

Comment la Commission européenne travaille sur les maladies rares et les réseaux européens de référence (ERNs)

Février 2025

Le saviez-vous ?



Les travaux sur les **maladies rares** impliquent de nombreuses directions générales (DG) et services de la Commission qui **coordonnent ensemble les travaux et l'expertise visant à faire progresser les activités de l'UE sur les maladies rares de manière multidisciplinaire et collaborative.**

Encadrer les travaux de l'UE sur les maladies rares



La politique de santé et l'organisation de la prestation des services de santé et des soins médicaux relèvent de la compétence nationale. Toutefois, la Commission complète les politiques nationales en **encourageant l'échange de bonnes pratiques** et la **coopération** entre les **États Membres**.



La Commission agit dans le cadre des mesures suivantes :

- [Communication de la Commission sur les maladies rares](#)
- [Recommandation du Conseil dans le domaine des maladies rares](#)
- [Directive sur les soins de santé transfrontaliers.](#)

Celle-ci définit les paramètres des travaux menés dans l'ensemble de l'UE sur les maladies rares du point de vue de la santé publique. En ce qui concerne la [recherche](#), l'UE a longtemps donné la priorité au soutien aux maladies rares à travers des programmes-cadres de recherche et d'innovation successifs, avec une forte implication des ERNs dans plusieurs [projets](#) et essais cliniques.



Médicaments orphelins et dispositifs médicaux

L'UE agit afin d'**améliorer l'accès à des médicaments orphelins et à des dispositifs médicaux** sûrs et plus efficaces. En ce qui concerne les médicaments orphelins, la Commission a révisé la législation sur les médicaments orphelins et proposé des modifications pour relever tous les défis recensés au cours des 20 dernières années.

Les changements visent à promouvoir le développement de médicaments orphelins pour les maladies rares mal desservies par le biais d'incitations ciblées, d'un soutien réglementaire renforcé et d'un meilleur accès égal aux médicaments orphelins.

En 2024, des [Orientations](#) sur l'évaluation clinique des dispositifs médicaux orphelins ont été fournies pour aider les fabricants à se conformer aux exigences réglementaires du règlement de l'UE sur les dispositifs médicaux. Sur la base de ces Orientations, l'Agence européenne des médicaments a lancé un programme pilote visant à soutenir le développement et l'évaluation de dispositifs médicaux orphelins grâce à la participation de groupes d'experts.



Disponibilité et partage des données

Le futur [espace européen des données de santé](#) améliorera la continuité des soins pour les patients aux niveaux national et européen en **permettant un accès et un partage sécurisés des dossiers de santé électroniques dans l'ensemble de l'UE**. L'espace européen des données de santé soutiendra l'utilisation secondaire des données en mettant davantage de données sur les maladies rares à la disposition de la recherche et de l'innovation. L'amélioration de l'accès aux données devrait accélérer le développement de nouveaux traitements et médicaments pour les patients atteints de maladies rares.



Réseaux Européens de Référence (ERNs)

La Commission **renforce** les travaux des [24 réseaux européens de référence \(ERNs\)](#), qui sont des réseaux transfrontaliers qui rassemblent des centres européens d'expertise et de référence pour lutter contre les maladies rares, à faible prévalence et complexes nécessitant des soins de santé hautement spécialisés. Les **ERNs représentent un élément clé** de l'Union européenne de la santé dans le domaine des maladies rares, travaillant sur la coordination des réseaux, les registres de patients, la formation, les lignes directrices de pratique clinique et la communication afin de sensibiliser aux maladies rares et aux activités des ERNs.

Comment s'organise la gouvernance du réseau européen de référence ?



Engagement de l'UE auprès des États membres

Le [conseil des États membres](#) est un groupe de représentants nationaux qui supervise les réseaux européens de référence. Leurs responsabilités comprennent **l'approbation** ou la **dissolution** des réseaux et des demandes d'adhésion. Deux fois par an, la Commission organise des réunions avec le conseil des États membres afin d'orienter les ERNs et, le cas échéant, trouver un consensus sur les éléments de prise de décision. Des réunions supplémentaires peuvent être organisées sur des sujets spécifiques intéressant les ERNs.



Engagement de l'UE dans les réseaux européens de référence

La Commission travaille également en étroite collaboration avec les réseaux, des **réunions étant organisées deux fois par an** avec le [groupe des coordinateurs des ERNs](#). Ce groupe rassemble le coordinateur de chaque ERN et aborde les points communs à tous les réseaux sur les aspects techniques et organisationnels. Compte tenu de leur expertise, ils sont également invités à conseiller les États Membres et la Commission.

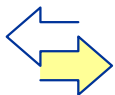
Travailler ensemble



Organisations de patients

Il est également essentiel de garder la voix des patients et des familles au centre des travaux de l'UE dans le domaine des maladies rares.

C'est pourquoi la Commission collabore avec des organisations de patients, notamment [EURORDIS](#), l'alliance à but non lucratif qui représente plus de 1 000 organisations de patients atteints de maladies rares. Par exemple, les organisations de patients jouent un rôle essentiel dans le cadre des travaux des réseaux européens de référence et EURORDIS est un partenaire important dans de nombreux projets financés par l'UE tels que [ERDERA](#) et [Screen4Care](#).



Orphanet

La Commission **soutient également Orphanet**, une initiative qui gère un portail numérique destiné à rassembler et à améliorer les connaissances sur les maladies rares pour **améliorer le diagnostic, les soins et le traitement** des patients atteints de maladies rares. De plus, Orphanet tient à jour la nomenclature des maladies rares connue sous le nom d'[ORPHAcode](#), qui permet la codification harmonisée des maladies rares dans le monde entier.



Soutenir l'Ukraine dans la lutte contre les maladies rares

La Commission se tient aux côtés de l'Ukraine, y compris dans le domaine des maladies rares. Un cadre a été mis en place pour permettre aux prestataires de soins de santé ukrainiens de demander conseil aux membres des réseaux européens de référence sur les patients ukrainiens atteints de maladies rares ou complexes.

En outre, les ERN entreprennent des activités de collaboration, de renforcement des capacités et de partage des meilleures pratiques pour les autorités ukrainiennes compétentes et les unités de santé.

© Union européenne, 2025

Union européenne, 2025. La réutilisation du présent document est autorisée, à condition de mentionner dûment la provenance et d'indiquer toute modification (licence Creative Commons Attribution 4.0 International). Pour toute utilisation ou reproduction d'éléments qui ne sont pas la propriété de l'UE, l'autorisation peut devoir être obtenue directement auprès des titulaires de droits respectifs. Toutes les images © Gettyimages

Luxembourg: Publications Office of the European Union, 2025

PDF	ISBN 978-92-68-24387-9	doi:10.2875/1953790	EW-01-25-014-FR-N
Print	ISBN 978-92-68-24388-6	doi:10.2875/0023190	EW-01-25-014-FR-C