



Canadian Organization
for Rare Disorders

Le temps est maintenant venu : une stratégie pour les maladies rares est une stratégie destinée à tous les Canadiens

RÉSUMÉ DE LA STRATÉGIE CANADIENNE EN MATIÈRE DE MALADIES RARES



LES OBJECTIFS

1. Améliorer la détection précoce et la prévention
2. Fournir des soins opportuns, équitables et fondés sur des données probantes
3. Renforcer le soutien communautaire
4. Offrir un accès durable aux thérapies prometteuses
5. Favoriser la recherche innovatrice

Pourquoi est-il nécessaire d'agir maintenant

Bien que chaque maladie rare ne touche qu'un nombre limité de personnes, on recense plus de 7 000 maladies rares qui, groupées ensemble, affectent un Canadien sur 12 ou près de 3 millions de Canadiens. La sensibilisation et les connaissances à l'égard de ces maladies de même que le traitement de la plupart de ces maladies restent toutefois limités et fragmentés dans l'ensemble du pays. Par conséquent, ces personnes font face à **une multitude de défis de taille**, dont les suivants :

- des mauvais diagnostics et/ou un chemin long et difficile vers un diagnostic;
- des traitements limités ou l'absence de traitements;
- des obstacles à l'accès à des traitements pour les maladies rares;
- des difficultés à trouver des médecins ou des centres cliniques ayant de l'expérience dans le traitement des maladies rares;
- des problèmes d'accès à des services ou à de l'aide sur le plan médical, social et financier;
- un sentiment d'isolement et d'avoir été « abandonné » par le système de santé canadien.

Tous ces défis entraînent **une hausse de la morbidité, des pertes de vie, une détérioration de la qualité de vie et une augmentation des coûts pour la famille, le système de santé et, finalement, l'économie canadienne.**

L'Organisation canadienne des maladies rares (OCMR), à titre d'organisation-cadre pour les patients atteints d'une maladie rare et les organisations de patients, salue le courage, la détermination et la créativité dont fait preuve la communauté, à ce jour, pour relever ces défis. Nous devons toutefois tous déployer davantage d'efforts. C'est la raison pour laquelle l'OCMR est d'avis que le « temps est maintenant venu » pour les gouvernements et tous les intervenants de coordonner leurs efforts comme le propose la Stratégie canadienne en matière de maladies rares. Tous les patients ont droit aux **mêmes soins de santé et services sociaux de qualité en temps opportun où qu'ils vivent et peu importe ce dont ils souffrent.** Fait tout aussi important, cette stratégie profite à tous les Canadiens, et pas seulement à ceux qui sont atteints d'une maladie rare.

Objectifs stratégiques et plan d'action

Suite à de vastes consultations avec divers intervenants, l'OCMR propose d'adopter la **stratégie à cinq objectifs** suivante, qui comprend des mesures recommandées dans le but **d'améliorer la vie des personnes atteintes de maladies rares.**

- | | |
|---|---|
| <i>Objectif no 1 :
Améliorer la
détection précoce
et la prévention</i> | 1. Adopter une approche nationale concernant le dépistage chez les nouveau-nés |
| | 2. Mettre en place de services de dépistage précoce et de prévention dans tout le pays |
| <i>Objectif no 2 :
Fournir des
soins opportuns,
équitable et fondés
sur des données
probantes</i> | 3. Améliorer la formation et les capacités des prestataires de soins de santé en ce qui a trait aux maladies rares, y compris des conseillers génétiques |
| | 4. Comblent les lacunes des programmes de services sociaux pour les personnes atteintes de maladies rares |
| | 5. Élaborer des lignes directrices provinciales afin de faire en sorte que des mesures d'adaptation appropriées soient proposées aux personnes atteintes de maladies rares dans leur lieu de travail |

6. Offrir aux personnes atteintes de maladies la même **couverture de services de soins de santé** (p. ex., de la physiothérapie) que celle qui est offerte aux personnes atteintes de maladies plus courantes
7. Établir des **centres d'excellence sur les maladies rares** afin de générer et de soutenir la recherche et les soins aux patients, élaborer et mettre en œuvre des lignes directrices en matière de pratique clinique, concevoir et fournir une formation au niveau professionnel et sur les patients destinée aux praticiens de soins de santé et au public, et concevoir et appuyer des services diagnostiques, cliniques et éducatifs étendus, par exemple, par le biais d'un système de télémédecine ou de cliniques satellites spécialisées
8. Envisager la création d'un **registre national de toutes les maladies rares**, et soutenir les **registres** nouveaux et existants **destinés à des maladies rares précises**
9. Dans le cas des maladies pour lesquelles l'établissement de cliniques spécialisées et de réseaux cliniques virtuels n'est pas possible, assurer une meilleure intégration des soins offerts aux patients atteints de maladies rares dans les **cliniques de soins complexes ou de soins à domicile** existantes
10. Adopter des mesures visant à faciliter les **liens entre les bases de données administratives des soins de santé** d'un bout à l'autre du pays afin d'appuyer la prestation des services de santé aux patients atteints de maladies rares
11. **Les organisations de patients atteints de maladies rares**, ainsi que l'OCMR et le **Regroupement québécois des maladies orphelines**, doivent être **adéquatement financés** pour s'acquitter de leurs missions, qui comprend la participation à des initiatives de recherche, l'application des connaissances, l'élaboration de politiques, la sensibilisation, l'engagement et le soutien d'initiatives destinées aux patients
12. Augmenter les ressources afin d'optimiser l'utilité **d'Orphanet pour tous les intervenants**
13. Mettre en œuvre un cadre réglementaire pour les médicaments orphelins
14. Envisager **la conception d'essais cliniques adaptatifs** pour les étapes d'autorisation de mise en marché des thérapies et après la mise en marché
15. Améliorer et officialiser le **rôle des patients dans le processus d'autorisation de mise en marché** et dans la production de données probantes après la mise en marché et fournir des ressources pour favoriser la participation des groupes de patients atteints de maladies rares dans ce processus
16. Établir un **processus distinct et flexible d'évaluation des technologies de la santé** adapté aux caractéristiques spécifiques des médicaments orphelins

*Objectif no 3 :
Renforcer le soutien
communautaire*

*Objectif no 4 : Offrir
un accès durable
aux thérapies
prometteuses*

Pour obtenir une version complète de la Stratégie canadienne en matière de maladies rares, visitez : www.raredisorders.ca.

Objectif no 5 :
Favoriser la
recherche
innovatrice

17. Fournir un **appui accru aux groupes de patients atteints de maladies rares afin de les aider à participer aux examens d'évaluation des technologies de la santé** et à préparer leurs dossiers de rétroaction des patients
18. Définir une **approche de financement** uniforme afin d'assurer pour les patients un accès rapide et équitable aux médicaments orphelins
19. Allouer **des fonds ciblés et accrus à la recherche sur les maladies rares** et aux centres d'excellence sur les maladies rares
20. Établir un nouveau **partenariat canadien concernant les maladies rares** afin d'aider à coordonner un programme national de recherche et des centres d'excellence sur les maladies rares, entre autres mesures recommandées dans le cadre de cette stratégie

Allons de l'avant en apportant des changements positifs

L'OCMR **surveillera les progrès accomplis par rapport à ces cinq objectifs** en collaboration avec tous les intervenants. Notre réussite commune sera célébrée le jour où les décideurs de tous les paliers de gouvernement et la communauté des maladies rares pourront citer des **initiatives spécifiques qui ont permis**

d'améliorer la qualité de vie des Canadiens atteints de ces maladies. L'OCMR estime qu'en travaillant ensemble à l'atteinte de ces cinq objectifs, nous pouvons, collectivement, **apporter de réels changements positifs** dans la façon dont nous nous occupons des personnes atteintes de maladies rares dans ce pays.

Renseignements généraux

Qu'est-ce qu'une maladie rare?

Au Canada, même si aucune définition officielle n'a encore été établie, Santé Canada a défini ce terme de manière informelle comme suit : « une affection qui met la vie en danger, une affection gravement débilante ou une affection chronique grave qui ne touche qu'un nombre très restreint de patients (généralement moins de 5 personnes sur 10 000) ». ¹ On estime qu'un Canadien sur 12 est atteint d'une maladie rare et qu'environ deux tiers des personnes qui en souffrent sont des enfants.

À propos de l'OCMR

L'OCMR est le réseau national canadien des organisations représentant toutes les personnes aux prises avec des maladies rares. Elle est une voix forte qui plaide en faveur d'une politique de santé et d'un système de santé qui fonctionnent pour les personnes atteintes de maladies rares. L'organisation travaille avec les

gouvernements, les chercheurs, les cliniciens et l'industrie afin de promouvoir la recherche, le diagnostic, le traitement et les services pour toutes les maladies rares au Canada.

À propos de la Stratégie canadienne en matière de maladies rares

Nous remercions les Instituts de recherche en santé du Canada, Génome Canada, BIOTECanada, les compagnies de recherche pharmaceutique du Canada (Rx&D), Care4Rare, PRISM, la *Rare Disease Fondation* et de nombreuses autres organisations et personnes qui ont contribué aux documents de travail et aux consultations, à partir desquels l'OCMR a élaboré sa stratégie. Cette stratégie est approuvée par le conseil d'administration de l'OCMR, mais n'est pas censée représenter la position officielle de ces autres organisations.

1. Voir http://www.hc-sc.gc.ca/ahc-asc/media/nr-cp/_2012/2012-147a-fra.php.