AMÉLIORER LES RÉSULTATS POUR LES PERSONNES ATTEINTES DE MALADIES RÉNALES RARES ET LEURS FAMILLES

L'ESSENTIEL

Près de 300 maladies rénales rares.
Bien que rares individuellement, elles représentent **collectivement** un **fardeau considérable.**

La plupart des maladies rares sont **génétiques** et se manifestent dès **l'enfance**.



Un problème **mondial** touchant moins **de 1 personne sur 2000**



Un impact **économique**, **social** et **émotionnel tout au long de la vie**.



LE DÉFI

INVESTISSEMENT LIMITÉ DANS LA RECHERCHE



- La plupart des données viennent de **pays à revenus élevés** et se concentrent sur des **maladies choisies**.
- Les données ne sont tiennent pas toujours compte **des facteurs d'équité**.
- Les méthodologies doivent s'adapter aux défis spécifiques des maladies rares.
- Manque d'études sur les maladies rares exceptées celles menées par les sociétés pharmaceutiques qui ne représentent parfois pas toutes les régions non commerciales et les interventions sans médicaments.

DIAGNOSTIC ET PRISE EN CHARGE



Diagnostic long & difficile
- Diagnostics limités
- Causes inconnues



Des traitements efficaces pour moins de 10% des maladies rénales rares



Disparité mondiale dans l'accès aux diagnostics et traitements

IMPACT SOCIOÉCONOMIQUE



Éducation – Absentéisme, scolarité interrompue ou retardée, baisse des performances chez les personnes atteintes de maladies rénales rares.



Travail et emploi – Perte de productivité et absentéisme au travail (patients et aidants), interruption d'emploi et progression professionnelle réduite (patients).



Frais à la charge du patient et accessibilité des soins
- Les coûts comprennent : les examens diagnostiques, l'alimentation, les médicaments, le reste à charge, et le transport.
- Contraintes financières rendant les soins inaccessibles (patients et aidants)
- Les patients atteints de maladies rénales rares supportent des coûts plus élevés que les autres; principalement en raison des frais médicaux directs

* Des disparités géographiques et de genre existent.

IMPACT PSYCHOSOCIAL ET ÉMOTIONNEL



Anxieté & dépression
(patients & aidants)



Incapacité à participer à des activités sociales
(patients & aidants)



Culpabilité
(aidants - en raison de la nature génétique de nombreuses maladies rénales rares)

LA NÉCESSITÉ

Les maladies rénales rares sont des affections chroniques qui nécessitent une meilleure compréhension de leur important fardeau social et économique, pour stimuler les investissements et améliorer le soutien aux patients et aux soignants dans les domaines de l'éducation, l'emploi et des services sociaux.

Cette fiche d'information résume les points clés des deux documents suivants :
Angell, Blake et al. "Scoping Review of Economic Analyses of Rare Kidney Diseases." *Kidney International Reports* vol. 9,12 3553-3569. 12 Sep. 2024, doi:10.1016/j.ekir.2024.09.004
Palagyi, Anna et al. "Systematic Scoping Review of Socioeconomic Burden and Associated Psychosocial Impact in Patients With Rare Kidney Diseases and Their Caregivers." *Kidney International Reports* vol. 10,3 838-854. 10 Dec. 2024, doi:10.1016/j.ekir.2024.12.005

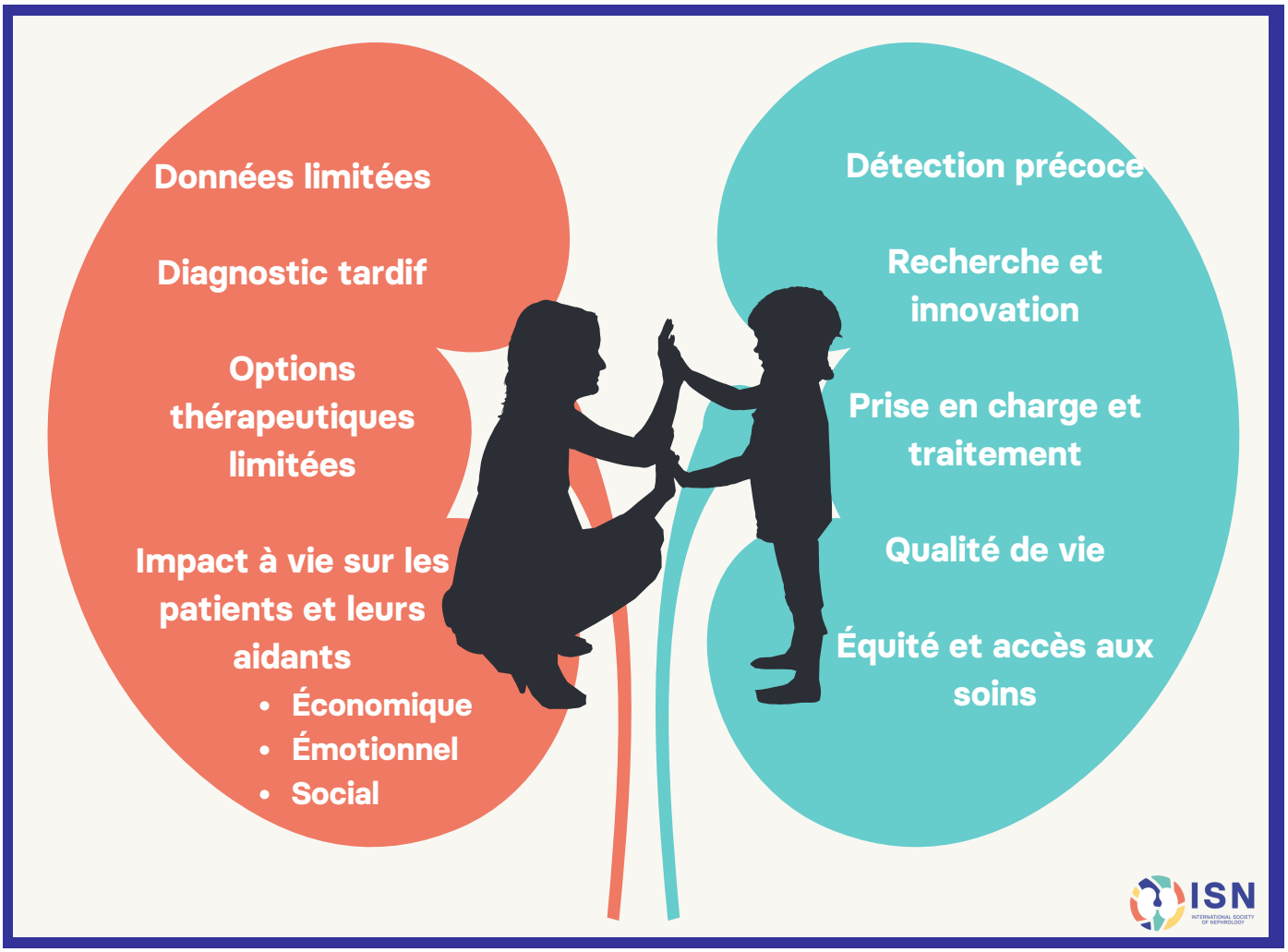
AMÉLIORER LES RÉSULTATS POUR LES PERSONNES ATTEINTES DE MALADIES RÉNALES RARES ET LEURS FAMILLES

LA SOLUTION

Recommandations politiques pour améliorer les résultats pour des personnes atteintes de maladies rénales et leurs familles

1. DÉTECTION PRÉCOCE	• Renforcer la détection précoce. • Renforcer les infrastructures de diagnostic.
2. RECHERCHE & INNOVATION	• Investir dans la recherche étiologique et les facteurs de risque. • Apporter un soutien financier et technique au développement de nouvelles thérapies.
3. PRISE EN CHARGE & TRAITEMENT	• Couverture sanitaire universelle (CSU). • Modèles de soins intégrés complets.
4. QUALITÉ DE VIE	• Déterminants socioéconomiques. • Soutien psychosocial.
5. ÉQUITÉ DANS L'ACCÈS AUX SOINS DE SANTÉ	• Réduire les disparités. • Collecte de données. • Renforcer les partenariats multisectoriels.

Pour plus d'informations sur les politiques, voir: https://www.theisn.org/RKDPolicy



Références
International Society of Nephrology. Manifesto. International Society of Nephrology, n.d., www.theisn.org/about-isn/mission-vision-values/manifesto/. Accessed 9 May 2025.
World Health Organization. Rare Diseases: A Global Health Priority for Equity and Inclusion. EB156/CONF.2, World Health Organization, 2025, https://apps.who.int/gb/ebwha/pdf_files/EB156/B156_CONF2-en.pdf.

Cette fiche d'information a le soutien de Novartis