

## Rapport annuel 2023

Chers membres de ProRaris, Mesdames et Messieurs

Ma deuxième année chez ProRaris a été marquée par des sujets et des activités très variés. Je voudrais souligner deux points forts de l'année dernière : D'une part, les différents entretiens avec des représentants de grandes entreprises pharmaceutiques et d'assureurs maladie. Lors des entretiens avec les CEO, nous avons discuté de la possibilité d'un "partenariat pour les patients atteints de maladies rares" (PPP-SK) commun. Un deuxième temps fort a été l'événement "Moving Mountains" ("Déplacer des montagnes") organisé par Takeda le 28 juin 2023. En tant que présidente de ProRaris, j'ai eu l'honneur de prononcer le discours d'ouverture. J'ai également pu y élargir et renforcer mon réseau avec différentes parties prenantes importantes.

En 2023, j'ai à nouveau eu l'occasion de travailler avec un comité directeur formidable et motivé et de m'attaquer à la réorientation du secrétariat, devenue nécessaire après le départ de notre directrice de longue date. Je suis impressionnée par les connaissances de notre organisation. Elles sont si diversifiées. Et la volonté que nous avons de continuer à nous développer est intacte. Mon premier et principal objectif pour 2024 est de renforcer la fragile situation financière de ProRaris. Malgré le soutien de nombreuses entreprises, que je tiens à remercier ici du fond du cœur, notre budget 2023 n'était pas suffisant pour renforcer ProRaris à des postes stratégiquement importants. Si nous voulons être perçus comme le comité directeur l'a défini au printemps 2023 et comme nos délégués l'ont confirmé début juin 2023, nous devons également investir davantage en 2024 - dans notre collecte de fonds et donc aussi dans notre communication.

C'est avec plaisir que je maintiens la tradition actuelle et que je rappelle la mission de ProRaris au début de ce rapport annuel :

- ProRaris s'engage à garantir les soins de santé aux personnes atteintes de maladies rares en Suisse. ProRaris s'engage à ce que les mesures du concept national pour les maladies rares soient mises en œuvre dans l'intérêt et pour le bien des patients et de leurs familles.
- ProRaris sensibilise le public, les politiciens, les autorités et les institutions compétentes à la problématique des maladies rares.
- ProRaris travaille en étroite collaboration avec les organisations de patients et les patients sans organisation propre. ProRaris s'engage avec eux et pour eux tous.

En 2023, nous avons ajusté notre stratégie et notre positionnement. Notre objectif est de continuer à renforcer et à développer la position de notre association au sein du système de santé suisse.

Mon travail et celui du comité directeur ne seraient pas possibles sans l'engagement courageux de notre secrétariat en arrière-plan. Je tiens à remercier chaleureusement notre ancienne

directrice, Jacqueline de Sá, qui nous a quittés de son plein gré fin 2023, ainsi que notre collaboratrice Sarah Menzel pour son grand engagement en faveur de notre association. Je tiens également à saluer chaleureusement nos deux nouvelles collaboratrices, qui nous ont rejoints début 2024 : Monika Joss en tant que nouvelle directrice et Karin Marte en tant que collaboratrice scientifique. Nous nous réjouissons de collaborer avec vous pour notre importante cause !

Je vous souhaite une bonne lecture et me réjouis de poursuivre mon engagement avec le comité et nos membres en faveur de toutes les personnes atteintes de maladies rares !

De nombreuses informations contenues dans ce rapport peuvent être complétées par la lecture des textes correspondants sur notre site Internet. Les comptes annuels actuels et le présent rapport annuel seront également mis en ligne sur le site après leur approbation par les délégués lors de l'AD.

Yvonne Feri, présidente de ProRaris

## 1. Formulaire

### Adhésions

Nous avons accueilli les organisations de patients suivantes comme nouveaux membres en 2023 :

- Selbsthilfe Trachealstenose
- Save Sight Now Europe
- Hopos

Nous sommes très heureux de cette croissance et souhaitons remercier chaleureusement ces organisations.

## 2. Activités

### Manifestation à l'occasion de la Journée des maladies rares

Le 4 mars 2023, ProRaris a organisé la 13e édition de la Journée des maladies rares. Fidèle au thème de cette année, l'accent a été mis tout au long de la manifestation sur les défis et les opportunités liés à la participation des patients, et ce sous différents angles. La journée a été animée pour la première fois par Yvonne Feri, la nouvelle présidente de ProRaris. Dans son discours de bienvenue, Yvonne Feri a rappelé que, grâce à la motion 22.3379, les bases légales peuvent désormais être créées pour indemniser financièrement la participation des patients. Pendant le long processus législatif, les défis financiers pour ProRaris sont cependant restés très élevés. Le programme varié a été enrichi par les contributions de différents experts des domaines de la recherche clinique, de Swissmedic et de la RSMR. Les voix de plusieurs patients ayant une longue expérience en tant que "patients experts" ont également été importantes, ce qui s'est reflété dans la séance de questions-réponses interdisciplinaire. En conclusion, Yvonne Feri a souligné que la valeur ajoutée de l'implication des patients devait absolument être mieux connue.

Vous trouverez plus d'informations sur notre site web :

- [Journée des maladies rares 2024 \(prorararis.ch\)](https://www.prorararis.ch)

### Activités politiques

En 2022, les bases fondamentales du financement ont été introduites dans le cadre du concept national maladies rares, de sorte qu'en 2023, l'accent a été mis sur le comblement des lacunes légales. En tant que membre de la CI Maladies rares, ProRaris a soutenu le lancement ou la réalisation d'interventions importantes au Parlement national. Ainsi, lors de la session de printemps 2023, le Conseil national a adopté la motion "Indemnité de prise en charge. Garantir la prise en charge des enfants gravement malades à l'hôpital et combler les lacunes dans l'exécution" du conseiller aux Etats Damian Müller (PLR/LU) à une large majorité. L'intervention demande une simplification de l'allocation pour perte de gain (APG). Un séjour hospitalier d'au moins quatre jours d'un enfant doit suffire à confirmer une grave atteinte à la santé. La modification de loi correspondante de la LAPG a été [mise en consultation](#) fin décembre 2023.

Début 2023, l'Office fédéral des assurances sociales (OFAS) a provoqué un grand émoi chez les personnes concernées et dans les médias en modifiant l'ordonnance. Elle avait pour conséquence que seuls les appareils de traitement figurant sur la liste des moyens et appareils (LiMA) étaient remboursés. Le conseiller aux États Matthias Michel (PLR/ZG) s'est alors activé sur le plan politique. Il assure la coprésidence de la CI Maladies rares avec Yvonne Feri, présidente de ProRaris, et a déposé le 16 mars 2023 l'interpellation "[Comment éviter une pénurie de soins pour les enfants atteints d'infirmités congénitales ?](#)", à laquelle le Conseil fédéral a répondu le 24 avril 2023. Avant même d'y répondre, à savoir le 20 avril 2023, l'OFAS a réagi par un communiqué de presse et annoncé que l'AI rembourserait jusqu'à nouvel ordre les frais supplémentaires ([L'AI garantit le remboursement et la qualité des soins aux enfants atteints d'infirmités congénitales](#)). L'OFAS a lancé une table ronde en juin 2023, qui a débouché sur le fait qu'il n'y aurait pas de révision de la LiMA, mais un retour à la solution de remboursement pragmatique qui était en vigueur jusqu'à présent. Cette intervention réussie illustre de manière exemplaire l'importante collaboration politique entre plusieurs acteurs.

Au printemps également, l'initiative parlementaire de Benjamin Roudot (centre/VS) [Mise en œuvre du rapport d'évaluation des expertises médicales dans l'AI](#) a été approuvée par la commission de la santé du Conseil des États. Elle doit permettre la mise en œuvre complète des recommandations du rapport d'évaluation lors de l'attribution des expertises monodisciplinaires de l'AI. Le point central est la recherche d'un accord sur la désignation de la personne experte qui doit réaliser l'expertise médicale. Les arguments des organisations de patients ont été entendus.

Début décembre 2023, le Conseil fédéral a ensuite lancé la [procédure de consultation pour la révision partielle de la loi sur les produits thérapeutiques](#), qui a duré jusqu'au 22 mars 2024. L'objectif d'augmenter la sécurité de la médication par une utilisation accrue d'instruments numériques ainsi qu'une réglementation plus claire des nouvelles thérapies est particulièrement important pour les personnes concernées par les maladies rares. ProRaris a participé à la consultation en tant que telle et en tant que membre de la CI Maladies rares. Les points importants sont l'émission électronique d'ordonnances pour les produits thérapeutiques et le plan de médication. À l'avenir, les patients recevront un plan de médication électronique contenant des informations sur les médicaments qu'ils doivent prendre. Mais aussi une plus grande sécurité des médicaments en pédiatrie, où les systèmes électroniques doivent devenir obligatoires afin de minimiser les erreurs de calcul et d'augmenter la sécurité d'utilisation lors du dosage des médicaments. En outre, l'accès aux thérapies innovantes, appelées "Advanced Therapy Medicinal Products" (ATMP), doit être réglementé plus clairement. Il s'agit par exemple des thérapies géniques et cellulaires. La Suisse veut aligner ses dispositions sur le droit européen et créer un niveau de sécurité comparable.

## Travaux dans le cadre de la coordination nationale maladies rares kosek

En 2023, les divers projets de la kosek ont continué d'avancer. En tant que membre fondateur, ProRaris est représentée dans les divers comités et a, cette année encore, consacré de nombreuses heures de travail et beaucoup d'engagement aux projets.

En 2023, la deuxième série de candidatures a été ouverte aux réseaux de référence et aux centres pour les groupes de maladies rares. Jusqu'à la date limite de fin janvier, un nombre à deux chiffres de réseaux, soit plus de 40 centres, ont posé leur candidature pour une reconnaissance kosek. D'autres réseaux sont en train de se préparer et ont annoncé une candidature pour 2024 ou plus tard.

Ce nombre élevé de candidatures est très réjouissant et signifie que le modèle des réseaux et centres de référence est bien accueilli dans le paysage des soins. Les personnes concernées en bénéficieront sous la forme d'un diagnostic plus rapide et de soins de haute qualité.

Le nombre élevé de candidatures pose un énorme problème à la kosek, dont le groupe d'experts avec nos représentants des patients doit évaluer un nombre de dossiers quatre à cinq fois supérieur à celui prévu. Au départ, il était prévu que deux réseaux avec leurs centres de référence se présentent à chaque tour de candidature.

Le groupe d'experts a relevé le défi et est en contact avec les centres pour évaluer les dossiers. L'objectif est de reconnaître des réseaux de référence avec des centres de référence pour d'autres groupes de maladies à la fin du troisième trimestre 2024. Une nouvelle série de candidatures sera lancée au deuxième trimestre 2024.

Les défis actuels qui se posent à ProRaris et à la kosek sont les suivants :

- Il n'y a pas encore suffisamment d'organisations de patients qui peuvent s'engager d'égal à égal dans les réseaux. Pour améliorer cette situation, un groupe de travail a été constitué afin d'élaborer des recommandations pour l'intégration des représentants des patients dans les réseaux. Parallèlement, ProRaris discute de mesures visant à encourager et à soutenir les représentants des patients.
- Il manque toujours une base légale pour le financement de ProRaris, de la kosek, des groupes spécialisés de la kosek, pour Orphanet et pour le registre des maladies rares. Des financements transitoires à court terme ont parfois été conclus avec l'OFSP/la CDS. Mais ceux-ci ne financent qu'une partie des coûts nécessaires. De plus, tous les financements expirent avant l'entrée en vigueur de la base légale pour le financement. La poursuite du financement intermédiaire n'est pas résolue.

La réticence des pouvoirs publics à financer le projet et le temps qui s'est écoulé avant qu'une base légale ne soit créée nous laissent pour l'instant dans l'incertitude quant à la durée de cette histoire à succès, réalisée grâce à un travail bénévole considérable. Actuellement, cela n'est possible que grâce à l'engagement de toutes les personnes impliquées. Nous sommes très reconnaissants aux professionnels pour leur engagement. Chez ProRaris, nous continuerons à nous engager de toutes nos forces pour que les réseaux kosek garantissent la prise en charge

des personnes atteintes de maladies rares et pour que les patients puissent continuer à développer les réseaux sur un pied d'égalité avec les professionnels.

### 3. Financement et activités de collecte de fonds

Comme chaque année, le thème des finances a été un sujet central et un défi majeur en 2023. Les comptes annuels 2023 font à nouveau état d'une perte, raison pour laquelle nous lançons actuellement des appels urgents aux dons auprès de diverses organisations. Si nous avons pu malgré tout poursuivre nos activités, nous le devons à l'engagement bénévole des membres compétents et engagés du comité directeur et à l'utilisation efficace des ressources limitées par le secrétariat.

Nous tenons à remercier du fond du cœur tous les participants, mais aussi tous nos donateurs et soutiens. Vous trouverez la liste pour l'année 2023 sur [notre site web](#).

Nous avons certes reçu beaucoup de reconnaissance pour notre travail, mais cela ne se reflète malheureusement pas sur le solde de notre compte. Les cotisations des membres ne constituent qu'une très petite base, la plupart des organisations membres étant elles-mêmes confrontées à des difficultés de financement. C'est pourquoi ProRaris est financée en grande partie par des dons ou des paratenariats. La recherche de fonds est laborieuse et doit être conciliée avec notre mission principale et nos ressources en personnel limitées.

Pour pouvoir nous développer en 2024, nous avons besoin de plus de moyens que ceux dont nous disposons aujourd'hui. Contrairement à l'industrie, dont les innovations sont nécessaires aux patients atteints d'une maladie rare, nous ne disposons pas d'investisseurs solides. Et contrairement aux assureurs maladie, dont les activités sont financées par des organismes sans but lucratif et des primes fixées par l'État (prélèvements obligatoires), nous ne pouvons compter "que" sur les cotisations (volontaires) de nos membres et les dons pour financer notre travail - et en partie sur la rémunération de services basés sur notre expertise et notre expérience. Actuellement, nos revenus sont loin d'être suffisants pour entretenir les ressources professionnelles nécessaires à la réalisation de nos ambitions.

Mais à moyen terme, nous sommes pleins d'espoir, car nous avons la perspective d'obtenir des fonds de la caisse fédérale. Deux motions en ce sens, lancées au sein de la commission de la santé du Conseil national (comme mentionné ci-dessus) et auxquelles notre présidente Yvonne Feri a largement contribué, ont été transmises au Conseil fédéral l'année dernière.

Celles-ci devraient jeter les bases d'un soutien fédéral, dont le montant n'est absolument pas déterminé. Il s'agit de la motion 21.3978 "Pour un financement durable des projets de santé publique du concept national maladies rares" et 22.3379 "Renforcement et financement des organisations de patients dans le domaine des maladies rares". L'expérience montre qu'il faut du temps pour que les interventions soient mises en œuvre, car les moulins de l'Etat sont

généralement lents à moudre. Le Conseil fédéral dispose de deux ans pour mettre en œuvre les interventions.

Notre objectif est de permettre à ProRaris de jouer un rôle plus actif à l'avenir et de renforcer sa contribution au développement du système de santé suisse. Pour un système de santé où l'on ne parle pas seulement DES patients atteints d'une maladie rare (et où l'on décide souvent de manière déterminante de leur sort), mais où l'on parle AVEC eux et où leur expertise et leur expérience sont prises en compte de manière appropriée dans les réflexions.

## 4. Communication

### Développement des activités de communication

Nous avons intensifié nos activités de communication en 2023 afin d'atteindre davantage de personnes atteintes de maladies rares, d'informer sur les offres et les services, de mettre en réseau les personnes concernées et, enfin, d'attirer davantage l'attention sur le domaine des maladies rares. Pour ce faire, nous avons non seulement soigné la communication avec les membres, mais aussi pu diffuser davantage d'informations via le site web et les médias sociaux. Le développement des activités de communication a été rendu possible grâce aux subventions de fondations.

## 5. Recherche

Nous nous engageons également dans la promotion de la recherche dans le domaine des maladies rares. Par exemple, nous informons nos membres des projets de recherche auxquels ils peuvent participer.

Nous participons également au pôle de recherche sur les maladies rares de l'université de Zurich ITINERARE. Notre vice-président, le Dr Alfred Wiesbauer, apporte son expertise au comité consultatif d'ITINERARE. Depuis nos débuts, la participation des patients aux projets de santé publique nous tient à cœur.

### Participation à des groupes de travail et à des commissions

En 2023, ProRaris s'est engagée dans les organes et organisations suivants :

- Au conseil d'administration :
  - Coordination maladies rares (kosek)
  - Registre suisse des maladies rares (RSMR)
  - Rare Disease Action Forum (RDAF)
  -
- En tant que membre :
  - Communauté d'intérêts pour les maladies rares (CI Maladies Rares)
  - Groupe de travail des organisations de patients et de consommateurs Swiss-med
  - Commission fédérale des médicaments (CFM)
  - Alliance pour la santé en Suisse
  - Journée des malades

- Swiss Personalized Health Network (SPHN) (avec droit de vote)
- EURORDIS
  
- Dans le cadre du concept national maladies rares :
  - Groupe de coordination de l'OFSP

## 6. Défis à relever

### Les défis des patients

**Un premier défi concerne** le fait que l'on parle beaucoup trop des patients atteints de maladies rares plutôt qu'avec eux : En dépit de tous les progrès réalisés, l'expertise et l'expérience des personnes atteintes de maladies rares ne sont toujours pas suffisamment prises en compte, et encore moins demandées et/ou revendiquées. Cela est peut-être dû au fait que beaucoup ne sont pas conscients du fait que les personnes concernées et leurs proches disposent en général d'un énorme savoir, notamment dans le domaine des maladies rares. Faute d'aide et de soutien adéquats de la part des professionnels de la santé, ils les développent par eux-mêmes et deviennent ainsi des experts de leur propre expérience. Cette expertise reste encore trop souvent en friche dans notre système de santé, car l'implication professionnelle des patients n'est tout simplement pas prévue dans notre système. Certes, les organisations de patients ont été davantage impliquées au niveau politique ces dernières années, mais trop peu et pas en tant que ressource.

La situation légale constitue **un deuxième défi** : les processus législatifs durent généralement des années et souvent plus longtemps que prévu, d'autant plus que les signes de la politique de santé au Palais fédéral sont la maîtrise des coûts. Pour les patients, cela signifie peu de chances de succès. A cela s'ajoute le fait que les processus législatifs sont imprévisibles, car les priorités peuvent changer, par exemple lorsque la direction du département compétent passe en de nouvelles mains. Enfin, on ne sait pas non plus ce que la future nouvelle direction du DFI signifie pour le remboursement des médicaments, qui fait également l'objet de vives discussions et pour lequel la participation des patients laisse encore beaucoup à désirer. Il est clair que nous voulons nous engager davantage dans l'intérêt des patients atteints d'une maladie rare pour un accès amélioré et égalitaire aux médicaments entrant en ligne de compte. C'est dans ce sens que nous soutenons le projet actuel sur les médicaments et la liste des médicaments orphelins.

**Le troisième défi** est le manque de thérapies pour les maladies rares : Il n'existe des traitements spécifiques que pour environ 5 à 10 % des personnes atteintes d'une maladie rare. Pour nous, il est donc essentiel que la recherche et le développement de médicaments innovants restent une priorité pour l'industrie nationale et étrangère. En même temps, nous avons intérêt à ce que les assureurs-maladie y accordent également de l'importance et soient prêts à rembourser les innovations de manière appropriée. Nos membres et nos patients ont besoin que ces deux acteurs collaborent bien et de manière constructive, en trouvant des solutions consensuelles. Si ce n'est pas le cas, ce sont surtout ceux qui sont concernés par la recherche de solutions - les personnes concernées - qui en souffrent.