

# Consultation publique ouverte sur l'évaluation de la législation de l'Union européenne relative aux médicaments pour le traitement des maladies rares et aux médicaments à usage pédiatrique

Les champs marqués d'un \* sont obligatoires.

## Introduction

---

Le cadre juridique de l'Union européenne pour les médicaments à usage humain vise à assurer un haut niveau de protection de la santé publique et à promouvoir le fonctionnement du marché intérieur, et prévoit des mesures encourageant l'innovation. Un médicament ne peut être mis sur le marché de l'Union sans avoir obtenu au préalable une autorisation, qui peut être délivrée par les autorités nationales ou par l'Union.

L'Union considère qu'une maladie rare ou orpheline est une maladie entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur dix mille. Quant au médicament orphelin, elle le définit comme un médicament ainsi désigné dans les conditions prévues par le règlement de l'Union concernant les médicaments orphelins (règlement n° 141/2000). Étant donné qu'un grand nombre de maladies pédiatriques sont également considérées comme des maladies rares, le domaine des médicaments orphelins et celui des médicaments pédiatriques sont étroitement imbriqués.

Cette consultation publique s'inscrit dans le cadre d'une étude destinée à appuyer l'évaluation de la législation relative aux médicaments pour le traitement des maladies rares et aux médicaments à usage pédiatrique.

Vous trouverez de plus amples informations sur le cadre juridique pour les médicaments orphelins et plus particulièrement sur le règlement de l'Union concernant les médicaments orphelins [ici](#), et une liste des maladies rares [ici](#). Le registre de l'Union des médicaments orphelins peut être consulté [ici](#) (les noms commerciaux figurent dans la dernière colonne à droite).

## Informations vous concernant

---

\* Votre contribution est rédigée en:

- allemand
- anglais
- bulgare
- croate
- danois
- espagnol
- estonien

- finnois
- français
- grec
- hongrois
- irlandais
- italien
- letton
- lituanien
- maltais
- néerlandais
- polonais
- portugais
- roumain
- slovène
- slovaque
- suédois
- tchèque

\* Vous répondez en tant que:

- association professionnelle
- autorité publique
- citoyen de l'UE
- citoyen hors UE
- établissement universitaire/institut de recherche
- organisation de défense des consommateurs
- organisation de protection de l'environnement
- organisation non gouvernementale (ONG)
- organisation syndicale
- société/groupement d'entreprises
- autre

\* Prénom

\* Nom

\* Adresse électronique (ne sera pas divulguée)

\* Portée

- internationale
- locale
- nationale

régionale

\* Nom de l'organisation

255 caractère(s) maximum

\* Taille de l'organisation

- micro (1 à 9 salariés)
- petite (10 à 49 salariés)
- moyenne (50 à 249 salariés)
- grande (250 salariés ou plus)

Numéro d'inscription au registre de transparence

255 caractère(s) maximum

Votre organisation est-elle inscrite au [registre de transparence](#)? Il s'agit d'une base de données dans laquelle s'inscrivent de leur plein gré des organisations souhaitant influencer sur le processus décisionnel de l'UE.

\* Pays d'origine

Veuillez indiquer votre pays d'origine ou celui de votre organisation.

- |   |                                  |                                     |  |
|---|----------------------------------|-------------------------------------|--|
| <input type="radio"/> Afghanistan                                 | <input type="radio"/> Espagne    | <input type="radio"/> Kiribati      | <input type="radio"/> République dominicaine                       |
| <input type="radio"/> Afrique du Sud                              | <input type="radio"/> Estonie    | <input type="radio"/> Kosovo        | <input type="radio"/> Roumanie                                     |
| <input type="radio"/> Albanie                                     | <input type="radio"/> États-Unis | <input type="radio"/> Koweït        | <input type="radio"/> Royaume-Uni                                  |
| <input type="radio"/> Algérie                                     | <input type="radio"/> Éthiopie   | <input type="radio"/> Laos          | <input type="radio"/> Russie                                       |
| <input type="radio"/> Allemagne                                   | <input type="radio"/> Féroé      | <input type="radio"/> La Réunion    | <input type="radio"/> Rwanda                                       |
| <input type="radio"/> ancienne République yougoslave de Macédoine | <input type="radio"/> Fidji      | <input type="radio"/> Lesotho       | <input type="radio"/> Sahara occidental                            |
| <input type="radio"/> Andorre                                     | <input type="radio"/> Finlande   | <input type="radio"/> Lettonie      | <input type="radio"/> Saint-Barthélemy                             |
| <input type="radio"/> Angola                                      | <input type="radio"/> France     | <input type="radio"/> Liban         | <input type="radio"/> Saint-Christophe-et-Niévès                   |
| <input type="radio"/> Anguilla                                    | <input type="radio"/> Gabon      | <input type="radio"/> Liberia       | <input type="radio"/> Sainte-Hélène, Ascension et Tristan da Cunha |
| <input type="radio"/> Antarctique                                 | <input type="radio"/> Gambie     | <input type="radio"/> Libye         | <input type="radio"/> Sainte-Lucie                                 |
| <input type="radio"/> Antigua-et-Barbuda                          | <input type="radio"/> Géorgie    | <input type="radio"/> Liechtenstein | <input type="radio"/> Saint-Marin                                  |
| <input type="radio"/> Arabie saoudite                             | <input type="radio"/> Ghana      | <input type="radio"/> Lituanie      | <input type="radio"/> Saint-Martin                                 |
| <input type="radio"/> Argentine                                   | <input type="radio"/> Gibraltar  | <input type="radio"/> Luxembourg    | <input type="radio"/> Saint-Pierre-et-Miquelon                     |

- Arménie
- Aruba
  
- Australie
- Autriche
  
- Azerbaïdjan
  
- Bahamas
- Bahreïn
- Bangladesh
- Barbade
- Belgique
  
- Belize
- Bénin
- Bermudes
- Bhoutan
- Biélorussie
- Bolivie
  
- Bosnie-Herzégovine
- Botswana
- Brésil
- Brunei
- Bulgarie
  
- Burkina
- Burundi
- Cambodge
- Cameroun
- Canada
  
- Cap-Vert
  
- Caraïbes néerlandaises
- Chili
  
- Chine
- Grèce
- Grenade
  
- Groenland
- Guadeloupe
  
- Guam
  
- Guatemala
- Guernesey
- Guinée
- Guinée-Bissau
- Guinée équatoriale
- Guyana
- Guyane
- Haïti
- Honduras
- Hong Kong
- Hongrie
  
- Île Bouvet
- Île Christmas
- Île de Man
- Île Norfolk
- Îles Åland
  
- Îles Caïmans
- Îles Cocos
- Îles Cook
- Îles Falkland
- Îles Géorgie du Sud et Sandwich du Sud
- Îles Heard et McDonald
- Îles Mariannes du Nord
- Îles Marshall
- Îles mineures éloignées des États-Unis
- Macao
- Madagascar
  
- Malaisie
- Malawi
  
- Maldives
  
- Mali
- Malte
- Maroc
- Martinique
- Maurice
  
- Mauritanie
- Mayotte
- Mexique
- Micronésie
- Moldavie
- Monaco
  
- Mongolie
  
- Monténégro
- Montserrat
- Mozambique
- Myanmar /Birmanie
- Namibie
- Nauru
- Népal
- Nicaragua
- Niger
  
- Nigeria
  
- Niue
  
- Norvège
  
- Nouvelle-Calédonie
- Saint-Siège
- Saint-Vincent-et-les-Grenadines
- Samoa
- Samoa américaines
- Sao Tomé-et-Principe
- Sénégal
- Serbie
- Seychelles
- Sierra Leone
- Singapour
  
- Sint-Maarten
- Slovaquie
- Slovénie
- Somalie
- Soudan
- Soudan du Sud
- Sri Lanka
  
- Suède
- Suisse
- Suriname
- Svalbard et Jan Mayen
- Swaziland
- Syrie
- Tadjikistan
- Taïwan
- Tanzanie
  
- Tchad
  
- Tchéquie
  
- Terres australes et antarctiques françaises
- Territoire britannique de l'océan Indien

- |   |   |  |   |
|---|---|--|---|
| <input type="radio"/> Chypre              | <input type="radio"/> Îles Pitcairn             | <input type="radio"/> Nouvelle-Zélande                 | <input type="radio"/> Thaïlande         |
| <input type="radio"/> Clipperton          | <input type="radio"/> Îles Salomon              | <input type="radio"/> Oman                             | <input type="radio"/> Timor-Oriental    |
| <input type="radio"/> Colombie            | <input type="radio"/> Îles Turks-et-Caïcos      | <input type="radio"/> Ouganda                          | <input type="radio"/> Togo              |
| <input type="radio"/> Comores             | <input type="radio"/> Îles Vierges américaines  | <input type="radio"/> Ouzbékistan                      | <input type="radio"/> Tokélaou          |
| <input type="radio"/> Congo               | <input type="radio"/> Îles Vierges britanniques | <input type="radio"/> Pakistan                         | <input type="radio"/> Tonga             |
| <input type="radio"/> Corée du Nord       | <input type="radio"/> Inde                      | <input type="radio"/> Palaos                           | <input type="radio"/> Trinité-et-Tobago |
| <input type="radio"/> Corée du Sud        | <input type="radio"/> Indonésie                 | <input type="radio"/> Palestine                        | <input type="radio"/> Tunisie           |
| <input type="radio"/> Costa Rica          | <input type="radio"/> Iran                      | <input type="radio"/> Panama                           | <input type="radio"/> Turkménistan      |
| <input type="radio"/> Côte d'Ivoire       | <input type="radio"/> Iraq                      | <input type="radio"/> Papouasie - Nouvelle-Guinée      | <input type="radio"/> Turquie           |
| <input type="radio"/> Croatie             | <input type="radio"/> Irlande                   | <input type="radio"/> Paraguay                         | <input type="radio"/> Tuvalu            |
| <input type="radio"/> Cuba                | <input type="radio"/> Islande                   | <input type="radio"/> Pays-Bas                         | <input type="radio"/> Ukraine           |
| <input type="radio"/> Curaçao             | <input type="radio"/> Israël                    | <input type="radio"/> Pérou                            | <input type="radio"/> Uruguay           |
| <input type="radio"/> Danemark            | <input type="radio"/> Italie                    | <input type="radio"/> Philippines                      | <input type="radio"/> Vanuatu           |
| <input type="radio"/> Djibouti            | <input type="radio"/> Jamaïque                  | <input type="radio"/> Pologne                          | <input type="radio"/> Venezuela         |
| <input type="radio"/> Dominique           | <input type="radio"/> Japon                     | <input type="radio"/> Polynésie française              | <input type="radio"/> Viêt Nam          |
| <input type="radio"/> Égypte              | <input type="radio"/> Jersey                    | <input type="radio"/> Porto Rico                       | <input type="radio"/> Wallis-et-Futuna  |
| <input type="radio"/> El Salvador         | <input type="radio"/> Jordanie                  | <input type="radio"/> Portugal                         | <input type="radio"/> Yémen             |
| <input type="radio"/> Émirats arabes unis | <input type="radio"/> Kazakhstan                | <input type="radio"/> Qatar                            | <input type="radio"/> Zambie            |
| <input type="radio"/> Équateur            | <input type="radio"/> Kenya                     | <input type="radio"/> République centrafricaine        | <input type="radio"/> Zimbabwe          |
| <input type="radio"/> Érythrée            | <input type="radio"/> Kirghizstan               | <input type="radio"/> République démocratique du Congo |   |

### \* Paramètres de confidentialité pour la publication

La Commission va publier les réponses à cette consultation publique. Vous pouvez choisir de consentir à la publication de vos coordonnées ou de rester anonyme.

#### **Anonymat**

Seuls votre type d'organisation, votre pays d'origine et votre contribution seront publiés. Toutes les autres informations à caractère personnel (nom, nom et taille de l'organisation, numéro d'inscription au registre de transparence) ne seront pas publiées.

#### **Publication**

Vos informations à caractère personnel (nom, nom et taille de l'organisation, numéro d'inscription au registre de transparence) seront publiées avec votre contribution.

\* J'accepte les [dispositions relatives à la protection des données à caractère personnel](#).

## Choisissez votre questionnaire

---

\* Êtes-vous un(e) professionnel(le) de la santé traitant des patients atteints d'une maladie rare?

- Non
- Oui

## Questionnaire destiné aux non-professionnel(le)s de la santé

---

### Votre expérience avec les médicaments orphelins et leur utilisation

**\* 1. Savez-vous qu'il existe des médicaments spécifiques (également appelés «médicaments orphelins» \*) pour le traitement des maladies rares?**

- Oui
- Non

*\* Il convient d'entendre par «médicament orphelin» un médicament ainsi désigné dans les conditions prévues par le règlement de l'UE concernant les médicaments orphelins (règlement n° 141/2000).*

**\* 2. Trouve-t-on dans votre pays de résidence des médicaments orphelins pour le traitement de maladies rares?**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas/Sans opinion

### Votre expérience en matière d'accès aux médicaments orphelins

**\* 3. Selon vous, existe-t-il dans le pays où vous résidez un autre médicament /d'autres médicaments que les médicaments orphelins pour traiter la même affection (médicaments utilisés hors AMM par exemple \*)?**

- Oui
- Non (passez à la question 4)
- Ne sais pas (passez à la question 4)

*\* On appelle «utilisation hors AMM» toute utilisation intentionnelle d'un médicament autorisé qui n'est pas prévue par les termes de l'autorisation de mise sur le marché dudit médicament. Il peut s'agir par exemple d'utiliser un médicament pour une indication différente, dans une autre posologie, selon une fréquence d'administration ou pour une durée différentes.*

**\* 4. Y a-t-il selon vous une différence de prix entre les différents médicaments éventuellement disponibles pour traiter la même affection?**

- Oui, une grande différence

- Oui, mais seulement une petite différence
- Pas de différence significative
- Ne sais pas

**\* 5. Vous est-il déjà arrivé de ne pas pouvoir obtenir un médicament orphelin parce que celui-ci n'était pas disponible dans votre pays de résidence, ou connaissez-vous quelqu'un à qui cela est arrivé?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 6. Vous est-il déjà arrivé de ne pas pouvoir obtenir un médicament orphelin parce son prix était inabordable dans votre pays de résidence, ou connaissez-vous quelqu'un à qui cela est arrivé?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**7. Selon vous, comment les aspects suivants concernant l'accès aux médicaments orphelins ont-ils évolué dans votre pays de résidence au cours des douze dernières années \*?**

**\* 7.1 Disponibilité des médicaments orphelins**

- A fortement augmenté
- A légèrement augmenté
- Pas de changement
- A légèrement diminué
- Ne sais pas

**\* 7.2 Accessibilité économique des médicaments orphelins**

- A augmenté
- A légèrement augmenté
- Pas de changement
- A légèrement diminué
- Ne sais pas

*\* Un premier rapport sur le fonctionnement du règlement concernant les médicaments orphelins ayant été établi en 2006, veuillez nous faire part de votre expérience sur les douze dernières années.*

**8. Sur la base de vos connaissances et de votre expérience, estimez-vous que les médicaments orphelins devenus disponibles au cours des douze dernières années ont permis \*:**

**\* 8.1 D'améliorer globalement la qualité de vie des patients**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

\* 8.2 D'augmenter la capacité des patients de travailler

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

\* 8.3 De réduire le nombre de jours de congés pris par les aidants familiaux /informels

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

\* 8.4 De réduire la mortalité des patients atteints de maladies rares

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

*\* Un premier rapport sur le fonctionnement du règlement concernant les médicaments orphelins ayant été établi en 2006, veuillez nous faire part de votre expérience sur les douze dernières années.*

**\* 9. Selon vous, y a-t-il actuellement un juste équilibre entre le prix des médicaments orphelins et leurs bénéfiques?**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas vraiment
- Pas du tout
- Ne sais pas

**10. Selon vous, les gouvernements et les organismes payeurs (tels que les compagnies d'assurance) devraient-ils tenir compte du rapport coût-efficacité des médicaments orphelins (efficacité maximale au coût le plus bas) lorsqu'ils décident s'il convient ou non de les rendre disponibles pour les patients?**

\* 10.1 Uniquement pour les maladies rares touchant les enfants

- Oui
- Non
- Ne sais pas

\* 10.2 Pour les maladies rares mettant la vie des patients en danger

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 10.3 Pour toutes les maladies rares**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**Rôle et portée du règlement de l'UE concernant les médicaments orphelins**

L'Union européenne encourage la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins. Elle a donc pris des mesures en matière de recherche, de développement et de mise sur le marché de ces médicaments, en accordant notamment des droits de commercialisation exclusifs aux fabricants. Ces mesures comprennent la mise en place d'un système associant incitations, récompenses et obligations, les incitations allant au-delà des incitations standard existantes pour le développement des médicaments traditionnels afin de protéger et de promouvoir la recherche innovante (par exemple par l'octroi d'une extension de brevet ou d'un «monopole» temporaire grâce à une «exclusivité commerciale», par une assistance à l'élaboration de protocoles, par des dispenses de redevances, etc.).

La législation de l'Union prévoit un système d'obligations et de récompenses pour les médicaments destinés aux enfants. De plus, l'Union veille à ce qu'il y ait une continuité dans les activités de recherche et à ce que de nouveaux médicaments, de nature à répondre aux besoins thérapeutiques des enfants, soient régulièrement développés et autorisés. Il est très fréquent que les médicaments orphelins et les médicaments pédiatriques se recouvrent, étant donné qu'un grand nombre de maladies pédiatriques sont également considérées comme des maladies rares.

**\* 11. Saviez-vous, avant de prendre connaissance de cette consultation, que l'Union européenne encourage et soutient par des moyens spécifiques la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins (pédiatriques)?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 12. Partagez-vous l'opinion selon laquelle une certaine forme d'encouragement et de soutien est nécessaire pour stimuler le développement de médicaments orphelins (pédiatriques)?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 13. Pensez-vous qu'il soit nécessaire, pour stimuler le développement de médicaments orphelins (pédiatriques), de soutenir financièrement les entreprises pharmaceutiques en leur accordant une exclusivité commerciale limitée dans le temps?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 14. Selon vous, qui devrait soutenir le développement de médicaments orphelins (pédiatriques)? (plusieurs réponses possibles)**

- Les gouvernements régionaux
- Les gouvernements nationaux
- L'UE
- Ne sais pas

**15. Avez-vous des suggestions à formuler quant à ce qui pourrait être fait à l'échelle de l'Union pour améliorer encore davantage le développement des médicaments orphelins (pédiatriques) nécessaires? (veuillez utiliser le champ de texte libre ci-dessous)**

*200 caractères maximum*

**16. Avez-vous d'autres observations? (veuillez utiliser le champ de texte libre ci-dessous)**

*200 caractères maximum*

## Questionnaire destiné aux professionnel(le)s de la santé

---

**Votre expérience et votre avis concernant les médicaments orphelins et leur utilisation**

**\* 1. À quelle fréquence êtes-vous confronté(e) à des patients atteints de maladies rares:**

- De manière régulière dans le cadre de mon travail quotidien
- De temps en temps
- J'ai été confronté(e) à un ou deux cas au cours de ma pratique professionnelle l'année dernière
- Jamais

**\* 2. Dans quelle mesure pensez-vous que les maladies rares affectent la vie des patients?**

- Dans une large mesure
- Dans une certaine mesure
- Dans une faible mesure
- Pas du tout
- Ne sais pas/Sans opinion

**\* 3. Saviez-vous qu'il existe des médicaments (appelés «médicaments orphelins») pour le traitement des maladies rares?**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas vraiment
- Pas du tout
- Ne sais pas/Sans opinion

**\* 4. D'après votre expérience, trouve-t-on dans votre pays de résidence des médicaments orphelins pour le traitement de maladies rares?**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas/Sans opinion

**Votre expérience en matière d'accès aux médicaments orphelins**

**\* 5. En tant que professionnel(le) de la santé, avez-vous déjà prescrit un médicament pour le traitement d'une affection rare?**

- Oui
- Non (passez aux questions 6 et 7)
- Ne sais pas (passez aux questions 6 et 7)
- Sans objet

**\* 6. Selon vous, existe-t-il dans le pays où vous résidez un autre médicament /d'autres médicaments que les médicaments orphelins pour traiter la même affection (médicaments utilisés hors AMM par exemple)?**

- Oui, pour toutes les affections pour lesquelles je les ai prescrits (une affection comprise)
- Oui, mais pas pour toutes les affections pour lesquelles je les ai prescrits
- Non, pour aucune des affections pour lesquelles je les ai prescrits (passez à la question 7)
- Ne sais pas (passez à la question 7)
- Sans objet

**\* 7. Y a-t-il selon vous une différence de prix entre les différents médicaments destinés à traiter une même affection, tels que visés à la question 6?**

- Oui, une grande différence (le médicament orphelin est plus de 50 % plus cher)
- Oui, mais seulement une petite différence (le médicament orphelin est entre 10 et 50 % plus cher)
- Non, pas de différence significative (le médicament orphelin est moins de 10 % plus cher)
- Ne sais pas

**\* 8. Avez-vous déjà été dans l'impossibilité de prescrire un médicament orphelin existant parce qu'il n'était pas disponible dans le pays où vous exercez?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas
- Sans objet

**\* 9. Avez-vous déjà été dans l'impossibilité de traiter des patients avec le médicament orphelin disponible dans votre pays parce qu'il n'était pas, ou**

**pas entièrement, remboursé par le système de soins de santé et qu'il était inabordable pour les patients?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas
- Sans objet

**10. Selon vous, comment les aspects suivants concernant l'accès aux médicaments orphelins ont-ils évolué dans votre pays de résidence au cours des douze dernières années \*?**

**\* 10.1. Disponibilité des médicaments orphelins**

- A fortement augmenté
- A légèrement augmenté
- Pas de changement
- A légèrement diminué
- Ne sais pas

**\* 10.2. Accessibilité économique des médicaments orphelins**

- A augmenté
- A légèrement augmenté
- Pas de changement
- A légèrement diminué
- Ne sais pas

**\* 10.3. Accessibilité du médicament orphelin par l'intermédiaire du système de santé**

- A augmenté
- A légèrement augmenté
- Pas de changement
- A légèrement diminué
- Ne sais pas

*\* Un premier rapport sur le fonctionnement du règlement concernant les médicaments orphelins ayant été établi en 2006, veuillez nous faire part de votre expérience sur les douze dernières années.*

**11. Sur la base de vos connaissances et de votre expérience, estimez-vous que les médicaments orphelins devenus disponibles au cours des douze dernières années ont permis \*:**

**\* 11.1. D'améliorer globalement la qualité de vie des patients**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

**\* 11.2. D'augmenter la capacité des patients de travailler**

- Oui, dans une large mesure

- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

\* 11.3. De réduire le nombre de jours de congés pris par les aidants familiaux /informels

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

\* 11.4. De réduire la mortalité des patients atteints de maladies rares

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas beaucoup
- Pas du tout
- Ne sais pas

*\* Un premier rapport sur le fonctionnement du règlement concernant les médicaments orphelins ayant été établi en 2006, veuillez nous faire part de votre expérience sur les douze dernières années.*

**\* 12. Selon vous, y a-t-il actuellement un juste équilibre entre le prix des médicaments orphelins et leurs bénéfiques?**

- Oui, dans une large mesure
- Oui, dans une certaine mesure
- Pas vraiment
- Pas du tout
- Ne sais pas

**13. Selon vous, les gouvernements et les organismes payeurs (tels que les compagnies d'assurance) devraient-ils tenir compte du rapport coût-efficacité des médicaments orphelins lorsqu'ils décident s'il convient ou non de les rendre disponibles?**

\* 13.1. Uniquement pour les maladies rares touchant les enfants

- Oui
- Non
- Ne sais pas

\* 13.2. Pour les maladies rares mettant la vie des patients en danger

- Oui
- Non
- Ne sais pas

\* 13.3. Pour toutes les maladies rares

- Oui

- Non
- Ne sais pas

### **Rôle et portée du règlement de l'UE concernant les médicaments orphelins**

L'Union européenne encourage la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins. Elle a donc pris des mesures en matière de recherche, de développement et de mise sur le marché de ces médicaments, en accordant notamment des droits de commercialisation exclusifs aux fabricants. Ces mesures comprennent la mise en place d'un système associant incitations, récompenses et obligations, les incitations allant au-delà des incitations standard existantes pour le développement des médicaments traditionnels afin de protéger et de promouvoir la recherche innovante (par exemple par l'octroi d'une extension de brevet ou d'un «monopole» temporaire grâce à une «exclusivité commerciale», par une assistance à l'élaboration de protocoles, par des dispenses de redevances, etc.).

La législation de l'Union prévoit un système d'obligations et de récompenses pour les médicaments destinés aux enfants. De plus, l'Union veille à ce qu'il y ait une continuité dans les activités de recherche et à ce que de nouveaux médicaments, de nature à répondre aux besoins thérapeutiques des enfants, soient régulièrement développés et autorisés. Il est très fréquent que les médicaments orphelins et les médicaments pédiatriques se recouvrent, étant donné qu'un grand nombre de maladies pédiatriques sont également considérées comme des maladies rares.

**\* 14. Saviez-vous, avant de prendre connaissance de cette consultation, que l'Union européenne encourage et soutient par des moyens spécifiques la recherche, le développement et la mise sur le marché de médicaments orphelins (pédiatriques)?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 15. Partagez-vous l'opinion selon laquelle une certaine forme d'encouragement et de soutien est nécessaire pour stimuler le développement de médicaments orphelins (pédiatriques)?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 16. Pensez-vous qu'il soit nécessaire, pour stimuler le développement de médicaments orphelins (pédiatriques), de soutenir financièrement les entreprises pharmaceutiques en leur accordant une exclusivité commerciale limitée dans le temps?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 17. Selon vous, qui devrait soutenir le développement de médicaments orphelins (pédiatriques)? (plusieurs réponses possibles)**

- Les gouvernements régionaux
- Les gouvernements nationaux
- L'UE

- Ne sais pas
- Autre (veuillez préciser ci-dessous)

Veuillez préciser:  
*200 caractères maximum*

**\* 18. Estimez-vous que, dans l'ensemble, les médicaments orphelins actuellement disponibles dans votre pays de résidence répondent suffisamment aux besoins des adultes atteints d'une maladie rare?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 19. Estimez-vous que, dans l'ensemble, les médicaments orphelins actuellement disponibles dans votre pays de résidence répondent suffisamment aux besoins des enfants atteints d'une maladie rare?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**\* 20. À votre avis, le règlement de l'UE concernant les médicaments orphelins a-t-il eu des répercussions négatives sur le développement de nouveaux médicaments orphelins?**

- Oui
- Non
- Ne sais pas

**21. Avez-vous des suggestions à formuler quant à ce qui pourrait être fait à l'échelle de l'Union pour améliorer encore davantage le développement des médicaments orphelins (pédiatriques) nécessaires?**

*200 caractère(s) maximum*

**22. Avez-vous d'autres observations? Veuillez les formuler dans l'encadré ci-dessous.**

*200 caractère(s) maximum*