

Communiqué de presse

Le 25 février 2024

## **Un 4ème Plan Maladies Rares très attendu : des mesures dans la continuité, mais les enjeux du diagnostic, de la prise en charge et de l'innovation thérapeutique restent à financer à la hauteur des objectifs**

**Prévu il y a un an, puis repoussé en raison du contexte politique, le 4ème Plan National Maladies Rares, tant attendu par tous les acteurs des maladies rares, voit enfin le jour. Les acteurs de la Plateforme Maladies Rares s'en félicitent même si les modalités de mise en œuvre, notamment financières, de certaines mesures devront être rapidement précisées. Les acteurs de la Plateforme Maladies Rares regrettent l'insuffisance de financement des mesures annoncées dans les domaines de l'accélération des diagnostics, de l'accompagnement des malades, et de la recherche et du développement de thérapies pour les maladies rares dont 95% restent sans traitement.**

Il y a 20 ans, le lancement du premier Plan national maladies rares avait apporté une véritable révolution en reconnaissant les maladies rares comme un enjeu prioritaire de santé publique. Portées par une vision politique forte, des mesures structurantes (notamment la création des centres de référence, des filières de santé, de la Fondation Maladies Rares, de la Banque Nationale des Données des Maladies Rares) ont été initiées au fil des trois plans qui se sont succédé depuis 2004 pour permettre à notre système de santé de répondre aux besoins spécifiques des trois millions de Français concernés.

Le 4ème Plan national maladies rares (PNMR 4) qui vient d'être présenté par le Gouvernement a le mérite d'exister mais c'est avant tout un plan de continuité qui n'apporte pas de ruptures importantes financées. **Parmi les 75 actions retenues, la plupart visent à améliorer ou consolider les dispositifs déjà mis en œuvre par les plans précédents.** Ces mesures, dont certaines sont très techniques, sont positives et nécessaires, même si pour un grand nombre d'entre elles il sera nécessaire de définir un chef de file, des objectifs mesurables, et des budgets.

Au-delà de cette nécessaire continuité, ce PNMR4 reste insuffisant, particulièrement sur les points suivants :

- **L'accès accéléré au diagnostic** pour réduire l'errance est inscrit dans plusieurs mesures de ce plan. Cependant, les objectifs pour réduire l'errance, le délai d'accès aux centres experts ne sont pas fixés, quantifiés et les moyens dévolus sont clairement insuffisants, notamment pour informer le grand public, sensibiliser et former les professionnels de santé, tout comme le support à apporter pour le développement et la diffusion de solutions innovantes de pré-diagnostic pour les professionnels de santé de première ligne.

- **L'accompagnement des parcours de santé complexes** auxquels sont confrontés les millions de personnes concernées par des maladies rares est bien identifié comme un enjeu. La pertinence du besoin de nouveaux métiers spécifiques pour la coordination des parcours complexes et l'accompagnement des personnes malades est reconnue mais aucune mesure budgétaire significative n'est prévue.
- **Le développement des thérapies innovantes pour des maladies dont 95% restent sans traitement devrait être une priorité** et, particulièrement pour les maladies trop rares ou trop complexes sans modèle commercial, un engagement politique fort est nécessaire pour que de nouveaux modèles soient inventés et expérimentés. La France, reconnue pour l'excellence de sa recherche et le déploiement précurseur de politiques publiques dédiées aux maladies rares, devrait innover pour soutenir le développement de thérapies innovantes pour tous les malades. Or, sur ce point essentiel, les objectifs à atteindre restent flous et évasifs, les mesures budgétaires inexistantes et l'implication du ministère de l'Industrie fait défaut. Les maladies rares sont le fer de lance de l'innovation thérapeutique pour les maladies plus fréquentes, et pourtant, faute d'un écosystème adapté permettant le financement de la phase de développement et des essais cliniques, le risque de voir les candidats-médicaments rester sur les paillasses et dans les tiroirs des chercheurs, est plus grand que jamais. Il est urgent d'inventer des nouveaux modèles qui permettent de combattre cette injustice.

L'annonce de ce plan confirme donc l'ampleur du travail à effectuer pour que notre système de santé et de recherche prenne en compte les spécificités des maladies rares et réponde aux enjeux particuliers auxquels sont confrontées les personnes malades et leurs familles. **Les actions prévues dans ce plan doivent, le plus vite possible, se traduire en dispositifs opérationnels aux objectifs clairement identifiés afin de pouvoir être financées par les prochaines lois de finances, à la hauteur de ceux-ci. De plus, des moyens humains supplémentaires doivent être mobilisés au sein des ministères pour assurer un réel pilotage du Plan ainsi que dans les agences de santé pour mettre en œuvre certaines actions essentielles.**

**Le lancement de ce Plan doit être le point de départ dans la construction de nouvelles réponses fortement attendues par 3 millions de personnes malades et leur familles concernées par l'une des 7 000 maladies rares.**

Contacts presse :

AFM-Téléthon : Stéphanie Bardon – [sbardon@afm-telethon.fr](mailto:sbardon@afm-telethon.fr) / 06.45.15.95.87

Alliance Maladies Rares : Valérie Foulon – [vfoulon@maladiesrares.org](mailto:vfoulon@maladiesrares.org) – 06.07.14.04.96