



C'est un grand honneur de prendre la parole ici. Outre le fait que je peux venir vous parler du point de vue du patient, je suis heureuse de faire plus ample connaissance de vous, et de me familiariser avec le fonctionnement de l'Institut des maladies rares de votre hôpital.

Chaque fois que l'on me demande de parler au nom des patients atteints d'une maladie rare, je ressens une grande responsabilité. Parce qu'il y a tellement de maladies rares différentes et que beaucoup d'entre elles sont très graves.

Het is een hele eer hier te mogen spreken. Los van het feit dat ik jullie iets mag komen vertellen over het perspectief van de patiënt, ben ik blij met deze kans u jullie te leren kennen, en om vertrouwd te worden met de werking van het instituut voor zeldzame ziekten van Saint-Luc.

Elke keer als me gevraagd wordt te spreken in naam van patiënten met een zeldzame ziekte, blijft het ook aanvoelen als een grote verantwoordelijkheid. Omdat er nu eenmaal zoveel verschillende zeldzame ziekten zijn en omdat vele daarvan ook bijzonder ernstig zijn.



Le progrès scientifique est en plein essor. De plus en plus de thérapies prometteuses sont disponibles ou en cours de développement. De nombreux groupes de

De wetenschappelijke vooruitgang boomt. Er zijn steeds meer beloftevolle therapieën beschikbaar of in ontwikkeling.

patients pour lesquels il n'existe aucun traitement efficace ont désormais un grand espoir.

Il s'agit notamment de la myasthénie grave, de l'épidermolyse bulleuse, de la mucoviscidose, de la maladie de Duchenne, de la drépanocytose, etc. Cela pose également de nouveaux défis, notamment pour les procédures d'évaluation et de remboursement, ainsi que pour les dépenses de santé au niveau gouvernementale.

L'industrie pharmaceutique bouillonne d'enthousiasme, mais perd parfois de vue le fait que pour les patients qui ont des besoins ici et maintenant, les innovations arriveront trop tard. Nous soulignons toujours dans nos conversations que la gestion des attentes, ici et maintenant, est également cruciale si la qualité de vie est notre objectif ultime.

Après tout, quoi de plus préjudiciable à votre bonheur que de savoir qu'un médicament qui peut sauver la vie est en plein développement, mais qu'il sera trop tard pour votre enfant ? Ou qu'un produit unique et efficace est remboursé dans un pays voisin, mais est inabordable et inaccessible pour vous ?

RaDiOrg reçoit régulièrement des invitations pour représenter le point de vue des patients dans des ateliers sur les procédures innovantes d'évaluation des médicaments, sur les données réelles et sur tout ce qui est important pour garantir l'accès à ces médicaments prometteurs dans le traitement des maladies graves et rares.

Les sociétés de conseil se rendent indispensables pour réunir les parties prenantes afin d'ouvrir la voie à l'approbation et au remboursement de ces nouvelles thérapies.

Mais vous ne serez pas surpris : la majorité des patients ne perdent pas encore le sommeil à cause des thérapies innovatives, comme les thérapies géniques. En outre, pour un très grand groupe de patients, il n'existe aucun traitement dans le pipeline qui puisse être considéré comme un véritable changement de cap.

Heel wat patiëntengroepen waarvoor geen doeltreffende behandelingen bestaan, koesteren nu grote hoop. Denken we maar aan Myasthenia Gravis, Epidermolyse bullosa, Mucoviscidose, Duchenne, Drépanocytose, ...

Dat brengt – in het bijzonder voor de procedures om deze te beoordelen en terug te betalen, en voor de uitgaven in de gezondheidszorg – nieuwe uitdagingen met zich mee.

De farmaceutische industrie bruist van enthousiaste anticipatie, maar verliest soms uit het oog dat voor de patiënten die hier en nu noden hebben de innovaties te laat zullen zijn. We stippen in gesprekken steeds aan dat het managen van verwachtingen, hier en nu, ook cruciaal is als levenskwaliteit ons ultieme doel is.

Wat is er immers nefaster voor je geluk dan te weten dat er een levensreddend middel op komst is, maar dat het te laat zal zijn voor jouw kind? Of dat er een uniek en doeltreffend product terugbetaald wordt in een buurland, maar dat het voor jou onbetaalbaar en onbereikbaar is?

RaDiOrg krijgt met regelmaat uitnodigingen om het perspectief van de patiënt te vertegenwoordigen in workshops over innovatieve procedures voor de beoordeling van innovatieve medicatie, over 'real world evidence' en over alles wat van belang is om de toegang tot deze veelbelovende gamechangers in de behandeling van ernstige en zeldzame aandoeningen te verzekeren.

Consultancy bedrijven maken zich onmisbaar om de stakeholders samen te zetten om het pad te effenen om deze nieuwe therapieën goedgekeurd en terugbetaald te krijgen.

Maar het zal jullie wellicht niet verwonderen: het merendeel van de patiënten ligt daar nog niet echt van wakker. Overigens is er voor een héél grote groep patiënten helemaal nog géén behandeling in het verschiet die als écht doeltreffend kan worden beschouwd.



Alors, qu'est-ce qui est crucial pour un grand groupe de patients ? En attente d'un remède, d'une véritable solution à leurs problèmes de santé, ils attendent les soins adaptés.

Nous avons mis le focus de notre campagne pour la journée des maladies rares, fin février de cette année, dus ce thématique des soins adaptés, sur l'importance de l'expertise dans la prise en charge, l'importance des soins intégrés, l'importance de l'accompagnement et de la coordination des soins, et enfin, de l'accessibilité des traitements.

Wat is dan wel cruciaal voor een grote groep patiënten? In afwachting van genezing, van een echte oplossing voor hun gezondheidsproblemen, wachten ze op de juiste zorg.

Wij hebben onze campagne voor Zeldzame Ziektendag, eind februari van dit jaar, toegespitst op het thema passende zorg, het belang van expertise, het belang van geïntegreerde zorg, het belang van begeleiding en coördinatie van de zorg, en het belang van toegankelijkheid van behandelingen.



A voir sur [YouTube ici](#)

Les soins intégrés, dans la pratique, s'avère être un parcours difficile. L'un de vos collègues ici à Saint Luc a évoqué le parcours des personnes atteintes de maladies rares d'un très belle manière, lors de la campagne. Regardons et écoutons ensemble un extrait d'une vidéo qu'on a réalisé.

Geïntegreerde zorg blijkt in de praktijk een moeilijk te realiseren te zijn. Een van uw collega's hier in Saint Luc sprak tijdens de campagne op een heel mooie manier over de reis van mensen met zeldzame ziekten. Laten we samen kijken en luisteren naar een fragment van een video die we hebben gemaakt.

Je partage volontiers avec vous les posters qu'on a développé pour cette campagne, qui résument les attentes des patients. Et je vous donne quelques exemples :

Graag deel ik met u de affiches die wij voor deze campagne hebben ontwikkeld en waarin de verwachtingen van de patiënten worden samengevat. En ik geef je wat voorbeelden:



NOUS ATTENDONS UNE EXPERTISE RECONNUE

WE WACHTEN OP ERKENDE EXPERTISE

Si l'expertise est reconnue, elle sera facilement trouvée par les patients qui ne s'égareront plus et ne manqueront plus d'opportunités. L'odyssée diagnostique est souvent suivie d'une odyssée chronophage pour trouver le chemin des bons soins. Avec toutes les conséquences que cela entraîne pour le traitement de la maladie.

Als expertise wordt erkend, zal zij gemakkelijk worden gevonden door patiënten die niet langer zullen dwalen en zodoende kansen missen.

Op de diagnostische odyssee volgt immers vaak een tijdrovende odyssee om de juiste zorg te vinden. Met alle gevolgen van dien voor de behandeling van de ziekte.

Vous connaissez sans doute vous-même des exemples de patients qui ont subi une détérioration irréversible parce qu'ils n'ont pas été traités avec l'expertise adapté à temps. Les patients qui, pour une raison ou une autre, n'ont pas été orientés à temps.

Jullie kennen ongetwijfeld zelf voorbeelden van patiënten die een onomkeerbare achteruitgang doormaakten omdat ze niet opdat met de juiste expertise behandeld werden. Patiënten die om een of andere reden niet tijdig werden doorverwezen



Nous attendons UNE MEILLEURE CONCERTATION ENTRE LES SOIGNANTS

Une fois de plus : je n'ai pas à vous expliquer qu'une grande partie des maladies rares sont multisystémiques. En tant que patient, il est pénible de constater que tous les professionnels que vous consultez, ne semblent pas se concerter. En tant que patient, vous devez ensuite rassembler toutes les informations et tous les conseils du mieux que vous pouvez pour avoir une vue d'ensemble. Nous entendons que les médecins y sont tout autant confrontés. Les structures, dans lesquelles vous travaillez, ne laissent pas facilement de la place à la concertation multidisciplinaire. Avec toutes les conséquences que cela implique.

Un exemple :

Une jeune femme atteinte de McCune-Albright, une maladie endocrinienne et osseuse rare, consulte un endocrinologue, un néphrologue et, pour les différentes parties de son squelette, trois orthopédistes différents. Lorsqu'une opération est prévue pour ses hanches, elle n'est pas réalisée en concertation avec les autres médecins. Cela entraîne un stress et une incertitude énormes pour la patiente, qui a déjà subi un grand traumatisme émotionnel à la suite d'innombrables opérations dès l'enfance.

We wachten op OVERLEG TUSSEN ALLE ZORGVERLENERS

Nogmaals: ik hoef jullie niet uit te leggen dat een groot deel van de zeldzame ziekten multisysteemisch is. Als patiënt is het pijnlijk als je vaststelt dat de zorgverleners die je raadpleegt, elkaar niet lijken te raadplegen. Als patiënt moet je dan zo goed mogelijk alle informatie en adviezen verzamelen om een volledig beeld te krijgen.

We horen dat artsen hier ook mee te maken worstelen. De structuren waarin jullie werken, laten niet gemakkelijk ruimte voor multidisciplinair overleg. Met alle gevolgen van dien.

Een voorbeeld:

Een jonge vrouw met McCune-Albright, een zeldzame endocriene en botziekte, consulteert een endocrinoloog, een nefroloog en, voor de verschillende delen van haar skelet, drie verschillende orthopedisten.

Als er een operatie aan haar heupen wordt gepland, gebeurt dat niet in overleg met de andere artsen.

Dit veroorzaakt enorme stress en onzekerheid bij de patiënt, die reeds een groot emotioneel trauma heeft opgelopen ten gevolge van talloze operaties sinds haar kindertijd.



Nous attendons UN ACCOMPAGNEMENT ET UNE COORDINATION DES SOINS ADAPTES

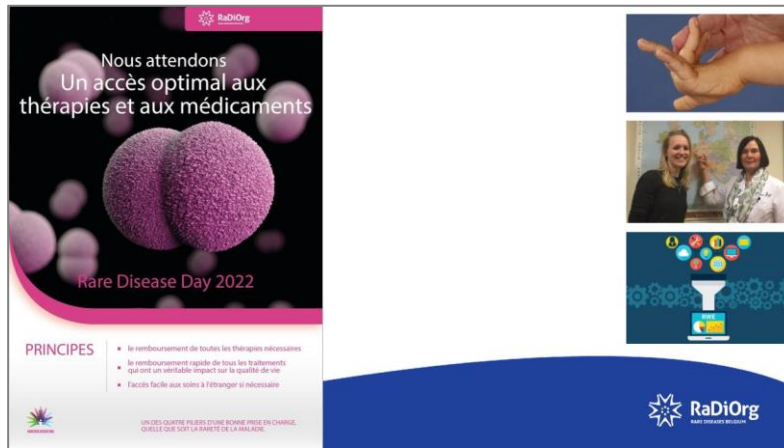
Un point de contact direct, accessible et de confiance est d'une valeur inestimable pour une personne atteinte d'une maladie complexe et peu connue. Un coordinateur de soins est ce point de contact qui connaît bien la maladie et

We wachten op GEPASTE BEGELEIDING EN COORDINATIE VAN DE ZORG

Een direct, laagdrempelig en vertrouwd aanspreekpunt is van goudwaarde voor iemand die een complexe en weinig bekende aandoening heeft. Iemand die kennis van zaken heeft over de ziekte en een totaaloverzicht

qui aura une vue d'ensemble du contenu du dossier du malade. Bien entendu, cette personne ne doit pas faire obstacle à l'accès direct à le spécialiste, mais elle peut ouvrir la voie à une organisation des soins aussi confortable que possible.

heeft over een dossier. Een zorgcoördinator. Natuurlijk mag deze persoon de directe toegang tot een specialist niet in de weg mag staan, maar hij kan wel het pad effenen om de zorg zo comfortabel en compleet mogelijk te organiseren.



Nous attendons UN ACCES OPTIMAL AUX THERAPIES ET AUX MEDICAMENTS

Wij wachten op OPTIMALE TOEGANG TOT THERAPIE EN MEDICATIE

Les défis à relever ici sont très variés.

Trois exemples :

- le manque d'accès à la physiothérapie pour les patients atteints d'Ehlers-Danlos, par exemple, parce que l'avis du médecin traitant n'est pas suivi par les mutuelles
- il s'agit de l'accès à l'expertise à l'étranger dans le cas où elle est significativement meilleure qu'en Belgique, comme c'est le cas pour la Fibrodysplasie ossifiante progressive, par exemple.
- Il s'agit du fait que la décision de remboursement des médicaments n'est toujours pas suffisamment fondée sur des preuves concrètes, sur le 'real world evidence'

De uitdagingen hier zijn zeer divers.

Drie voorbeelden:

- het gebrek aan toegang tot fysiotherapie voor Ehlers-Danlos-patiënten, bijvoorbeeld omdat het advies van de behandelend arts niet wordt opgevolgd door de ziekenfondsen
- het gaat om de toegang tot deskundigheid in het buitenland indien deze aanzienlijk beter is dan in België, zoals bijvoorbeeld het geval is voor Fibrodysplasia ossificans progressiva.
- Het gaat erom dat het besluit om geneesmiddelen te vergoeden nog steeds niet voldoende gebaseerd is op bewijs uit de echte wereld



A part ces quatre demandes qu'on a présenté lors de la journée des maladies rares, je veux partager avec vous deux autres projets sur lesquels on travaille à présent. Des projets sur des thématique très importants aussi pour les patients.

Naast deze vier vragen die wij op Rare Disease Day onder de aandacht brachten, wil ik nog twee andere projecten met jullie delen waaraan wij momenteel werken. Projecten over onderwerpen die ook voor patiënten van groot belang zijn.

Autres défis importants pour les patients :
Le délai diagnostique

Participez à la nouvelle enquête de Rare Barometer.
 Parlez-nous de votre recherche de diagnostic pour une maladie rare.

OUI, JE PARTICIPE !

à remplir jusqu'au 15 juin

https://www.sphinxonline.com/surveysurvey/s/EURORDIS75/RDdiagnosis_odyssey/questionnaire.htm

Le premier projet consiste à identifier les difficultés à obtenir un diagnostic correct pour une maladie rare. Parce qu'en fin de compte, c'est là que tout commence. Et pourtant, il faut en moyenne 4,5 ans pour que les patients obtiennent le bon diagnostic. Chez les adultes qui reçoivent un diagnostic, il s'écoule souvent beaucoup plus de temps entre les premiers symptômes et le diagnostic.

Afin de comprendre les raisons de ce délai et d'aider toutes les parties prenantes à faire mieux, l'équipe Rare Barometer d'EURORDIS a lancé une grande enquête. Elle se déroule jusqu'au 15 juin.

Nous avons actuellement reçu 722 réponses, pour la Belgique, et c'est fantastique. Mais nous

Met het eerste project willen we de moeilijkheden in kaart brengen bij het verkrijgen van een juiste diagnose voor een zeldzame ziekte. Want per slot van rekening, is dat waar het allemaal begint. En toch duurt het gemiddeld 4,5 jaar voordat patiënten de juiste diagnose krijgen. Bij volwassenen bij wie de diagnose wordt gesteld, duurt het vaak veel langer vanaf de eerste symptomen tot de diagnose.

Om inzicht te krijgen in de redenen voor deze vertraging en om alle belanghebbenden te helpen om het beter te doen, heeft het EURORDIS-team voor zeldzame ziekten een grootschalige enquête opgezet. De enquête loopt tot 15 juni.


espérons dépasser largement les 800 d'ici le 15 juin. Vous pouvez certainement y contribuer en invitant vos patients à répondre eux aussi à l'enquête.

We hebben momenteel 722 reacties ontvangen, voor België, wat fantastisch is. Maar we hopen er meer dan 800 te bereiken tegen 15 juni.

U kunt zeker een bijdrage leveren door uw patiënten uit te nodigen om aan de enquête deel te nemen.

Autres défis importants pour les patients :

- le statut maladie rare
- des défis dans les services des mutuelles

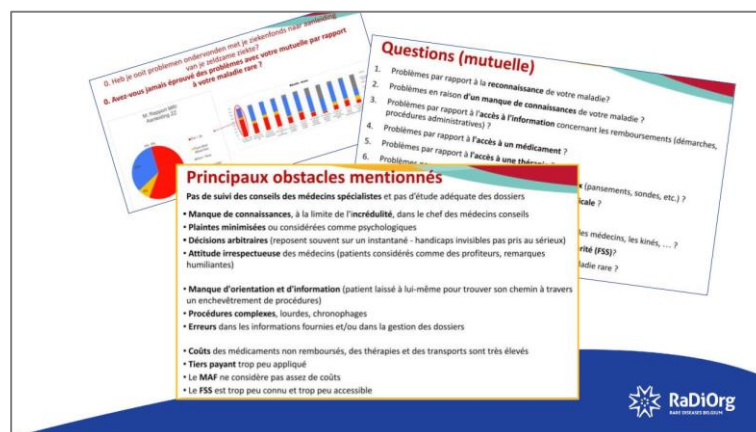


Enfin, j'aimerais vous parler d'un projet que nous avons réalisé avec la LUSS, notamment pour identifier les difficultés que les gens rencontrent avec leurs mutuelles. Nous avons réalisé une enquête à ce sujet au cours de l'été 2021. Nous en avons également discuté avec beaucoup de nos membres.

Tenslotte zou ik u willen vertellen over een project dat wij samen met de LUSS hebben uitgevoerd, met name om de moeilijkheden in kaart te brengen die de mensen ondervinden bij hun ziekenfonds. Wij hebben in de zomer van 2021 een enquête over dit onderwerp gehouden. Wij hebben er ook met veel van onze leden over overlegd.

Sur cette base, un rapport contenant des recommandations est en cours de finalisation. Ces recommandations concernent non seulement le service des caisses d'assurance maladie, mais aussi les conditions et les avantages du statut des maladies rares.

Op basis hiervan wordt de laatste hand gelegd aan een verslag met aanbevelingen. Deze aanbevelingen betreffen niet alleen de dienstverlening van ziekenfondsen, maar ook de voorwaarden en voordelen van het statuut zeldzame ziekte.




Principaux obstacles mentionnés

- Manque de connaissances, à la limite de l'incrédulité, dans le chef des médecins conseils
- Plaintes minimisées ou considérées comme psychologiques
- Décisions arbitraires (reposent souvent sur un instantané - handicaps invisibles pas pris au sérieux)
- Attitude irrespectueuse des médecins (patients considérés comme des profiteurs, remarques humiliantes)
- Manque d'orientation et d'information (patient laissé à lui-même pour trouver son chemin à travers un enchevêtrement de procédures)
- Procédures complexes, lourdes, chronophages
- Erreurs dans les informations fournies et/ou dans la gestion des dossiers
- Coûts des médicaments non remboursés, des thérapies et des transports sont très élevés
- Tiers payant trop peu appliqué
- Le MAF ne considère pas assez de coûts
- Le FSS est trop peu connu et trop peu accessible

Questions (mutuelle)

1. Problèmes par rapport à la reconnaissance de votre maladie?
2. Problèmes en raison d'un manque de connaissances de votre maladie?
3. Problèmes par rapport à l'accès à l'information concernant les remboursements (démarches, procédures administratives)?
4. Problèmes par rapport à l'accès à un médicament?
5. Problèmes par rapport à l'accès à une thérapie?
6. Problèmes par rapport à l'accès à une aide technique (pansements, sondes, etc.)?



Le rapport, qui sera probablement publié et diffusé avant l'été, aborde, entre autres, les problèmes que rencontrent les personnes en raison du manque de connaissances du personnel des mutuelles. Il souligne également, par exemple, comment pour le maximum à facturer ne prend pas en compte de nombreux coûts que les gens doivent supporter.

In het verslag, dat waarschijnlijk nog voor de zomer zal worden gepubliceerd en verspreid, wordt onder meer ingegaan op de problemen die de mensen ondervinden door het gebrek aan kennis van het personeel van de ziekenfondsen. Het stelt verder bijvoorbeeld ook dat de MAF met te weinig van de kosten die mensen moeten maken rekening houdt.



Enfin, je tiens à dire que RaDiOrg, en coopération avec d'autres, plaide également pour un soutien accru aux associations de patients. Parce que nous sommes convaincus que les associations de patients ont un rôle unique et précieux à jouer.

Tot slot zou ik willen zeggen dat RaDiOrg, in samenwerking met anderen, ook pleit voor meer steun aan patiëntenorganisaties. Omdat wij ervan overtuigd zijn dat patiëntenorganisaties een unieke en waardevolle rol te spelen hebben.

Leur valeur ajoutée est de plus en plus louée par de nombreux parties prenantes, des chercheurs, décideurs, industrie pharmaceutique et autres, et nous en sommes heureux. L'importance des associations de patients, notamment pour les maladies rares, est en effet grande.

Hun toegevoegde waarde wordt in toenemende mate geprezen door veel belanghebbenden, onderzoekers, beleidsmakers, de farmaceutische industrie en anderen, en wij juichen dit toe. Het belang van patiëntenorganisaties, vooral voor zeldzame ziekten, is inderdaad groot.

Personne ne sait mieux que les personnes ayant une "expérience vécue" ce dont le patient a besoin.

Niemand weet beter dan mensen met "lived experience" wat de patiënt nodig heeft.

Par rapport à nos pays voisins, la Belgique obtient un score tristement bas en ce qui concerne l'existence d'associations de patients efficaces et la participation des patients en générale. Il faut que cela change si nous ne voulons pas que l'approche centrée sur le patient reste un slogan vide.

In vergelijking met onze buurlanden scoort België bedroevend laag wat betreft het bestaan van doeltreffende patiëntenorganisaties en patiëntenbetrokkenheid in het algemeen.

Dit moet veranderen als we niet willen dat de patiëntgerichte benadering een loze kreet blijft.

Je vous remercie pour votre attention !

Dank voor uw aandacht!

