



Information Presse

21 octobre 2008

## **Maladies rares : attentes et préoccupations des acteurs dans le cadre d'un 2<sup>ème</sup> Plan national et d'une politique européenne**

Les acteurs associatifs, les acteurs publics et les Entreprises du Médicament oeuvrant dans le domaine des maladies rares ont donné hier une conférence de presse afin de faire part de leurs préoccupations et de leurs attentes dans le cadre d'un 2<sup>ème</sup> Plan national et d'une politique européenne.

Cette conférence clôturait une semaine riche en événements, avec :

- le symposium européen « L'Europe et les maladies rares, un espoir à la mesure des attentes des malades et des familles » organisé par l'Alliance Maladies Rares, le 10 octobre ;
- la conférence de la Présidence Française de l'Union sur « l'Europe de la santé au service des patients », le 13 octobre ;
- le 9<sup>ème</sup> colloque EPPOSI sur le développement thérapeutique pour les maladies rares, les 16 et 17 octobre.

Les intervenants se sont félicités de la confirmation, par le Président de la République, d'un deuxième Plan national maladies rares, dans un message délivré lors du symposium européen du 10 octobre. Engagement renouvelé par Roselyne Bachelot, Ministre de la Santé, dans un courrier adressé à l'Alliance Maladies Rares, l'AFM et Orphanet.

Le Plan maladies rares 2005-2008 a permis de réelles avancées pour les malades. Pour les associations, la mise en place de centres « experts » dits centres de référence et la structuration de la filière de soins à partir de ces centres, reste l'axe phare du Plan. Parmi les 9 autres axes stratégiques du Plan, elles en retiennent particulièrement deux : la recherche sur les maladies rares qui a bénéficié de financements supplémentaires significatifs, et le développement d'une information sur les maladies rares accessible à tous les publics. Le Plan a eu enfin comme vertu essentielle de créer une synergie unique entre l'ensemble des acteurs (pouvoirs publics, associations, professionnels, scientifiques,...). Les associations de malades resteront vigilantes sur les orientations du nouveau Plan et les moyens qui lui seront alloués, notamment en ce qui concerne le financement des centres de référence et de la recherche. Elles ont aussi mis en avant la nécessité de renforcer le pilotage national du Plan. Le nouveau Plan devra se pencher sur le recueil de données cliniques, la recherche clinique et le développement des thérapies innovantes (notamment en développant de nouveaux modèles économiques de partenariats public-privé), l'accompagnement social des malades et des familles et une meilleure information sur le dispositif spécifique des maladies rares dans l'offre de soins,...

Une inquiétude concerne le financement par la solidarité nationale du coût des médicaments orphelins. Alors que la France s'honore d'être le pays à l'origine de l'adoption du règlement européen de décembre 1999, action débutée sous la Présidence Française de l'Union Européenne en 1996, alors que la France a mis en place un système de prise en charge précoce des innovations thérapeutiques au bénéfice des malades les plus sévèrement touchés (par le régime d'ATU que beaucoup de pays nous envient), il serait inconcevable que les 49 médicaments orphelins mis sur le marché depuis 2000 ainsi que ceux qui le seront prochainement, ne soient pas accessibles à tous les malades qui en ont besoin.

Enfin, les acteurs associatifs, les acteurs publics et les Entreprises du Médicament souhaitent que la France joue pleinement son rôle sur le plan européen. L'Europe est en effet un échelon indispensable dans la lutte contre les maladies rares, tant sur le plan de la recherche, que sur celui de l'épidémiologie, de la prise en charge et de l'accès aux médicaments. Les intervenants ont souligné le fait que la France avait une réelle responsabilité au niveau européen, voire international. En effet, la France, leader dans le domaine des maladies rares, est attendue par les autres pays européens. Chaque action de la France dans ce domaine est ainsi perçue comme un signe fort. La Présidence Française de l'Union Européenne offre à notre pays une occasion historique d'impulser une véritable politique européenne des maladies rares. Aussi, les intervenants espèrent que tous les efforts seront déployés par notre pays en vue de faire adopter, par le Conseil des ministres de la santé du 16 décembre les recommandations qui complètent la Communication de la Commission Européenne « Les maladies rares : un défi pour l'Europe ».

*Françoise Antonini, Déléguée générale de l'Alliance Maladies Rares*

*Ségoène Aymé, Directrice d'Orphanet, membre du CA d'EPPOSI*

*Yann Le Cam, Directeur général d'EURORDIS, membre du CA d'EPPOSI*

*Annick Schwebig, Présidente du groupe maladies rares des Entreprises du Médicament*

*Laurence Tiannot-Herment, Présidente de l'AFM*

---

**Contacts presse**

Alliance Maladies rares : Isabelle Hoareau – Tel : 01 56 53 53 43 – mail [ihoareau@maladiesrares.org](mailto:ihoareau@maladiesrares.org)

Les Entreprises du Médicament : Stéphanie BOU-FLEUROT - tél. : 01 45 03 88 38 –email : [sfleurot@leem.org](mailto:sfleurot@leem.org)

Virginie PAUTRE – Tel : 01 45 03 88 87 – email : [vpautre@leem.org](mailto:vpautre@leem.org)