

« Vers une meilleure organisation des soins pour les maladies rares »

Le point de vue des associations

Marie-Pierre BICHET

Vice-Présidente de l'Alliance Maladies Rares

Rappel historique

Des dispositifs enviés

- PNMR 1 : 2005-2008
- PNMR 2 : 2011- 2016
- Directive européenne sur les soins de santé transfrontaliers : 2011

Mobilisation forte du monde associatif

- Etats Généraux de la Santé en 1999
- Rapport au Conseil Economique et Social en 2001 « *5000 maladies rares, le choc de la génétique* » (B.Barataud)



Les Centres de Références et de compétences, les Filières de santé : → des dispositifs idoines pour répondre à nos problématiques

Des maladies qui sont:

- Complexes
- Multi systémiques
- Diverses - hétérogènes
- Impacts multiples

Avec des spécificités:

- Errance et impasse diagnostique
- Difficulté de trouver l'expertise
- Rareté des traitements
- Rareté de la recherche
- Isolement / marginalisation sociale

→ **Encore des défis à relever!**

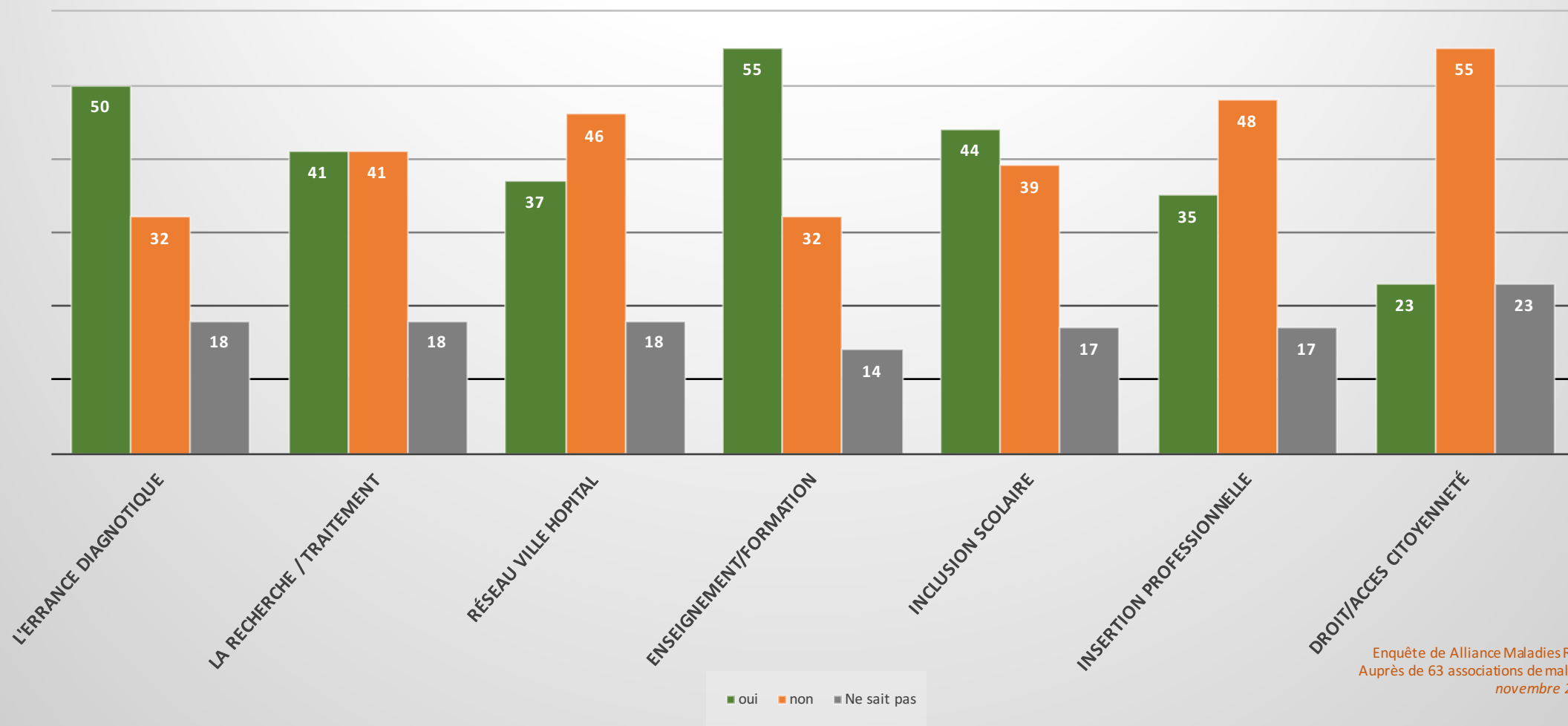
Les Filières de santé maladies rares, un outil pertinent et indispensable

A condition de...

- Travailler en pluridisciplinarité
- Créer du décloisonnement / avoir une approche globale
- Donner de la visibilité/lisibilité
- Construire des actions ciblées/adaptées
- Etre connecté et attractif à l'Europe
- Avoir une « autorité » scientifique

**Contribuer et co-construire les politiques
maladies rares de demain**

Ce que pensent les associations de malades sur des avancées significatives des FSMR concernant :



Enquête de Alliance Maladies Rares
Auprès de 63 associations de malades
novembre 2017

Les FSMR doivent renforcer leur mission première :
→ décloisonner le système de santé

- ✓ Mobiliser /sensibiliser les acteurs du médico-social
- ✓ Améliorer la transition enfants adultes
- ✓ Améliorer la connexion entre ville et hôpital
- ✓ Favoriser l'inclusion scolaire et l'insertion professionnelle
- ✓ Développer l'ETP sur des thématiques communes et en proximité
- ✓ Développer des formations vers acteurs MR et hors champ MR

***Les FSMR doivent être renforcées
par rapport à leur périmètre actuel***

- ✓ Continuer à favoriser la production de PNDS de qualité
- ✓ Recenser les malades en impasse diagnostique
- ✓ Lister les traitements d'intérêt
- ✓ Participer aux études médico-économiques
- ✓ Concevoir des projets de recherche collaboratifs
- ✓ Rechercher des financements nationaux et européens
- ✓ Etablir des objectifs de recherche et d'innovation thérapeutique
- ✓ Faciliter les connections CRMR / laboratoires de recherche
- ✓ Etablir des partenariats avec les industriels
- ✓ Prospecter sur les technologies et traitements innovants

Pour les FSMR: l'enjeu de la méthode

Des principes d'action

- ✓ Faire vivre l'inter-filière
- ✓ Renforcer la gouvernance des FSMR
- ✓ Renforcer le statut des FSMR
- ✓ Connexion avec les CRMR
- ✓ Connexion avec les RER
- ✓ Nécessité d'évaluer les FSMR

Place et rôle des associations de malades

Les incontournables....

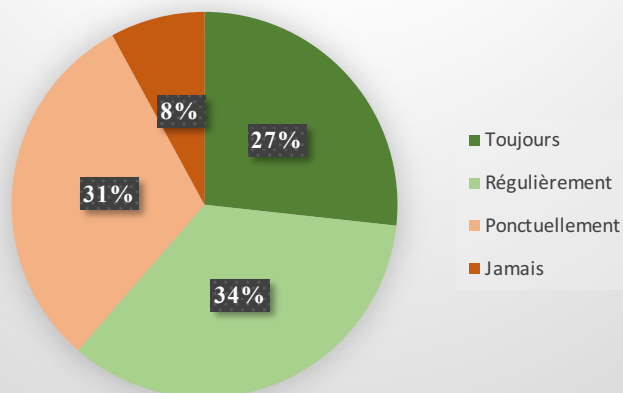
- ✓ Rôle majeur dans l'accompagnement
- ✓ Rôle très important dans la recherche
- ✓ Rôle dans la mise en place d'essais cliniques
- ✓ Rôle dans évaluation des traitements
- ✓ Rôle dans la lutte contre l'errance diagnostique
- ✓ Les seules à avoir une vision globale du parcours de vie
- ✓ Souvent un outil de recours indispensable



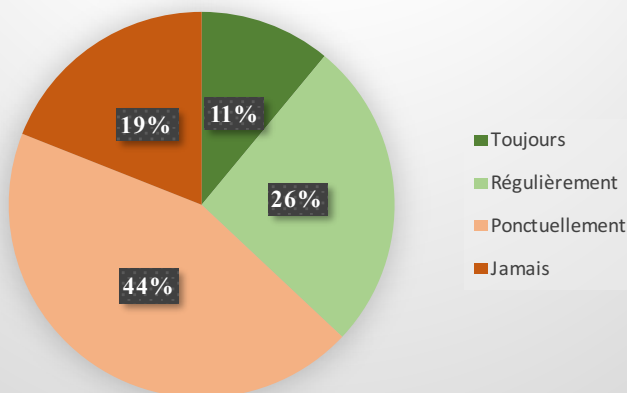
Une expérience qui crée une expertise

Quelle place et quel rôle pour les associations dans les FSMR ?

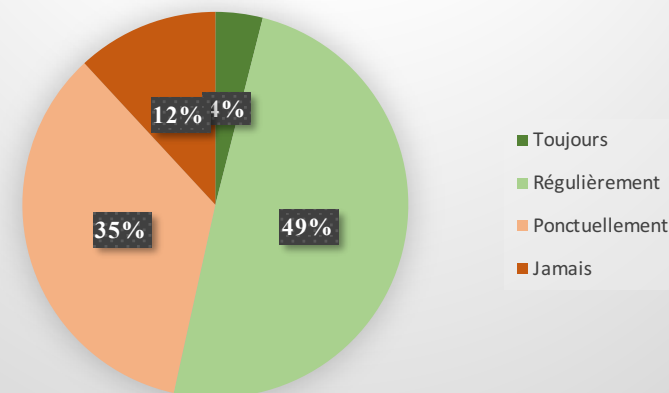
Etes-vous consulté pour les documents stratégiques de la FSMR ?



Etes-vous associé à la construction de projets au sein de votre FSMR ?

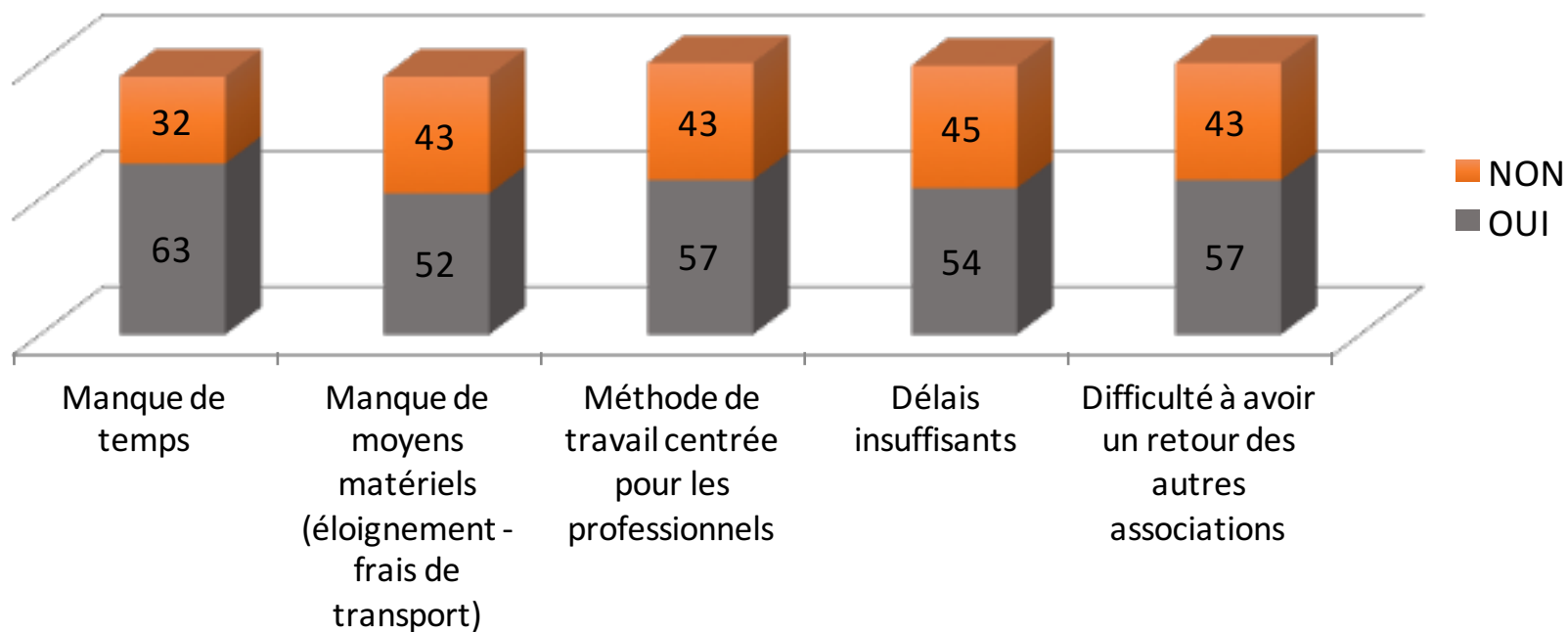


Pensez-vous que les associations de malades influencent les décisions de la FSMR ?



Elles ont bien une place mais un rôle encore à structurer...

Les freins des associations dans leur rôle de représentation des malades



Les associations ont un droit, une place ...
mais pas de moyens pour faire ...

Conclusion

- Une dynamique inter-associative
- Une dynamique inter-filières
- Une collaboration de tous les autres acteurs Maladies rares

 Une méthode de travail : la co-construction

***Les Filières de santé maladies rares
doivent devenir le symbole de notre capacité
à co-construire dans les maladies rares !***

Merci pour votre attention