



Enfin, la Fondation a développé une importante activité dans l'aide au développement de pistes thérapeutiques, en identifiant, par ses responsables régionaux, des projets d'équipes de recherche ou cliniques. Elle suit les 80 projets les plus intéressants en fournissant des conseils sur des aspects de protection de la propriété intellectuelle, la mise en contact avec les plates-formes technologiques, permettant ainsi de finaliser des preuves de concept de la validité de la stratégie thérapeutique et enfin, pour les projets les plus mûrs, la mise en contact avec des laboratoires pharmaceutiques ou entreprises de biotechnologie. La Fondation a ainsi récemment créé

un club « *Proof of Concept* » pour les laboratoires pharmaceutiques, pour faciliter et sécuriser les interactions avec les équipes développement initiant ces pistes thérapeutiques. ♦

The RARE 2017 meeting and the French Foundation of Rare Diseases

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.



médecine/sciences 2018 ; 34
(hors série n° 1) : 9-10

Vers une meilleure organisation des soins pour les maladies rares : le point de vue de la Direction Générale de l'Organisation des Soins

Anne Chevrier

► L'organisation des soins pour les maladies rares répond avant tout à des enjeux humains, de santé publique, et scientifiques. Il s'agit de diminuer l'errance diagnostique, accompagner l'émergence de nouvelles compétences, prévenir et compenser les handicaps et les souffrances physiques, psychiques et sociales causées par les maladies rares, améliorer les parcours de santé, associer étroitement la recherche et les soins apportés aux malades, promouvoir l'innovation thérapeutique et développer de nouvelles technologies d'information et de communication.



Cheffe de projet Maladies Rares, Direction Générale de l'Offre de Soins, Ministère des Solidarités et de la Santé, Paris, France.

anne.chevrier@sante.gouv.fr

Les Centres de Référence Maladies Rares

Les Centres de Référence Maladies Rares (CRMR) sont des réseaux d'experts en maladies rares pour un groupe de pathologies. Ils regroupent des compétences pluridisciplinaires hospitalières détenant une expertise avérée dans le domaine des soins, de la recherche et de la formation. Ces réseaux exercent une attractivité régionale, interrégionale, nationale, voire internationale, en fonction de la rareté de la maladie, avec un objectif d'équité dans l'accès au diagnostic, au traitement et à la prise en charge globale des personnes malades. La labellisation 2017-2022 a permis de mieux les reconnaître et de les rendre plus lisibles auprès des malades, des correspondants de ville et de leur établissement.

La mission des CRMR est d'assurer la prise en charge globale et le suivi des patients au plus proche de leur domicile. Elles animent les réseaux de soins établissements de santé/ville et assurent l'articulation entre les centres pédiatriques et adultes et les centres médico-sociaux.

Ils sont composés d'un coordonnateur, d'un ou plusieurs sites constitutifs, eux-mêmes centres de référence, et complémentaires à ce site coordonnateur, ainsi que de plusieurs centres de compétences. Les missions des centres de référence sont au nombre de cinq : coordination du réseau, expertise, recours, organisation de la recherche et organisation de l'enseignement et de la formation au sein de ce réseau

La labellisation avait été réalisée entre 2004 et 2006 sans avoir été renouvelée depuis. Il semblait important de réitérer l'exercice. Je remercie l'ensemble des professionnels et les associations associées à cette démarche pour leur participation à cet important chantier, qui est désormais terminé. La labellisation 2017-2022 a reconnu 109 réseaux, 387 centres coordonnateurs et constitutifs et 1 844 centres de compétence.

23 Filières



Figure 1. Les filières Maladies Rares.

Les filières Maladies Rares

Parallèlement, les 23 filières mises en place à la fin du 2^e Plan se sont développées très rapidement (Figure 1). Les nombreux posters présentés aujourd'hui et les communications démontrent que ce niveau d'organisation et de structuration était nécessaire. Elles sont le carrefour entre les différents acteurs : centres maladies rares, réseaux, laboratoires, organismes de recherche, universités, associations de malades associées à leur gouvernance. Elles ont pour mission d'impulser et coordonner les actions visant à améliorer la prise en charge des personnes malades, favoriser et valoriser le continuum entre la recherche fondamentale, translationnelle et clinique, et développer la formation et l'information. Ces 23 filières possèdent chacune leur site, lieu d'information et d'orientation pour les malades et les professionnels. Elles se sont réparties les sujets et ont mené des travaux inter-filières. Ainsi, leurs travaux sur les plates-formes de coordination en outremer ont été intégrés aux actions du futur plan. Elles travaillent à la cartographie des laboratoires d'analyse.

Avec la CNSA, elles ont amélioré le parcours médico-social et conçu le nouveau formulaire de demande auprès de la Maison Départementale des Personnes Handicapées (MDPH). Elles ont travaillé à l'identification des malades aux urgences. Elles participent au développement des réunions de concertation pluri-professionnelles (RCP), dont le réseau est en cours de constitution. Elles assurent le lien avec les organisations européennes. Je prendrai deux exemples de travaux inter-filières. Le premier porte sur un site créé de manière transversale aux filières, pour regrouper les programmes d'éducation thérapeutique des maladies rares, afin de répondre aux demandes des malades, mais également d'aider les professionnels en phase de construction de

programme, pour leur donner des exemples d'approche. Ensuite, une réflexion a été menée en inter-filière sur les cartes d'urgence pour concevoir un dispositif plus lisible pour les urgentistes. Chaque carte comporte une partie commune et une partie propre à chaque réseau. Ces nouvelles cartes devraient être disponibles prochainement.

Les réseaux européens de référence

Les réseaux européens de référence (ERN) constituent le troisième niveau de structuration. Sur les 24 existants, vingt portent sur des maladies rares *stricto sensu*. Ils regroupent 370 hôpitaux dans 25 pays et 960 centres d'expertise. Quatre ERN sont coordonnées par des équipes françaises : ERN SKIN sur les maladies rares dermatologiques, ERN EYE sur les maladies rares ophtalmologiques, Euroblood Net sur les maladies rares hématologiques, VASCern sur les maladies rares vasculaires. Ce sont 229 centres qui sont aujourd'hui membres d'ERN. De nouveaux appels à projets auront lieu en 2018 pour enrichir ces réseaux. La France y participera avec ses nouveaux centres labellisés. ♦

Towards a better organisation of care for rare diseases in France : a ministry perspective

LIENS D'INTÉRÊT

L'auteur déclare n'avoir aucun lien d'intérêt concernant les données publiées dans cet article.