


aucunement à l'urgence de la régulation exigée par de trop nombreux réflexes de renoncement aux soins.

L'explosion du prix des soins de ville expose une partie importante de la population à un risque sanitaire grave qui se réalise quand des médecins discriminent des patients au regard du critère économique.

Le Ciss intensifiera sa mobilisation sur ce sujet tant que les autorités feront l'économie d'une vraie réflexion sur l'organisation des soins ambulatoires et sur l'expérimentation de modes alternatifs au paiement à l'acte, connu pour être extrêmement inflationniste.

Le projet de loi « Hôpital, patients, santé et territoires » comprenait un titre entier consacré à la question de

l'accès aux soins et répondait, en partie, aux besoins et attentes des usagers en ce qu'il prévoyait notamment un dispositif de lutte contre les refus de soins relativement complet et un article sur l'encadrement des dépassements d'honoraires. Mais c'était compter sans les résistances et oppositions de nombreuses organisations représentant les professionnels de santé, qui ont purement et simplement phagocyté la quasi-totalité des articles consacrés à l'accès aux soins.

L'occasion de réaffirmer l'équité de notre système de santé a été manquée à cause de ceux qui ont le pouvoir de faire fléchir un ministre et un président de la République ; les usagers n'en font vraisemblablement pas partie. 

Les associations de patients atteints de maladies rares et leur rôle auprès des instances européennes

Les associations de patients et leurs familles vivant avec des maladies rares agissent au quotidien pour briser l'isolement, partager l'information disponible, améliorer les connaissances en lien avec les professionnels. Elles permettent aux familles d'envisager un projet de vie après le diagnostic, et fournissent souvent une aide directe aux personnes atteintes. L'Organisation mondiale de la santé a ainsi défini la responsabilisation des patients comme une condition essentielle à la santé. Elle encourage un partenariat proactif et une stratégie d'autonomie des patients pour améliorer les performances des systèmes de santé et la qualité de la vie des malades chroniques. Des actions absolument indispensables, mais, dans le cas particulier des maladies rares, pour réellement combattre l'impact de ces maladies sur la vie des personnes atteintes, cela ne suffit pas.

Des malades invisibles dans les systèmes de santé

Chacune ces 5 000 à 8 000 maladies touche moins de 5 personnes sur 10 000. La plupart sont d'origine génétique. Les autres sont les formes rares de cancers (notamment tous les cancers pédiatriques), les maladies auto-immunes, les malformations congénitales, ainsi que des maladies toxiques et infectieuses. Elles sont chroniques, invalidantes, souvent mortelles. Cependant ces maladies sont invisibles dans le système de santé, à cause de l'errance diagnostique, puis de l'absence de codes CIM pour la plupart d'entre elles. Les malades sont trop fréquemment rejetés par les professionnels de santé, qui ne reconnaissent pas leurs maladies, ou ne savent pas comment agir, faute de formation et de connaissance des sources d'information. Les malades n'ont guère d'existence sociale non plus, n'ayant que

difficilement accès à la scolarité, à l'emploi, et à condition que leur état de santé l'autorise.

Des symptômes bien connus recouvrent un grand nombre de maladies rares, comme l'autisme (syndromes de Rett, d'Usher de type 2, de l'X fragile, d'Angelman, phénylcétonurie, maladie de Sanfilippo...), ou l'épilepsie (syndrome de Dravet, de Shokeir, sclérose tubéreuse de Bourneville...). En réalité, une maladie rare peut se dissimuler sous des symptômes aussi communs que la déficience mentale ou l'obésité grave, ce qui est à l'origine de retards de diagnostic.

Comment faire sortir les malades de l'ombre, leur permettre d'accéder à un diagnostic suffisamment tôt pour pouvoir prévenir les complications, les traitements inappropriés ou néfastes, parfois la naissance d'autres enfants atteints, et la perte de confiance dans la médecine ? Comment garantir l'accès à des centres médicaux spécialisés compétents, et à une prise en charge nécessairement pluridisciplinaire de ces maladies complexes ? Comment assurer une prise en charge sociale adaptée à des personnes mises à l'écart de la vie sociale, et à des familles fragilisées ? Les enquêtes EurordisCare menées de 2004 à 2007 auprès de malades et de leurs familles ont permis de dépasser les récits répétitifs de malades isolés, et de fournir une base solide de réflexion, dans le but d'améliorer les politiques de santé pour les maladies rares [22].

Chacune de ces maladies est rare. Pourtant, réunis tous ensemble, les malades atteints sont très nombreux : 5 000 à 8 000 maladies rares touchent ou toucheront une population de 29 millions de personnes dans l'Union européenne. Les associations ont rapidement pris conscience de la nécessité absolue d'un

Christel Nourissier
Secrétaire générale
d'Eurordis

*Les références
entre crochets renvoient
à la Bibliographie p. 54.*



travail collectif : se regrouper pour faire connaître leurs maladies, agir auprès des instances européennes, pour encourager la recherche, le recueil des données, les essais cliniques multicentriques par groupes de maladies. Il n'y a pas de secteur de la santé où la valeur ajoutée européenne apparaisse plus évidente.

Le rôle de l'organisation européenne des maladies rares

Eurordis, l'organisation européenne des maladies rares, a été créée en 1997 pour soutenir le vote du règlement sur les médicaments orphelins, adopté à l'unanimité en décembre 1999. Ce règlement est aujourd'hui un succès sans précédent : plus de 500 molécules désignées « orphelines », les essais cliniques étant en cours, et 50 déjà mises sur le marché. Plus d'un million de malades traités pour des maladies jusqu'ici mortelles. Eurordis a également soutenu le vote du règlement sur les médicaments pédiatriques (2006), du règlement sur les nouvelles thérapies (2008). Plusieurs représentants d'Eurordis siègent dans chacun des comités décisionnels de l'Agence européenne des médicaments.

Depuis que les maladies rares sont devenues une priorité dans les programmes cadres de santé publique et de recherche, en 2000, les représentants de malades ont été associés à toutes les étapes des processus d'élaboration des politiques, puis aux décisions : Eurordis participe au Forum européen des politiques de santé, à la Task Force européenne sur les maladies rares, aux workshops et conférences de la Direction générale de la recherche de la Commission européenne.

La communauté des maladies rares se rassemble lors des conférences européennes biennales organisées par Eurordis depuis 2001, en partenariat avec la Commission européenne et les autorités des pays d'accueil depuis 2005. Dans ce cadre, les associations de malades, les décideurs politiques, les autorités de santé, les chercheurs, les cliniciens, les laboratoires pharmaceutiques qui travaillent dans le domaine des maladies rares présentent les avancées réalisées et discutent des stratégies d'avenir.

L'adoption de la communication de la Commission européenne :

« Les maladies rares : un défi pour l'Europe »

À la suite de la conférence européenne de Luxembourg (2005), la Commission européenne, à la demande d'Eurordis, a lancé le processus de rédaction d'une communication sur les maladies rares. Le processus de décision européen a été lent, comme toujours, mais démocratique et ouvert. Un groupe de travail dont faisaient partie des représentants d'Eurordis a rédigé un premier projet. Parallèlement, les associations de maladies rares en Europe ont été invitées par Eurordis à élaborer des positions communes sur :

- l'organisation des soins – recommandant la désignation de centres spécialisés au niveau national et leur mise en réseau au niveau européen,

- la définition de priorités pour la recherche,
- le soutien à l'autonomisation des associations,
- l'accès à des services sociaux spécialisés (assistance téléphonique, séjours de répit, et programmes de récréation thérapeutique),

- l'accès aux médicaments orphelins.

La consultation publique lancée par la Commission européenne a rencontré un succès sans précédent : plus de 600 contributions reçues, dont 217 contributions d'associations. La communication « Les maladies rares : un défi pour l'Europe » a été adoptée le 11 novembre 2008. Elle définit une stratégie globale pour les années à venir, qui sera mise en œuvre dans les États-membres grâce à l'adoption de recommandations du Conseil, prévue en juin 2009. Quatre représentants de malades siégeront dans le futur Comité européen pour les maladies rares, qui remplacera l'actuelle Task Force.

La lenteur des processus européens est toutefois difficile à accepter pour des personnes ou des proches directement concernés par la maladie. Il faut accepter de travailler pour les générations futures.

Eurordis aujourd'hui

Eurordis regroupe à ce jour plus de 360 membres dans 38 pays, dont 19 Alliances maladies rares nationales. Plus de 600 groupes de malades sont donc directement ou indirectement représentés dans Eurordis, et sont invités à participer à ses actions : journée internationale des maladies rares les 28 ou 29 février chaque année, enquêtes, travaux en réseau des associations, formations et échanges d'expérience entre les membres, élaboration de positions communes, dissémination d'informations et de bonnes pratiques – par exemple : guide de référence pour fournir de l'information, charte pour la participation aux essais cliniques, déclaration de principes communs pour les centres d'expertise, lettre d'information, communautés de patients en ligne...


Ces activités sont soutenues financièrement depuis 2008 par le programme-cadre de santé publique. En comparaison, les activités des associations membres d'Eurordis ne sont soutenues que dans un nombre limité d'États-membres. L'adoption par le Conseil des ministres européens de recommandations devrait permettre d'améliorer la situation à l'avenir, grâce à l'adoption de plans nationaux. Le projet Europlan, auquel participe Eurordis, soutiendra les efforts des différents pays pour élaborer leurs plans nationaux dans le cadre d'une stratégie européenne commune.

La France a eu la chance de bénéficier du premier Plan national maladies rares, de 2005 à 2008, grâce à l'impulsion des associations françaises. L'évaluation de ce plan en 2009 par le Haut Conseil de la santé publique a démontré un impact global très positif, que le reste de l'Europe nous envie. Elle a aussi souligné les faiblesses du bilan : l'épidémiologie, le dépistage, les partenariats européens et public-privé pour la recherche, l'accès au diagnostic encore difficile, le besoin de formation des professionnels, la fragilité du serveur d'information

Plus d'information sur
Eurordis
<http://www.eurordis.org>

La source principale
d'information sur les
maladies rares est
la base de données
Inserm Orphanet :
<http://www.orpha.net>

Orphanet, l'évaluation des médicaments orphelins et des médicaments prescrits hors autorisation de mise sur le marché, enfin la prise en charge sociale des malades, qui est bien meilleure dans d'autres pays d'Europe. À

l'heure de la réflexion autour d'un second plan en France, la coordination avec la stratégie définie en Europe, avec la participation active des associations de maladies rares, apparaît plus essentielle que jamais. 

Les associations d'usagers et les infections nosocomiales

La lutte contre les infections nosocomiales (IN) apparaît comme l'un des éléments majeurs de la politique de sécurité sanitaire de la France. Pourtant elle ne s'est imposée comme telle qu'à partir du moment où son efficacité antérieure a été fortement remise en cause par une association, Le Lien, regroupant ses victimes. Ayant réussi à « intéresser » télévisions, radios et médias écrits aux situations dramatiques de certains malades ayant contracté une IN, celles-ci, en procédant à leur mise en scène et en débat public, ont contribué à l'émergence à partir de l'année 1997 d'une nouvelle affaire, celle de la Clinique du sport, elle-même révélatrice d'un nouveau « scandale sanitaire ». Les infections nosocomiales sont dès lors devenues un objet de controverses, mettant en cause le bien fondé des conduites des professionnels hospitaliers, de l'action de l'administration sanitaire, mais aussi le comportement du pouvoir politique. C'est la stratégie choisie par Le Lien pour remettre en cause le système de lutte existant, ses modalités d'action ainsi que ses impacts que nous allons décrire ici.

La lutte contre les infections nosocomiales : un passé méconnu

Contrairement aux idées reçues, la lutte contre les infections nosocomiales a constitué de longue date pour un petit groupe de professionnels hospitaliers un sujet de préoccupation. Mais loin d'être prioritaires pour l'establishment hospitalo-universitaire et pour l'administration, les enjeux dont elle était porteuse ne vont se révéler que dans les années 1960, après la réforme Debré de 1958. Celle-ci va en effet fournir l'occasion aux médecins hygiénistes de réintégrer l'hôpital et d'en faire, avec les autres spécialités intéressées, un enjeu professionnel et de pouvoir. Il faudra pourtant attendre 1988 pour que paraisse un décret daté du 8 mai¹ qui fait de l'élaboration d'un système de lutte contre les IN une mission de l'hôpital public, bientôt étendue en 1990 aux établissements privés. Mais durant l'intervalle de temps de presque dix ans qui sépare la parution de la circulaire de l'affaire de la Clinique du sport, sa principale instance stratégique, le Comité de lutte contre

les infections nosocomiales (Clin), restera doté d'une faible légitimité et de moyens très limités. Pourtant c'est durant cette période que vont être élaborés les principes et les outils fondateurs du système de lutte contre les infections nosocomiales, mais dont le développement va se faire à bas bruit, la survenue d'épisodes épidémiques même publicisés ne suffisant pas à remettre en cause la manière dont les d'infections nosocomiales (et donc les enjeux liés à leur contrôle) est alors perçue : des pathologies dont l'existence résulte de l'actualisation inévitable de certains risques, exclusivement liées aux pratiques hospitalières et n'affectant qu'une catégorie limitée de malades.

Le système de lutte alors mis en place comporte à cet égard trois particularités dont la connaissance est nécessaire pour comprendre la stratégie choisie par Le Lien pour en contester l'efficacité :

- Le dispositif de lutte a une très forte dimension pédagogique et argumentative : il doit être le support d'un « apprentissage » facilitant le passage d'une « culture de déresponsabilisation » faisant des infections nosocomiales une fatalité inhérente à la pratique médicale à une « culture proactive » qui en fait un objet techniquement maîtrisable.

- C'est plus un dispositif d'acquisition de connaissance que d'intervention. La transformation des pratiques d'hygiène qui est visée passe par des modifications des conduites dont la genèse nécessite de s'appuyer sur des résultats scientifiquement validés. C'est cette orientation didactique qui sera à l'origine de la création et de l'extension d'un réseau d'établissements volontaires (Le Raisin)², support logistique de l'acquisition d'un grand nombre de données sur la prévalence et l'incidence des infections nosocomiales. Son extension s'accompagnera de la création d'un petit groupe de spécialistes pluridisciplinaires en constituant le bras armé et destiné à combattre les résistances suscitées par les nouvelles normes comportementales de prévention, d'alerte ou de surveillance des infections nosocomiales.

- Son mode de fonctionnement résulte d'une stratégie contrainte : en misant sur l'incitation et la persuasion plus que sur la coercition, les promoteurs signent leur

Michel Naiditch
Médecin de santé publique, ancien MCU, université Denis Diderot, chercheur associé à l'Irdes

1. Décret 88-657 du 8 mai 1988 rendant obligatoire la mise en place au sein des établissements hospitaliers des Clin : Comité de lutte contre les infections nosocomiales.

2. Raisin : Réseau d'alerte, d'investigation et de surveillance des infections nosocomiales.