



EURORDIS compte aujourd'hui plus de **400 associations de patients** dans plus de **40 pays**, représentant ainsi plus de **4000 maladies rares**.

EURORDIS soutient la création et le développement d'Alliances Nationales pour les maladies rares, ainsi que des Fédérations Européennes pour des maladies spécifiques.

#### Le Conseil des Alliances Nationales

22 membres et observateurs des pays suivants :

- Allemagne
- Belgique
- Bulgarie
- Canada
- Chypre
- Croatie
- Danemark
- Espagne
- États-Unis
- France
- Grèce
- Hongrie
- Irlande
- Italie
- Luxembourg
- Pays-Bas
- Portugal
- Roumanie
- Royaume-Uni
- Russie
- Suède
- Suisse

EURORDIS collabore aussi avec les alliances nationales de Taiwan, Nouvelle Zélande, Malaisie et Amérique Latine

#### Le Réseau des Fédérations Européennes de Maladies Rares

30 membres représentant les maladies suivantes :

- Anémies rares
- Ataxies
- Atrophie musculaire spinale
- Cancers pédiatriques
- Déficit en alpha-1 antitrypsine
- Déficiences immunitaires primitives
- Epidermolyse bulleuse
- Hémiplégié alternante de l'enfance
- Hémophilie
- Hypertension artérielle pulmonaire
- Macroglobulinémie de Waldenström
- Maladie de Fabry
- Maladie de Gaucher
- Maladies neuromusculaires
- Malformation cardiaque congénitale
- Malformation congénitale des membres
- Malformations du Chromosome 11
- Mucoviscidose
- Myasthénie auto-immune
- Myélome multiple
- Ostéogenèse imparfaite
- Sarcoidose
- Sclérodémie
- Syndrome de Williams
- Syndrome néphrotique
- Syndrome post-poliomyélitique
- Thalassémies

## Réalisations majeures

- Contribution à l'adoption du Règlement européen sur les médicaments orphelins en 1999
- Contribution à l'adoption du Règlement européen sur les médicaments à usage pédiatrique en 2006
- Contribution à l'adoption du Règlement européen sur les thérapies innovantes en 2007
- Contribution à l'adoption de la Communication de la Commission de l'UE sur les maladies rares : un défi pour l'Europe
- Contribution à l'adoption de la Recommandation du Conseil de l'UE relative à une action dans le domaine des maladies rares
- Contribution à la promotion et au maintien des maladies rares en tant que :
  - priorité du programme européen de santé publique
  - priorité du programme européen de recherche
- Promotion de la mise en œuvre de stratégies ou de plans nationaux pour les maladies rares dans tous les pays d'Europe
- Contribution à la désignation de plus de 800 médicaments orphelins
- Organisation de Conférences européennes sur les maladies rares
- Organisation de la Journée Internationale Maladies Rares



**EURORDIS**  
Rare Diseases Europe

#### EURORDIS

EMAIL : EURORDIS@EURORDIS.ORG

► BUREAU À PARIS  
PLATEFORME MALADIES RARES  
96, RUE DIDOT,  
75014 PARIS – FRANCE  
TEL. : +(33) 1 56 53 52 10

► BUREAU À BRUXELLES  
RUE DE LA LOI 26  
BUREAU N°9 – 2È ÉTAGE  
1040 BRUXELLES - BELGIQUE  
TEL. : +(32) 2 644 3401



**EURORDIS**  
Rare Diseases Europe

ORGANISATION EUROPÉENNE DES MALADIES RARES



La voix  
des patients  
atteints  
de maladies rares  
en Europe

10/2010 WWW.AGENCÉGALLIÉE.COM

[www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)

[www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)

► EURORDIS est financée par ses membres et par l'Association française contre les myopathies (AFM - Téléthon), la Commission Européenne, certaines fondations privées et le secteur de la santé. Elle a été fondée en 1997.

Cette publication est réalisée grâce au soutien financier du Programme de Santé Publique de l'Union Européenne

# EURORDIS est le porte-parole des 30 millions de personnes touchées par les maladies rares en Europe.

EURORDIS est une fédération d'associations de malades et d'individus actifs dans le domaine des maladies rares. Elle est une organisation non gouvernementale, pilotée par des patients.

## LA MISSION D'EURORDIS

Construire une communauté paneuropéenne d'associations de malades et de personnes vivant avec une maladie rare; être leur porte-parole au niveau européen; et – directement ou indirectement – lutter contre l'impact des maladies rares sur leurs vies.



## Qu'est-ce qu'une Maladie Rare ?

### Les Maladies Rares :

- Affectent moins d'une personne sur 2 000
- La plupart ont une origine génétique
- 50% touchent les enfants
- Il existe entre 5000 et 7000 maladies rares distinctes
- Il n'y a pas de traitement pour la plupart d'entre elles

- Les maladies rares sont chroniques, évolutives, invalidantes, entraînant souvent une qualité de vie dégradée et une perte d'autonomie. Elles peuvent être graves voire mortelles.

- Recherche et connaissances scientifiques et médicales insuffisantes.

- Les personnes atteintes rencontrent les mêmes difficultés : délais de diagnostic, manque d'information et d'orientation vers les professionnels compétents, manque d'accès à des soins de qualité, pression psychologique et financière, absence de prise en charge globale sociale et médicale de la maladie, manque de soutien pratique au quotidien.

## Politiques de santé et services publics de santé

### ENCOURAGER LE DÉVELOPPEMENT DE POLITIQUES DE SANTÉ PUBLIQUE SUR LES MALADIES RARES

EURORDIS se bat pour l'adoption de stratégies sur les maladies rares cohérentes et coordonnées au sein de l'Union européenne et de ses pays membres, et soutient activement leur mise en œuvre. Nous avons lancé et organisons la conférence la plus influente dédiée aux maladies rares en Europe.

### PLACER LES PATIENTS ATTEINTS DE MALADIES RARES AU CŒUR DU SYSTÈME DE SANTÉ

EURORDIS conduit des enquêtes et des projets qui visent à faire entendre la voix des patients dans l'élaboration de politiques de santé qui les concernent. Sur cette base, nous proposons des modèles adaptés d'organisation des soins de santé et des services sociaux, fondés sur les centres d'expertise et les réseaux de référence européens, les registres et bases de données de patients, les tests génétiques et le dépistage néonatal.

### SERVICES SPECIALISÉS D'AIDE AUX MALADES

EURORDIS encourage la mise en œuvre de services adaptés à la situation et aux besoins particuliers des personnes atteintes de maladies rares. Nous facilitons la mise en réseau des centres de répit et des programmes de récréation thérapeutique en Europe, favorisons les échanges de bonnes pratiques et fournissons des informations sur ces services.

## Recherche, médicaments et thérapies

### FAÇONNER LES POLITIQUES DE RECHERCHE

EURORDIS contribue à faire des maladies rares une priorité au sein des politiques de recherche de l'UE et de leurs dispositifs de financement, et veille au maintien de ce statut prioritaire.

### PROMOUVOIR LE DÉVELOPPEMENT DES MÉDICAMENTS ET L'ACCÈS AUX TRAITEMENTS

EURORDIS participe au processus réglementaire sur les médicaments orphelins, les thérapies innovantes et les médicaments à usage pédiatrique, et travaille avec les industriels pour accélérer le développement et la disponibilité des traitements. Nous plaçons en faveur d'un meilleur accès aux médicaments et encourageons une information transparente et de qualité destinée aux patients.

### SOUTENIR LA RECHERCHE CLINIQUE

EURORDIS a créé et anime le réseau européen des centres de ressources biologiques destinés aux maladies rares (EuroBioBank). Nous faisons connaître les besoins des malades au sein des réseaux de recherche européens et aidons les patients à s'impliquer dans les activités de recherche clinique.



## Nos activités

### Plaidoyer

**DÉFENDRE LES INTÉRÊTS DES MALADES.** EURORDIS représente 30 millions de patients atteints par 4000 maladies rares distinctes, au sein des institutions européennes et plaide pour des politiques publiques qui répondent aux besoins des malades et de leurs familles.

### Communication et partage d'information

#### CRÉER UNE COMMUNAUTÉ

EURORDIS cherche à renforcer les compétences des patients atteints de maladies rares en leur permettant d'échanger et d'apprendre les uns des autres. Nous mettons sur pied des structures au sein desquelles la communauté des maladies rares peut s'étoffer et s'affirmer. Nous pensons que l'union fait la force et qu'agir ensemble de façon coordonnée nous sera profitable. EURORDIS compte aujourd'hui plus de 400 associations de patients dans plus de 40 pays.

#### INFORMER ET SENSIBILISER

EURORDIS utilise sa position centrale au sein de la communauté des maladies rares pour informer, éduquer et sensibiliser le public à ces maladies. Nous avons lancé et nous coordonnons la Journée Internationale des Maladies Rares.

#### SERVICES D'INFORMATION AUX MALADES

EURORDIS encourage la mise en œuvre de services adaptés à la situation et aux besoins particuliers des personnes atteintes de maladies rares. Nous facilitons la mise en réseau des services d'assistance sur les maladies rares en Europe, et offrons aux malades un accès convivial à l'information par le biais de nos sites Internet.

