

## COMMUNIQUÉ DE PRESSE

# Tous mobilisés pour un 4<sup>e</sup> plan national maladies rares !



Paris, juin 2022.

**3 millions de personnes sont concernées par une maladie rare en France et 95% des maladies rares n'ont pas de traitement curatif : cela en fait une priorité nationale. Pourtant, leur faible prévalence a pour conséquence une grande méconnaissance du public, d'une partie des professionnels de santé, ainsi qu'un plus faible intérêt des entreprises du médicament.**

**Une situation qui entraîne de longues errances médicales pour parvenir à un diagnostic (1/4 des malades attendent 4 ans pour que le diagnostic soit envisagé), obtenir des informations et être orienté vers des professionnels de santé de première ligne. Aujourd'hui, ce sont 3 trois plans nationaux qui ont permis de créer un maillage territorial de centres experts des maladies rares, offrant ainsi un meilleur accès au soin aux malades, mais ce n'est pas suffisant.**

**« En route pour le 4<sup>e</sup> plan national maladies rares ! »** Tel est le fil rouge du 3<sup>e</sup> Congrès de l'Alliance maladies rares, qui se déroulera le vendredi 10 juin 2022 à Paris, au Novotel de Charenton-le-Pont. Un temps fort marqué par la volonté de mettre en lumière la capacité d'innovation des associations, de bâtir un 4<sup>e</sup> plan national maladies rares.

“

*Quelle que soit la rareté de sa maladie, aucun citoyen ne doit être oublié ! Il est fondamental que le gouvernement lance dès aujourd'hui avec l'ensemble des acteurs des maladies rares, le processus de co-construction d'un nouveau plan maladies rares national ambitieux, doté de moyens financiers conséquents, d'objectifs précis et d'un pilotage efficace.*

déclare Marie-Pierre Bichet, Présidente de l'Alliance maladies rares

”

### Une 3<sup>e</sup> édition sous le signe de l'engagement

Rendez-vous incontournable des décideurs de la sphère associative, représentants des 240 associations membres de l'Alliance maladies rares, cette 3<sup>e</sup> édition du Congrès accueillera une grande diversité d'acteurs : des associations de malades aux pouvoirs publics (représentants ministériels, agences régionales de santé...) ainsi que de nombreux représentants des professionnels de santé maladies rares, venus de toute la France métropole et Outre-mer.

Ce grand rassemblement sera un temps fort de mobilisation et d'interpellation des pouvoirs publics sur les réformes à conduire, avec comme boussole, un 4<sup>e</sup> plan national : l'occasion de démontrer qu'il est toujours important d'adapter dans l'intérêt général notre système de santé à la problématique des maladies rares.

Moment phare du Congrès, une **plénière d'ouverture** abordera un sujet majeur pour l'Alliance : « **Comment maintenir les maladies rares dans l'agenda politique ?** », animée par **Marie-Pierre Bichet**, présidente de l'Alliance maladies rares, avec notamment les interventions de :

- **Philippe Berta**, député, président du groupe maladies rares de l'Assemblée Nationale ;
- **Anne-Sophie Lapointe**, cheffe de projet maladies rares, direction générale de l'offre de soins, Ministère en charge de la Santé ;
- **Pr. Véronique Paquis**, direction générale de la Recherche et de l'Innovation, Ministère en charge de la Recherche.

La France doit maintenir une politique globale et ambitieuse pour lutter contre les maladies rares, qui représentent aujourd'hui 3 millions de personnes concernées et 7 000 maladies rares identifiées. En effet, dans notre pays pionnier, il reste encore beaucoup à faire, notamment pour :

- **Accélérer le diagnostic** des maladies et supprimer l'errance diagnostique dont sont victimes des centaines de milliers de Français ;
- **Garantir des parcours de santé**, permettant d'avoir accès à l'information et aux meilleures expertises médicales, paramédicales et d'accompagnement à l'autonomie en santé ;
- **Stimuler une recherche innovante** et garantir les développements thérapeutiques et industriels nécessaires, pour multiplier les traitements innovants, y compris pour les maladies ultra-rares ;
- **Garantir à tous les malades un accès au plus vite aux traitements existants.** Il est inacceptable que certains traitements existants ne soient pas disponibles pour les malades Français ou que faute de dépistage néonatal des enfants soient victimes de pertes de chance majeures.

\*\*\*

Les grands sujets sur les maladies rares, orientés autour du triptyque diagnostic-traitement-prise en charge, feront l'objet de regards croisés en **ateliers thématiques**, avec une analyse décryptage des principales tendances vues par des experts du secteur :

*Comment lutter contre l'impasse diagnostique ? Quelle implication des associations dans la recherche ? Télémédecine, quelle prise en charge pour les maladies rares ? Le dispositif de pair aideance en maladie rare : de quoi s'agit-il ? Thérapie génique : quelles opportunités pour les malades et les associations ? Quels évolutions et enjeux des données de santé dans les maladies rares ? Quelles formes de soutien psychologique dans les maladies rares ? Dépistage néonatal : quelles opportunités pour les associations ? Rôle et place des associations dans la défense des traitements ? Quid de la transition enfant-adulte ?...*

Autant de questionnement à confronter au niveau national, européen et international mais aussi à d'autres causes.

Pour découvrir le **programme complet** du Congrès 2022

<https://alliance-maladies-rares.org/congres-2022/>

Pour suivre les **grands moments du Congrès en direct** sur nos réseaux sociaux :

**LinkedIn, Twitter, Facebook, Instagram**

**#Congres2022 #santepublique #PNMR4 #maladiesrares**

### **A propos de l'Alliance maladies rares**

Collectif de 240 associations de personnes concernées par les maladies rares, créé en 2000, l'Alliance maladies rares contribue à garantir aux personnes malades une meilleure qualité de vie et une participation citoyenne dans une société inclusive. Porte-parole légitime de 3 millions de Français, l'Alliance maladies rares éclaire et interpelle la sphère publique, professionnelle de santé et institutionnelle. Son expertise associative a un impact direct sur les politiques de santé publique et favorise l'avancée des recherches cliniques et scientifiques.

<https://alliance-maladies-rares.org>

### **CONTACT PRESSE ALLIANCE MALADIES RARES**

Laurence DUTREY

Responsable communication

Mobile : 07 66 08 17 70

Email : [ldutrey@maladiesrares.org](mailto:ldutrey@maladiesrares.org)