



MINISTÈRE
DE LA SANTÉ
ET DE LA PRÉVENTION

*Liberté
Égalité
Fraternité*

SANTEXPO 2023

Maladies rares et
données de santé



**Les données de santé appliquées
aux maladies rares :
retour sur le plan national maladies rares 3
perspectives en 2024
pour le plan national maladies rares 4**

Partager l'innovation, un diagnostic et un traitement pour chacun

5 ambitions

- Permettre un diagnostic rapide pour chacun ;
- Innover pour traiter ;
- Améliorer la qualité de vie et l'autonomie des personnes malades ;
- Communiquer et former ;
- Moderniser les organisations et optimiser les financements.



Orienter (CRMR) + Coordonner (FSMR) + Partager (datas, BNDMR) : maison MR



Des efforts de structuration et de coordination encore nécessaires.

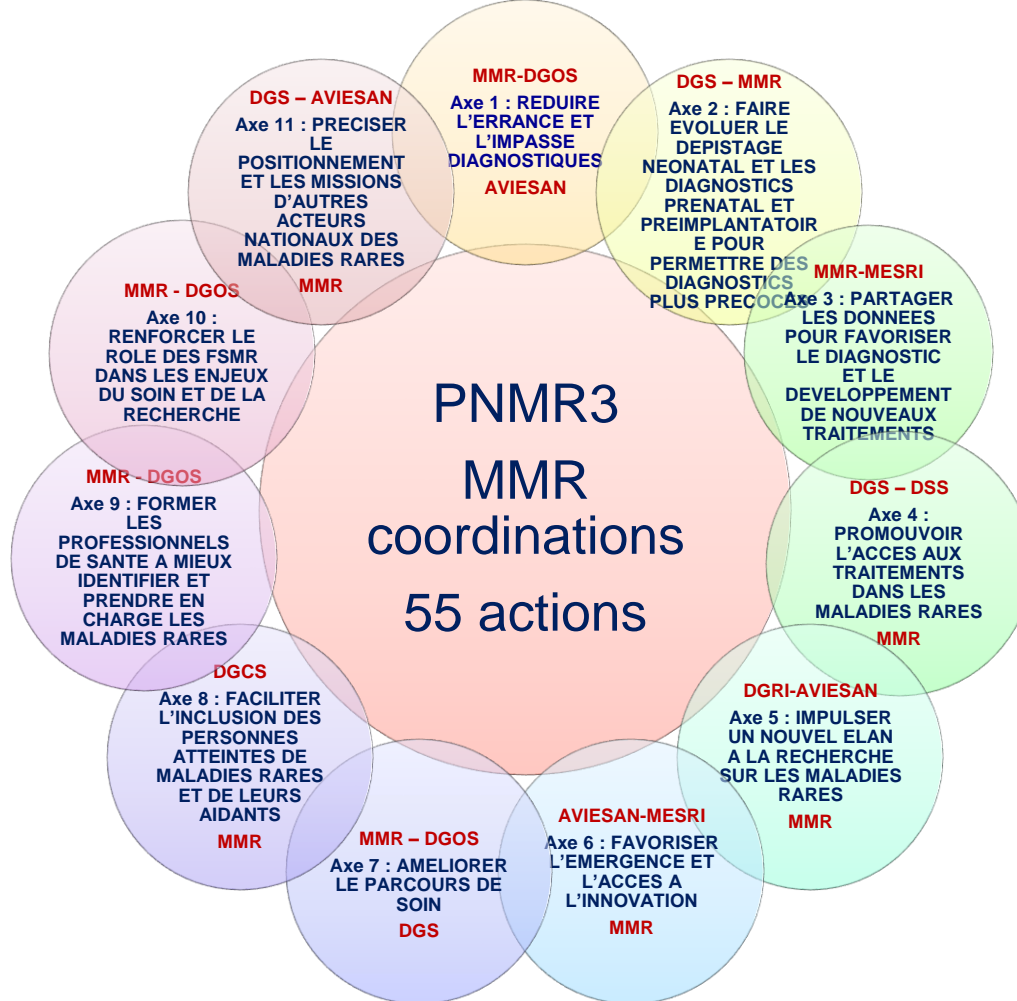
Des défis spécifiques en termes de recherche.

La constitution nécessaire de bases de données nationales, et leur interaction avec les bases de données européennes.

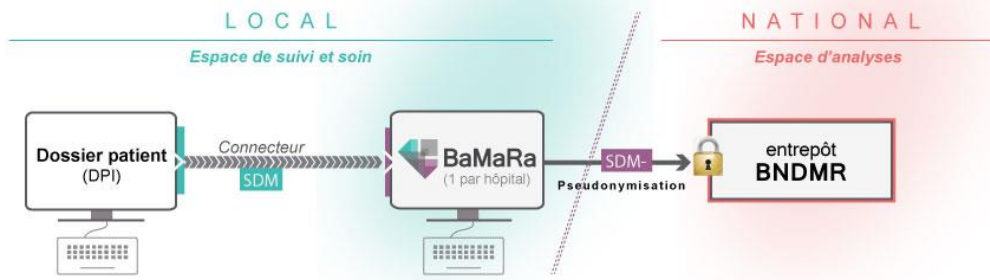
Une Europe des maladies rares avec les 24 ERN à construire.

Place des parties prenantes et des associations dans le soin et dans la recherche pour une efficacité des parcours :

- **Articulation entre l'organisation des soins, la production de connaissances et le retour vers le patient construisent un cercle vertueux :**
AAP PNDS (+ de 300), AAP ETP (+ de 200), journées d'information,...
- Structuration en centres de référence et en filières organise **l'accès aux soins et à l'expertise pour tous** : gouvernance des FSMR avec les associations, plateformes d'expertise maladies rares sur les territoires, formation initiale et continue des professionnels avec tous les acteurs,...
- **Innovations thérapeutiques et de nouvelles stratégies de prise en charge dans la recherche et dans le soin, recherche participative** : en amont des registres, construction des endpoints pour les essais cliniques, retour des résultats de la recherche, la prise en compte du qualitatif en intégrant la parole des personnes malades



La BNDMR



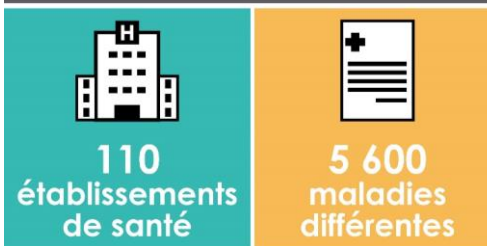
**Une collecte dans
l'ensemble des
centres maladie rare
en France**

**Données collectées
sur plus d'un million
de patients**

Financement PNMR

Nombre de sites
maladies rares déployés **99%**

 2191 / 2220 sites



Les données disponibles

La BNDMR contient les données du Set de Données Minimum national maladies rares (SDM-MR) pseudonymisées (c'est-à-dire rendues non identifiantes : pas de nom ni de prénom) :

- ▶ **Informations administratives** : date de naissance, sexe, commune de naissance, de résidence...
- ▶ **Informations familiales** : propositus, lien de parenté, consanguinité
- ▶ **Statut vital**, et le cas échéant date de décès, cause
- ▶ **Parcours de soins** : adressage, date de première consultation, site maladies rares de rattachement
- ▶ **Activité(s) de soins** : date, contexte, objectif, type de personnel réalisant l'activité, lieu de l'activité
- ▶ **Diagnostic(s)** :
 - » Histoire du diagnostic : âge aux premiers signes, appréciation du diagnostic lors de la prise en charge dans le centre maladies rares, âge au diagnostic
 - » Description du diagnostic : maladie (Orpha), signes cliniques (HPO, CIM-10), niveau de confirmation du diagnostic, type d'investigations réalisées, gène(s) (HGNC), mutation (HGVS), porteur sain
- ▶ **Traitement** : médicaments orphelins
- ▶ **Anté et néonatales** : PMA, terme, taille / poids / périmètre crânien à la naissance
- ▶ **Recherche** : protocole en cours, échantillon biologique prélevé

Les actions du PNMR3 et les perspectives du PNMR4 autour de la donnée de santé

o GT Parcours de vie et soin / des territoires vers l'Europe :

- ❖ le lien ville-hôpital

- ❖ l'information et la formation

- ❖ La dissémination d'une politique maladies rares au sein des pays de l'UE :

- ❖ le partage des données de santé avec l'Europe en lien avec l'action conjointe intégration des réseaux européens de référence dans les systèmes de santé;



En 2022



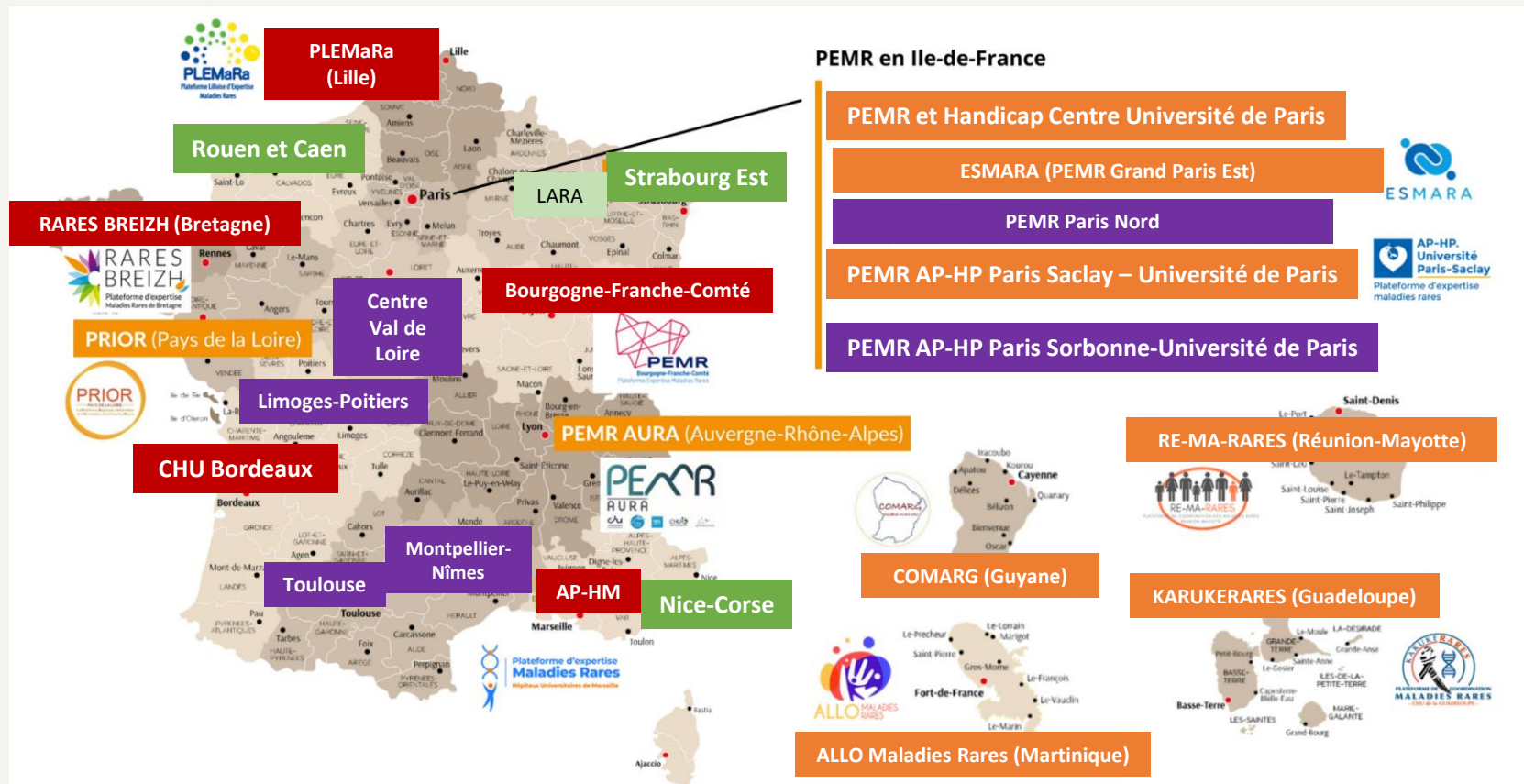
En 2021



En 2020

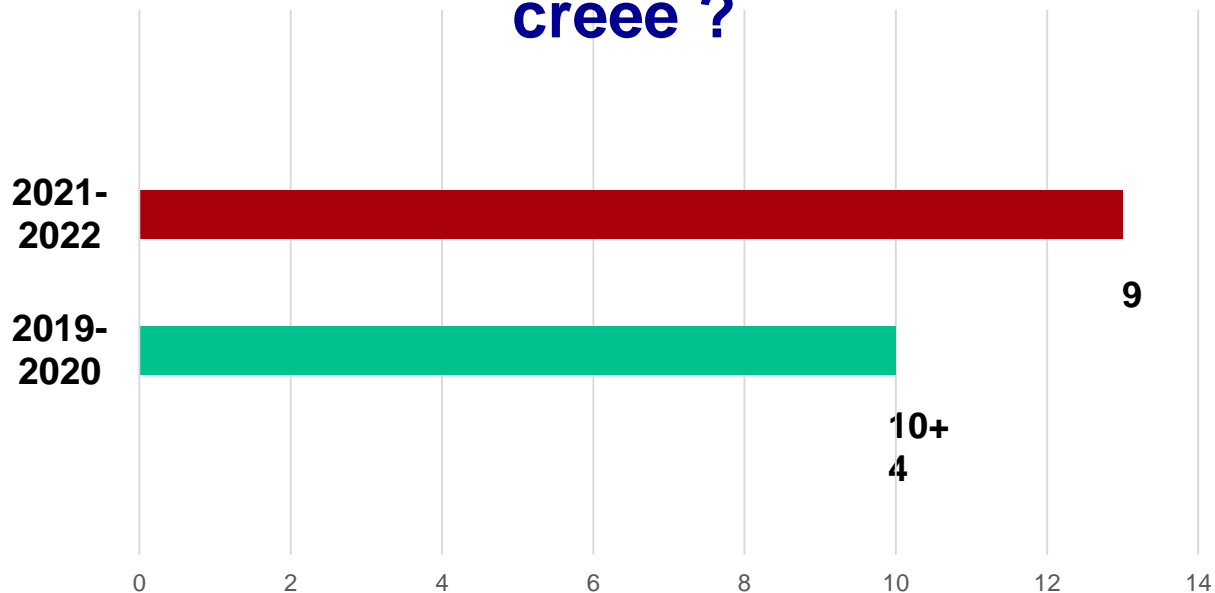


Avant 2020



PNMR3 : plateformes d'expertise maladies rares

Quand la plateforme a-t-elle été créée ?



Neuf nouvelles plateformes créées en 2021-2022



Au total, **23 PEMR** mises en place depuis la labellisation lancée par la DGOS en 2019



Focus sur les principales avancées

- Aide à la mise en place de BaMaRa, **continuation** des premières actions déployées
 - **Communication rôdée** avec une accessibilité et une visibilité accrue (développement des sites internet, réseaux sociaux...)
 - Des **équipes stables**, qui s'étoffent pour certaines PEMR, avec une structuration continue de l'accompagnement des PEMR vers les centres
 - Pérennisation des **liens créés** avec les principaux acteurs du territoire concernant les maladies rares (CRMR, CCMR, associations de patients, ARS, Alliance Maladies Rares...)
 - **Recensement des besoins** des centres labellisés et des associations de patients
-

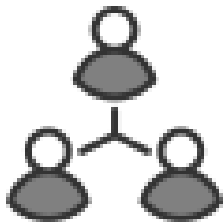
PLATEFORME DE COORDINATION DES MALADIES RARES REUNION- MAYOTTE

PARTAGE D'EXPERIENCE

Créer du lien avec la Ville ?

DEPLOIEMENT D'UN RESEAU AU NIVEAU TERRITORIAL ET D'UNE DYNAMIQUE COMMUNE

- Rencontre de tous les acteurs locaux en santé :
 - Agence Régionale de Santé (ARS)
 - Dispositif d'Appui à la Coordination (DAC)
 - Pôles de Compétences et de Prestations Externalisées (PCPE)
 - Equipe Relais Handicap Rares (ERHR)
 - Associations de patients
 - Etc
- Mobilisation de tous les acteurs locaux et dispositifs de coordination lors des interventions à l'IFSI (L1 - Santé Publique - Cours sur les réseaux - CHU Sud et Nord)
 - DAC, PCPE, ERHR, RE-MA-RARES, PCO, REUNISAF...
 - ETP La Réunion, Réseaux périnatal et pédiatrique, ...
 - Maison de Santé Pluriprofessionnelles (MSP)
 - Communautés Professionnelles Territoriales de Santé (CPTS)



PROJET POUR RENFORCER LE LIEN VILLE- HOPITAL

CREER UN CATALOGUE DE FORMATION A DESTINATION DES PROFESSIONNELS DE SANTE LIBERAUX

- Objectifs :
 - Offrir du contenu et des outils (et pas seulement de l'information)
 - Créer des formations sous divers formats (présentiel / webinaire)
 - Proposer une formation annuelle en DPC
- Recrutement depuis mai 2023 d'un Chargé de mission Communication et Formation sur la Plateforme RE-MA-RARES



Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: des données stratégiques pour l'évaluation des politiques publiques

Exemple: Enfants présentant des variations du développement génital

LOI n° 2021-1017 du 2 août 2021 relative à la bioéthique

III.-Dans un délai de dix-huit mois à compter de la publication de l'arrêté pris en application de l'article L. 1151-1 du code de la santé publique, le Gouvernement remet au Parlement un rapport relatif à l'activité et au fonctionnement des centres de référence des maladies rares compétents concernant la prise en charge des personnes présentant des variations du développement génital en France, au nombre d'actes médicaux réalisés en lien avec ces variations ainsi qu'au respect des recommandations internationales en matière de protocole de soins. Ce rapport peut faire l'objet d'un débat dans les conditions prévues par les règlements des assemblées parlementaires. Il s'accompagne d'éléments chiffrés quant au nombre de personnes concernées et quant à la nature des actes médicaux réalisés chaque année.

Nombreux autres cas d'usage à développer:

- ▶ Evaluation du dépistage néonatal
- ▶ Articulation et évaluation du lien Plan National Maladies Rares et Plan France Médecine Génomique

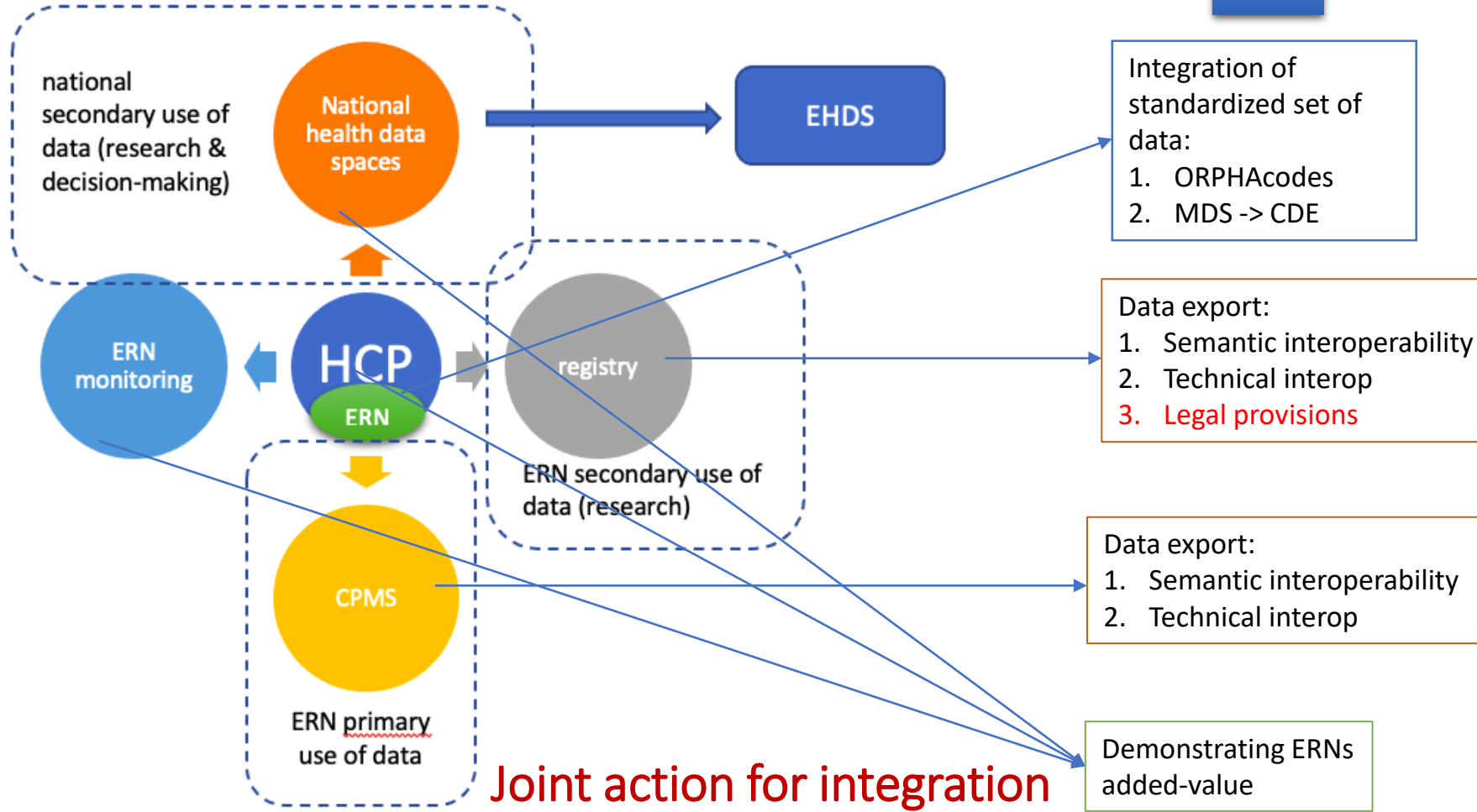
Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: des données stratégiques pour l'évaluation des politiques

Perspective PNMR4: Focus sur des actions pour le dépistage néonatal

- ▶ **Évaluation médico-économique des dépistages néonataux candidats: opportunité médico-économique de ces nouveaux dépistages (non implémenté en France, mais implémenté dans d'autres pays) via étude chaînée BNDMR-SNDS**
- ▶ **Recueils spécifiques de données ajoutés dans BaMaRa pour les nouveaux dépistages néonataux: étude rétrospective biannuelle sur ces dépistages pour caractériser l'état de santé des patients ayant bénéficié de ces dépistages.**

An example of how to move from general statements to implementation actions

Needs



Les actions du PNMR3 et les perspectives du PNMR4 autour de la donnée de santé

o **GT Diagnostic :**

- ❖ l'observatoire du diagnostic des maladies rares
 - ❖ la médecine génomique et articulation avec le plan France médecine génomique (PFMG)
 - ❖ le dépistage néonatal, la foetopathologie
 - ❖ les laboratoires de biologie médicale en lien avec les cliniciens pour les validations fonctionnelles ;
-

OBJECTIFS	RÉCURRENT	4 ^{ème} BILAN ANNUEL
<p>1. Structurer et uniformiser la démarche diagnostique pour réduire l'errance diagnostique</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Une journée annuelle sur le diagnostic • Pilotage par la donnée via des indicateurs calculés à partir de la BNDMR • Groupe technique PNMR / PFMG réunissant les experts IT de la BNDMR, de SeqOIA, et d'Auragen 	<ul style="list-style-type: none"> • 4^{ème} journée de l'observatoire du diagnostic le 11 octobre 2022 • Un rapport complet (50 pages) par FSMR propose des indicateurs dont la moitié concernent le diagnostic • Le Set de Données Minimum Génomique est finalisé, le schéma d'architecture technique pour l'interopérabilité entre BaMaRa et la e-prescription PFMG est en cours • 1202 prescriptions PFMG à partir de BaMaRa, dont 180 ayant permis l'obtention d'un diagnostic confirmé
<p>2. Reconsidérer régulièrement le dossier des personnes en impasse diagnostique</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Travail rétrospectif sur les dossiers • Travail prospectif via l'inclusion de nouveaux patients 	<ul style="list-style-type: none"> • Plus de 120 personnes recrutées (principalement ARC et TEC), près de 900 formées au codage, près de 130 guides créés et 70 mis à jour → 3,8 m€ investis pour appuyer saisie, révision des données, création et révision de documents, formations, etc. • 45.000 dossiers revus, 1.100 diagnostics confirmés suite à cette action • Plus de 8.000 recueils de données spécifiques à l'errance diagnostique dans les MR neuromusculaires • Déploiement d'un recueil spécifique à la fœtopathologie

S'assurer d'une cohérence des pratiques et de la prise en compte des innovations diagnostiques dans la prise en charge des personnes en s'appuyant sur une veille scientifique, technologique, clinique, réglementaire et éthique

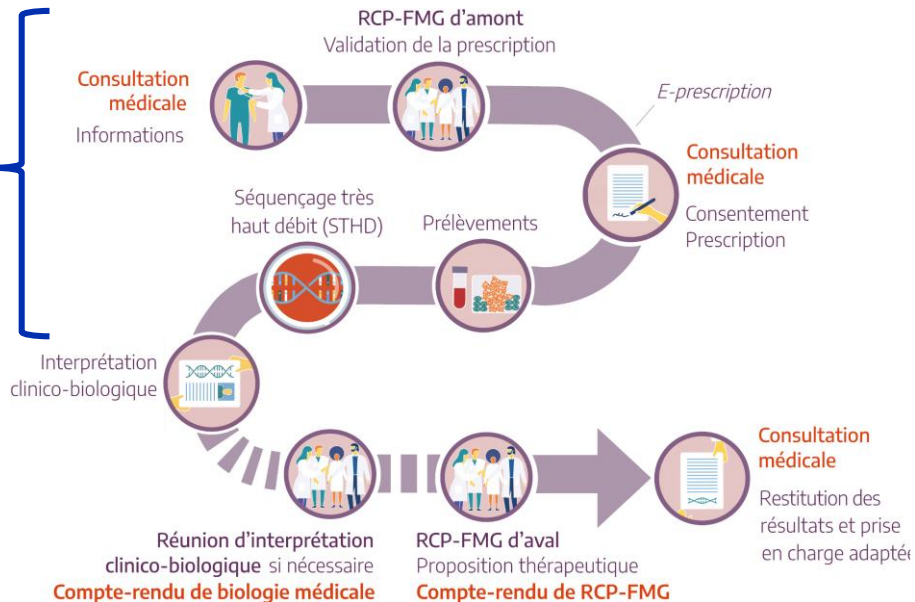
Permettre de produire des tableaux de bord annuels rendant compte notamment de l'évolution de l'errance et de l'impasse diagnostiques en France en s'appuyant sur la banque nationale de données maladies rares (BNDMR)

Interagir avec les instances du PFMG 2025 et y être représenté

Les mesures de réduction de l'errance et de l'impasse diagnostiques**Axe 1 PNMR3 : Réduire l'errance et l'impasse diagnostiques**

CCMR/CRMR/CRC, organiser l'accès aux plateformes, **observatoire du diagnostic** pour 23 FSMR (120 ARCs / TECs recrutés), 3 outils RCP financés, avec la BNDMR constitution d'une BDD pour les personnes en impasse diagnostique

**Axe 7
PNMR3**
Harmonisation
des parcours
de
diagnostic :
+ 300 PNDS



Axe 1 : Création des postes assistants de prescription
Projet d'interopérabilité des données avec BaMaRa et le Dossier patient informatisé.
Construction d'un SDM-génomique

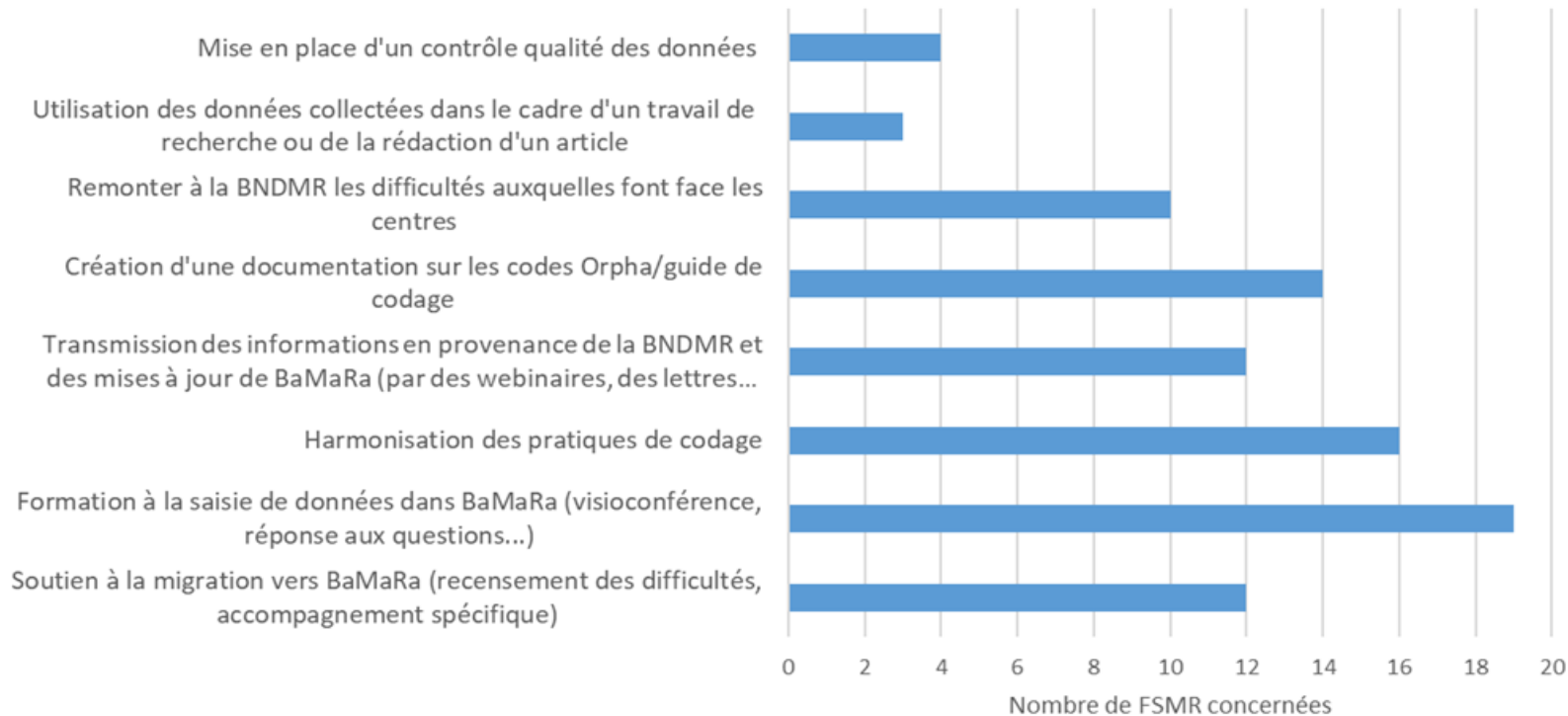


Axe 2 PNMR3
Loi de Bioéthique
Conseillers en génétique
GT avec la DGS, la DGOS et l'ABM + travaux données incidentes



OBJECTIFS	RÉCURRENT	4 ^{ème} BILAN ANNUEL
<p>1. Déploiement de la BNDMR</p>	<ul style="list-style-type: none"> Collecte de données dans les centres par les médecins / par-médicaux / secrétaires / ARC / TEC Appui transverse des chargés de mission FSMR & PEMR Contacts entre administratifs hospitaliers et cellule opérationnelle BNDMR pour le déploiement de BaMaRa, la signature des conventions Réunion trimestrielle BNDMR / FSMR & PEMR Réunion mensuelle du Comité Scientifique de la BNDMR 	<ul style="list-style-type: none"> Remontée automatique et non modifiable des chiffres d'activité Piramig depuis BaMaRa Refonte technique complète de BaMaRa et renouvellement de la certification Hébergeur de Données de Santé Poursuite du déploiement de l'application web BaMaRa (99% des centres équipés) Refonte de la page de transparence BNDMR Déclaration de conformité de la BNDMR au référentiel EDS (CNIL) Accélération de la valorisation des données de la BNDMR
<p>2. Accompagner la collection de données cliniques ou biologiques, de cohortes et de registres et développement d'entrepôts de données FAIR</p>	<ul style="list-style-type: none"> Orphanet poursuit le développement de sa nomenclature en lien avec les autres terminologies médicales Les données transmises par les DPI à BaMaRa le sont dans le respect du Cadre d'Interopérabilité des SI Santé 	<ul style="list-style-type: none"> Lancement du projet « CDE.ai » de complétion semi-automatisée des items du SDM à partir de documents écrits en langage naturel Contribution de la France à la mise à jour de l'ontologie Orphanet et à son bon usage

Types d'actions mises en place par les FSMR en soutien au déploiement de la BNDMR en 2021



Une meilleure connaissance des diagnostics : le rapport maladies rares

2 formats : Rapport grand public en PDF + Fichier Excel pour la recherche

MAJ à fréquence semestrielle



The screenshot shows the BNDMR website interface. At the top right, there are social media icons for Twitter and LinkedIn, and a 'BaMaRa' logo. The main navigation bar includes 'Accueil', 'Le projet', 'Participer', 'Exploiter', 'Boîte à outils', 'Se documenter', 'Espace patients', and 'Contact'. The main content area features a news article titled 'Nombre de cas par maladie rare dans la BNDMR' with a sub-header '-- Nouvelle Version --' and a date 'au 1^{er} Novembre 2022'. The article text states: 'Depuis Mars 2022, la cellule opérationnelle (CO) de la BNDMR rend public les effectifs nationaux de patients recensés dans son entrepôt de données, pour chaque maladie rare. Pour identifier la [...]'. A 'Lire »' button is visible. To the right of the article is a thumbnail image of the report cover, which also displays the title and date. The BNDMR logo and name are visible in the top left of the website screenshot.

<https://www.bndmr.fr/publications/nombre-de-cas-par-mr/>

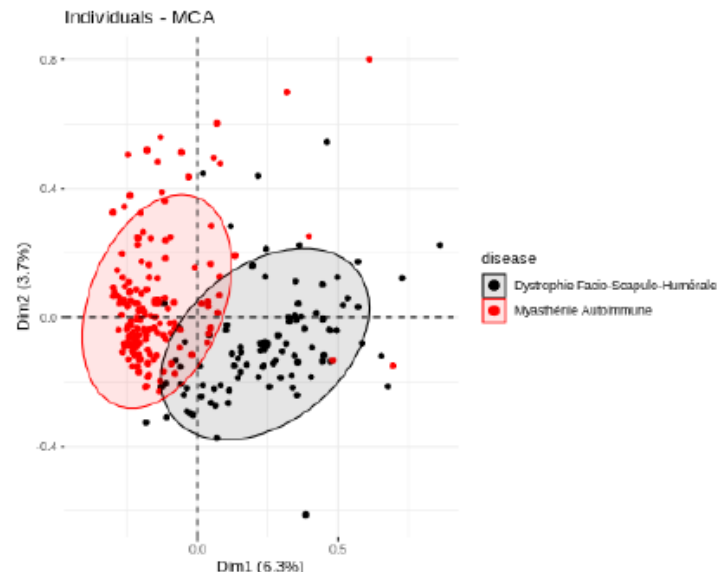
Une meilleure connaissance des diagnostics: les recueils complémentaires pour les patients en errance/impasse diagnostique



Identification de sous-groupes de patients homogènes

- 3 recueils de données complémentaires dans BaMaRa (71, 81 et 31 items)
- Revue de plus de 30000 dossiers sur une période retrospective de 3 ans
- Recueil complété pour plus de 8000 patients en errance ou en impasse diagnostique

FIGURE 3.5 – Clustering ciblé par méthode ACM



Une meilleure connaissance des diagnostics: l'intelligence artificielle au service de la collecte des données

*Extraction
automatique
des textes*

Martine PER est née à Paris LOC le 17 Juin MISC 1989 et habite maintenant à Brest LOC .Elle est atteinte d'un syndrome auto-inflammatoire ORPHA mais aussi de duplication partielle du bras long du chromosome 1.Après un voyage en Alaska LOC , il est atteint d'une maladie due au virus Zika CIM10 . Une incurvation du tibia LDDBr a été diagnostiquée

*Remplissage
de la BNDMR*

Date de naissance : 17/06/1989
Diagnostic : syndrome auto inflammatoire
Histoire familiale: o oui X non
Age au diagnostic : 6 ans

Phénotype:
Syndrome auto-inflammatoire
Maladie due au virus Zika
Incurvation du tibia

Gain de temps

Meilleure précision diagnostique

Une meilleure connaissance des diagnostics: l'intelligence artificielle au service de la collecte des données

Perspective PNMR4: fouille textuelle avec interopérabilité EDS

- Liens techniques et fonctionnels avec les remontées vers les départements d'information médicale pour éviter la double saisie des activités
- Création d'un système d'information utilisant BaMaRa pour extraire les comptes rendus d'un groupe de patients précis depuis les DPI ou les EDS des établissements de santé permettra d'accélérer la collecte des données pour répondre à des études spécifiques, ou remplir certains recueils complémentaires, notamment sur l'impasse et l'errance diagnostique

Les actions du PNMR3 et les perspectives du PNMR4 autour de la donnée de santé

o GT Innovations et traitements :

La BNDMR, appariée aux données de l'Assurance Maladie, permettra de réaliser pour les plus de 6000 maladies rares d'importantes études de santé publique sur les consommations de soins et de médicament, en ville comme à l'hôpital, avec 10 années de recul.

- ❖ l'observatoire des traitements maladies rares
- ❖ la collecte des données en vie réelle pour les accès précoces et compassionnels
- ❖ l'accompagnement de l'accès au marché de l'innovation pour les maladies rares, lien avec l'agence de l'innovation en santé (AIS) et l'alliance France Bioproduction

AXE N°4 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENT DANS LES MALADIES RARES

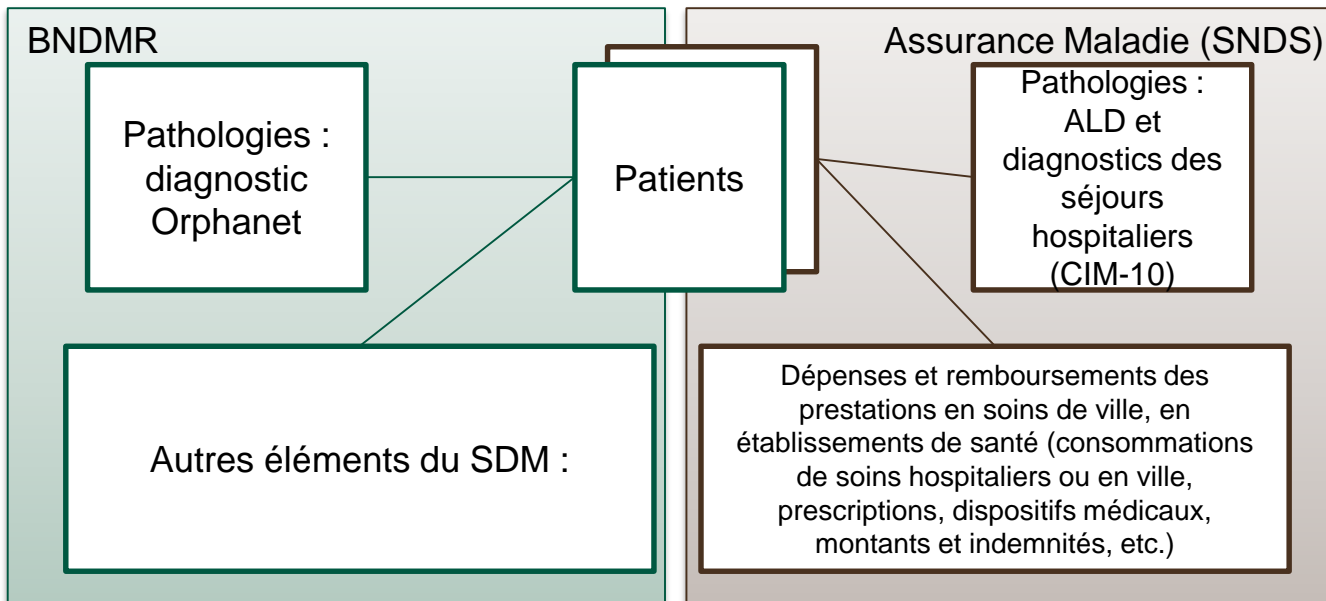
OBJECTIFS	RÉCURRENT	4 ^{ème} BILAN ANNUEL
<p>2. Renforcer la connaissance en vie réelle des médicaments orphelins</p>	<ul style="list-style-type: none"> • Etude à promotion industrielle sur la BNDMR seule • Etude à promotion industrielle sur la BNDMR appariée au SNDS 	<ul style="list-style-type: none"> • Structuration du « Set de Données Minimum Traitement », un PUT-RD dédié aux maladies rares • Inscription de la BNDMR au Catalogue de la Plateforme des Données de Santé, pour un appariement pérenne aux données de l'Assurance Maladie (le Système National des Données de Santé) • La BNDMR est retenue en tant que base mobilisable afin de répondre aux demandes de la HAS dans l'évaluation des médicaments

AXE N°4 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENT DANS LES MALADIES RARES

OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>3. Disposer d'un état prospectif des développements de nouvelles thérapeutiques en cours ou attendus et disposer d'un état des lieux des thérapeutiques proposées</p>	<p>Mise en place d'un observatoire des traitements dans chaque filière de santé maladies rares</p>	<p>Un premier recensement des pratiques de prescription hors AMM d'intérêt a été réalisé par les filières en 2022</p> <p><u>Travaux à venir</u></p> <p>En vue de faciliter l'instruction des CPC et augmenter les chances qu'une issue favorable leur soit réservée, des échanges étroits entre les services compétents de l'ANSM et les filières sont à prévoir. Un projet d'arrêté pourra venir préciser, si nécessaire, les modalités de ces échanges</p> <p>Une supervision et un suivi étroit de l'instruction des premiers signalements des observatoires par les autorités ministérielles s'avère indispensable pour accompagner le dispositif et amorcer une véritable dynamique d'établissements de CPC dans le traitement des maladies rares.</p>

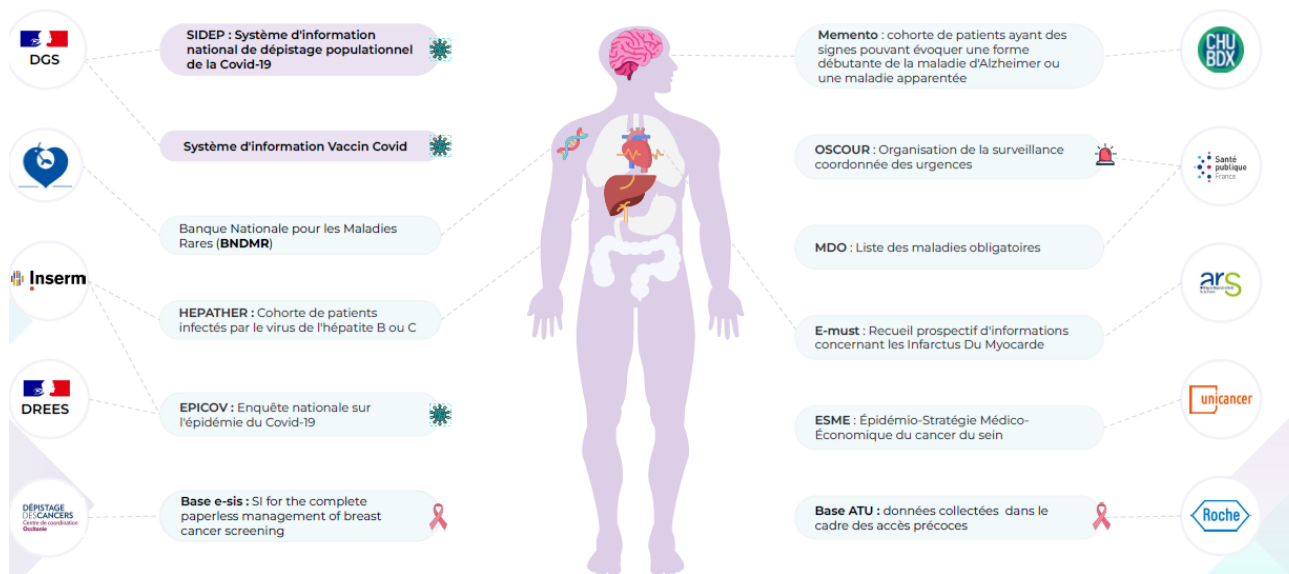
OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>4. Adapter le dispositif des RTU aux spécificités des maladies rares</p>	<p>Mieux encadrer les pratiques de prescriptions hors AMM :</p> <p>Objectif : garantir que le nouveau dispositif d'encadrement et de sécurisation des pratiques hors AMM par l'ANSM introduit par la LFSS pour 2021 bénéficie aux traitements des maladies rares.</p> <p>La réussite du nouveau dispositif reposera notamment sur la forte mobilisation des observatoires des traitements désormais mis en place au sein de chaque filière de santé maladies rares et de l'établissement de liens étroits entre ces derniers et l'ANSM, afin que les prérequis et les exigences de l'Agence et les moyens d'y répondre en terme d'accès compassionnel soient bien partagés.</p>	<p>Un projet d'arrêté qui précise notamment les modalités d'intervention des centres de référence et des centres de compétence labellisés maladies rares dans le dispositif des cadres de prescription compassionnelle a été soumis aux parties prenantes et fera l'objet d'une publication au JO dans les prochaines semaines.</p>

Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: le lien BNDMR/SNDS



Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: une chaînage pérenne SNDS/BNDMR

La première liste des bases de la base principale et du catalogue du SNDS portée par l'arrêté du 12 mai 2022



Une meilleure connaissance des diagnostics: les rapports filières

De nombreux indicateurs
qualité et épidémiologiques
par filière

Exemple: niveau
d'assertion du
diagnostic

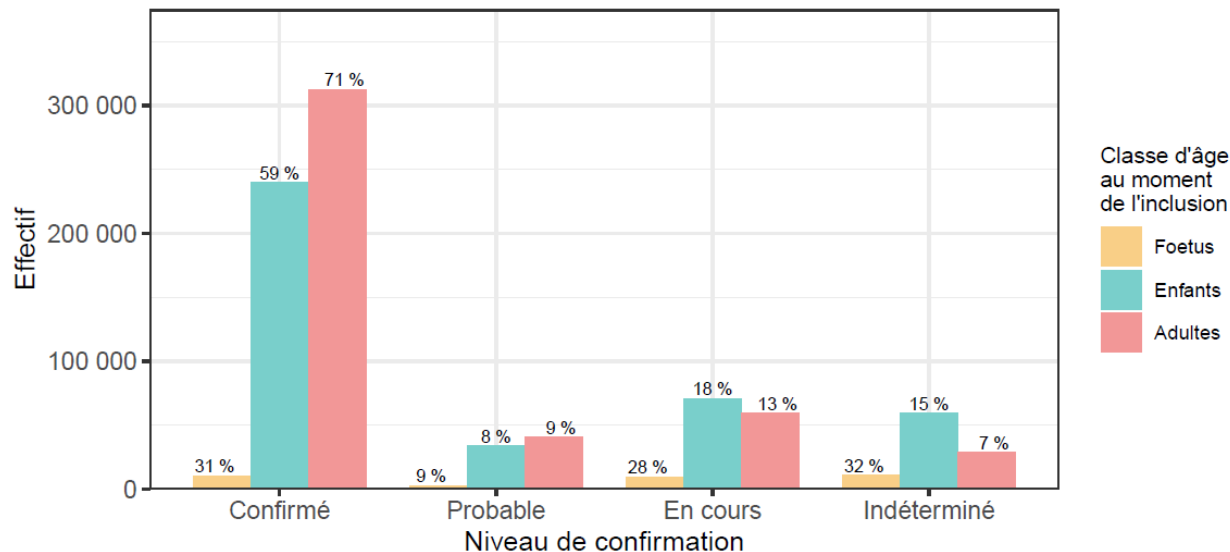


Figure 3.3 – Nombre de patients en fonction du niveau de confirmation (le plus avancé) de leur diagnostic

Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: des données stratégiques pour les industriels

BNDMR seule

- ▶ **Epidémiologie du déficit en décarboxylase des acides aminés aromatiques (AADC) en France [terminée]**
- ▶ **Analyse de l'épidémiologie, des parcours de soins, et de la mortalité de la myasthénie en France à partir des données de la BNDMR [en cours]**
- ▶ **FrEBepi : Epidémiologie des épidermolyses bulleuses (EB) héréditaires [terminée]**

BNDMR chaînée au SNDS:

- ▶ **EPARDYS : Etude du PARcours de soins des patients atteints des DYStrophies musculaires de Duchenne et de Becker [en cours]**
- ▶ **Description, prise en charge et fardeau de la polyneuropathie inflammatoire démyélinisante chronique (PIDC [en attente]**
- ▶ **FIBRODYSPLASIE OSSIFIANTE PROGRESSIVE : description des sujets, de leur handicap, du coût et de la mortalité de la maladie en France [en cours]**

Une meilleure connaissance des diagnostics: les études de faisabilité

Perspective PNMR4: système d'information pour la faisabilité d'essais cliniques

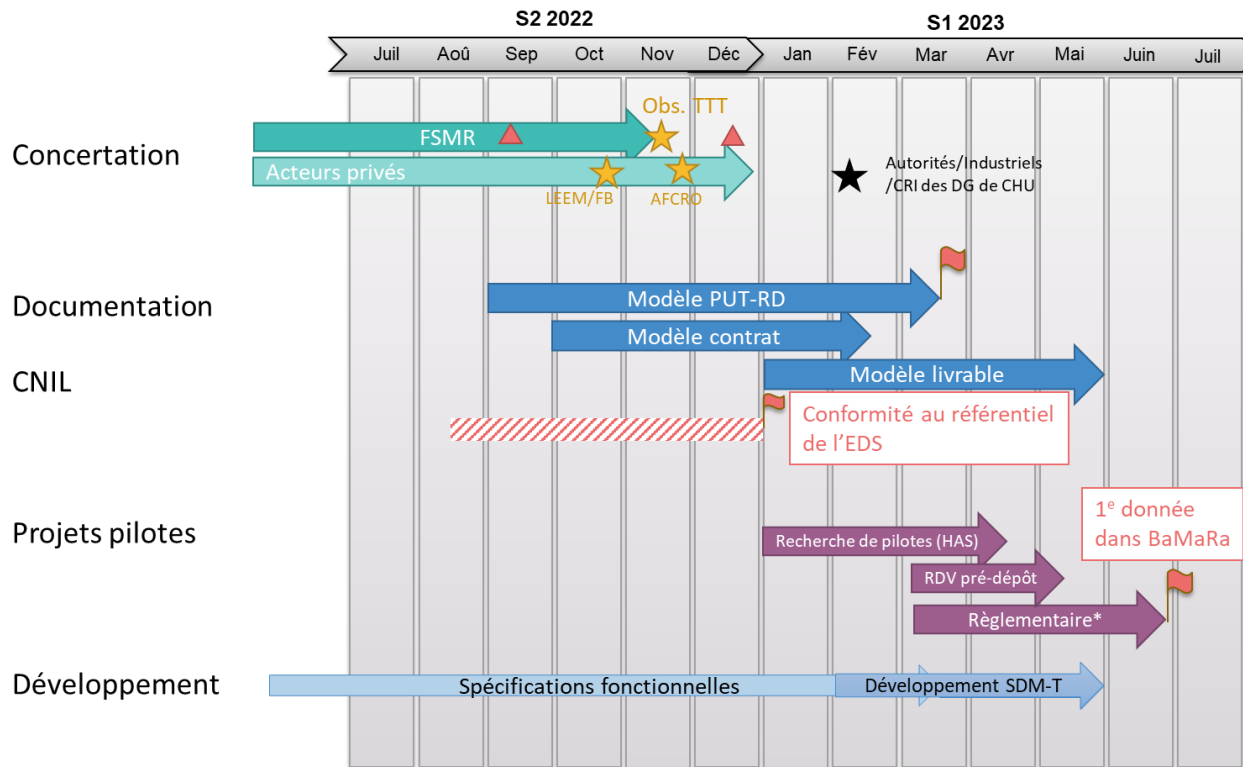
- Offrir des données en temps réel pour les industriels pour le recrutement dans les essais cliniques à partir de la BNDMR.

Une meilleure connaissance des parcours de vie et de soin: des données stratégiques pour l'évaluation des politiques

Perspective PNMR4: une offre de services pour les industriels

- ▶ **Organiser une offre de service pour les industriels pour les accompagner dans leurs demandes d'étude en vie réelle en faisant un partenariat avec la HAS pour favoriser l'utilisation de la BNDMR pour ces études.**
- ▶ **Favoriser la réutilisation des données de sécurité et d'efficacité du médicament via les données de la BNDMR appariées au SNDS pour le portage à l'Agence Européenne du Médicament notamment à travers de développement de bras synthétique pour les essais cliniques.**

Un meilleur accès aux traitements: le SDM-Traitement



Un meilleur accès aux innovations: le SDM-Traitement

Perspective PNMR4: un PUT-RD à parti de BaMaRa

Objectif: Systématiser le **recours au Set de Données Minimum Traitements de la BNDMR** pour analyser la sécurité et de l'efficacité des produits de santé utilisés en vie réelle, afin d'accélérer l'autorisation ou le retrait des médicaments en accès compassionnel ou en accès précoce et la mise en œuvre du paiement à la performance

Modèle de protocole d'utilisation thérapeutique et de recueil de données (PUT-RD)

Accès précoce – Nom du médicament

La proposition de PUT-RD soumise par le laboratoire doit être rédigée en français selon ce modèle et transmise en pièce jointe lors de la soumission de la demande d'accès précoce sur la plateforme SÈSAME. L'ensemble des éléments proposés sont susceptibles d'être modifiés par la Haute Autorité de santé (HAS) et l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) le cas échéant. Le PUT-RD final sera annexé à la décision de la HAS. Se référer au [guide de dépôt](#) pour plus d'information sur les recommandations de la HAS et de l'ANSM sur ce document.

Cette proposition de PUT-RD est susceptible d'être adressée aux associations de patients et autres parties prenantes en vue de recueillir leur contribution pendant l'instruction conformément à l'article R. 5121-69-1.

La demande	
Spécialité	Renseigner le nom de spécialité si déjà déterminé
DCI	Si la DCI n'est pas disponible, renseigner la dénomination provisoire du médicament
Indication	Indication simplifiée revendiquée
Date d'octroi	XXXX/XXXX
Date de mise à disposition du médicament dans le cadre de l'accès précoce	XXXX/XXXX
Périodicité des rapports de synthèse	À compléter par la HAS
Renseignements administratifs	
Contact laboratoire titulaire ou CRO	Renseigner adresse mail générique + tél
CRPV en charge du suivi de l'accès précoce, le cas échéant	À compléter par la HAS
Contact du délégué à la protection des données (DPO) du laboratoire	Renseigner adresse mail générique + tél

Un meilleur accès aux innovations: le recueil de PRO (« patient reported outcome »)

Perspective PNMR4: développement d'une application mobile pour les patients

- Importance des **données collectées par les patients (PRO) pour l'évaluation en vie réelle des traitements**
- Développement d'une application smartphone permettant de renseigner des données supplémentaires au SDM, notamment en matière de qualité de vie générale et spécifique

Alliance maladies rares

UNIS POUR VAINCRE

Plus de 240 associations de
personnes malades





**MINISTÈRE
DE LA SANTÉ
ET DE LA PRÉVENTION**

*Liberté
Égalité
Fraternité*

