. Par ailleurs, jusqu'à aujourd'hui, les besoins médicaux et sociaux spécifiques des patients n'ont pas encore été évalués (ou très peu).

En somme, une approche coordonnée et intégrée est/était nécessaire pour ce groupe de patient. Le but n'est pas de les favoriser par rapport aux autres, mais plutôt de combler le retard qui les sépare des autres. Certes, une maladie rare ne concerne que quelques patients, mais l'ensemble des plus de 6000 maladies rares touche un très grand nombre de personnes.

4. QUI EST CONCERNÉ PAR LE PLAN ?



LE RÉSEAU MALADIES RARES

Tous les prestataires de soins de santé impliqués dans la prévention, le traitement et le suivi d'un patient forment un groupement légalement reconnu ou Réseau. S'ils souhaitent continuer à suivre un patient, les intervenants suivants doivent rejoindre le Réseau : médecins généralistes, autres prestataires de soins locaux, hôpitaux, hôpitaux avec Fonction maladies rares, centres génétiques et centres d'expertise. Pour ce faire, le Réseau possède un coordinateur désigné, qui assure l'organisation et la coordination des membres du Réseau. Les responsables des associations de patients participent également à la concertation annuelle légalement obligatoire qui a lieu au sein du Réseau et pour laquelle est désigné un Comité de Réseau.

HÔPITAUX

Pour autant qu'il suive le programme de soin établi par les membres du Réseau, chaque hôpital souhaitant rejoindre le Réseau maladies rares peut signer l'accord de collaboration et continuer à suivre et à traiter les patients.

HÔPITAUX AVEC FONCTION MALADIES RARES

Les hôpitaux répondant à certaines normes de qualité et disposant d'un encadrement et d'une infrastructure éprouvés peuvent être reconnus comme dotés d'une Fonction maladies rares pour une maladie rare spécifique ou pour un groupe de maladies rares. La Fonction est un terme juridique (comme la Fonction Urgences,

Soins intensifs, SMUR, Hospitalisation de jour, etc.) et désigne l'ensemble des activités destinées aux soins et au traitement du patient et accessibles à toutes les disciplines au sein de l'hôpital. Un établissement doté d'une Fonction de ce type fait partie d'un Réseau maladies rare et peut suivre les patients ayant été évalués dans un centre d'expertise. L'objectif est que les patients dont le diagnostic est incertain/imprécis/inexistant puissent s'adresser à un hôpital avec Fonction maladies rares.

Les hôpitaux avec Fonction maladies rares doivent répondre à un certain nombre de conditions (voir AR), parmi lesquelles la présence d'un centre génétique, et doivent organiser les soins du patient selon certains critères (ex. consultations multidisciplinaires, participation au réseau, etc. voir AR). Les Fonctions peuvent être désignées comme centre d'expertise pour certaines maladies rares. Pour ce faire, elles doivent également faire partie des réseaux internationaux concernant cette maladie rare et compter des médecins spécialistes riches d'une expertise pour ladite maladie, mais aussi organiser des consultations avec d'autres Fonction maladies rares par rapport au transfert des patients atteints de ladite maladie rare. Les centres non reconnus comme Fonction maladies rares peuvent aussi être désignés comme centre d'expertise, pour autant qu'ils aient passé un accord de collaboration avec une Fonction.

C'est le gouvernement qui s'occupera de la reconnaissance des hôpitaux avec Fonction maladies rares de ce type et des centres d'expertise. La liste desdits centres n'est donc pas encore connue. Toutes les reconnaissances seront effectuées par les Communautés/Régions.

CENTRES GÉNÉTIQUES

Les 8 centres génétiques belges sont étroitement liés aux centres d'expertise et à la Fonction maladies rares. Ils font également partie des Réseaux maladies rares. Ils sont responsables des aspects génétiques des maladies et de leurs implications possibles pour la famille. Cliquez [ici](#) pour la liste des centres génétiques belges.

CENTRES D'EXPERTISE

Les hôpitaux peuvent être reconnus comme des centres d'expertise pour une maladie rare spécifique ou pour un groupe de maladies rares, à condition de répondre à certaines normes de qualité, de disposer d'un encadrement et d'une infrastructure éprouvés – et donc d'être reconnus comme dotés d'une Fonction maladies rares – et de posséder en outre une expertise prouvée concernant la maladie rare ou le groupe de maladies rares en question. La procédure de reconnaissance de certains hôpitaux comme Centres d'Expertise est entamée mais pas finalisée.

Il existe actuellement des centres de référence pour certaines maladies rares. Ces centres devront se conformer à la nouvelle législation. Ce processus est en cours. Cliquez [ici](#) pour la liste des centres de référence actuels.

REGISTRE NATIONAL

Le Registre national des Maladies Rares est tenu à jour par l'Institut de Santé publique (ISP). Les données médicales de tous les patients suivis au sein du Réseau maladies rares sont enregistrées dans le Registre par les médecins (avec le consentement du patient). La Belgique pourra ainsi rassembler davantage d'informations sur les maladies rares, et de meilleure qualité. À terme, le Registre constitue également un outil permettant aux patients de participer plus facilement aux tests cliniques des nouveaux médicaments et aux recherches portant sur leur maladie.

ORPHANET

Partiellement financée par l'UE, Orphanet est une organisation internationale dotée d'un site Internet. On y trouve toutes les informations possibles sur les maladies rares et le site est mis à jour régulièrement. La liste Orphanet fournit des informations à propos de n'importe quelle maladie rare à l'intention de différents groupes cibles : médecins et équipe paramédicale, patients, chercheurs, industrie... Chacun a ainsi la possibilité

de se renseigner sur les centres d'expertise reconnus, les associations de patients, les médicaments et bien d'autres. Il existe un responsable officiel Orphanet dans la plupart des pays européens, de même qu'un site Internet local regroupant notamment des informations sur les services offerts dans le pays pour les maladies rares.

En Belgique, c'est l'ISP qui tient à jour le site [Orphanet](#), pour le compte du ministère de la Santé publique. Pour la version internationale d'Orphanet : www.orpha.net.

ASSOCIATIONS DE PATIENTS

Les associations de patients peuvent considérablement améliorer l'accueil des patients souffrant de maladies rares en participant activement à la consultation organisée au sein du Réseau maladies rares, et en signalant au gouvernement les éventuels problèmes concernant le fonctionnement des diverses structures, l'accueil des patients ou l'application des nouvelles lois portant sur les maladies rares. Par leur contact direct avec les patients, les associations de patients sont particulièrement bien placées pour constater rapidement les problèmes pratiques et pour proposer des suggestions ou des solutions aux autorités. La participation des associations de patients à la consultation au sein des Réseaux est légalement obligatoire.

Il existe des coupoles d'associations de patients où vous pouvez obtenir plus d'informations sur les maladies rares

RaDiOrg: www.radiorg.be

VPP: www.vlaamspatientenplatform.be

LUSS: www.luss.be

PRT: www.patientenrat.be

PRESTATAIRES DE SOINS DE 1^{ÈRE} LIGNE

Les médecins généralistes, le personnel paramédical, les pharmaciens et autres intervenants dispensent les soins de première ligne aux patients atteints d'une maladie rare. Ils font partie des différents Réseaux maladies rares et du programme de soin qui y a été élaboré. Chaque patient pourra ainsi bénéficier des soins les plus adaptés et reconnus au niveau international.

5. EST-CE QUE MA MALADIE PEUT ÊTRE RECONNUE COMME UNE MALADIE RARE ?

Il n'existe pas de procédure ou de service public spécifique capable de reconnaître certaines maladies comme « rares ». Il existe toutefois une liste des maladies rares présentes au sein de l'UE. Elle est consultable sur le site d'Orphanet ou sur la version internationale d'Orphanet www.orpha.net. **Toutefois, ce n'est pas parce qu'une maladie est reprise comme une maladie rare sur la liste d'Orphanet que le patient bénéficiera automatiquement d'avantages financiers ou d'autre nature.**

Pour tout renseignement concernant des interventions éventuelles spécifiques pour une maladie rare précise, il vaut mieux vous adresser à la mutuelle, à un hôpital avec [Fonction maladies rares](#) reconnue ou à un [Centre d'Expertise pour les maladies rares](#).

Par ailleurs, les organisations de patients disposent souvent d'informations détaillées à ce sujet. C'est le gouvernement qui s'occupera de la reconnaissance des hôpitaux avec Fonction maladies rares de ce type et des centres d'expertise. La liste desdits centres n'est donc pas encore connue.

Les patients souffrant d'une maladie rare peuvent prétendre au statut de « Personne atteinte d'une affection chronique ». Les organisations de patients et les mutuelles seront à même de vous fournir davantage d'informations sur la question (voir aussi la question portant sur le [statut de Personne atteinte d'une affection chronique](#)).

6. QUE PUIS-JE ATTENDRE D'UN COUNSELING GÉNÉTIQUE ? ET QUELLE EST LA DIFFÉRENCE ENTRE UN COUNSELING GÉNÉTIQUE ET UNE CONSULTATION MULTIDISCIPLINAIRE ?

De nombreux patients et leur famille entrent en contact avec un centre génétique. Cliquez [ici](#) pour la liste des 8 centres génétiques reconnus en Belgique:

Cette situation découle notamment du fait que la plupart des maladies rares (80%) sont d'ordre génétique. Les centres génétiques effectuent des recherches concernant un possible défaut d'ADN responsable pour la maladie. En outre, ils examinent l'incidence familiale de la maladie, le risque que les enfants puissent la développer ou la possibilité de diagnostic prénatal ou de prévention. Ces différentes études sont planifiées pendant la consultation génétique. Le **counseling génétique** permet de discuter des résultats obtenus, de l'incidence familiale et du risque génétique de la maladie. Les généticiens connaissent généralement des **associations de patients** vers qui ils peuvent orienter les patients nouvellement diagnostiqués pour des informations utiles à propos des divers aspects sociaux et familiaux de la maladie.

De nombreuses maladies rares peuvent entraîner des problèmes dans différents organes. C'est pourquoi il est important, outre le counseling génétique, de faire examiner le patient par d'autres spécialistes, comme un pédiatre, un médecin métabolique, un oncologue, un neurologue, un chirurgien, un radiologue, etc. Ce n'est qu'ainsi qu'on obtiendra un diagnostic et un traitement adéquats, de même qu'une proposition de suivi optimal.

Plusieurs autres intervenants peuvent apporter leur contribution à cette approche multidisciplinaire : infirmiers spécialisés et kinésithérapeutes, ergothérapeutes, logopèdes, bandagistes, assistants sociaux, nutritionnistes, psychologues, etc. En cas de doute sur une prédisposition génétique ou sur un défaut génétique, le patient sera aussi orienté vers un centre génétique pour une consultation génétique telle que décrite précédemment. Les recherches et la consultation entre tous les spécialistes et les prestataires de soins portent le nom de « **consultation multidisciplinaire** ».

Parfois, le patient est examiné par différents spécialistes au cours de la même consultation, mais parfois il doit revenir pour effectuer un examen spécialisé pour lequel il vaut mieux que le patient soit présent, par exemple. Dans tous les cas, les résultats des examens sont réunis au sein du même dossier multidisciplinaire et les spécialistes concernés décident du suivi optimal pour cette personne, après une concertation réunissant tous les intervenants concernés.

7. QUELLE EST LA TÂCHE D'UN COORDINATEUR DE SOINS ?

LE COORDINATEUR DE SOINS

L'action 7 du 'Plan belge pour les maladies rares' stipule qu'un coordinateur de soins sera nommé dans les centres d'expertise qui seront créés par les autorités. Il aura pour tâche **de simplifier et de faciliter le parcours du patient**. Le coordinateur de soins est responsable de la bonne organisation et planification de tous les soins médicamenteux et non médicamenteux. Par ailleurs, il apportera également son aide au patient dans les différentes procédures administratives que celui-ci rencontrera afin de recevoir les avantages auxquels il a droit.

Afin de pouvoir exercer sa tâche, le coordinateur de soins devra donc nouer les contacts nécessaires pour que le patient soit secondé par les services adéquats et reçoive les soins nécessaires. Pour ce faire, il faudra développer un réseau entre les centres d'expertise et les prestataires de soins de première ligne, comme les médecins généralistes, les kinésithérapeutes, les logopèdes, les pharmaciens, les dentistes...

Concrètement, le coordinateur de soins est investi des tâches suivantes :

- Il fournit au patient les **informations nécessaires**. Il agit comme un relai entre le patient et tout le personnel médical, paramédical ou psychosocial ;
- Il encourage **les échanges entre le centre et le réseau développé par le centre** (dans le cadre des soins au patient et à sa famille), mais aussi **les liens avec les services de soins locaux, les spécialistes locaux, les médecins généralistes...** et ce afin de garantir la qualité des soins et de pouvoir établir un plan de soins ;
- Il favorise **les contacts avec les organisations de patients ;**
- Il veille à ce que le **patient bénéficie de tous les droits auquel il a droit** : il établit donc des contacts avec la mutuelle et toutes les administrations impliquées dans le statut médical et social du patient.

8. QUE SIGNIFIE LE STATUT AFFECTION CHRONIQUE ET QU'EST-CE QUE CELA SIGNIFIE POUR LES PERSONNES SOUFFRANT D'UNE MALADIE RARE ?

Le Plan Maladies Chroniques prévoit un statut particulier pour les patients souffrant d'une maladie chronique. Le détenteur de ce statut peut alors bénéficier de plusieurs droits. En pratique, les maladies chroniques sont très rares. C'est pourquoi un statut de Personne atteinte d'une affection chronique prévoit des dispositions supplémentaires pour les personnes souffrant d'une maladie rare.

Il faut faire la distinction entre l'ouverture du droit au statut de Personne atteinte d'une affection chronique et sa prolongation. Quiconque possède déjà ce statut est soumis à des règles moins strictes pour le prolonger que celui qui souhaite bénéficier du statut pour la première fois.

Le point positif est que ce statut de Personne atteinte d'une affection chronique est majoritairement attribué automatiquement. Votre mutuelle dispose de toutes les données nécessaires pour déterminer si vous y avez droit ou non, vous évitant ainsi de devoir en faire la demande. Pour l'instant, toutes les mutuelles sont occupées à analyser leurs membres et vous recevrez un courrier au cas où vous avez droit à ce statut.

STATUT AFFECTION CHRONIQUE

Ouvrir le statut

Ouvrir le statut signifie qu'on vous attribue le statut pour la première fois. Les groupes de personnes suivants ont le droit d'ouvrir le statut, qui leur sera automatiquement attribué par leur mutuelle :

- **Personnes avec frais médicaux élevés (et chroniques).** Pour prétendre à ce statut, vos frais médicaux supportés par l'INAMI doivent s'élever à 300 € pendant 8 trimestres consécutifs (soit deux années civiles). Contrairement au maximum à facturer (MAF), on prend ici en compte le montant total des frais et pas seulement le ticket modérateur. Entrent donc en ligne de compte les frais remboursés par l'assurance-maladie, mais aussi ceux dont le patient doit lui-même s'acquitter (ticket modérateur). Attention : cela signifie que les frais pour lesquels l'assurance-maladie n'intervient pas ne sont pas repris dans ce calcul.
- Il est également possible de prétendre au **forfait de soins**. Il s'agit d'une contribution de la mutuelle qui est attribuée aux personnes dont les frais médicaux et le niveau d'invalidité sont élevés. Toute personne ayant droit au forfait de soins recevra aussi automatiquement le statut de Maladie Chronique.

Dans les deux cas susmentionnés, le statut est ouvert pour une période de deux ans. La réglementation concernant ce statut est d'application avec un effet rétroactif jusqu'au 1er janvier 2013. Pour savoir si vous êtes ou non éligible au statut, tout dépendra des frais ou du forfait de soins au cours des deux années précédentes. Il faudra donc examiner vos frais médicaux

ou votre forfait de soins pour 2011 et 2012. Les droits liés au statut (voir plus loin : « Que signifie ce statut ? ») ont également une valeur rétroactive. Lorsque ces deux années sont écoulées, vous pouvez prolonger votre statut.

Prolonger le statut

Une fois les deux années écoulées, votre mutuelle vérifiera automatiquement si vous avez droit à une prolongation du statut. Toute prolongation est valable un an. Une personne ayant droit au forfait de soins peut aussi prolonger son statut. Pour les patients qui bénéficient du statut sur base de ses frais médicaux (300 € pendant huit trimestres consécutifs), les conditions ont été quelque peu assouplies. Par exemple, il n'est pas nécessaire de dépenser 300€ en frais médicaux chaque trimestre, un montant total de 1200€ dans l'année qui précède le prolongement du statut suffit.

Cet assouplissement du critère financier ressemble peut-être à un détail, mais il peut faire une différence énorme pour les personnes aux frais médicaux fluctuants. Certains patients atteints d'une maladie chronique peuvent par exemple constater une aggravation soudaine de leur état, et dépenser plus de 1200€ en frais médicaux en un court laps de temps. Cette mesure leur assure donc de pouvoir conserver leur statut.

Malgré tout, les patients dont les frais médicaux sont irréguliers ont quand même du mal à ouvrir le statut. Ce point d'achoppement sera sans doute inclus dans l'évaluation du statut qui sera réalisée par l'Observatoire pour les Maladies Chroniques.

DISPOSITIONS SUPPLÉMENTAIRES POUR LES PERSONNES ATTEINTES D'UNE MALADIE RARE

Ouvrir le statut

Les patients souffrant d'une **maladie rare** bénéficient d'un avantage supplémentaire. S'ils remplissent la première condition (frais médicaux supportés par l'INAMI de 300 € pendant huit trimestres consécutifs), ils reçoivent automatiquement le statut pour deux ans. En outre, s'ils fournissent une attestation prouvant qu'ils sont atteints d'une maladie rare, le statut leur est accordé pour une durée de cinq ans (et non pas deux). Votre mutuelle vous informera de toute façon lorsque vous aurez ouvert le statut sur base des critères financiers. Si vous fournissez une attestation par la suite, il sera prolongé pour atteindre une durée de cinq ans. Vous ne devez donc rien préparer de particulier.

L'attestation Maladie Rare doit être remplie par un spécialiste et peut être téléchargé via ce lien.

Prolonger le statut

Là encore, les patients atteints d'une **maladie rare** bénéficient de critères plus souples pour prolonger le statut. Il suffit de présenter une attestation de maladie rare à la mutuelle dans l'année qui précède une prolongation éventuelle pour bénéficier à nouveau d'une durée de cinq ans. Il n'est plus nécessaire de justifier des dépenses trimestrielles de 300 € ou annuelles de 1200 €, une attestation valable suffit.

QUELS SONT LES AVANTAGES LIÉS AU STATUT DE PERSONNE ATTEINTE D'UNE MALADIE CHRONIQUE ?

Le statut a été pensé comme moyen d'accorder des avantages spécifiques aux maladies chroniques. Pour l'instant, seules deux mesures sont liées à ce statut, mais l'objectif est d'en rajouter dans le futur. Toute personne ayant droit au statut reçoit actuellement automatiquement les avantages suivants : le montant maximum à facturer et le tiers payant.

Le maximum à facturer (MAF) pour les maladies chroniques

Le MAF veille à ce que vous ne deviez payer qu'un certain montant annuel comme ticket modérateur. Lorsque vos frais dépassent cette limite, votre mutuelle vous rembourse tous les tickets modérateurs pour le reste de l'année. Pour les patients qui ont droit au MAF sur les maladies chroniques, le montant plafond est réduit de 100 €. En d'autres termes, chaque année, ils devront payer 100 € de moins en tickets modérateurs et le MAF interviendra plus rapidement. Toute personne ayant droit au statut a automatiquement droit au MAF sur les maladies chroniques et profitera donc également de cette réduction de 100 € sur le montant plafond.

Application automatique du tiers payant

Cette mesure veille à ce que vous ne deviez payer que le ticket modérateur et que ne deviez plus avancer le montant qui vous sera plus tard remboursé par la mutuelle. Les personnes ayant droit au statut sur les maladies chroniques auront droit en 2015 – en principe, mais sous réserve de modifications – à une application automatique du tiers payant. Pour l'instant, toute personne bénéficiant du statut peut demander à son médecin ou son dentiste d'appliquer le tiers payant.

Plus d'informations

Pour plus de détails (ex. : Ma maladie rare est-elle concernée ? Le forfait incontinence est-il inclus dans les 300 € par trimestre ?) ou d'autres questions, veuillez vous adresser à votre mutuelle. Par ailleurs, les associations de patients et les couples d'associations de patients Vlaams Patiëntenplatform, LUSS en RaDiOrg disposent de nombreuses informations. Elles seront ravies de fournir une réponse à vos questions. Toutefois, seule votre mutuelle peut déterminer si vous avez droit ou non au statut.

²En plus du statut de maladie chronique, le MAF est également attribué pour le moment aux personnes ayant dépensé 450 € en tickets-modérateurs pour deux années consécutives. Toute personne bénéficiant déjà d'une réduction de 100 € sur le montant plafond aura alors droit à une réduction de 100 € supplémentaires si elle obtient le statut maladie chronique. En effet, il ne s'agit pas de la création d'un nouvel avantage, puisque le statut propose seulement un avantage déjà existant au MAF sur les maladies chroniques

³Deze maatregel wordt pas vanaf 2015 aan het statuut verbonden omdat er nog enkele afspraken gemaakt moeten worden over de precieze toepassing van dit recht

Questions fréquemment posées par les patients à propos du statut de Personne atteinte d'une maladie chronique

À qui dois-je donner une attestation médicale dans le cas d'une maladie grave ?

L'attestation médicale doit être remise au médecin-conseil de la mutuelle à laquelle vous êtes affilié. Si vous ne savez pas comment faire, il vaut mieux prendre contact avec votre mutuelle.

Quand l'attestation doit-elle être remise en cas de maladie rare ?

Avant de remettre l'attestation médicale, il est important de bien faire la distinction entre l'ouverture et la prolongation du statut :

- À **l'ouverture du statut**, l'attestation médicale doit être remise pendant la première année de l'application du statut. Par exemple : sur base des critères financiers, vous avez obtenu le statut pour la période 2014-2015. Pour étendre ce statut à 5 ans, vous devez donc transmettre votre attestation médicale à votre mutuelle dans le courant de l'année 2014.
- En cas de **prolongation du statut**, vous devez remettre votre attestation dans l'année qui précède l'éventuelle prolongation. Par exemple, si un statut a été ouvert pour la période 2014-2018, vous devez à nouveau fournir une attestation dans le courant de l'année 2018, après quoi votre droit sera renouvelé pour la période 2019-2023.

Qui doit remettre une attestation médicale en cas de maladie grave ?

Vous pouvez remettre vous-même l'attestation médicale à votre mutuelle, ou la confier au médecin-conseil, qui s'en occupera pour vous. Il vaut mieux vous mettre clairement d'accord avec votre médecin traitant spécialiste.

Qui peut être considéré comme un spécialiste ?

Pour l'instant, la question n'est pas claire, puisqu'elle n'est pas abordée dans la loi. Jusqu'à présent, on considère comme spécialiste tout médecin traitant qui délivre une attestation de ce type et capable de prouver qu'il dispose de l'expertise nécessaire. En revanche, actuellement, il n'est pas clairement déterminé auprès de qui et quand le spécialiste doit démontrer qu'il possède l'expertise nécessaire.

Où puis-je me procurer une attestation médicale en cas de maladie rare ?

Vous pouvez télécharger l'attestation médicale sur le site de l'INAMI via [ce lien](#).

9. QU'EST-CE DES ÉTUDES CLINIQUES ET QUI PEUT Y PARTICIPER ?

Avant qu'un médicament arrive sur le marché, il doit d'abord être testé en profondeur afin de s'assurer de sa sécurité et de son efficacité optimales. Lors du développement d'un nouveau médicament, il sera donc d'abord testé sur des animaux, par exemple, avant d'être testé sur l'homme. Ce n'est qu'après avoir déterminé son degré de toxicité, ce qu'il provoque comme réaction dans le corps et comment se déroulent l'assimilation et la dissolution que le patient est testé sur l'homme lors d'une phase ultérieure. C'est ce qu'on appelle les « études cliniques ».

Les patients atteints de syndromes particuliers peuvent participer à une étude clinique s'ils répondent à certains critères (critères d'inclusion), qui les autorisent à participer. Dans le cas contraire (critères d'exclusion), ils en seront exclus. Parmi ces critères interviennent par exemple l'âge, la présence de différentes maladies au même moment, et bien d'autres. Ils sont mis en place afin de garantir autant que possible la fiabilité des résultats.

Mettre un nouveau médicament à la disposition des patients est le résultat d'un processus long et complexe, qui comporte plusieurs étapes :

1. Études non cliniques

L'étude d'un médicament sur cellules (in vitro) et éventuellement sur des animaux. Celui-ci est développé sur base scientifique et l'étude a pour but de déterminer son mode de fonctionnement et sa toxicité.

2. Études cliniques

Après les études non cliniques, si le médicament semble intéressant et si le rapport entre les avantages et les risques penche en faveur des avantages, on peut alors passer aux études sur l'homme.

Le processus s'articule en quatre phases. Elles doivent être réalisées successivement.

- **Phase I** : le médicament est administré à quelques volontaires sains (maximum une vingtaine) afin de déterminer le dosage optimal et pour tester sa tolérance et sa toxicité potentielle.

- **Phase II** : le médicament est administré à plusieurs patients prédéterminés dans des conditions bien précises afin de tester son efficacité et d'identifier ses effets secondaires.

- **Phase III** : le médicament est administré à un plus grand nombre de patients (jusqu'à plusieurs milliers) afin de confirmer le rapport avantages/risques et d'étudier ses effets par rapport aux médicaments existants ou à un placebo.

- **Phase IV** : le médicament est commercialisé et ses effets secondaires sont suivis de près : c'est ici qu'intervient la pharmacovigilance. Le cas échéant, des tests sur la sécurité et l'efficacité à long terme peuvent être réalisés par les titulaires de l'autorisation de mise sur le marché des médicaments.

Les 3 premières phases peuvent durer 10 ans (du premier test sur l'homme à la commercialisation). Il est nécessaire de suivre les différentes étapes afin de garantir l'efficacité et la tolérance d'un nouveau médicament.

Une étude portant sur un nouveau médicament ne peut avoir lieu qu'après l'approbation d'un comité d'éthique lié à un hôpital où l'étude a lieu et après l'approbation de l'Agence fédérale des Médicaments et des Produits de Santé pour les études qui se déroulent en Belgique. Si ces deux conditions sont remplies, les études en phases II, III et IV sont rendues publiques par le biais du registre européen pour les études cliniques :

<https://www.clinicaltrialsregister.eu>

Dans le cas des **maladies rares**, on tient évidemment compte du nombre limité de patients atteints de la maladie et du fait que, bien souvent, il n'existe pas de traitement. Les études cliniques concernant les maladies rares doivent aussi veiller à être suffisamment souples pour prendre en compte les contraintes, sans compromettre la sécurité des participants ou la qualité des données. La législation prévoit une série d'avantages pour les firmes qui réalisent ce genre d'études (comme un accompagnement dans la conception de l'étude, par exemple).