

Table ronde 1

PNMR 2011-2014 : point de vue des parties prenantes

Odile Kremp

L'objet de cette table ronde est d'échanger sur l'avis des parties prenantes sur le déroulement du PNMR. Le Pr Lévy va tout d'abord nous parler de ce qui s'est fait en matière de recherche.

Nicolas Lévy

Je souhaiterais vous parler des actions de recherche inscrites dans le PNMR, et en particulier de la création d'une structure d'impulsion visant à regrouper l'ensemble des partenaires académiques et institutionnels publics et privés afin de mener des actions transversales dans le cadre du plan.

Lors de RARE 2011, j'ai présenté la structuration de la Fondation maladies rares, qui a été créée en février 2012. À cette époque, j'avais inscrit un certain nombre de missions que nous souhaitions mener. Celles-ci relevaient essentiellement d'axes recherche. En outre, la Fondation était initialement voulue comme une fondation sous égide. Comme cette orientation n'a pas été retenue par la plupart de ceux qui en sont aujourd'hui les fondateurs, nous avons finalement abouti à la création d'une fondation de coopération scientifique, c'est-à-dire une fondation autonome de droit privé à but non lucratif. Il n'en demeure pas moins que cette autonomie est en lien avec les différents acteurs qui ont voulu cette création, notamment le ministère de la Santé et le ministère de la Recherche.

La philosophie de la Fondation maladies rares est de mettre en lien les différents acteurs publics et privés ; nous sommes donc amenés à travailler de façon étroite avec des partenaires industriels. À travers six missions, la Fondation entend notamment fédérer la recherche publique, et financer sur appel à projets l'accès à des plates-formes technologiques. En 2012, nous avons financé 55 projets visant, par exemple, à séquencer des gènes potentiellement impliqués dans les maladies rares, et à créer des modèles de pathologies rares d'origine génétique.

En tant que partenaires, la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie et la Direction générale de

Participant à la table ronde :

Martine Aoustin, Directrice de l'Agence régionale de santé Languedoc-Roussillon

Brigitte Chabrol, Présidente de la Société française de pédiatrie

Alain Donnart, Président de l'Alliance maladies rares

Nicolas Lévy, Directeur de la Fondation maladies rares

Dominique Péton-Klein, Secrétaire générale PNMR 2011-2014

Jérémie Westerloppe, Directeur des affaires économiques de Celgene



Table ronde animée
par Odile Kremp,
Directrice d'Orphanet

la santé ont contribué au montage et au financement d'un appel à projets sur les sciences humaines et sociales et les maladies rares. 10 des 75 projets examinés dans le cadre de cet appel à projets ont été sélectionnés.

Par ailleurs, nous prévoyons pour la rentrée 2014 de mettre en place, en lien avec les universités, un programme d'enseignement orienté vers la recherche sur les maladies rares.

Parmi les autres missions de la Fondation figure la reprise – confiée par l'Inserm – de la coordination du programme européen E-Rare, qui a pour objectif de mettre en place des programmes collaboratifs transnationaux. Cette coordination permet à la Fondation de lancer des programmes avec l'ensemble des agences nationales de recherche des États membres.

Les missions de recherche aujourd'hui confiées à la Fondation ne sont pas les seules missions de recherche menées dans le cadre du PNMR. La Fondation affiche une très forte volonté de fédérer la recherche, au bénéfice des malades, en prenant comme base aussi bien les équipes académiques des centres de référence cliniques que les acteurs du secteur privé.

Au cours des 10-15 dernières années, le développement de nouvelles solutions thérapeutiques dans le cadre d'essais cliniques ou



de développement de médicaments pour les maladies a fait défaut. De nombreux essais cliniques n'ont pas été menés, pour des raisons diverses, comme la culture des académiques et le manque d'organisation visant à développer les protocoles thérapeutiques pour l'inclusion de malades dans les essais cliniques.

La Fondation a décidé de mettre en place un programme aussi exhaustif que possible de prospection et de détection de preuves de principe thérapeutique. L'objectif est que les preuves de principe, une fois détectées par les équipes académiques, soient prises en charge par des structures *ad hoc* afin de concevoir le protocole thérapeutique et de mettre en place les essais cliniques. Les partenaires industriels ont accompagné 18 des 60 programmes mis en œuvre depuis la création de la Fondation.

Odile Kremp

Mme Chabrol, comment voyez-vous avancer le PNMR ?

Brigitte Chabrol

60 des 131 centres de référence sont coordonnés par des pédiatres ou des généticiens issus de la pédiatrie. L'engagement des pédiatres vis-à-vis des maladies rares est déterminé par les soins apportés aux enfants porteurs de ces maladies.

Dans le cadre du plan, j'ai travaillé avec Patrice Dosquet au sein du groupe de travail « Information et outils d'amélioration de la prise en charge des patients ». Les objectifs de ce groupe étaient de créer une carte de soins et d'urgence, de développer les « fiches urgences Orphanet » et d'optimiser le circuit de distribution des cartes.

Il est important que le patient puisse avoir sur lui sa carte d'urgence. La plupart de ces maladies sont évolutives, mais il est pour l'heure encore très compliqué de faire en sorte que cette carte prenne en compte les prescriptions et l'évolution de la maladie. Nous avons donc proposé que cette carte d'urgence mentionne le nom et le prénom du patient, le nom de la maladie, son code Orphanet, le nom du centre maladies rares du patient, et le nom du médecin traitant. En outre, la carte précise ce qu'il faut faire et ne pas faire en cas d'urgence.

La carte est désormais finalisée. Il reste maintenant à définir son mode de diffusion – *via* les centres de référence, par exemple. En outre, il faudra s'assurer qu'elle ne soit pas modifiée. J'espère que cette carte sera déployée dans le cadre du second PNMR, car elle est attendue par les patients, les médecins et les associations.

Dans le premier plan, les protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) ont été établis sous l'égide de la HAS. À la fin du premier plan, 42 PNDS avaient été réalisés par les centres de référence, avec une méthodologie particulièrement lourde. Pour autant, les PNDS sont nécessaires aux médecins de premier et de deuxième recours. La mise en œuvre d'autres PNDS a tardé, car la HAS avait annoncé la publication d'un guide méthodologique simplifié pour la réalisation des PNDS « maladies rares », qui n'a finalement été présenté qu'en octobre 2012. L'élaboration d'un PNDS se décline en trois étapes : le coordonnateur de centres de référence constitue son groupe de travail ; celui-ci est ensuite chargé de rédiger le PNDS ; enfin le document est envoyé à la HAS, avant d'être diffusé par les sociétés savantes.

À ce jour, 50 PNDS « ancienne formule » et 2 PNDS « nouvelle formule », d'octobre 2012, ont été élaborés. Les prochains seront réalisés au sein des nouvelles filières, c'est-à-dire des groupes de centres de référence autour d'une même thématique. Un appel d'offres est paru au cours de l'été. Un rendu du projet a été présenté fin octobre. Les différentes équipes médicales françaises ont travaillé ensemble à l'élaboration de ces filières. Dans ce contexte, les futurs PNDS seront beaucoup plus cohérents et homogènes sur l'ensemble du territoire.

La rédaction du document de description de chaque filière a été complexe puisque 30 à 100 participants selon la filière ont participé à ce travail. Nous espérons que les documents rédigés vous satisferont. Nous sommes désormais dans l'attente de démarrer et de nous engager pour 2014 à fournir davantage de PNDS et à réaliser plus de travaux de recherche.

J'ai coordonné les centres de référence des maladies héréditaires du métabolisme. Le dossier a été remis au ministère le 25 octobre. Nous attendons les résultats pour début 2014.

Odile Kremp

À travers vos propos, nous voyons bien l'implication des associations à différents niveaux. M. Donnart, comment voyez-vous l'évolution des actions en cours ?

Alain Donnart

Je remercie Mme Péton-Klein pour sa visite sur la plateforme et sa participation au forum PACA. Je remercie aussi M. Lévy pour la Fondation maladies rares, qui était très attendue par les associations. Son équipe a réalisé un très bon travail.

Le PNMR 2 est, de notre point de vue, fondamental car les engagements pris dans le cadre de ce dispositif vont dans le bon sens pour les associations. En outre, il constitue un signal fort donné par les pouvoirs publics en France, car il traduit un intérêt général pour les maladies rares. À travers ce plan, nous devons être visionnaires. De plus, la France doit rester leader européen dans le cadre des maladies rares, car un affaiblissement en France aurait probablement des répercussions sur l'Europe dans son ensemble.

La mise en place du second PNMR n'a pas été simple. Le faible nombre de PNDS mis en place nous inquiète. De plus, seuls 5 à 6 PNDS sont prévus.

Le sujet des filières nous tient vraiment à cœur. Lors d'une réunion récente qui a rassemblé les présidents et les représentants d'associations, le problème des filières est apparu comme majeur. Les présidents d'associations ont des difficultés à comprendre leur

rôle. La publication de l'appel à projets en plein mois d'août a quelque peu troublé les associations.

Cette réunion des membres d'Alliance Maladies Rares a permis de faire ressortir les priorités suivantes :

- revoir la coordination des centres de référence en mutualisant les moyens ;
- faciliter la possibilité de se repérer dans le système de prise en charge ;
- mieux coordonner la prise en charge diagnostique, thérapeutique et médico-sociale ;
- assurer la coordination des actions de recherche, et organiser des collectes de données cliniques.

En outre, les associations demandent à participer aux instances délibératives des filières, notamment à travers la mise en œuvre d'un mode de représentation. En outre, Alliance Maladies Rares s'est clairement positionnée pour ne pas figurer dans les filières, car celles-ci appartiennent aux associations.

Dans le cadre des filières, il convient également d'évoquer l'éducation thérapeutique. Alliance Maladies Rares a constaté qu'en 2011, 9 pathologies ont eu un programme d'éducation thérapeutique agréé par des ARS. 80 % des associations de maladies rares souhaitent s'investir dans l'éducation thérapeutique. 70 % des associations estiment ne pas être suffisamment informées sur l'éducation thérapeutique. 86 % des associations souhaitent que l'Alliance Maladies Rares les accompagne dans l'élaboration de leur projet d'éducation thérapeutique.

Suite à ces constats, nous avons lancé un plan qui inclut diverses actions, comme l'organisation de journées ateliers d'éducation thérapeutique, la rédaction d'un guide pratique d'éducation thérapeutique, et la tenue d'un forum d'éducation thérapeutique en mars 2014. Alliance Maladies Rares défend la promotion de l'éducation thérapeutique dans les maladies rares, la notion de transversalité dans les programmes d'éducation thérapeutique et la promotion et le développement des patients experts dans les maladies rares.

La question des prescriptions hors autorisation de mise sur le marché (AMM) et des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) inquiète grandement nos associations. Nous nous battons pour que soit garantie la qualité de la prise en charge médicamenteuse et qu'elle soit adaptée à chaque personne atteinte de maladie rare. Nous défendons notamment les prescriptions hors AMM et ATU pour que ces médicaments soient disponibles pour les personnes atteintes de maladies rares. Une enquête DGS/DGOS a précisé que sur 550 utilisations hors AMM, seuls 10 dossiers aboutiraient assez rapidement à une recommandation temporaire d'utilisation (RTU).

Par ailleurs, les parcours de santé pour les personnes atteintes de maladies rares doivent être adaptés aux besoins des personnes. Il s'agit là d'un enjeu central pour la qualité de vie des malades. Nous défendons notamment un *continuum* entre le sanitaire et le social. Nous faisons face à l'errance du diagnostic, à l'insuffisance de coordination entre les professionnels, à un manque d'accompagnement, et à une absence de coordination avec le médico-social. Pour Alliance maladies rares, il est important de favoriser la création

de réseaux (VADLR¹, PRIOR²), de créer de nouveaux métiers, et de promouvoir la recherche en science sociale.

Enfin je vous annonce la tenue de la Conférence Europlan le 13 janvier 2014 à Paris. Cette conférence, qui bénéficiera du haut patronage de madame la ministre de la Santé, nous permettra certainement d'évaluer et de formuler des propositions pour le prochain PNMR.

Odile Kremp

M. Westerloppe, économiste, travaille comme directeur des affaires économiques au sein du laboratoire Celgene. Il est un membre très actif du groupe maladies rares au sein du Leem. Il va nous présenter le point de vue des industriels du médicament.

Jérémie Westerloppe

Grâce à la recherche et à l'ensemble des partenariats, de nouveaux médicaments sont trouvés. En 2012, 70 médicaments ont été mis sur le marché pour 5000 maladies rares. Lors de RARE 2011, nous avons beaucoup parlé des RTU qui étaient alors en discussion à l'Assemblée nationale et au Sénat. À l'époque, nous nous étions fait l'écho de réelles inquiétudes. Deux ans plus tard, notre regard est apaisé, car nous n'avons pas l'impression qu'il y ait de rupture dans la prise en charge des patients. En revanche, nous avons pris conscience que la situation était éminemment complexe puisque la réalisation des RTU et des PNDS n'est pas aussi facile que nous pouvions l'escompter. Nous avons aujourd'hui l'impression que la « machine » s'est mise en branle pour pouvoir être capable d'avancer. Il reste encore beaucoup de chemin à parcourir. Nous devons être vigilants pour les années à venir pour éviter toute rupture inappropriée ou injustifiée dans la prise en charge des malades.

Par ailleurs, l'élaboration des RTU suppose un suivi. Celui-ci permettra de mieux comprendre les situations dans lesquelles on peut être amené à utiliser un médicament, de mieux comprendre les bénéfices du médicament, voire de déposer des dossiers d'AMM. Il est donc important que le suivi des RTU se fasse au mieux, en impliquant l'ensemble des acteurs. La participation de chacun à l'élaboration et à la maintenance d'un suivi est donc essentielle. La participation des centres de référence et des sociétés savantes, pour accompagner la mise en œuvre des registres, est également un point clé.

¹ VADLR : Vivre avec une anomalie du développement en Languedoc-Roussillon.

² PRIOR : Plate-forme régionale d'information et d'orientation sur les maladies rares des Pays de la Loire.



Comment avancer sur les médicaments qui ne sont plus protégés par des brevets ? La réponse à cette question clé implique d'imaginer des incitations économiques pour que les industriels reprennent des molécules.

Au-delà de l'évaluation clinique, force est de constater que l'accès au remboursement du médicament passe par des méthodologies et des algorithmes de plus en plus sophistiqués. Jusqu'à aujourd'hui, la spécificité des maladies rares et des médicaments orphelins semble entendue. Cette spécificité ne se résume pas uniquement au fait que les médicaments ne disposent pas de comparateur ; elle porte également sur la connaissance parcellaire de la maladie. L'élaboration de critères n'est pas toujours évidente. La mise en œuvre d'essais cliniques peut être ralentie ou rendue difficile par le faible nombre de malades. Certains éléments méthodologiques rendent ainsi difficile la constitution de la preuve.

Dans ce contexte, il faut veiller à ce que cette vigilance soit toujours de mise. Il pourrait être imaginé que des éléments de la preuve complémentaires soient apportés après l'AMM. De nouvelles méthodes d'évaluation entrent dans le champ du médicament, comme l'évaluation médico-économique, qui est obligatoire depuis octobre pour un certain nombre de médicaments innovants, dont pourraient faire partie les médicaments orphelins. Nous devons veiller ensemble à ce que les spécificités des maladies rares et des médicaments orphelins soient bien comprises et partagées pour qu'il n'y ait pas de rupture dans l'évaluation. Le maintien du lien entre les acteurs est, de notre point de vue, très important.

Odile Kremp

Certains éléments soulevés par les différents intervenants sont d'ordre national, tandis que d'autres éléments relèvent davantage du niveau régional, comme l'éducation thérapeutique.

Martine Aoustin

Après les propos d'experts que nous venons d'entendre, mon intervention sera beaucoup plus généraliste puisqu'elle portera sur les fonctions de l'ARS dans l'organisation et la mise en œuvre des soins pour répondre à l'ensemble des besoins.

Jusqu'à récemment, l'échelon régional était très peu concerné par le traitement organisationnel des maladies rares parce que ces sujets étaient essentiellement traités par le niveau national. En effet, ce n'est que depuis mi-2013 que nous avons intégré un certain nombre de dispositions données par le niveau national. Celles-ci portent notamment sur la succession dans les fonctions de coordination dans les centres de référence, et la diffusion d'une information à chaque création ou abrogation d'un centre de référence ou d'un centre de compétence.

Le rôle régional doit être coordonné pour les plans nationaux, de manière à impacter sur le terrain l'ensemble de la réponse aux besoins en termes d'approche thérapeutique et dans le cadre des filières entre le médical et le médico-social, afin notamment d'assurer une fluidité dans les modalités de prise en charge pour associer, d'une part la thérapeutique, et d'autre part l'ensemble de la réponse aux besoins des patients atteints de maladies rares.

De mon point de vue, deux grands sujets doivent être retenus pour organiser les soins. Le premier est celui de l'errance diagnostique. Le deuxième sujet est celui de la lisibilité, car les patients doivent se retrouver dans les organisations et les parcours.

C'est dans ce cadre que se situe l'ARS. Au-delà du soutien et du financement des centres de référence, des centres de compétences et des réseaux, nous intégrons le travail que nous devons réaliser sur l'ensemble de la prise en charge des patients atteints de maladies chroniques dans le cadre de la SNS. Ainsi nous devons faire en sorte que les maladies rares soient l'une des composantes de la réflexion que nous menons sur le terrain pour faire en sorte que ces pathologies soient prises en charge et soient connues de l'ensemble des professionnels, qui sont généralement les premiers à être touchés par la demande de soins. Dans ce contexte, il est fondamental que l'ARS soutienne cette information et ce repérage en direction des professionnels, et en particulier des médecins généralistes.

Le deuxième sujet est celui de l'éducation thérapeutique. Nous devons organiser celle-ci au niveau régional, en lien avec le niveau national. En outre, nous devons nous assurer de la qualité et du suivi des programmes, pour répondre au mieux aux besoins des patients.

Un autre sujet de préoccupation est le lien entre le sanitaire, le médico-social et le social. Aux niveaux régional et local, nous devons nous assurer de la fluidité de la prise en charge, tout en apportant une réponse adaptée aux besoins des patients. Une telle réponse implique une coordination entre le médico-social et le social, afin que les patients, les familles et les aidants ne soient pas confrontés à un véritable parcours du combattant pour s'assurer que l'ensemble des besoins sont couverts. D'une manière générale, nous observons que les sujets sociaux ou médico-sociaux impliquent des besoins complémentaires. Ainsi, il ne pourrait être imaginé, dans le cadre par exemple du maintien à domicile, que les uns interviennent sans les autres ; sinon, la réponse apportée ne répondra pas à l'ensemble des besoins du patient.

Les MAIA (maisons pour l'autonomie et l'intégration des malades d'Alzheimer) illustrent la coordination, au travers d'une structure, de l'ensemble des professionnels ou de la réponse à des besoins multiples. Ce type d'organisation doit être réfléchi au niveau régional pour qu'une coordination plus adaptée soit mise en œuvre. Des améliorations sont indispensables dans ce domaine. Notre ministre et donc le Directeur général de l'ARS, dont la mission est de décliner sa politique, s'est engagé dans ce sens.

LIENS D'INTÉRÊT

Les auteurs déclarent n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article..

ÉCHANGES AVEC LA SALLE

De la salle

On peut s'inquiéter de la régionalisation de la santé alors que les maladies rares ont besoin d'une structuration nationale. Cette contradiction est déjà manifeste pour l'offre de tests génétiques, par exemple.

Dominique Péton-Klein

Nous sommes à la fin de la 3^e année du PNMR 2. Nous réalisons actuellement un état des lieux sur l'avancement des 47 actions de ce plan. Cet état des lieux fera l'objet d'un rapport, qui sera présenté aux membres du comité de suivi et de prospective en février prochain.

Ce second plan fera par ailleurs l'objet d'une évaluation. Les modalités de celle-ci sont en cours de réflexion.

Les maladies rares sont certes un dossier national, mais la mise en œuvre d'un certain nombre d'actions doit être suivie au niveau régional. L'action des ARS est essentielle à ce stade. Les travaux en cours sur la stratégie nationale de santé et les nombreux forums se déroulant actuellement dans les régions sont également une opportunité à saisir pour s'inscrire dans cette dynamique.

Des plans nationaux ont été définis. Leurs déclinaisons et leurs suivis au niveau régional sont importants tenant compte des spécificités de chacune d'entre elles.

Le travail mené sur les laboratoires de génétique français ces dernières années est tout à fait exemplaire, notamment grâce à la dotation d'un certain nombre de séquenceurs haut débit. Ces équipements ont permis de faire avancer de manière assez considérable les diagnostics et le nombre de patients pouvant être diagnostiqués. Cinq à six millions d'euros ont été alloués la première année et quatre millions la seconde année. Cet investissement devra faire l'objet d'une évaluation.

Nicolas Lévy

Sur la partie laboratoire de diagnostic, j'interviendrai en tant qu'acteur de terrain, et non en tant que directeur de la Fondation. Il est essentiel que les actions définies dans le cadre du PNMR 2 soient mises en lien avec ce qui a été réalisé dans le premier plan, notamment les réseaux de diagnostic moléculaire. Ces derniers ont conduit certains laboratoires à se voir attribuer certaines spécificités en matière de diagnostic. Depuis, la technologie a évolué puisqu'elle permet désormais de tester des groupes de gènes correspondant à un groupe de pathologies. Dans un premier temps, les laboratoires hospitaliers, qui étaient déjà spécialisés dans le domaine du diagnostic des maladies rares, ont été financés dans le cadre du plan pour qu'ils s'équipent en moyens leur permettant de diagnostiquer un ensemble de gènes correspondant à un groupe de pathologies.

Il a ensuite été décidé d'aller plus loin avec les laboratoires qui ont une certaine capacité à faire cofinancer certains projets. Ces laboratoires ont alors été dotés de moyens supplémentaires pour réaliser le séquençage de la totalité des gènes afin de parvenir à un diagnostic. Tous ces moyens sont importants, mais ils sont insuffisants, car les malades qui ont aujourd'hui besoin d'un diagnostic dans le domaine des

maladies rares sont extrêmement nombreux. En effet, 15 à 30 000 malades par an devraient pouvoir bénéficier de ce type d'approche diagnostique. Comme les laboratoires ne sont pas en mesure de répondre à l'ensemble de ces besoins, des discussions très avancées sont menées pour créer une plate-forme nationale de diagnostic, visant à séquencer la totalité des gènes du génome, pour les malades, quelle que soit leur pathologie. Je souhaite fortement que cette plate-forme se structure dès 2014 et soit financée à hauteur des besoins.

De la salle

Les moyens financiers dédiés aux maladies rares vont-ils tous aux maladies rares ?

Dominique Péton-Klein

Il est assez difficile de répondre à cette question, compte tenu de l'organisation des délégations de crédits. Les crédits nationaux sont alloués et versés au fonds d'intervention régional, géré par les ARS, qui les affectent ensuite aux établissements de santé, suivant des quotas de répartition. Dans chaque établissement, des contrats pluriannuels d'objectifs et de moyens (CPOM) définissent leurs orientations en accord avec les ARS. Lorsque des enveloppes sont dédiées au titre des missions d'intérêt général et à l'aide à la contractualisation (MIGAC) ou des missions d'enseignement, de recherche, de référence et d'innovation (MERRI), les CPOM précisent l'allocation des crédits correspondants. Si un centre de référence est identifié comme unité fonctionnelle, il est possible de repérer l'activité ; dans le cas contraire, cette identification est beaucoup plus difficile. À court et moyen terme, nous entendons mener une réflexion avec les centres hospitaliers universitaires sur l'organisation la plus appropriée.

De la salle

En quoi le regroupement de plusieurs maladies dans les filières améliore-t-il la visibilité pour les patients et les médecins traitants ?

Brigitte Chabrol

Il ne s'agit pas de regrouper des maladies, mais des centres de référence autour d'une même thématique. Le fait de travailler ensemble dans une filière permet de mieux connaître l'ensemble des maladies, voire de se répartir la tâche, de se donner une structure et une coordination, de se retrouver ensemble dans un même lieu au même moment, d'établir des procédures, de définir des orientations, etc. La coordination d'une filière de centres de référence ne vise pas à centraliser le suivi de l'ensemble des patients de cette filière, puisqu'ils continueront d'être suivis dans les différents centres de

référence. En revanche, la filière permettra de proposer à l'ensemble des patients d'une filière un même essai thérapeutique au même moment.

De la salle

Concernant la fin d'un brevet pour un médicament traitant une maladie rare à faible valeur ajoutée, la reprise par un « génériqueur » est-elle possible pour éviter l'arrêt de distribution du médicament ?

Jérémie Westerloppe

Sur cette problématique, il convient de distinguer deux dimensions. La première est réglementaire. Si le médicament est générique, mais qu'il n'a pas été commercialisé depuis un certain nombre d'années, l'AMM peut être caduque. La deuxième dimension est économique. Le développement de preuves sur une indication qui n'existe pas encore pose en effet la question de la viabilité économique.

Christophe Duguet, AFM-Téléthon

Le consensus entendu ce matin est que les évolutions observées vont dans la bonne direction. Mais avance-t-on suffisamment vite ? Trois ans après le lancement du PNMR 2, les réalisations concrètes sont rares. On ne sait pas encore comment le modèle de carte sera diffusé. Seuls deux PNDS sont sortis, et aucun pilotage n'a été mis en place pour en faire sortir beaucoup plus. Les bases de données ont encore trop peu évolué. La question de la tarification des consultations pluridisciplinaires n'a toujours pas été réglée. La thématique « maladies rares » n'apparaît dans quasiment aucun plan régional de santé, alors que toutes les régions devaient mettre en œuvre les mesures du PNMR. Ces exemples ne remettent pas en cause la qualité des travaux réalisés. Nous ne devons toutefois pas nous satisfaire de ce consensus, car

les patients continuent d'être confrontés à l'urgence de leur maladie.

De la salle

Pourriez-vous citer une réalisation concrète de partenariat public-privé (PPP) ?

Nicolas Lévy

La Fondation maladies rares a mis en place un groupe des entreprises du médicament, qui se réunit plusieurs fois par an afin de réfléchir à un ensemble de questions dans le cadre de la prise en charge du soin et du développement de médicaments. Il s'agit là d'un exemple de succès de PPP.

Comme je suis tenu à une confidentialité totale, je ne peux pas vous révéler le site de projet, ni le nom du partenaire industriel qui s'y est associé, ni l'équipe académique qui a apporté la preuve de principe. Je peux néanmoins vous dire qu'une équipe académique a identifié une preuve de concept. La Fondation l'a récemment accompagnée pour aller vers un dépôt de brevet en lien avec des structures de valorisation, et notamment une société d'accélération du transfert de technologies (SATT) financée dans le cadre du grand emprunt. Un brevet a ensuite été déposé. La mise en lien avec une structure a permis d'une part d'accompagner le *design* méthodologique vers un essai clinique, et d'autre part d'identifier un partenaire industriel. J'espère que ce type d'exemple sera de plus en plus nombreux à l'avenir.

