

La drépanocytose, maladie invisible et invisibilisée

Par **Jonas Marko**

Entre dépistage tardif, errance médicale et blocage sur le prix des thérapies géniques, les patients restent confrontés à une prise en charge inégale en Belgique.

Chaque année, au moins 72 nouveaux cas de drépanocytose sont détectés en Belgique. Cela représente environ un enfant sur 1.500 naissances atteint par cette maladie génétique héréditaire qui déforme les globules rouges et provoque une anomalie du sang. Le manque d'oxygène vers les organes et l'obstruction de la circulation sanguine entraînent des crises douloureuses, principalement dans les membres et le dos, ainsi qu'une sensibilité accrue aux infections et une fatigue parfois extrême. Chez les patients atteints, l'espérance de vie moyenne est estimée à 40 ans.

Avec des symptômes décrits comme «insoutenable et permanents» par les associations de patients, la drépanocytose est aussi, paradoxalement, l'une des maladies génétiques les moins visibles dans le débat public. Elle est pourtant la plus répandue dans le monde, avec cinq millions de personnes touchées et 300.000 nouveau-nés porteurs du gène actif chaque année. La maladie se transmet génétiquement, de parents à enfant. Il faut recevoir le gène muté des deux parents pour développer la pathologie. S'il ne le reçoit que d'un seul parent, l'enfant n'est pas malade, mais devient un porteur sain, susceptible de le transmettre à son tour.

L'un des grands défis liés à la drépanocytose consiste donc aussi à repérer les porteurs asymptomatiques, afin de mieux prévenir la transmission et d'améliorer l'information des familles concernées. C'est l'un des angles morts régulièrement

pointés par les associations, qui regrettent que la sensibilisation à la maladie reste aussi faible alors que ses conséquences sont, elles, bien réelles et souvent très lourdes.

«J'ai dû attendre l'âge de 24 ans pour enfin être diagnostiqué. Cela faisait des années que je vivais avec des douleurs insoutenable, qui apparaissaient et disparaissaient sans que je puisse les expliquer. Je ne sais pas combien de fois j'ai entendu que j'exagérais, que j'étais trop douillet, que je ne pouvais pas continuer à me gaver d'antidouleurs sans raison. Aujourd'hui, j'ai toujours mal, mais je sais dire pourquoi. Je sais l'expliquer et, surtout, je suis légitime pour dire à tous ces médecins qui m'ont suivi qu'ils ont failli dans leur rôle», s'insurge Damien, étudiant en pharmacologie.

Son témoignage résume à lui seul ce que dénoncent de nombreux patients. La drépanocytose n'est pas seulement une maladie douloureuse. C'est aussi une pathologie qui, faute d'être reconnue rapidement, s'accompagne souvent d'années d'errance médicale, d'incompréhension et de banalisation des symptômes. Pour plusieurs patients, le diagnostic tardif ajoute à la souffrance physique une forme de décrochage médical, avec le sentiment de n'être ni entendus, ni pris au sérieux.

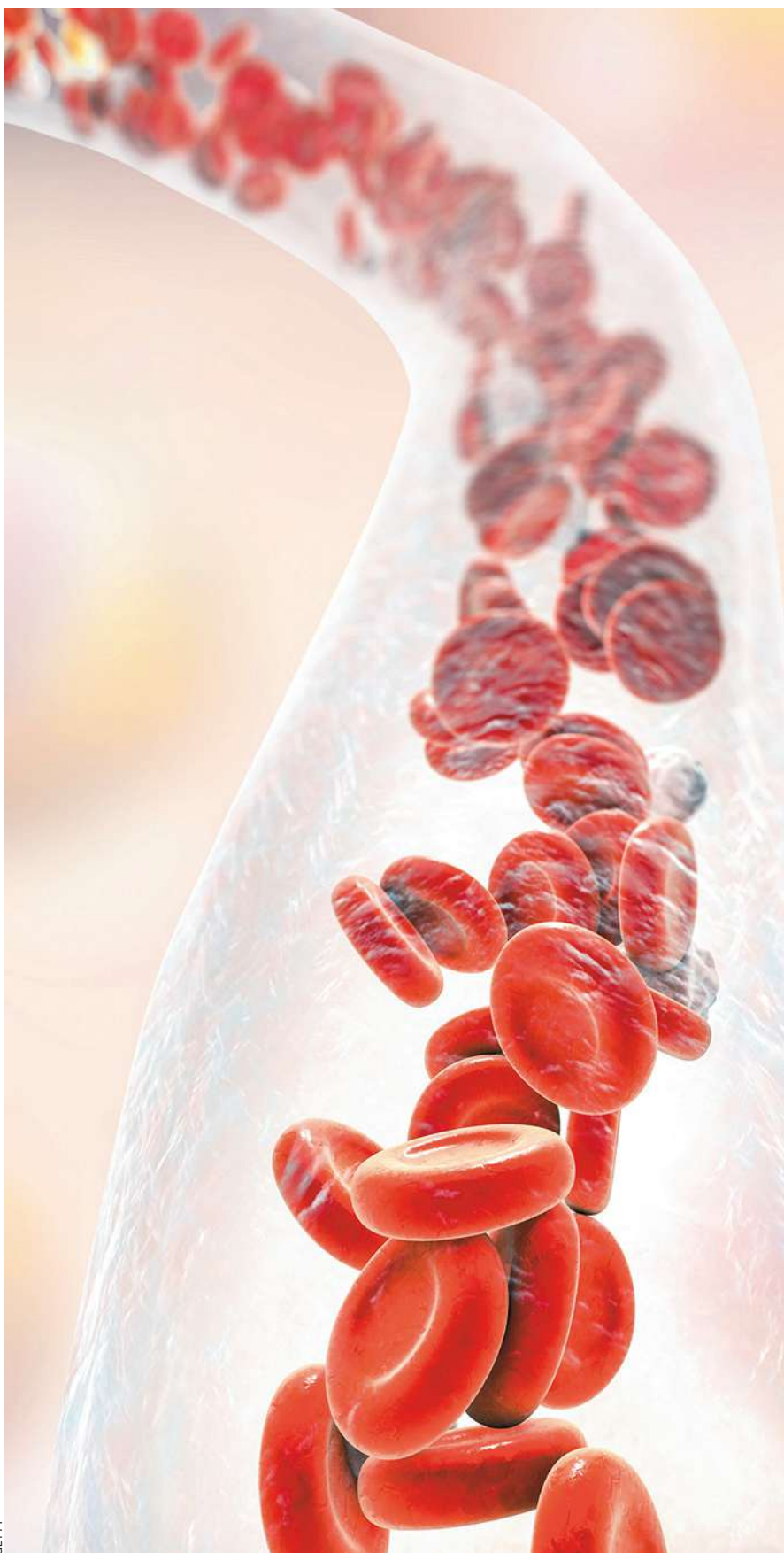
Le coût du traitement par patient atteint 1,9 million d'euros.

Une traversée du désert

En Belgique, la drépanocytose est pourtant documentée scientifiquement depuis la fin des années 1980. A l'époque, elle était déjà qualifiée d'«enjeu de santé publique». Un premier dépistage néonatal fut instauré à Bruxelles en 1994, ce qui permit les premières estimations nationales du nombre de patients touchés. Malgré cette documentation relativement ancienne et la reconnaissance précoce de la gravité de la pathologie, il faudra attendre 2023, soit près de 30 ans plus tard, pour qu'un dépistage obligatoire soit étendu à tous les nouveau-nés en Fédération Wallonie-Bruxelles. En Flandre, il n'est toujours pas d'application.

Pour Damien, cette temporalité est incompréhensible. «Les autorités sanitaires et politiques ont connaissance de la portée et des conséquences de cette pathologie depuis des dizaines d'années. Elles ont donc fait le choix de l'inaction. C'est, pour moi, totalement impossible à entendre. Avec davantage d'investissement dans la sensibilisation, j'aurais pu éviter 24 ans de souffrances inutiles.»

Martin Colard, hématologue à l'hôpital universitaire de Bruxelles et référent national pour la drépanocytose, décrit une situation qui s'est aggravée au fil des années, sous l'effet combiné du caractère héréditaire de la maladie et du manque d'information. «Quand on parle de drépanocytose, il est frappant de constater le manque de visibilité accordé à cette pathologie, mais aussi le peu de sensibilisation ou de réaction politique», confirme le spécialiste, qui espérait la présentation d'un plan d'action de la part du ministre de la Santé de la Fédération Wallonie-Bruxelles, Yves Coppieters (Les Engagés), en marge d'une conférence le 23 mars.



La maladie se transmet génétiquement, de parents à enfant.

Il n'en fut rien. Aucune mesure concrète n'a été annoncée. Aucun financement supplémentaire n'a été promis aux asbl qui pallient pourtant, sur le terrain, «les insuffisances d'un système de santé dont les pouvoirs publics restent les principaux garants», confie l'une d'elles.

Un choix surtout économique

La réponse du ministre fédéral de la Santé, Frank Vandenbroucke (Vooruit), aux appels répétés des associations de patients est elle aussi jugée «plus symbolique que volontariste». Le socialiste flamand reconnaît que «des thérapies géniques efficaces existent et donnent de l'espoir aux patients», mais il invoque la contrainte budgétaire pour justifier la prudence du pouvoir fédéral.

Selon lui, le coût du traitement atteint 1,9 million d'euros par patient. D'après les estimations de l'Inami, trois années de prise en charge pour 34 patients souffrant de drépanocytose représenteraient environ 68 millions d'euros. «Le coût d'opportunité, à savoir le montant perdu pour d'autres politiques, est dès lors considérable», appuie le ministre. Autrement dit, la question n'est pas seulement médicale. Elle est aussi financière, dans un contexte où l'autorité fédérale affirme devoir arbitrer entre plusieurs priorités de santé publique.

En 2024, l'entreprise Vertex, pionnière dans le développement d'un traitement, a introduit une demande de remboursement. Des négociations tarifaires ont bien eu lieu, mais elles n'ont pas abouti à un accord. Pour Frank Vandenbroucke, les exigences financières du laboratoire restaient trop élevées. «La réussite des prochaines discussions dépendra du fabricant», affirme-t-il, renvoyant la suite du dossier à une éventuelle baisse du prix demandé.

Pour les patients et les associations, cet argument budgétaire ne suffit pas à éteindre le sentiment d'abandon. Il souligne, au contraire, la difficulté persistante à faire reconnaître la drépanocytose comme une priorité sanitaire à part entière. La maladie est ancienne dans sa documentation, connue dans ses effets, identifiée dans ses besoins de dépistage et de prise en charge. Pourtant, aucun plan structuré n'a encore émergé à la hauteur des attentes exprimées par les spécialistes, les familles et les malades. ●