



MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET DE LA PRÉVENTION

*Liberté
Égalité
Fraternité*



Mme Anne-Sophie Lapointe, cheffe de projet mission maladies rares DGOS

Direction générale
de l'offre de soins



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.

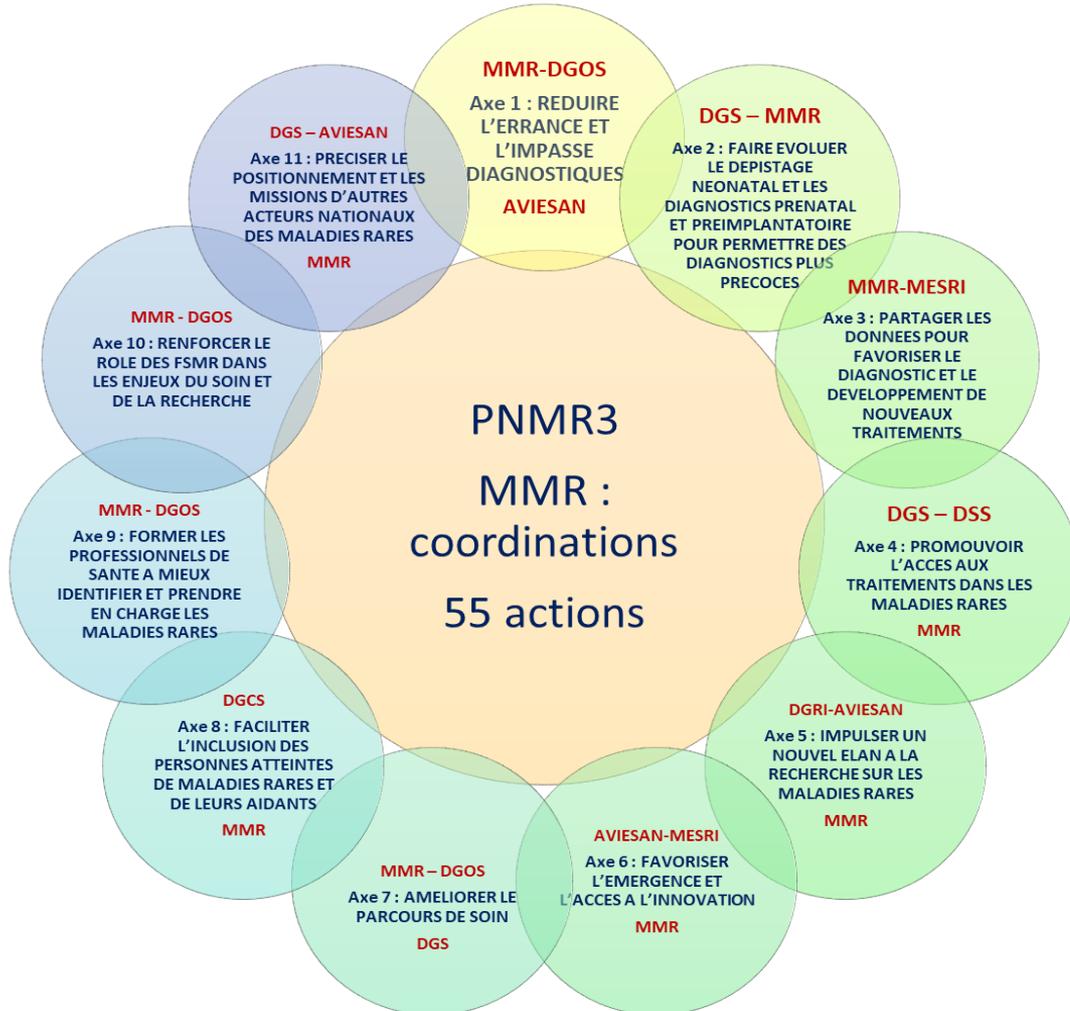
Place des parties prenantes et des associations dans le soin et dans la recherche pour une efficience des parcours :

- **Articulation entre l'organisation des soins, la production de connaissances et le retour vers le patient construisent un cercle vertueux :**
AAP PNDS, AAP ETP, journées d'information Maladies Rares,...
- 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 continu 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

Des ressources nationales et européennes pour les maladies rares

- **473 centres de référence et de ressources et de compétences (MUCO, SLA, Maladies Hémorragiques) et plus de 1800 centres de compétence ;**
- **23 filières de santé (FSMR) avec des missions accrues ;**
- **24 réseaux européens de référence (ERN) ;**
- **Plus de 220 associations de personnes malades.**





Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année



- Le troisième plan national maladies rares 2018-2022 (PNMR 3) est financé à hauteur de 147,6M€/an sur la durée du plan. Depuis le Ségur de la santé, la plan est revalorisé à partir de 2021 à 159,8M€/an : cette enveloppe regroupe 8 MIG dédiées

130,4M€

Soutien aux centres de référence
(4 MIG)

- Une MIG « générale » (F04) pour l'ensemble des CRMR (hors 3 filières)
 - Trois MIG spécifiques pour 3 filières dédiées (F05, F06, F07) : Maladies hémorragiques constitutionnelles (MHEMO), Mucoviscidose (Muco), Sclérose Latérale Amyotrophique et Maladies du Neurone Moteur (FiSLAN)
 - 473 centres financés : 388 CRMR (coordonnateurs / constitutifs) + 85 CRC
- 1^{ière} circulaire budgétaire

13,9M€

Soutien aux filières de santé maladies
rares (1MIG)

- 1 MIG dédiée (F17) : les filières de santé maladies rares coordonnent des CRMR, des professionnels de santé, des laboratoires, des structures éducatives, sociales, médico-sociales, des associations, etc.
 - Objectif du PNMR 3 : renforcer les filières dans les enjeux de soin et de recherche
 - 23 filières de santé maladies rares relabellisées en juin 2019
- 1^{ière} et 2^{ème} circulaires budgétaires

18,2M€

Soutien aux actions et AAP du PNMR 3
(3 MIG)

- 1 MIG « plateformes d'expertise maladies rares » (F21): création de 19 plateformes d'expertise MR et 4 plateformes de coordination Outre-mer (2,3M€)
 - 1 MIG Base de données maladies rares (F22): Banque Nationale de Données Maladies Rares, mise en place de la BaMaRa, module DPI, projet « registre patients en impasse de diagnostic », observatoire des traitements (6,3M€)
 - 1 MIG « Appui à l'expertise (F23) : financement des PNDS, programmes ETP, formation, ERN, outils de RCP (6,6M€)
- principalement 2^{ème} et 3^{ème} circulaires budgétaires



Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année

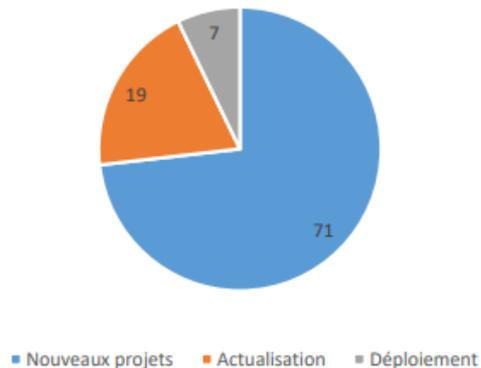


18,2M€

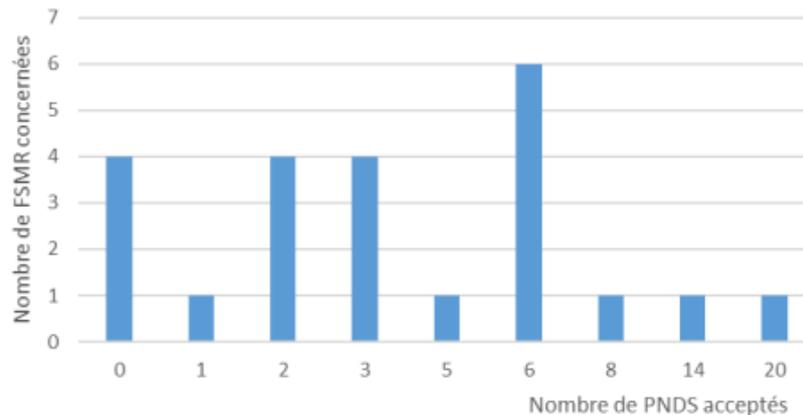
Soutien aux actions et AAP du PNMR 3
(3 MIG)

- 1 MIG « Appui à l'expertise (F23) : financement des PNDS, programmes ETP, formation, ERN, outils de RCP **(6,6M€)**

Types de projets ETP (AAP 2020)



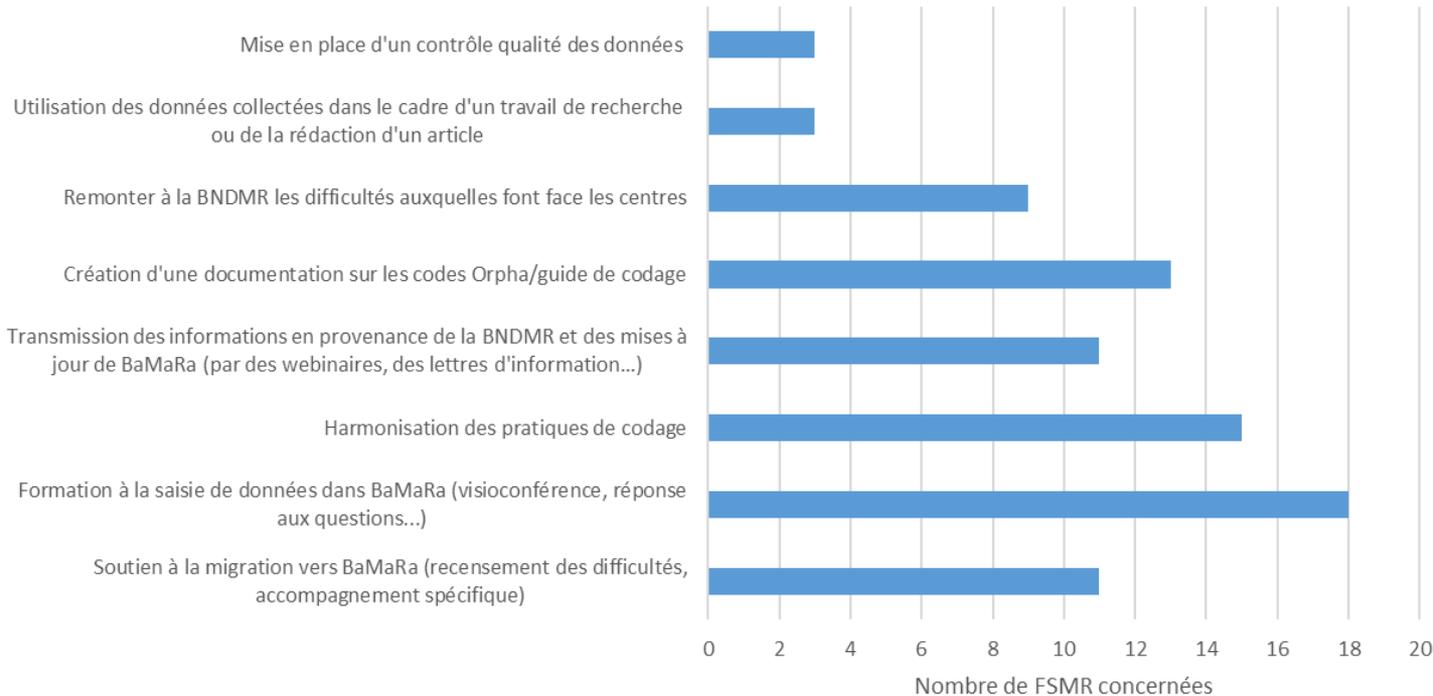
Nombre de PNDS acceptés par FSMR



Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année



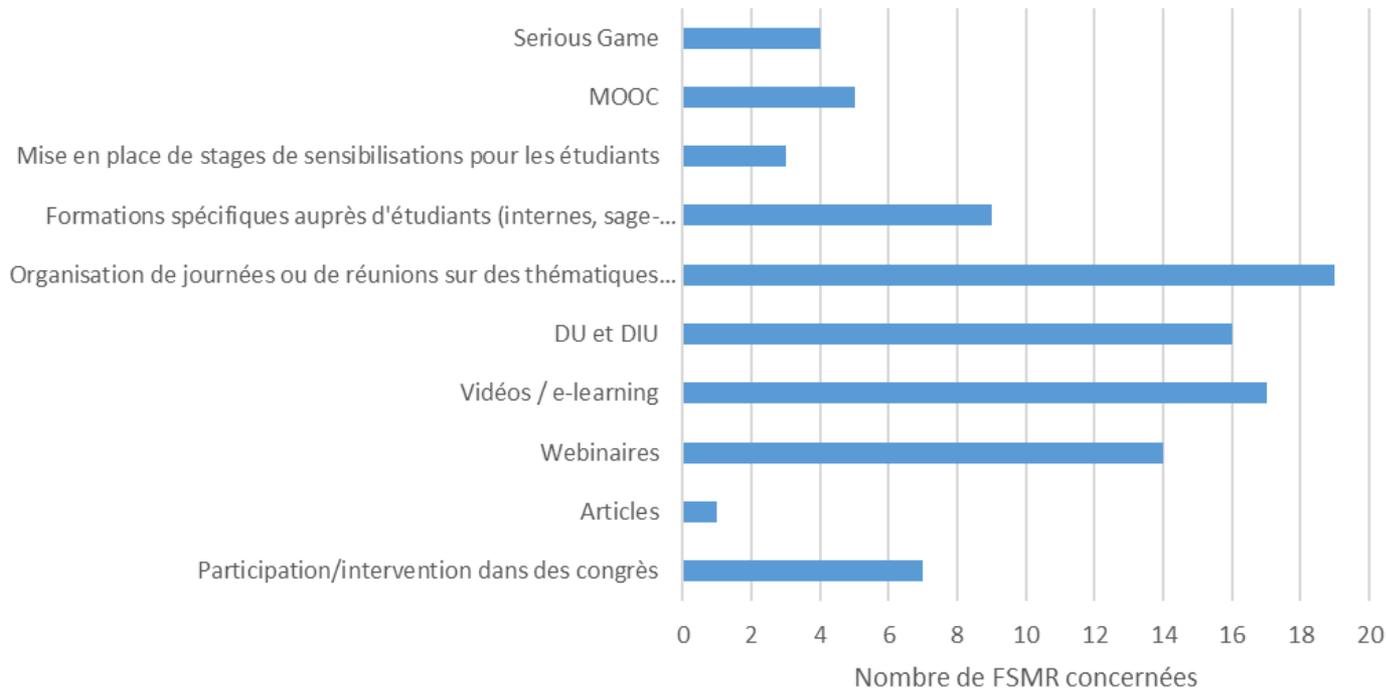
Types d'actions mises en place par les FSMR en soutien au déploiement de la BNDMR en 2021



Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année



De quelle manière les FSMR forment-elles les professionnels en 2021 ?



Perspectives de la labellisation des CRMR/CCMR/CRC :

Des enjeux identifiés pour une réponse adaptée avec les filières de santé maladies rares, les centres de référence maladies rares, les associations de patients et les plateformes d'expertise maladies rares

**Rendre les
parcours
du
diagnostic
+ lisibles
pour les
personnes
malades et
leurs
aidants**



**Soutenir les
parcours
maladies
rares de
proximité**



**Personne
malade et
aidant :
Être acteur
de son
parcours de
soin, de vie
et de
recherche**



Actions menées par les plateformes d'expertise sur l'année 2021

1/ Création de liens avec les acteurs du territoire

- Organisation d'actions transversales et de rencontres
- Actions en lien avec les associations
- Actions en lien avec les établissements médico-sociaux

2/ Appui administratif aux centres labellisés

- Soutien à la campagne PIRAMIG
- Soutien pour le recrutement
- Soutien à la contractualisation

3/ Soutien aux activités des centres maladies rares

- Appui à la logistique et à la coordination des projets de recherche et innovants des centres labellisés
- Soutien à l'implémentation de BaMaRa dans les centres labellisés
- Soutien et participation aux actions des DSI

Encourager les établissements de santé à mettre en place des plateformes d'expertise maladies rares pour renforcer l'articulation inter-filières au sein des établissements siège de plusieurs centres labellisés

2020
2021

MALADIES RARES sur les TERRITOIRES



Labellisation DGOS

- 2020 : 10 PEMR

- 2021 : 9 PEMR

Outre-mer

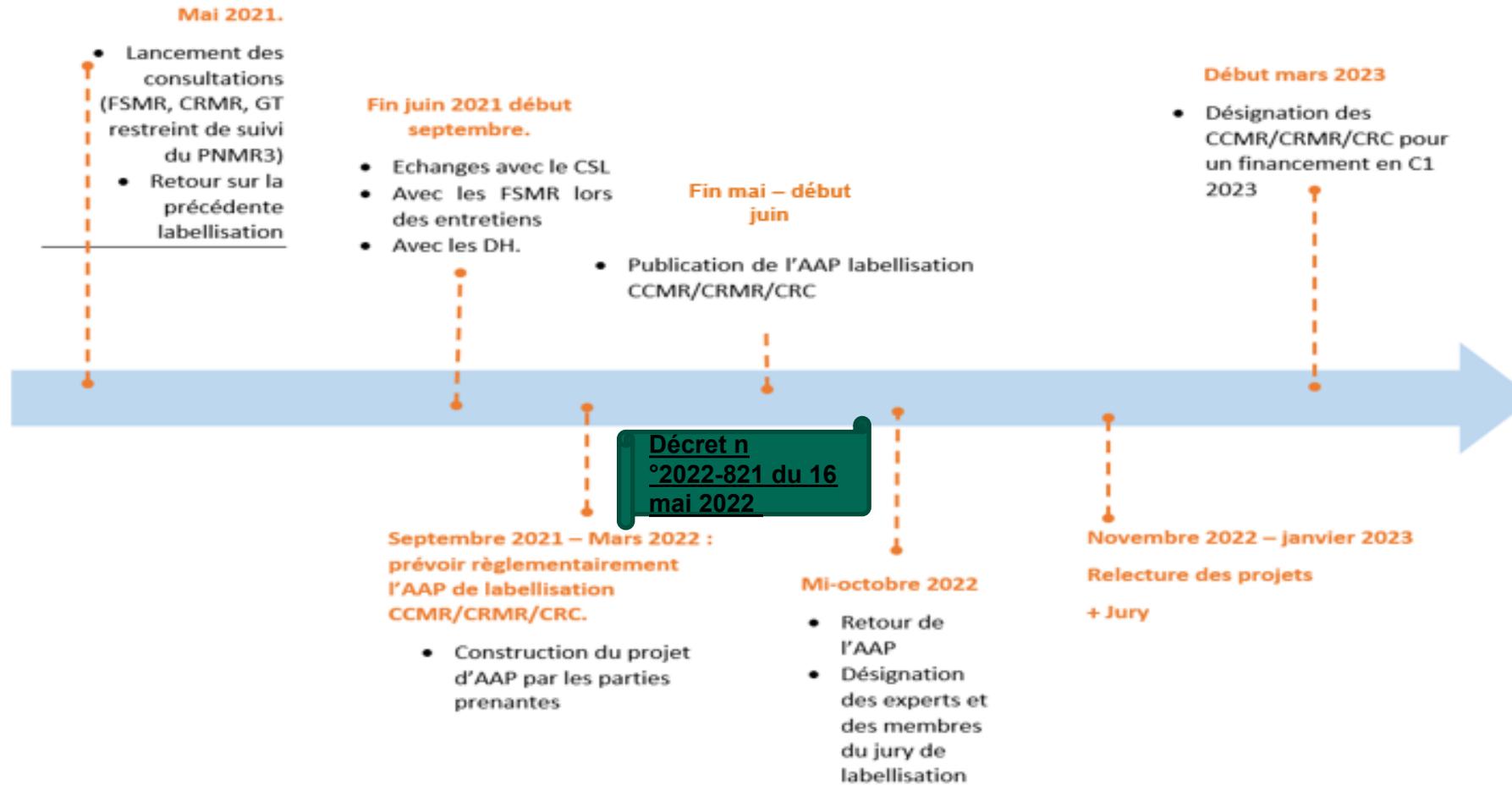
4 plateformes de coordination

- Martinique
- Guadeloupe
- Réunion
- Guyane

Le rôle des associations représentant les patients dans la relabellisation des centres de référence maladies rares

- Information et formation des familles : droits sociaux, choix thérapeutiques, choix de vie...
 - Récolte d'informations auprès des familles et transmission aux cliniciens et aux chercheurs
 - Participation aux comités d'éthique qui revoient les projets de recherche et les essais cliniques, aux décisions de compensation et d'aides sociales en MDPH etc...
 - Soutien financier et participation aux projets de recherche, à la création et gestion des bases de données, aux essais cliniques du consentement au recrutement des malades et à la dissémination de l'information.
-

Rappel du calendrier pour la labellisation des CRMR / CCMR / CRC



Méthodologie de construction de l'appel à projets pour la labellisation des CRMR / CCMR / CRC



→ Réunion collaborative du CSL tous les jeudi à 13h pour rédaction de l'AAP (critères, jury, etc.)

→ Validation interministérielle de l'AAP par DGOS et DGRI



→ Décret n°2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares

→ Les arrêtés de labellisation se baseront sur ce décret



→ Dépôt des dossiers via la plateforme en ligne « Démarches simplifiées »

→ Document d'accompagnement à la labellisation réalisé avec la BNDMR et d'une foire aux questions (FAQ)