Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

MINISTÈRE DU TRAVAIL,
DE L'EMPLOI
ET DE LA SANTÉ

Discours de Nora BERRA

28 février 2011

Deuxième Plan national Maladies rares 2011-2014

C’est avec un grand plaisir que je vous accueille aujourd’hui, à l’occasion de la Journée internationale des maladies rares, au ministère de la santé afin de vous présenter, avec **Valérie Pécresse**
,
les grands axes de ce deuxième plan national maladies rares tant attendu
.

Le remaniement gouvernemental, la concertation avec les professionnels, mais également les échanges avec les principales associations de patients ont, il est vrai, retardé la sortie du plan de plusieurs mois. Mais l’essentiel, c’est que nous soyons aujourd’hui réunis pour vous présenter ce deuxième pan.

Comme vous le savez, la France a eu un rôle pionnier dans le domaine des maladies rares puisqu’elle a été le premier pays de l’Union européenne à avoir élaboré et mis en oeuvre un plan national.

Lancé en 2005 à l’initiative de Xavier Bertrand, ce premier plan, a permis des avancées majeures pour les 3 millions de Français souffrant de maladies rares. Ainsi, 131 centres de référence ont été labellisés et 501 centres de compétences permettent aujourd’hui la prise en charge et le suivi des patients au plus près de leur domicile.

Des traitements ont pu être remboursés, d’autres ont pu recevoir une autorisation de mise sur le marché. L’information à destination des malades et des professionnels s’est également développée grâce au portail Orphanet, qui est devenu un véritable outil de référence en matière de documentation et d’information sur les maladies rares au niveau européen.

Cet effort a porté bien au-delà de nos frontières, faisant progressivement de la politique française une source d’inspiration pour de nombreux pays. La France est ainsi considérée comme le point de départ des collaborations internationales qui se sont nouées au fil du temps

pour mutualiser l'expertise, les expériences et les ressources disponibles sur les 7000 maladies rares aujourd'hui recensées.

Cette implication et ce rôle mobilisateur, notre pays entend le garder et l'amplifier encore dans les années à venir.

Ce deuxième plan lancé à l'initiative du Président de la République s'attachera non seulement à renforcer la qualité de la prise en charge des patients, ainsi qu'à développer, avec Valérie Pécresse, la recherche sur les maladies rares mais aussi à amplifier la coopération européenne et internationale.

Avant de détailler les grandes lignes de ce nouveau plan, je voudrais saluer l'engagement sans faille des associations qui ont participé à son élaboration. Je veux parler d'Alliance Maladies rares, mais aussi Eurordis, Vaincre la mucoviscidose et bien sûr l'Association française contre les myopathies qui a su dès le début, et avec quelle efficacité,
porter la cause des maladies rares.

C'est une évidence aujourd'hui mais je veux le souligner : l'AFM a joué un rôle pionner. Son engagement et sa pugnacité ont permis de donner corps et visibilité aux maladies rares qu'il s'agisse de recherche, de diagnostic, de soin ou d'accompagnement des patients. Cette implication exemplaire est à l'origine de tout ce qui a suivi. Dans son sillage, le champ des maladies rares s'est structuré avec l'élaboration du premier plan maladies rares et la mise en place d'un dialogue constructif avec les professionnels et les institutions. Avec la création du Généthon Bioprod, centre de production de médicaments de thérapie génique, le plus important au monde, l'AFM confirme sa position d'acteur majeur au niveau international des biothérapies pour l'ensemble des maladies rares.

Je tiens également à remercier l'ensemble des acteurs qui ont participé activement à l'élaboration de ce nouveau plan :

- la Direction générale de l'Offre de soins, dont je salue le représentant, Monsieur Faucon,
- mais également la Direction générale de la santé et la Direction de la sécurité sociale, Délégation aux affaires européennes et internationales, la direction générale pour la recherche et l'innovation, la direction générale de la cohésion sociale
- et bien sûr l'ensemble des professionnels de santé et des chercheurs investis sur le sujet.

Enfin, il est à noter l'arrivée d'un nouveau partenaire, l'Association Européenne contre les Leucodystrophies (ELA).

Ce nouveau plan, doté d'un budget total de 180 millions d'euros dont 73 millions destinés à financer des mesures nouvelles, comporte 47 actions réparties selon 3 grands axes.

Je tiens à préciser que ce budget n'est qu'une estimation basse de ce qui pourra effectivement être consacré au plan. On ne peut en effet préjuger des montants finaux des appels à projet du ministère de la recherche, qui ne sont pris à ce stade qu'à leur niveau plancher. Si l'on ajoute par exemple le projet de recherche RadiCo, de 10 millions
d'Euros ou bien le projet Ecrin financé à hauteur de 500 000 Euros, les mesures nouvelles se montent à 86,4 millions d'Euros.

Ce second plan maladies rares s'inscrit dans la continuité du premier tout en intégrant les principales contributions des associations et les grandes recommandations de l'évaluation conduite par le Haut Conseil de la Santé publique.

Un des enjeux majeurs de ce plan est d'assurer une prise en charge la plus adaptée possible des maladies marquées par l'intervention de nombreuses structures et de multiples professionnels et qui nécessitent des traitements hors Autorisation de Mise sur le Marché.

Les centres de références, nous le savons, sont indispensables pour lutter contre les errances diagnostic, source de grande souffrance pour les malades et leur famille, mais il faut, comme l'avait souligné le Haut Conseil de la santé public, mieux les coordonner.

Pour répondre à cet objectif, une vingtaine de filières mettront en cohérence les missions des centres de références, des centres de compétences et de toutes autres structures travaillant sur ces maladies.

L'objectif visé est bien de mutualiser les connaissances et les moyens dans un continuum allant de la recherche, à l'accompagnement médico-social en passant par le dépistage et le soin.

Ces filières animeront et coordonneront au sein d'un même groupe de pathologies les actions de recherche, mais aussi la prise en charge des patients.

Sur ce point crucial de la prise en charge, le plan prévoit notamment d'organiser des plateformes nationales de laboratoire de diagnostics, afin de mettre les avancées technologiques et scientifiques au service des malades.

Le plan prévoit également de faciliter la production des protocoles nationaux de diagnostic et de soins afin d'harmoniser les réponses données aux familles sur l'ensemble du territoire. La télémédecine sera quant à elle développée pour permettre aux familles qui vivent dans des zones excentrées d'avoir très rapidement accès, en lien avec les professionnels locaux, aux meilleurs experts.

S'agissant de la prise en charge médicamenteuse des patients atteints de maladies rares, sujet majeur lorsque l'on sait que ces maladies nécessitent souvent le recours à des médicaments prescrits en dehors des indications d'autorisation de mise sur le marché, elle sera améliorée.

L'accès aux médicaments spécifiques, dont les médicaments orphelins, leur remboursement, ainsi que la sécurisation de leur utilisation vont en effet être renforcés afin de rendre le meilleur service possible tout en limitant les risques pour les patients. A cet égard, je tiens à souligner que les assisses des médicaments lancées la semaine dernière par Xavier Bertrand aborderont cette thématique spécifique.

De manière générale, l'esprit de ces filières est de donner une meilleure visibilité au patient tout en optimisant sa prise en charge.
Les modalités de financement et d'évaluation de ces structures vont être simplifiées pour que les ressources allouées tiennent mieux compte de l'activité réelle et que l'utilisation des financements soit mieux documentée.

Nous allons avec Roselyne Bachelot renforcer les synergies entre les acteurs sanitaires et médico-sociaux. Certaines maladies rares ont en effet des conséquences en termes de handicap. L'objectif est de coordonner les parcours de soins et de vie, notamment dans les situations les plus complexes.
Au coeur de ce dispositif, le rôle de la famille ou des aidants est capital, du fait notamment de la complexité de la prise en charge, qui nécessite de nombreux rendez vous et parfois des déplacements loin du domicile.

C'est pourquoi, le Plan s'attache à venir en aide aux malades et à leur entourage en développant une offre de répit pour les patients et en améliorant les liens avec les acteurs du handicap.

Pour que les actions menées sur les différents aspects que je viens d'évoquer soient au plus près des besoins des patients, il est indispensable de faire avancer les connaissances sur ces maladies rares. La banque nationale de donnée, qui constitue l'un des piliers de ce nouveau plan, permettra de recueillir et de partager les
connaissances scientifiques et médico-économiques sur les maladies rares.

Une vingtaine d'assistants de recherche cliniques seront assignés au contrôle de qualité et à l'analyse de la base pour améliorer le recueil épidémiologique. Je sais que c'est un sujet qui vous tient à coeur, mais je tiens là aussi à souligner qu'il ne s'agit là que d'une mise de départ qui pourra augmenter tout au long de la mise en oeuvre du plan.

Il y a encore beaucoup à dire sur ce qui va contribuer à améliorer la prise en charge mais j'aimerais aussi évoquer les coopérations européennes et internationales dans le domaine des maladies rares.

Comme je l'ai dit en introduction, plusieurs initiatives pionnières ont été prises par la France au niveau de l'Union européenne.

Le comité d'experts maladies rares de l'union européenne (EUCERD) qui s'est réuni pour la

première fois en décembre 2010, traduit bien cette volonté commune d'échange et de partage. Plus récemment encore, le Parlement européen a adopté la directive sur l'application des droits des patients en matière de soins de santé transfrontaliers qui concerne aussi les maladies rares.

Le plan s'inscrit dans cette dynamique en promouvant le partage de l'expertise au niveau européen et international grâce notamment à Orphanet, mais aussi à mutualiser et à standardiser la pratique des tests diagnostics au niveau européen dans un souci d'efficacité mais aussi de qualité pour les patients.

Un dernier mot enfin sur la gouvernance de ce plan avant de laisser Valérie Pécresse parler des aspects recherche.

Le comité de suivi et de prospective de ce nouveau plan aura comme son nom l'indique un rôle majeur d'aide à la décision stratégique. Un plan ne doit pas être figé, il doit évoluer. Soit parce que les hypothèses de départs ne se sont pas avérées pertinentes, soit parce que les connaissances ont progressé.

Ce comité, dont la présidence est confiée à la Directrice générale de l'offre de soins, Madame Annie Podeur, devra non seulement décliner concrètement les modalités de mise en oeuvre des 47 actions mais aussi les prioriser. Il devra également proposer aux ministres des mesures correctives ou de nouvelles actions.

Des groupes de travail thématiques pourront ainsi être créés selon les besoins, d'autres, sont déjà inscrites dans le plan comme celui sur la refonte de la méthodologie de l'évaluation et de la labellisation des centres de références. Les membres de ce comité, loin d'avoir une fonction de représentation, auront donc un rôle actif dans le suivi et la mise en oeuvre de ce plan et je compte sur eux.

Deux vice-présidents scientifiques, le professeur Sabine Sarnacki rattachée au ministère de la santé et le professeur Hélène Dollfus rattachée au ministère de la recherche seront les

garantes de la cohérence des actions menées dans le cadre de ce plan.

Par ailleurs, Monsieur Alain Garcia, secrétaire général du plan, missionné au niveau interministériel, sera chargé de la mise en oeuvre opérationnelle des mesures et identifiera les éventuelles difficultés dans leur mise en oeuvre et proposera des actions pour y remédier.

Plus largement, ce comité est composé des différentes institutions comme l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé, la Haute autorité de santé, mais aussi des associations engagées dans la lutte contres les maladies rares ainsi que de personnalités qualifiées.

Je souhaite conclure mon propos en levant une inquiétude légitime de tous les acteurs, celle de la déclinaison effective du plan au niveau local. Cet aspect a été pris en compte, et fera l'objet d'une attention toute particulière du secrétaire général du comité de suivi qui connait bien le terrain.

L'ARS veillera à identifier un interlocuteur de façon à garantir la qualité des échanges avec le niveau national, à apporter une réponse aux éventuelles difficultés liées à la mise en oeuvre de ces actions sur le terrain, et à faciliter les échanges avec les centres de référence et les centres de compétence ou les autres professionnels de santé concernés.

Les ARS seront sensibilisées aux problèmes spécifiques de prise en charge ou d'articulation entre secteurs sanitaire et médico-social : ce décloisonnement est leur raison d'être. Ils veilleront, en lien avec les associations représentant les patients et les professionnels à y apporter, dans le cadre de leurs missions générales, les solutions adaptées.

A cet effet, les ARS pourront s'inspirer d'expérience telle que celle de la plateforme régionale d'information et d'orientation pour les maladies rares, baptisée Prior (PRIOR) qui est menée dans les Pays de la Loire. L'objectif de cette opération pilote est de rompre l'isolement des malades en les accompagnants dans leur parcours de soins et d'accompagnement mais également de rapprocher les différents acteurs sanitaires et médico-sociaux aux services des

malades et de leurs proches.

Vous le voyez, ce plan interministériel, que vous pouvez retrouver sur le site du ministère de la santé, se traduit par des mesures ambitieuses mais avec un souci d'opérationnalité renforcée. Tous les ingrédients fonctionnels sont réunis. A nous, à vous, d'en faire une source de réussite.

2ème Plan national maladies rares 2011 - 2014

Le Plan

Dispositif de suivi

Financement