



## PRORARIS RAPPORT D'ACTIVITE 2019

### ASSEMBLEE DES DELEGUES 05 SEPTEMBRE 2020

Chers membres de ProRaris, Mesdames, Messieurs,

Le rapport d'activité 2019 ne faillit pas à la tradition et vous propose en guise d'introduction un rappel de la mission de ProRaris:

- 1. ProRaris s'engage pour un accès équitable aux prestations des soins de santé pour les personnes atteintes de maladies rares en Suisse. ProRaris se mobilise pour la mise en œuvre du concept national maladies rares dans l'intérêt et pour le bien-être des patientes et patients ainsi que de leurs proches.*
- 2. ProRaris sensibilise le grand public, les politiques, les pouvoirs publics et les institutions concernées à la problématique des maladies rares.*
- 3. ProRaris travaille en étroite collaboration avec les associations de patients, et avec les patients isolés qui n'ont pas d'association. ProRaris s'engage avec eux et pour eux.*

Il est également utile de rappeler le contenu exact de nos [lignes directrices](#) qui ont subi de légères modifications.

Vous pourrez aussi, consulter sur notre site, via nos newsletters ou par des informations spécifiques le résumé de notre activité, tant en ce qui concerne la mise en place du Concept national Maladies rares, que les travaux de la kosek. Vous aurez aussi accès aux documents utiles de l'administration fédérale et aux articles des médias sur les Journées des Maladies rares.

1. Commençons par les finances : La restructuration de notre bureau en automne 2017 et l'intensification de notre recherche de fonds ont permis, après les difficultés financières, d'obtenir un résultat annuel équilibré pour l'année 2018. Comme vous pouvez le voir dans les états financiers annuels actuels - nous avons également pu terminer l'exercice 2019 "presque" équilibré. Nous en sommes reconnaissants, car la situation financière reste tendue pour nous. Nous n'avons pas de revenus garantis. Le concept de fundraising, que nous avons reçu "comme un don" de l'OFSP, est arrivé à la conclusion suivante : il est difficile pour ProRaris d'assurer une collecte de fonds durable. Constat très décevant puisque cette opération nous a coûté du temps et des efforts sans aucun résultat.  
En 2019, ProRaris a encore pu compter sur l'appui de l'OFSP pour les Journées de Maladies rares. La CDS nous a également versé une nouvelle contribution pour notre travail dans le cadre du Concept national.



Bien que la mise en œuvre du Concept national Maladies rares ait pris fin le 31 décembre 2019, l'OFSP a heureusement assuré son soutien aux mesures du concept national pour les deux années 2020 / 2021, qui ne sont pas encore terminées. Le mandat de la kosek échoit cependant le 31 décembre 2020. Il s'ensuivra une autre phase d'incertitude.

Sur notre site vous trouverez [la liste de nos donateurs et soutiens pour 2019](#), que nous remercions bien évidemment très chaleureusement.

Il faut aussi comprendre que ProRaris n'est pas la seule à être confrontée à des problèmes récurrents de financement. Le Concept national Maladies rares n'a toujours pas de bases légales, donc pas de soutien financier. Autant dire que tous ceux qui sont engagés dans ce processus travaillent sans aucune assurance pour l'avenir.

2. Le 2 mars 2019, ProRaris a organisé la 9<sup>ème</sup> édition de la Journée des Maladies rares, à l'Hôpital universitaire de Bâle (USB). La collaboration s'est faite avec l'USB, mais aussi avec l'hôpital universitaire pour enfants des deux Bâle et le réseau « Rare Diseases Northwest und Zentralschweiz ». La collaboration a été très bonne. Le thème était " De la solitude au réseau ". Comme chaque année, un programme varié qui a donné aux différents acteurs la possibilité de s'exprimer et, bien sûr, a donné aux personnes concernées la possibilité de se faire entendre.

Informations complémentaires <https://www.proraris.ch/fr/mars-2019-bale-405.html>

3. Comme d'habitude, le calendrier 2019 a été jalonné par les dates réservées aux différents événements et séances organisées par l'OFSP. ProRaris participe au groupe de pilotage, au meeting annuel des stakeholders qui, pour l'édition 2019, a choisi de traiter du problème délicat de l'accès aux médicaments. Si les pharmas et les médecins conseil étaient présents, il faut souligner que, pour la première fois, un patient concerné a pu prendre la parole, Reto Weibel, président de la CFCH et membre du comité de ProRaris a fait une présentation qui a marqué les participants



Weibel\_ProRaris\_CFC  
H\_190517.pdf

En 2018, nous vous avons annoncé 2 enquêtes, l'une diligentée par le BAG pour recenser dans 5 cantons les ressources de soutien psychosocial disponibles pour les patients concernés par les maladies rares et l'autre effectuée par ProRaris auprès des associations. Les résultats n'apportent aucun élément nouveau pour l'alliance, à savoir qu'il n'y a pas de structure administrative spécifique pour les maladies rares et qu'il faudra forcément sensibiliser les professionnels à la prise en charge de ces patients. L'enquête menée auprès des associations démontre que, seules ces associations sont à même d'offrir un soutien dédié.



Sans vouloir anticiper sur l'année 2020, cette question a fait débat lors de la RDD du 29 février. Les prestations de ces associations doivent être reconnues à leur juste valeur comme prestations de santé publique. On ne sait pas encore comment seront traitées les nombreuses données sur les services psychosociaux recueillies dans le cadre de l'enquête de l'OFSP. Toutefois, nous continuerons à faire un rapport sur ce sujet.

4. Le prix des médicaments n'a pas seulement constitué le thème de l'événement annuel des stakeholders, mais nous a occupés tout au long de l'année. Nous avons élaboré une prise de position sur le thème des médicaments onéreux, que nous avons publiée sur notre site <https://www.prorarais.ch/fr/combien-medicament-peut-il-couter-447.html>

Nous avons examiné de plus près l'olutool-non-onko, qui est utilisé par les médecins conseils pour évaluer les cas par l'article 71 OAMal, et avons soumis des suggestions d'optimisation à la fin du mois de mai 2019. En ce qui concerne l'horizon 2020, nous pouvons déjà signaler que certains points ont été inclus et ajustés.

À plusieurs reprises, nous nous sommes plaints à l'OFSP que ProRaris n'est pas invitée en qualité d'interlocuteur dans le contexte des mesures de prise en charge. Nous y sommes quand même arrivés : en mars 2017, des modifications de l'article 71 OAMal sont entrées en vigueur et une évaluation de ces adaptations a été annoncée par l'OFSP pour 2019/2020. Un groupe de soutien devait accompagner l'évaluation, dans lequel ProRaris est finalement représentée. Une première réunion et la présentation des résultats intermédiaires ont eu lieu à l'automne 2019.

Nous avons aussi accepté d'autres engagements. Certains d'entre vous connaissent peut-être la Commission fédérale des médicaments (CFM). Il s'agit d'une commission extra-parlementaire dont les membres sont élus par le Conseil fédéral pour un mandat de quatre ans. L'CFM évalue les dossiers de nouveaux médicaments qui doivent être inscrits sur la liste des spécialités et adresse une recommandation correspondante à l'OFSP. De nouvelles élections ont eu lieu à la fin de l'année 2019. Afin d'apporter à la Commission davantage d'expertise dans le domaine des maladies rares, ProRaris a présenté deux candidatures. En novembre 2019, Sandro Rusconi, membre de notre comité, a été élu par le Conseil fédéral au CFM pour la période 2020-2023.

5. Nous avons également fait rapport à plusieurs reprises sur le registre suisse des maladies rares (RSMR). Il s'agit d'une mesure centrale dans le Concept, pour laquelle ProRaris est fortement engagée. Les principaux objectifs du registre sont de fournir des données épidémiologiques sur les maladies rares en Suisse et de soutenir et encourager la participation aux études en enregistrant le plus grand nombre possible de patients. Une base juridique a été créée avec succès pour obtenir des subventions pour le RSMR. Malheureusement, à l'été 2019, le parlement n'a pas approuvé le budget qui lui était destiné.



ProRaris, avec la kosek, qui a repris le parrainage du RSMR, s'est engagée auprès de l'OFSP à ce que les fonds soient approuvés d'urgence en 2020. Les réactions de l'OFSP nous permettent un peu de confiance. <https://www.proraris.ch/fr/rsmr-financement-transitoire-garanti-445.html>

6. Comme vous le savez, ProRaris fait partie du comité de la kosek. Dans la kosek tous les partenaires travaillent avec un engagement total, dans le but commun de définir et de rendre opérationnels les critères de reconnaissance des centres de maladies rares et des centres de référence. ProRaris s'engage à veiller à ce que cela se fasse dans l'intérêt des patients. Pas une tâche facile !

La kosek ne dispose pas seulement d'un comité, mais aussi de divers groupes d'experts pour remplir les nombreuses missions. ProRaris y est également représentée :

- Groupe de spécialistes de la prise en charge (désignation des centres de maladies rares ainsi que des centres de référence)
- Groupe de coordination des centres sur les maladies rares (coordination entre les centres MR)
- Groupe de spécialistes données & registre

Les premières étapes importantes ont été mises en place. En mars 2019, le kick-off d'un réseau national de soins pour les maladies métaboliques congénitales a été lancé. Il s'agit d'un projet pilote pour les futurs centres de référence. En septembre 2019, la procédure de reconnaissance des non spécifique à une maladie ou groupe de maladies, les centres maladies rares (CMR), a été lancé :

<https://www.proraris.ch/fr/kosek-lance-procedure-reconnaissance-455.html>

Toutefois, leur désignation prendra encore du temps.

7. UniRares a poursuivi les activités qu'elle avait entamées durant l'année passée. En 2019 les groupes de paroles sont devenus un rendez-vous mensuel qui permet d'une part de maintenir le lien avec les membres et d'autre part, d'introduire de nouveaux membres dans l'association. Pour rappel, le groupe de paroles est ouvert à toute personne, membre ou non membre d'UniRares.

Nous avons également continué notre participation aux séances de commission de la kosek. Cette participation est importante afin que le point de vue du patient atteint de maladie rare sans association spécifique pour sa maladie soit aussi pris en compte dans les décisions de l'OFSP dans le concept fédéral des maladies rares.

L'activité principale d'UniRares durant l'année 2019 a été la mise en place du « dossier personnel d'aide au patient ». Ce dossier est un pan important d'UniRares, car il permettra de développer plusieurs activités annexes d'aide au patient et membre d'UniRares dans le futur.



8. Sans fausse modestie, nous sommes fiers du travail accompli au nom de toutes les personnes concernées par les maladies rares. ProRaris a réussi à intégrer le patient comme partenaire écouté et respecté dans tous les travaux de mise en place du concept national maladies rares.

En regardant vers l'avenir, une chose est claire : notre mission n'est pas finie, bien au contraire ! Plus que jamais nous devons collaborer avec les associations et les patients isolés, les aider à atteindre leurs objectifs. ProRaris doit être le garant de l'accès équitable aux prestations des soins de santé.

9. ProRaris n'aurait jamais atteint ce résultat sans l'engagement sans faille des membres de son comité que je remercie de tout cœur.

Merci à Jacqueline de Sá, notre secrétaire générale qui met toutes ses grandes compétences au service de ProRaris. Nos discussions sont souvent animées, elles sont le reflet de l'engagement total de Jacqueline de Sá pour la défense des intérêts des personnes concernées.

Merci aussi à Sarah Menzel qui, en plus de son travail pour ProRaris, s'est engagée aussi pour soutenir UniRares.

Merci à tous les bénévoles des journées des maladies rares

Merci à notre réviseur, Jean Pfyffer

Merci au président du jour de l'assemblée des délégués, Me Gutknecht, avocat

Merci à tous ceux qui nous ont soutenu durant cette année 2019 : l'OFSP, la CDS, la Fondation BNP Paribas, Takeda, Sanofi Genzyme, Vertex, Pfizer, Alexion, la Muskelgesellschaft et le Gemeinnützige Frauenverein Möhlin

Merci à tous ces donateurs qui, fidèlement nous, témoignent de leur intérêt à notre travail.

Et enfin, merci à vous chers membres de ProRaris pour votre soutien.

En 2019, ProRaris s'implique dans les comités et organisations suivants :

Comme membre :

- EURORDIS
- Communauté d'intérêts maladies rares
- Coordination nationale des maladies rares (kosek)
- Conférence nationale suisse des ligues de la santé (GELIKO)
- Alliance pour la santé en Suisse
- Swiss Personalized Health Network (SPHN)
- Groupe de travail de Swissmedic avec des associations de patients et de consommateurs

# PRORARIS



Alliance Maladies Rares – Suisse  
Allianz Seltener Krankheiten – Schweiz  
Alleanza Malattie Rare – Svizzera

Dans le comité :

- Coordination nationale des maladies rares (kosek)
- Rare Disease Action Forum (RDAF)

Dans le cadre du concept national des maladies rares :

- OFSP groupe de coordination
- OFSP groupe des quatre (ProRaris/ OFSP/ kosek/ CDS) : Diverses mesures dans le domaine non-médical
- OFSP groupe de travail 5 : mise en réseau internationale