

4^{ème} Journée Filière des maladies respiratoires rares :

Le PNMR3

Anne CHEVRIER

Chef de Projet – Mission Maladies Rares
Direction Générale de l'Offres de Soins
Ministère des Affaires Sociales et de la Santé



**DIRECTION
GÉNÉRALE
DE L'OFFRE
DE SOINS**

Vendredi 20 Mars 2018

Les Plans Nationaux Maladies Rares :

- ✓ *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 patients,*
- ✓ *Promouvoir l'**innovation** thérapeutique,*
- ✓ *Développer de nouvelles technologies d'information et de communication.*



LES PLANS NATIONAUX



La mobilisation des pouvoirs publics, des professionnels et des associations a permis la mise en place des PNMR

PNMR 1



2004

2008

- Les MR deviennent un enjeu de santé publique
- Labellisation de 131 CRMR

PNMR 2



2011

2014 (16)

- Structuration des FSMR
- Lancement des travaux pour la mise en place de la BNDMR

PNMR 3

2018

2022

En cours d'élaboration

Un contexte particulièrement favorable pour l'élaboration du PNMR3

- La stratégie nationale de santé 2018-2022
- **Les filières de santé maladies rares : un atout pour le parcours de soins et pour la recherche.**
- **La nouvelle labellisation des centres de référence .**
- Le développement croissant d'une médecine personnalisée : apport du Plan Médecine France Génomique 2025 et du Plan Cancer 3.
- **La Banque nationale de données maladies rares (BNDMR) : une opportunité .**
- **L'Europe : la place privilégiée de la France.**

PNMR 3 et filières de santé maladies rares

23 Filières / 3 missions :

- ✓ impulser et coordonner les actions visant à améliorer la prise en charge des personnes malades,
- ✓ favoriser et valoriser le continuum entre recherche fondamentale, translationnelle et clinique,
- ✓ développer l'enseignement, l'information et la formation.

Vers un approfondissement du rôle des FSMR et des

- Volet recherche
- Volet diagnostic et prise en charge
- Volet européen et international



PNMR 3 et centres de référence maladies rares

Les 3 objectifs de la labellisation des CRMR 2017-2022 :

- **Simplifier l'orientation** des personnes malades et des familles pour une première prise en charge grâce à des regroupements thématiques cohérents de certains CRMR autour de maladies proches voire identiques ;
- S'assurer d'une **couverture territoriale** métropolitaine et ultra-marine équitable et pragmatique ;
- Rehausser le niveau d'exigence requis en **recherche** des CRMR conformément aux recommandations des évaluations du PNMR 2 conduites par le Haut conseil de santé publique (HCSP) et le Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur (HCERES).

PNMR 3 et centres de référence maladies rares

Au niveau national :

109 réseaux (CRMR)

381 sites coordonnateurs et constitutifs

1844 centres de compétences (CCMR)

Pour la filière MCGRE :

3 réseaux (CRMR)

13 sites coordonnateurs et constitutifs

74 centres de compétences (CCMR)

.....38 Etablissements



Centre de référence de l'hypertension pulmonaire

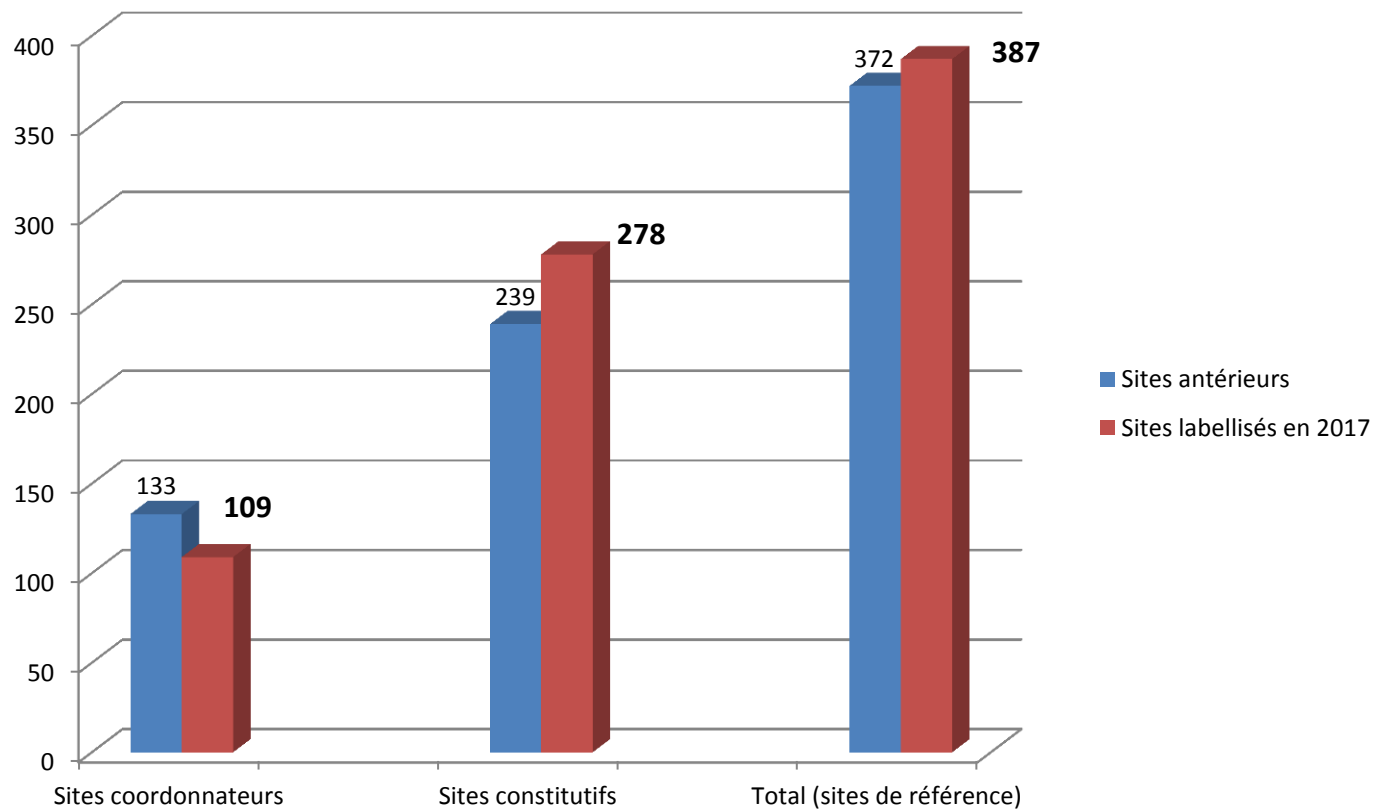


Centre de référence des maladies respiratoires rares (RespiRare)



Centre de référence des maladies pulmonaires rares (de l'adulte) (ORPHA-LUNG)

Comparaison avant/après
du nombre de centres de
référence au niveau national



LES MISSIONS DES CENTRES COORDONNATEUR & CONSTITUTIF :

- Mission de coordination.
- Mission d'expertise.
- Mission de recours.
- Mission de recherche.
- Mission d'enseignement-formation.

QU'EST CE QU'UN CENTRE DE COMPETENCE (CCMR) ?

Leur mission est d'assurer la prise en charge globale et le suivi des patients au plus proche de leur domicile

- Animation de réseaux de soins ES/ville, articulation entre centres pédiatriques et adultes, avec les centres médicaux sociaux ...

- Participation le cas échéant aux autres missions des CRMR : RCP, publications, projets de recherche....

Du soin, à la santé publique et à la recherche

- Identifier les patients MR de manière univoque et pérenne dans le système de soin hospitalier expert, rapport d'activité
- Générer des indicateurs de santé publique et participer à l'amélioration de la connaissance de l'épidémiologie de toutes les maladies rares
- Faciliter la mise en place des recueils de données ciblés (registres, cohortes, etc.)



Dossier patient
et/ou BaMaRa



BNDMR



Cohortes, Registres
maladies

Les réseaux européens de référence (ERN):



EUROPEAN REFERENCE NETWORKS
FOR RARE, LOW-PREVALENCE AND COMPLEX DISEASES

Share. Care. Cure.



European
Reference
Networks



European
Commission | *Health*

Les réseaux européens de référence (ERN):



24 Réseaux européens MR

- 20 ERNs : maladies rares stricto sensu
- 3 ERNs : cancers rares
- 1 ERN pour la transplantation chez l'enfant
 - 370 hôpitaux dans 25 pays UE + Norvège
 - 960 centres d'expertise



France

- coordination de **4 ERNs** maladies rares : ERN SKIN, ERN EYE, Euroblood Net, VASCern
- coordination d'**1 ERN** : « cancers rares de l'adulte »
- **229** centres sont associés comme membres de tous les ERNs

EJP Maladies Rares



Méthodologie d'élaboration du PNMR3

Nomination de **2 personnalités qualifiées** par le Ministère chargé de la santé et le secrétariat d'Etat à l'enseignement supérieur et à la recherche (juillet 2016):

- Sylvie ODEnt, professeur de génétique clinique, chef de service CHU Rennes;
- Yves LEVY, président de AVIESAN et de l'INSERM

4 groupes de travail multidisciplinaires ont été mis en place (env. 160 personnes) :

- ✓ Vers un parcours de santé efficace et lisible
- ✓ Du diagnostic à la médecine individualisée
- ✓ Innover pour traiter les maladies rares
- ✓ Information, formation et e-santé

Réunions régulières du **comité de suivi** pour la remise d'un **rapport préfigurant le PNMR 3** qui sera soumis à la validation des Ministres des solidarités et de la santé et de l'Enseignement supérieur, de la recherche et de l'innovation (identification des ambitions et des cibles, priorisation des actions, définition d'indicateurs de suivi, évaluation des impacts financiers).



Partager l'innovation, un diagnostic et un traitement pour chacun

5 Ambitions :

- ▶ Favoriser un diagnostic rapide pour chacun
- ▶ Innover pour un traitement de qualité
- ▶ Améliorer la qualité de vie et l'autonomie des malades
- ▶ Informer – Former
- ▶ Moderniser les organisations et les financements.

social-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/

Actualités Grands dossiers Ministère Métiers et concours Professionnels Études et statistiques

Ministère des Affaires sociales et de la Santé

Affaires sociales Prévention en santé Santé et environnement Soins et maladies Système de santé et médico-social

Accueil > Soins et maladies > Prises en charge spécialisées > Maladies rares

Maladies rares

21.11.16

maladies rares

Les maladies rares

L'offre de soins

Mieux vivre avec une maladie rare

Appel à projets labellisation CRMR

Les maladies rares

Une maladie est dite « rare » lorsqu'elle atteint une personne sur 2 000. Toutes ensemble, les maladies rares touchent ainsi plus de 3 millions de personnes en France, constituant un enjeu majeur de santé publique. Le Ministère chargé de la santé, en coordination avec le secrétariat d'État chargé de l'enseignement supérieur et de la recherche, impulse une politique volontariste fondée sur la mobilisation de des professionnels santé/recherche et des associations de personnes

2012 07/12/2016

Pour + d'informations :

<http://social-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/>

MERCI DE VOTRE ATTENTION