



Le Chargé de mission interministériel
Du Plan national Maladies rares 2

Paris, le 24 mars 2010

Monsieur le Président,

A la suite de l'annonce d'un deuxième plan sur les maladies rares par le président de la République le 10 octobre 2008 lors d'un symposium sur « l'Europe et les maladies rares » et conformément à la loi n°2004-806 du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique, les quatre ministères chargés de la santé et des sports, de l'enseignement supérieur et de la recherche, de l'industrie, et aussi du travail, des relations sociales, de la famille de la solidarité et de la ville, ont désigné, par lettre en date du 6 octobre 2009 un pilote interministériel, le Pr Gil Tchernia, pour prendre en charge son élaboration et son suivi. Un Comité d'orientation, de labellisation et de suivi pour les maladies rares est en cours de constitution¹.

Sept groupes d'expertise et de concertation et correspondant aux sept axes du plan (systèmes d'information, prise en charge financière, information et formation, diagnostic, soins et parcours, recherche, médicaments spécifiques, Europe et international) se sont réunis d'octobre 2009 à janvier 2010 (34 réunions) et ont regroupé 226 participants d'horizons très divers : représentants des institutions concernées (41 %), médecins, biologistes et chercheurs, experts et/ou acteurs de terrain (31 %), représentants du monde associatif (21 %), acteurs de l'industrie du médicament (7 %). Les présidents des groupes étaient des médecins / experts et/ou des représentants d'associations ou d'ORPHANET. Les rapporteurs étaient des fonctionnaires désignés par chacune des directions concernées (DGOS, DGS, DGRI, DGCIS, DSS, DGCS, DAEI)²,

Le travail des groupes s'est appuyé sur les évaluations du premier plan national maladies rares 2004-2008 (HCSP, ministères et associations)³ : cette phase de concertation a conduit à identifier 25 objectifs. Pour atteindre ces objectifs, des propositions d'actions ont été formulées par les groupes de concertation. Elles ont ensuite été financièrement évaluées, phasées dans le temps, avec pour chacune d'entre elles des indicateurs de résultats.

Monsieur Christian SAOUT
Président de la Conférence nationale de santé
14 avenue Duquesne
75350 Paris 07 SP

¹ <http://www.gouvernement.fr/gouvernement/un-deuxieme-plan-national-maladies-rares-disponible-fin-avril-2010>

² Direction générale de l'offre de soins (D.G.O.S.), Direction générale de la santé (D.G.S.), Direction générale pour la recherche et l'innovation (D.G.R.I.), Direction générale de la compétitivité, de l'industrie et des services (D.G.C.I.S.), Direction de la sécurité sociale (D.S.S.), Direction générale de la cohésion sociale (D.G.C.S.), Délégation aux affaires européennes et internationales (D.A.E.I.)

³ <http://www.sante-sports.gouv.fr/les-maladies-rares.html>

Un projet de rapport de synthèse (joint au présent courrier) est actuellement soumis à l'arbitrage des cabinets et des directions et les fiches correspondant aux 84 actions proposées sont en cours de finalisation et d'arbitrage.

Le plan est conçu pour mettre en place à titre « définitif », sans qu'il y ait besoin d'un autre plan, les institutions et les outils qui permettront aux maladies rares d'être prises en charge dans un dispositif clair, adossé ou intégré au dispositif général : il est résolument opérationnel et technique et construit à partir des lacunes et des défauts relevés par les évaluateurs du 1^{er} plan. La spécificité structurelle de ce plan est l'importance de l'effort de recherche fondamentale et clinique qui s'y attache. La dimension européenne est extrêmement présente (21 actions sur 84) et les actions communes à plusieurs axes sont nombreuses (26). 49 actions nécessitent un complément de financement.

La poursuite de l'objectif principal du premier plan « Assurer l'équité pour l'accès au diagnostic, au traitement et à la prise en charge » est également au cœur de celui-ci.

Les actions les plus stratégiques du futur plan sont celles visant à :

1. *Harmoniser des filières de soins et la couverture de l'ensemble des maladies rares, en lien avec l'expertise disponible à l'étranger,*
2. *Labelliser de 20 à 30 Plateformes nationales de laboratoires de référence maladies rares (PNLRMR) en charge de l'expertise biologique et de la sécurité de la conservation des échantillons de la filière,*
3. *Améliorer les modalités de financement des filières maladies rares, et des prises en charge ambulatoire de proximité,*
4. *Soutenir la structuration et le déploiement d'une politique adaptée de dépistage,*
5. *Garantir la prise en compte des maladies rares au niveau des politiques régionales de santé,*
6. *Mettre en place en région des dispositifs de coordination-médiation médico-sociale,*
7. *Améliorer l'identification des maladies rares dans les différents systèmes d'information,*
8. *Structurer et financer une banque nationale de données cliniques, biologiques et thérapeutiques et de production de connaissance sur les maladies rares,*
9. *Faire émerger un organisme national d'impulsion, de conseil et d'évaluation de la recherche concernant les Maladies rares ("maladies-rares-recherche" (M2R)), en étroite collaboration avec l'Alliance nationale pour les sciences de la vie et de la santé,*
10. *Promouvoir la recherche thérapeutique dans le cadre de thérapies innovantes ainsi que dans le cadre de médicaments existants,*
11. *Créer un groupe d'observation de l'utilisation des médicaments hors AMM (autorisation de mise sur le marché) et des produits non remboursés aux fins de priorisation des recommandations de bonnes pratiques, d'orientation des travaux de recherche et de prévention des arrêts de commercialisation,*
12. *Créer un groupe d'observation du marché et de la consommation des médicaments orphelins,*
13. *Structurer et financer, en appui des filières d'expertise maladies rares, des réseaux nationaux de coordination et de Diffusion de l'expertise, des programmes d'Education thérapeutique, de Formation continue et d'Information.*
14. *Assurer la représentation de la France au sein du Comité des experts maladies rares de l'Union européenne⁴ et la cohérence du plan maladies rares 2010-2014 et des actions européennes.*

⁴ <http://www.sante-sports.gouv.fr/la-politique-en-faveur-des-maladies-rares-en-europe-la-politique-europeenne.html>

Le principal souci concernant le plan a trait à sa gouvernance et à son suivi :

- comment une logique, par définition nationale voire internationale, dans un champ qui se caractérise par la rareté des malades dans chaque pathologie mais aussi par la rareté de l'expertise, peut-elle s'articuler avec la dimension régionale de la gouvernance sanitaire et comment assurer la traçabilité des fonds affectés aux maladies rares dans le cadre de dotations globales ?
- comment accompagner la mise en œuvre au quotidien des actions dont la plupart exigent un suivi rigoureux et régulier ?

Dans ce contexte, je souhaiterais que la Conférence nationale de santé puisse se prononcer sur les objectifs prioritaires du futur plan, mais aussi sur les questions de la gouvernance et du suivi qui sont traité au chapitre final du projet de rapport « pilotage et suivi opérationnel du pnmr 2010-2014 ».

A priori, le plan devrait pouvoir être publié d'ici fin avril, mi mai. Il serait important de connaître l'avis de votre instance sous un mois.

Je vous prie d'agréer l'expression de mes sentiments distingués,

Le Chargé de mission interministériel du PNMR 2
Pr Gil Tchernia

PJ : Projet de rapport de synthèse du PNMR 2.