



RAPPORT D'ACTIVITÉ

2023

SOMMAIRE

4

Être la voix de référence
des malades, des familles
et de leurs associations

30

Faire bouger les lignes
avec la Plateforme
Maladies Rares

16

Être une force
d'empowerment des
associations

34

Accroître la visibilité
des combats

24

Être un acteur référence
de proximité

36

Des moyens pour évoluer

40

Notre fonctionnement

Éléments d'activité 2023 de l'Alliance maladies rares

L'Alliance maladies rares poursuit et renforce ses missions de plaidoyer et d'accompagnement de ses associations membres pour l'année 2023.

Dans la déclinaison opérationnelle du plan stratégique 2020-2025 de l'Alliance voté à l'unanimité de ses associations membres, l'Alliance en 2023 poursuit son ambition de renforcer la voix des malades via leurs associations et de communiquer/sensibiliser afin de faire connaître et reconnaître les maladies rares en France.

L'Alliance renforce aussi l'accompagnement et les compétences de ses associations membres tout en agissant en proximité via les délégués en région et les compagnons maladies rares pour renforcer l'ensemble de la communauté maladies rares.

L'année 2023, 3^e année du plan stratégique de l'Alliance, a permis à l'Alliance de poursuivre et consolider ses missions et ses actions afin de répondre aux besoins et aux attentes des malades et de leurs associations. L'activité globale est encore en nette évolution.

Le combat pour défendre la cause des maladies rares auprès des décideurs et pour promouvoir de nouvelles solutions au bénéfice des 3 millions de personnes concernées en France est, depuis son origine, une des raisons d'être de l'Alliance maladies rares.

PARTIE 1

Être la voix de référence des malades, des familles et de leurs associations

Le combat pour défendre la cause des maladies rares auprès des décideurs et pour promouvoir de nouvelles solutions au bénéfice des 3 millions de personnes concernées en France est, depuis son origine, une des raisons d'être de l'Alliance maladies rares.

L'année 2023 a été importante pour notre combat contre les maladies rares.

Portée légitimement par les élus issus des associations membres de l'Alliance, la voix des malades et des familles a pu être entendue dans d'importantes enceintes de réflexion et de décision, contribuant ainsi, même si beaucoup reste à faire, à ce que nos préoccupations soient mieux prises en compte.

- **porter la voix des malades** afin de susciter des politiques de santé publique ambitieuses,

- **porter la voix des malades** afin de susciter des politiques du handicap en adéquation avec les attentes des malades et de leur famille.

L'Alliance s'est attachée en 2023 à :

- **porter la voix des malades** et des familles pour faire des maladies rares une priorité nationale notamment dans le cadre du 3^e PNMR et du futur PNMR,



1 FRANÇAIS SUR 20 SOUFFRE D'UNE MALADIE RARE. ENSEMBLE, ACCÉLÉRONS LES DIAGNOSTICS.

Imany a mis 4 ans avant de pouvoir mettre un nom sur sa maladie rare. 4 ans de consultations, de détresse physique et psychologique, d'isolement. Pour Imany, comme pour les 3 millions de Français atteints d'une maladie rare, accélérons les diagnostics. Les maladies rares, c'est toujours la même histoire. Ensemble, changeons-la.

Des centres d'expertise maladies rares existent. Pour être écouté, informé, orienté, appelez Maladies Rares Info Services au : **0 800 40 40 43** Service à votre disposition ou consultez www.morpha.net

Alliance maladies rares
UNE PRIÉTÉ NATIONALE

L'Alliance maladies rares travaille en partenariat avec le réseau d'expertise des maladies rares de l'AFM-TELETHON

1. Porter la voix des malades et des familles pour faire des maladies rares une priorité nationale

1.1 L'ALLIANCE, ACTRICE DU 3^e PNMR

Un 3^e PNMR qui se poursuit en 2023 pour les malades, les familles et leurs associations

L'Alliance a participé à l'ensemble des réunions de suivi du 3^e PNMR et à de nombreuses réunions de travail préparatoires au 4^e PNMR.

L'Alliance a notamment été présente au sein du **Comité stratégique**, qui veille à la réalisation du plan par la mobilisation des partenaires et des moyens, en orientant sa mise en œuvre et en proposant des adaptations du plan en fonction de l'évolution du contexte, en validant le rapport annuel proposé par le comité opérationnel qu'il remet au Premier ministre. Le comité s'est réuni une fois en 2023.

L'Alliance était aussi présente au sein du **Comité opérationnel**. Le dernier est chargé de la mise en œuvre des actions du plan dont il rend compte au comité stratégique. Il s'assure de leur déroulement selon le calendrier prévisionnel, apprécie les résultats du plan à l'aide d'indicateurs, suit l'évolution de la dépense par rapport au budget prévu et, enfin, prépare le rapport annuel. Le comité s'est réuni trois fois en 2023.

L'Alliance s'est aussi notamment impliquée dans différentes **réunions de travail liées au PNMR 3** comme les réunions relatives aux observatoires du diagnostic et les observatoires des traitements et différentes autres réunions de travail.

2023 a constitué aussi l'occasion de poursuivre les travaux des observatoires du diagnostic portés par l'ensemble des filières de santé maladies rares. L'Alliance a participé à la coordination nationale des observatoires du diagnostic portés par le ministère de la Santé.

1. L'ALLIANCE, AU SEIN D'INSTANCES MAJEURES POUR LES MALADIES RARES

En 2023, l'Alliance a été présente dans de nombreuses instances de santé et groupes de travail.

Instances de santé et groupes de travail autour du diagnostic dépistage

L'accès à la mise en œuvre de nouveaux dépistages néonataux (DNN)

Le programme national de dépistage néonatal systématique concerne tous les nouveau-nés en France. Il vise à détecter ceux susceptibles d'être atteints de certaines maladies qui, sans prise en charge précoce, seront à l'origine de troubles graves et définitifs.

Ainsi, en tant que membre de ce comité national de pilotage du dépistage néonatal, l'Alliance a rappelé l'urgence des besoins. L'Alliance s'est mobilisée auprès des pouvoirs publics et des médias pour obtenir que la Poste, service public, garantisse comme par le passé, un délai d'acheminement optimal des buvards. Notre mobilisation a permis aux acteurs de trouver rapidement une solution satisfaisante.



Communiqué de presse
Mercredi 12 juillet 2023

Dépistage néonatal : un terrain d'entente trouvé avec la Poste

L'Alliance maladies rares et les associations de patients adhérentes concernées par le dépistage néonatal – Les Feux Follets, Les Enfants du jardin et l'Association Surrénales – remercient la Poste pour la nouvelle solution de service Express J+1 proposée pour garantir l'efficacité du programme de dépistage néonatal. Elles se félicitent de la célérité des échanges qui ont eu lieu entre le Centre National de Coordination du Dépistage Néonatal (CNCNDN), la Poste et le ministère de la Santé et la Prévention, pour aboutir à une solution satisfaisante, suite à l'alerte lancée le 27 juin dernier.

Renforcement de la BNDMR, outil essentiel de la lutte contre les maladies rares

La Banque nationale de données maladies rares est un projet prioritaire du troisième Plan National Maladies Rares, financé par le ministère de la Santé. Le faible nombre de malades et leur difficile identification, ainsi que les limites des autres outils nationaux à notre disposition (programme de médicalisation des systèmes d'information – PMSI –, système national d'information inter-régimes de l'Assurance maladie) ne permettent pas d'assurer des études populationnelles de qualité dans le cadre des maladies rares.

C'est pourquoi le ministère de la Santé a souhaité promouvoir la mise en œuvre d'un recueil de données spécifique aux maladies rares : la BNDMR. Elle vise à doter la France d'une collection homogène de données sur la base d'un set de données minimum (SDM), afin de documenter la prise en charge et l'état de santé des patients atteints de maladies rares dans les centres experts français, et de mieux évaluer l'effet des plans nationaux.

L'Alliance s'est beaucoup investie en 2023 dans les travaux de cette BNDMR. Elle était d'ailleurs la seule représentante de malades au sein du Comité de pilotage du Conseil scientifique.

En 2023, la BNDMR est la cheville ouvrière de la réalisation de l'Observatoire du diagnostic promu dans le cadre du troisième PNMR.

« La BNDMR est un outil fondamental permettant à la communauté maladies rares de bénéficier de davantage de données, et d'approfondir nos connaissances sur nos maladies de facto rares, mais aussi très hétérogènes. »

1.3 SOUTENIR LES ASSOCIATIONS DE MALADES, ACTRICES ESSENTIELLES DES FILIÈRES DE SANTÉ ET DES CENTRES DE RÉFÉRENCE

La participation des associations maladies rares dans la gouvernance de ces instances est une composante indispensable au développement de la connaissance, et à l'élaboration de politiques d'amélioration des parcours de santé et de vie des malades et de leur famille.

Leur expérience est fondamentale et complémentaire à celle des autres acteurs du champ médical, médico-social et institutionnel.

Dans ce cadre, l'Alliance maladies rares a renforcé, en 2023, l'accompagnement de ses associations pour leur permettre d'être des interlocutrices encore plus déterminantes dans les dispositifs maladies rares tels que les centres de référence et les filières de santé maladies rares en France ou les nouveaux réseaux européens de référence.

Renforcer la dynamique inter-FSMR

L'année 2023 aura été marquée par une volonté de forte collaboration avec les FSMR. Afin de renforcer cette dynamique de partenariat avec l'ensemble des filières de santé maladies rares, et pour améliorer la place et le rôle de chaque association au sein de sa filière, l'Alliance soutient deux dynamiques : les rencontres associatives interfilières et la place et le rôle de l'Alliance au sein du Comité de pilotage (COPIL) des filières de santé, porté par la DGOS.

L'Alliance est présente au sein du **Comité de pilotage des filières de santé maladies rares** porté par la DGOS. Ce comité s'est réuni à 3 reprises en 2023. Cette instance permet de partager les avancées nationales du 3^e PNMR (appels à projets, actualités des parties prenantes), d'échanger entre les filières, chevilles ouvrières de sa mise en œuvre, et les parties prenantes maladies rares représentées.

Enfin, elle permet à **l'Alliance de porter la voix des associations, par exemple, sur leur place dans les programmes ETP ou leur nécessaire contribution aux PNDS.**

L'Alliance a poursuivi sa dynamique inter-filières grâce aux **réunions associatives inter-filières** réunissant les associations membres des gouvernances des filières de santé maladies rares (membres ou non de l'Alliance) pour échanger sur leurs expériences et sur leurs bonnes pratiques, afin de renforcer la voix portée par chaque association au sein du Copil de sa filière. Ainsi, en 2023, 5 réunions inter-filières réunissant plus de 30 associations ont eu lieu. Ces réunions ont également permis à l'Alliance de faire un retour sur chaque réunion du Comité de pilotage FSMR porté par la DGOS.

Ces réunions de l'inter-filière associative ont permis :

- la présentation des premiers résultats de l'évaluation de l'ETP dans les maladies rares par les FSMR, un projet dans lequel l'Alliance a été impliquée au sein du comité de pilotage
- la rédaction d'une charte de l'interfilière associative
- une présentation du rôle des FSMR dans la recherche avec l'intervention de la Fondation maladies rares
- une discussion suite à la publication des résultats de l'enquête sur les missions des filières de santé maladies rares menée auprès de toutes les associations membres de l'Alliance maladies rares
- un échange autour des bonnes pratiques dans les gouvernances de filière, avec un exemple concret d'une association membre
- un état des lieux sur les PNDS, en vue du PNMR4
- une présentation des différents groupes de travail préparatoires du PNMR4
- une réflexion collective pour construire le plaidoyer de l'Alliance sur la transition enfant-adulte, le lien ville-hôpital et les situations d'urgence.

Participer aux travaux du Comité de suivi de labellisation des centres de référence

L'Alliance a été présente aux différentes réunions du **comité de suivi de labellisation (CSL)**. Parmi ses missions, ce comité définit les nouveaux formats simplifiés du rapport d'activité des centres de référence et des filières maladies rares. Il s'assure que les enveloppes financières dédiées parviennent bien aux centres de référence et filières concernés. Il identifie les redondances (thématiques et géographiques) et les lacunes dans les périmètres actuels. Il est également saisi en cas de changement de responsable de CRMR ou de FSMR.

Préparer la prochaine labellisation des filières de santé maladies rares et défendre l'implication des associations de malades

En 2023 et en amont du processus de re-labellisation des filières de santé maladies rares, l'Alliance a co-construit avec les associations de l'interfilière associative **une enquête nationale pour évaluer les missions des filières de santé maladies rares et l'implication des associations dans les actions de ces filières**. La rédaction de l'enquête a été finalisée par l'institut d'études VIAVOICE qui a diffusé une consultation en ligne du 2 au 27 mars 2023 auprès des associations membres de l'Alliance. Des entretiens ont été menés avec 18 acteurs maladies rares pour compléter les résultats. Les principaux résultats de l'enquête ont été présentés lors du congrès de l'Alliance de juin 2023.

1. INTERPELLER ET SENSIBILISER PAR DE GRANDS ÉVÉNEMENTS

La 16^e Journée Internationale des Maladies Rares en France

La Journée Internationale des Maladies Rares vise à sensibiliser les responsables politiques, les professionnels de santé et le grand public à la question des maladies rares et à leurs conséquences sur la vie des malades et des familles.

3 enjeux se posent :

- L'accès au diagnostic : 50% n'ont pas de diagnostic ; 1/4 des malades n'ont pas accès à un diagnostic avant 5 ans
- L'accès au traitement : 95% n'ont pas de traitements
- L'accès à une meilleure qualité de vie et à une place de citoyens pleine et entière

Une campagne pour sensibiliser à l'errance diagnostique et appeler à agir

Pour cette nouvelle campagne JIMR, l'Alliance a réalisé un film d'une minute, pierre angulaire de la nouvelle campagne. Film choral, porté par des voix off entrelacées, il exprime avec des mots simples et touchants, le parcours et les conséquences terribles de l'errance diagnostique, pour appeler à «accélérer les diagnostics des maladies rares» et à appeler Maladies Rares Info Services.

Plus de 500 kits de communication (brochures d'informations, affiches, etc.) ont été diffusés aux professionnels de santé de première ligne.

L'Alliance a lancé à chacun un challenge : faire un selfie et le relayer sur leurs réseaux sociaux, autour de 2 hashtags :

#accéléronslesdiagnosticsmaladiesrares
#RareDiseaseDay



#accéléronslesdiagnosticsmaladiesrares

Activation
JIMR2023



300+ personnes se sont engagées via réseaux sociaux et 263 posts publiés sur les RS avec le # dédié.



L'Alliance maladies rares a noué un partenariat avec l'Ordre National des Pharmaciens et le spot de 30 secondes a été diffusé dans le cadre de la **"Minute Santé publique"** sur deux mois (mai/juin) sur les écrans de plus de **5000 pharmacies et laboratoires d'analyse**. Le spot a également été diffusé en gracieux sur les écrans des chaînes du groupe TF1 début juin.

Par ailleurs, la campagne a été **primée au Festival de la Communication Santé**.

Les boucles de mars - avril 2023

Prévisualiser la boucle pour :

• les espaces d'accueil du public

• Les vitrines



"Accélérons les diagnostics des maladies rares"

LA CAMPAGNE SUR LES RÉSEAUX SOCIAUX

FACEBOOK : 29000 personnes touchées par nos publications, générant 12455 interactions

INSTAGRAM : 62200 vues pour le réel du film à l'international via le partage de #RareDiseaseDay - 14 000 personnes touchées en France (hors stories), 2134 j'aime, 260 enregistrements - Taux d'engagement J'aime : 70,92%, Partages : 17,21%

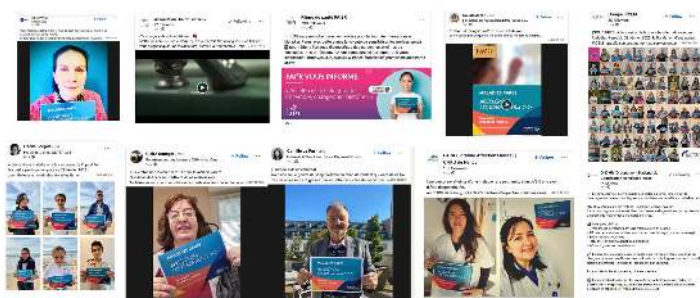
530 nouveaux abonnés FB et Instagram grâce à cette campagne

LINKEDIN : 16682 vues, 230 partages, 628 likes - Taux d'engagement de 8 à 13,07% - Un gain de 20% de nouveaux abonnés

TWITTER : 14600 impressions, 2245 visites du profil, 174 mentions

#accéléronslesdiagnosticsmaladiesrares - LinkedIn

90 publications ont repris le #accéléronslesdiagnosticsmaladiesrares



Les **retombées média** et le **taux d'engagement** des posts publiés de nos **réseaux sociaux** pour cette campagne montrent une très bonne visibilité du combat de l'Alliance.

LA CAMPAGNE DANS LES MEDIAS

TV

France TV - télé-matin - interview actualité - Jean-Philippe plançon - Maya Lauqué

France TV - le magazine de la santé - Marina Carrère d'Encausse

France Info TV - le 23h du samedi 25 février 2023 – itw d'Hélène Berruë Gaillard - Sorya khaldoun **Radio**

Radio classique – journée internationale des maladies rares : « c'était une bataille de tous les jours »
- Rémi Pfister

Presse quotidienne nationale

Le Monde - grand angle - spécial maladies rares

Les Echos - dépistage, traitement : les dernières avancées sur les maladies rares - Myriam Chauvot -
Médias régionaux

Le Progrès - le Bien public, l'Alsace, Républicain Lorrain, Dernières Nouvelles d'Alsace, Vosges matin et
le journal de saône et loire – maladies rares : « l'errance diagnostique », une véritable souffrance pour les
familles

La dépêche - la république des pyrénées et sud-ouest – qu'est-ce qu'une maladie rare ?

France bleu Normandie – mardi 28 février 2023 « 16ème journée mondiale des maladies rares » France

Info – journée internationale des maladies rares : 23.000 à 30.000 personnes touchées en Martinique

France Info - plus de 70 personnes ont bravé le froid pour les maladies rares à Saint-pierre et miquelon

France bleu - maladies rares: les diagnostics avancent , assure la cheffe du service génétique au chu de
Rennes

Médias spécialisés

Destination santé – Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

Top Santé – Maladies rares : symptômes, chiffres, diagnostic... 6 infos à retenir pour mieux les
comprendre

Doctissimo – Maladies rares : trois millions de personnes concernées en France – Sihem Boulfit

Doctissimo – MCAD : quelle est cette maladie rare dont souffre la fille d'Alexandra de Koh Lanta ?

JIM – Maladies rares : le problème du financement de la recherche – Nicolas Barbet

France Assos Santé – Journée internationale des maladies rares : de l'équité pour tous

APM News - Un quatrième Plan National Maladies Rares interministériel demandé par les associations
spécialisées

Allodocteurs - Glycogénoses : comment vivre une Maladies Rares ? - Géraldine Zamansky

Medscape - Les Maladies Rares ne sont pas si rares : les associations demandent des diagnostics et des
traitements

Information handicap - 7000 Maladies Rares : un 4ème Plan National ambitieux réclamé – Cassandre
Rogeret

Vidal - Une journée pour penser aux maladies rares - Dam-Thi Tsuvaltsidis

France Asso Santé - coup de projecteur sur les Maladies Rares

Journal des femmes – Journée des maladies rares : quelle est la liste ?



La Marche des maladies rares 2023



Dans le cadre du **Téléthon 2023**, l'Alliance s'est mobilisée avec l'organisation de la Marche des maladies rares.

La marche des maladies rares a rassemblé plus de 850 personnes le samedi 4 décembre 2023. Partis du Jardin du Luxembourg, les participants après 3 heures de marche sont arrivés sur le Parvis des droits de l'Homme.

Cette marche a permis de rendre visible les maladies rares dans les rues de Paris et auprès de tous les Français avec de nombreuses retransmissions en Direct sur France Télévisions et sur le Plateau TV à Minuit.



2. Porter la voix des malades afin de susciter des politiques de santé publique ambitieuses

2023 a été marquée par de nombreuses avancées en santé publique.

Au-delà de défendre un plan national maladies rares ambitieux, l'Alliance se doit de soutenir aussi des droits et des dispositifs non spécifiques aux maladies rares, mais fondamentaux pour les malades et les familles. Par exemple, les questions de l'intégration à l'école et au travail, l'accès aux assurances, la question des restes à charge, des déserts médicaux ou encore des aidants familiaux, attendent des réponses afin d'améliorer le quotidien des personnes concernées.

L'implication de l'Alliance sur ces sujets se fait par divers moyens :

- au travers de France Assos Santé,
- en assurant des représentations majeures au sein de grandes administrations de santé publique.

2.1 FRANCE ASSOS SANTÉ, FORCE INTER-ASSOCIATIVE DE SANTÉ PUBLIQUE



C'est le nom choisi par l'Union nationale des associations agréées d'usagers du système de santé pour faire connaître son action comme organisation de référence, représenter les patients et les usagers du système de santé afin de défendre leurs intérêts.

L'Alliance maladies rares est membre de son conseil d'administration. Elle participe à différents groupes de travail, comme celui dédié au médicament.

En 2023, avec France Assos Santé, l'Alliance a œuvré pour défendre dans le cadre du PLFSS les enjeux du cannabis thérapeutique et la question des préparations magistrales pédiatriques.



2.2 DES REPRÉSENTATIONS MAJEURES AU SERVICE DES USAGERS DU SYSTÈME DE SANTÉ

L'Alliance est représentante des usagers du système de santé dans plusieurs grandes instances de santé.

L'Alliance maladies rares est membre du conseil d'administration de l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM ; quatre réunions par an), du sous-groupe de travail Pédiatrie et médicament et de la Commission pédiatrique (quatre réunions par an). Ces mandats sont essentiels puisqu'ils permettent de bénéficier d'une vision complète des actions sur le médicament et l'interaction entre les différentes agences. Cette présence au conseil d'administration de l'ANSM, doublée d'une présence à son comité d'interface, permet de transmettre les problèmes concrets rencontrés par les usagers. L'Alliance peut ainsi avoir le rôle de « lanceur d'alerte ». Enfin, elle travaille sur l'accès à tous les médicaments pour les enfants au sein d'un groupe de travail Pédiatrie. **Rappelons que 75% des diagnostics de maladies rares, première cause de mortalité infantile en France, se font pendant l'enfance.** L'Alliance doit donc être en première ligne sur cette question.



L'Alliance est membre du **Groupe de réflexion avec les associations de malades (GRAM) à l'Inserm**. Le GRAM est composé d'associations de malades, de chercheurs et de représentants de l'administration de l'Inserm. C'est un lieu de dialogue, une instance de réflexion et de propositions sur les orientations stratégiques, et les actions à mettre en œuvre pour développer la politique de partenariat et de dialogue entre l'Inserm et les associations.


Maryse LELEU

Membre du Conseil National
de l'Alliance maladies rares

L'Alliance est aussi présente au sein du **conseil d'orientation de l'Agence de la Biomédecine**. Son avis est sollicité avant toutes les décisions importantes prises par l'Agence, notamment pour ce qui concerne les autorisations de recherches sur l'embryon, les autorisations d'activité des centres pluri-disciplinaires de diagnostic prénatal et de diagnostic préimplantatoire.



Il peut également être saisi par la directrice générale sur des questions éthiques plus précises et rendre des avis argumentés.

Cette représentation est majeure pour les maladies rares.


Anne HUGON

Membre du Conseil
d'Orientation de l'ABM

3. Porter la voix des malades afin de susciter des politiques du handicap ambitieuses

La question du handicap est évidemment majeure dans les maladies rares. 75% d'entre elles génèrent des handicaps, qui sont parfois rares. L'année 2023 aura été marquée par les travaux du **Conseil national consultatif des personnes handicapées (CNCPH)** et du **Collectif handicaps**.



COLLECTIF HANDICAPS

L'Alliance est membre du Collectif Handicaps qui unit les associations de personnes en situation de handicap qui avaient formé le Comité d'entente.

47 associations, dont l'Alliance maladies rares, s'unissent pour défendre les droits des personnes en situation de handicap et de leur famille. Ce collectif ambitionne de représenter plus de 12 millions de personnes en situation de handicap et 11 millions d'aidants.

Ce collectif a pour objectifs de porter la voix, les revendications et les besoins des personnes en situation de handicap et de leurs aidants, de **défendre leurs droits** auprès des décideurs politiques et de militer pour une société inclusive, solidaire, juste et équitable.

Pour rappel, ces mêmes associations militaient collectivement et de façon informelle, depuis 1982, à travers le Comité d'Entente. Ensemble, elles sont parvenues à promouvoir et à défendre les droits des personnes. Mais, aujourd'hui, au regard du contexte de transformation de la société, leur **mobilisation doit être plus forte**, plus visible, et plus engagée. Ces 47 associations se sont donc unies au sein du Collectif Handicaps.



Au sein de l'Assemblée plénière du CNCPH et de plusieurs de ses commissions et délégations, l'Alliance maladies rares a un impact sur l'élaboration des lois. Par le biais du Collectif Handicaps, elle milite, défend les droits et porte les revendications des personnes en situation de handicap. Les revendications du Collectif Handicaps portent notamment sur les projets de loi de finances et les projets de loi de financement de la sécurité sociale. A titre d'exemple, en 2023, le Collectif Handicaps et le CNCPH se sont mobilisés pour faire supprimer l'article 53 du projet de loi de finances qui visait à créer des pôles d'appui à la scolarité. Leur mobilisation a permis la suppression de cet article et l'ouverture d'une concertation sur les missions et les contours de ces pôles d'appui à la scolarité.

Être une force d'empowerment des associations

Les prises de position publiques de l'Alliance maladies rares et sa capacité à porter la voix des personnes concernées par une maladie rare puisent leur légitimité et se nourrissent de l'action quotidienne entreprise par chacune des associations membres du collectif. À ce titre, la mission d'accompagnement de l'Alliance vis-à-vis de ses membres tient donc une place centrale depuis sa création.

Cette mission s'articule lors de moments de **formation et de mutualisation d'expériences**, auxquels sont conviés les membres du collectif. Elle se traduit aussi dans une dimension plus « quotidienne » : l'Alliance peut accompagner les associations dans leur questionnement, lorsqu'elles le souhaitent, bien souvent en s'appuyant sur les retours d'autres associations du réseau.

1. Informer les membres

1.1 LE 4^e CONGRÈS DE L'ALLIANCE MALADIES RARES (2 et 3 juin 2023)

Plus d'une centaine d'associations se sont retrouvées les 2 et 3 juin 2023 au Novotel de Charenton. La journée du vendredi a réuni 220 personnes, les Présidents et représentants des associations membres de l'Alliance mais aussi de nombreux acteurs essentiels dans le parcours des malades : ministère de la Santé et plusieurs agences essentielles (Agences Régionales de Santé, Haute Autorité de Santé, Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé), coordonnateurs de Filières de Santé Maladies Rares, entités de la Plateforme maladies rares, acteurs associatifs...



Dans une démarche de coopération, l'Alliance a offert un espace d'échanges sur l'avenir des politiques de santé publique dédiées aux maladies rares.

Pas moins de 8 ateliers ont été proposés aux congressistes sur les thèmes de l'impasse diagnostique, de l'errance diagnostique, de la recherche, de l'émergence et l'accès à l'innovation, de l'accès aux traitements, de l'éducation thérapeutique du patient, du lien ville-hôpital, ou encore sur le thème des données de santé.

La plénière d'ouverture : **Les défis d'un 4^e plan national maladies rares** a réuni plus de 180 participants. 150 personnes ont pu suivre la séquence "Pitcher c'est gagner". Celle-ci a permis aux élus de l'Alliance de faire un retour à l'assemblée sur chaque atelier.

Cette journée, fut aussi l'occasion pour l'Alliance maladies rares de rappeler les points clés de la construction de son plaidoyer :

- Travailler et défendre les sujets spécifiques aux maladies rares, notamment prévus dans le cadre du Plan national maladies rares
- Contribuer aux politiques publiques du handicap qui concernent tant de personnes qui vivent avec une maladie rare
- S'inscrire dans le cadre de réflexions inter-associatives pour faire progresser la cause des malades lorsque les sujets sont communs à d'autres pathologies.

La journée du vendredi s'est achevée par une conférence animée par Christophe Bichet, avec en ligne de fond « Partager, inspirer, témoigner n'est pas une option, c'est une nécessité. ». Une conférence véritablement inspirante pour la centaine d'acteurs associatifs présents.

La journée du samedi a rassemblé 110 personnes, plus de 74 associations étaient présentes pour l'Assemblée Plénière. Moment fort du collectif, l'Assemblée plénière a été l'occasion d'aborder les actions de l'Alliance et de partager les perspectives futures. Elle a aussi permis de renouveler une partie du Conseil national. Les associations ont pu prendre la parole. Les bénévoles en région ont été mis à l'honneur et ont échangé ensemble sur les sujets suivants :

- Comment se structurer un réseau en région ?
- Comment diffuser efficacement nos messages ? Comment aller à la rencontre des professionnels de santé ? Comment diffuser le kit « ambassadeurs » ?

L'Alliance a communiqué en amont, pendant et en aval du Congrès : 8 vidéos ont été réalisées, notamment autour des attentes des associations pour le PNMR4. Plus de 60 posts ont été publiés sur les différents réseaux sociaux de l'Alliance pour augmenter la visibilité du Congrès.

1.2 LES WEBCONFÉRENCES DE L'ALLIANCE MALADIES RARES

Rendez-vous régulier avec les associations membres du collectif pour s'informer et échanger autour d'enjeux concernant leurs actions, le paysage et les acteurs maladies rares.

Public : les membres des associations appartenant au collectif de l'Alliance maladies rares.

Objectif : Échange d'expériences et de bonnes pratiques entre les associations membres de l'Alliance.

Ces différents rendez-vous web ont rassemblé au total **154 participants cette année**. Les contenus issus de ces rencontres sont disponibles sur l'espace membres du site web de l'Alliance maladies rares.

- 14 mars

Rdv web « Mobiliser et impliquer les bénévoles : échanges d'expériences associatives ». *Cette webconférence a accueilli 50 participants.*

- 13 avril

Rdv web « L'image de l'association : comment la faire évoluer ? ». *Cette webconférence a accueilli 38 participants.*

- 5 octobre

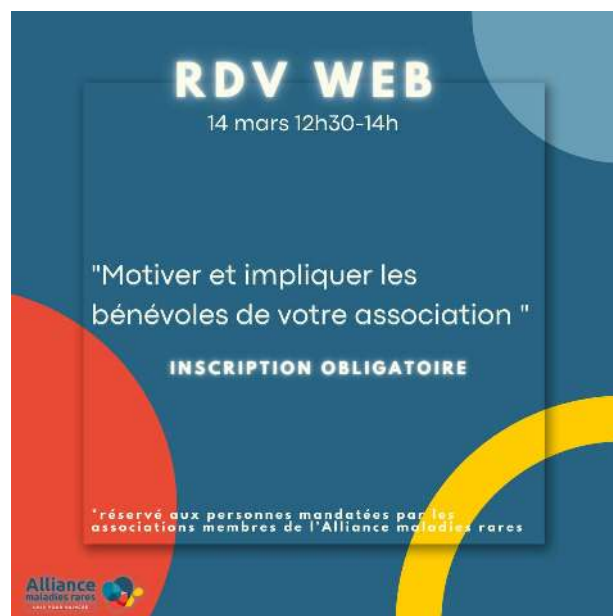
Rdv web « Comment structurer ses actions territoriales ? ». *Cette webconférence a accueilli 18 participants.*

- 23 novembre

Rdv web « Guide de la recherche pour les associations de maladies rares : un nouvel outil de compréhension, d'implication et d'indépendance ». *Cette webconférence a accueilli 22 participants.*

- 20 décembre

Rdv web « Reconnaissance d'utilité publique, Agrément des associations d'usagers du système de santé, les labels : les associations de maladies rares doivent-elles se lancer ? ». *Cette webconférence a accueilli 26 participants.*



2. Former les membres

2.1 LES UNIVERSITÉS D'AUTOMNE

La 8e édition des Universités d'automne de l'Alliance s'est déroulée du 19 au 21 octobre : une visite organisée du Généthon a été proposée le 19 octobre et les deux jours suivants, des conférences et ateliers ont eu lieu au Novotel de Charenton-le-Pont.

Il s'agit du principal temps d'échanges et de formation pour les associations membres du collectif. Cette année, les thèmes abordés étaient : le diagnostic, la recherche, les traitements et les affaires médicales.

Des conférences ont fait intervenir d'éminents spécialistes pour expliquer l'écosystème et ses enjeux, tandis que des ateliers au format méta-plan ont permis aux associations d'échanger leurs pratiques et expériences autour de leurs actions concrètes.

Objectifs

- Echanger des expériences, bonnes pratiques et des outils méthodologies autour des missions et enjeux communs des associations de maladies rares
- Se former aux outils et aux méthodes utilisés par les associations de maladies rares pour réaliser leurs activités.
- Améliorer et renforcer ses connaissances du paysage maladies rares (acteurs, outils, ressources, etc)

Public : Les dirigeants associatifs et les bénévoles. Les 12 conférences et ateliers thématiques de cette édition ont accueilli 111 participants, soit

+ 36% de participation, par rapport à 2022

Via ses réseaux sociaux, L'Alliance a communiqué en amont, pendant et en aval sur ces Universités pour informer, mobiliser et engager ses membres. Plus de 30 posts et réels ont ainsi été élaborés et diffusés.

2.1 LES FORMATIONS ALLIANCE

Formation Ecouter et Soutenir

Cette formation, dispensée par Empatient, permet aux participants d'acquérir les fondements théoriques de la relation d'aide ainsi que les techniques d'écoute et d'entretien. Elle est fortement recommandée pour les écoutants associatifs.

Public : toute personne amenée à réaliser des actions d'écoute.

Objectifs : Se former au rôle d'aidant associatif

- Définition et Techniques de l'écoute active
- Définition de la relation d'aide
- Les stades d'acceptation d'une maladie chronique.
- Organisation d'une permanence d'accueil.
- Gestion des émotions fortes
- Retentissement personnel et régulation

Trois sessions de formation ont eu lieu cette année

20/21 mars : 11 participants

9/10 mai : 11 participants

18/25 septembre : 11 participants

Prendre la parole en public

Dispensée par l'Association de Démocratisation de l'Art Oratoire (ADAO), cette formation vise à amener les participants à améliorer leurs prises de parole en public en travaillant sur la communication non verbale et sur la structuration d'un discours.

Objectifs

- Voix, regard et posture : optimiser sa communication non verbale (regard et posture), avoir les clés pour gérer sa voix face à un public
- Structurer pour convaincre : être capable de structurer un discours, sur le fond et sur la forme, pour capter l'attention autour d'un projet et convaincre l'auditoire.

Séance le 11 février : 10 participants

Séance 24 juin : 10 participants

« J'ai appris de nombreuses choses en une journée. Ce sont des éléments utiles pour beaucoup de situations. Des échanges riches entre les participants dans une ambiance bienveillante »

Collecte de fonds

Cette formation a pour objectif de donner les principes de base du fundraising et de présenter quelques outils clés pour concevoir et mettre en œuvre une stratégie de levée de fonds efficace.

Objectifs

- Découvrir les principales formes de dons,
- Comprendre les principales étapes de la levée de fonds,
- Connaître les principaux outils, moyens et bonnes pratiques pour lever des fonds.

Une session de formation s'est tenue en distanciel le 4 octobre et a rassemblé 6 participants.

Communication digitale

Cette formation dispensée par l'agence Rhizcom est une initiation de deux jours à la communication digitale des associations. Elle porte notamment sur l'élaboration d'une stratégie de communication et la gestion et planification des contenus éditoriaux.

Objectifs :

- Découvrir les possibilités offertes par la communication digitale,
- Comprendre les étapes pour élaborer une stratégie de communication digitale,
- Connaître les bonnes pratiques fondamentales d'une communication efficace,
- Déterminer les premières pistes pour élaborer sa stratégie de communication digitale,
- Intégrer la rédaction de contenu pour le web au sein d'une communication digitale efficace,
- Optimiser ses contenus pour améliorer le référencement naturel de son site web.

Session de formation (distanciel)

18/19 avril : 7 participants

9 et 16 novembre : 8 participants

Formations présidents - Coordonner et animer une équipe de bénévoles

Cette formation de deux jours vise à donner aux participants les clés pour gérer et animer une équipe bénévole en faisant vivre leurs actions menées dans l'esprit du projet associatif. Elle a été dispensée par l'Institut Européen de Développement Humain (IEDH).

Objectifs

- Identifier les motivations des bénévoles et accueillir les nouveaux,
- Connaître les leviers de la confiance et de la coopération au sein d'une équipe,
- Situer son « autorité » et l'exercer au service d'un projet commun,
- Comprendre la nécessité / l'importance de déléguer pour responsabiliser.

Session 4/5 juillet : 8 participants.



Formation président - Impliquer les bénévoles et transmettre la présidence de l'association

Cette formation d'un jour est consacrée à la création d'une dynamique au sein de l'association auprès des nouveaux bénévoles, mais aussi aux enjeux de la transmission de présidence. Cette formation a été dispensée par l'Institut Européen de Développement Humain (IEDH).

Objectifs

- analyser les pratiques de son association,
- prioriser les actions à mettre en place dans les prochaines années,
- savoir présenter le rôle de président qui en découle.

Sessions de formation en présentiel

- 19 juin : 7 participants.
- 29 septembre : 8 participants

3. Accompagner les membres

3.1. Accompagner au quotidien

L'Alliance maladies rares est régulièrement sollicitée par les associations membres lorsqu'elles se trouvent confrontées à des situations complexes ou nouvelles. La volonté de l'Alliance est de chercher alors à les accompagner du mieux possible, par des conseils ou par une mise en réseau avec d'autres associations membres du collectif. L'occasion est donnée dans ce rapport d'activité de remercier toutes celles et ceux qui contribuent en « off » à ce partage d'expériences qui fait le sel de notre réseau. En 2023, ce sont près de 314 demandes associatives qui ont été formulées.

La majorité des demandes (env 60%) relèvent de la gestion ou du fonctionnement de l'association et des actions associatives (accompagnement des malades, mise en place de groupes de parole, collecte de fonds).

Les mises en réseau avec d'autres acteurs (recherche d'outils, de contacts) représentent environ 20%.

De nombreuses demandes (env. 20%) concernent aussi les actions du collectif, les formations et les événements Alliance, le plaidoyer (PNMR, Représentation des usagers...), l'espace membre, le renouvellement adhésion

L'Alliance a aussi orienté par mail ou par téléphone près de 250 individuels en 2023 (majoritairement des malades isolés).

3.2. Les Rencontres Échanges de l'Alliance à destination des associations membres (RE)

En 2020, l'Alliance maladies rares s'est engagée dans une démarche pour une meilleure connaissance de l'action associative dans les maladies rares.

Depuis 2022, l'Alliance maladies rares a décidé d'aller davantage à la rencontre des dirigeants associatifs, en proposant des Rencontres Echanges et rendez-vous de suivi en visio ou en présentiel à Paris.

Il s'agit d'un dispositif d'accompagnement « sur mesure » qui permet aussi au collectif d'identifier les enjeux des associations de malades.

En effet, ces Rencontres Echanges ou rendez-vous de suivi permettent à l'Alliance maladies rares de mieux connaître les associations de malades (leur fonctionnement actuel, les actions mises en place autour des volets « Informer, Soutenir, Développer la recherche », les projets à venir, les besoins et enjeux actuels, les éventuelles problématiques rencontrées) mais aussi de proposer un accompagnement dans le temps.

Ces accompagnements, se font toujours dans une démarche co-constructive et collaborative.

Ils visent aussi écouter les responsables associatifs, à clarifier des situations, ou à guider et structurer l'association dans ses réflexions et ses projets associatifs.

En 2023, l'Alliance a réalisé plus d'une centaine de rencontres échanges ou rendez-vous de suivi.

« Très bons échanges, la parole est ouverte, on a tous sa place au sein de l'Alliance. On se sent ensemble pour vaincre nos défis »

3.3. Aider les personnes désireuses de créer une association

Il est dans la vocation de l'Alliance maladies rares de soutenir les projets pertinents de création d'associations de maladies rares. Chaque année, plusieurs personnes sollicitent le collectif dans cette perspective. L'Alliance accompagne aussi de jeunes associations à faire leurs premiers pas dans le monde des maladies rares.

En 2023, une quarantaine d'accompagnements ont été faits en ce sens. Une trentaine de personnes ont pu bénéficier d'un appui de l'Alliance.

Au-delà de cette phase de création, les associations nouvellement créées peuvent rejoindre l'Alliance maladies rares et bénéficier de l'ensemble des temps d'information et de formation détaillés dans ce rapport d'activité. Toutefois, face aux défis et opportunités qui se présentent aux associations du paysage maladies rares et qui se conjuguent pour les nouvelles associations avec l'enjeu de la mise en œuvre des premières étapes de leur projet, il est désormais proposé aux jeunes associations qui rejoignent l'Alliance un accompagnement plus resserré afin qu'elles puissent acquérir plus facilement les fondamentaux qu'elles estiment nécessaires à la concrétisation de leur action au bénéfice des malades.

3.4. Accueillir les nouveaux membres

L'Alliance maladies rares a reçu une vingtaine de demandes d'adhésion et a eu le plaisir d'accueillir huit nouvelles associations au sein du collectif en 2023 :



Association MNT
Mon Poumon Mon Air



Neuro IFF France



Autisme Info Service



anhet.f

ANHETT



NMO France



Association Syndrome de Cowden



Association SCN8A France



Association Grandir

3.5. Participer aux événements des membres

Comme chaque année, l'Alliance a été sollicitée pour se joindre aux événements organisés par les associations du collectif (rencontres nationales, assemblées générales). Les participations sont toujours précieuses pour l'Alliance. Elles permettent notamment de prendre la mesure de la richesse des engagements qui fondent l'action associative pour les malades mais aussi de percevoir une partie des défis et des interrogations qui jalonnent les projets de nos membres.

3.6 : Renforcer l'accompagnement des associations sur les questions relatives au médicament

L'Alliance maladies rares a coordonné en 2023 ses cinq pharmaciens bénévoles qui mettent leurs compétences médicales et réglementaires au service des associations. Ces pharmaciens sont en exercice (exerçant en hôpital, en officine et au sein de structures publiques) ou à la retraite. Ils ont été recrutés en 2021 puis formés sur les spécificités de maladies rares (parcours de soins, acteurs, accès aux traitements...) et des médicaments orphelins.

Ils ont apporté un soutien méthodologique et scientifique à plusieurs associations sollicitées par la Haute Autorité de Santé pour contribuer à l'évaluation des médicaments. Ils ont aussi été à l'écoute des associations de l'Alliance sur des problématiques liées à l'accès aux traitements (remboursements, ruptures de stock, accès au marché, etc.) pour leur apporter des explications ou des solutions concrètes en lien avec leur Filière de santé maladies rares chargée à terme de répondre à ces sujets.

Les pharmaciens bénévoles ont rédigé plus de 30 fiches sur les traitements des maladies rares des associations membres de l'Alliance et vont poursuivre ce travail pour d'autres maladies rares afin d'alimenter les futurs observatoires des traitements des Filières de santé maladies rares.

PARTIE 3

Être un acteur référence de proximité

La dynamique régionale de l'Alliance maladies rares est essentielle pour les malades et les familles. Forte de son réseau de plus de 60 bénévoles en région, l'Alliance est en mesure d'apporter un soutien de proximité aux associations membres et de porter la voix des malades dans des instances de santé en région. Cette dynamique s'est fortement accrue en 2023.

1. Informer les malades et leurs associations en région

1.1 LES FORUMS REGIONAUX

En 2023, l'Alliance maladies rares a organisé **12 forums régionaux dans 12 villes différentes.**

Les forums régionaux sont des dispositifs de référence pour sensibiliser les associations, les familles et les malades isolés en région. Ces rendez-vous associatifs permettent à l'Alliance maladies rares :

- d'informer les malades, les associations de malades, les aidants et les personnes isolées/sans diagnostic
- le partage d'expérience
- de rompre l'isolement : créer du lien sur une région

- de créer une dynamique régionale associative
- de recruter des bénévoles pour renforcer les délégations régionales de l'Alliance maladies rares
- de coconstruire les futurs forums régionaux : en recueillant les avis des acteurs en région

Ces forums sont le rendez-vous incontournable en région et ils ont rencontré un vrai succès auprès de leurs participants et ont permis de favoriser le débat sur la prise en charge des maladies rares, et d'entendre toujours davantage les besoins des malades et des familles.

Ces rencontres permettent à l'Alliance d'identifier les points d'améliorations du système de prise en charge actuel et de contribuer ainsi à améliorer le parcours de vie des malades.

Plus de 800 personnes ont participé aux 12 forums régionaux maladies rares organisés partout en France sur l'année 2023.

+ 33% de participation aux forums régionaux en 2023, par rapport à 2022.



Les bénéfices des forums régionaux de l'Alliance maladies rares :

- Meilleure connaissance du système de prise en charge des maladies rares,
- Présentation complète du paysage maladies rares (filières de santé maladies rares, plateformes d'expertise maladies rares, centre de référence et de compétences maladies rares, ARS, etc.),
- Présentation des acteurs de la plateforme maladies rares,
- Véritable soutien moral pour les personnes isolées et sans appartenance associative (ex : pouvoir échanger librement, constater que les autres participants ont des problématiques similaires même si leur pathologie est différente),
- Création d'un lien fort entre les participants et les associations présentes,
- Echanges constructifs pendant les moments informels,
- Donner envie à certains participants de s'engager et de devenir bénévoles au sein d'une délégation régionale de l'Alliance maladies rares,
- Devenir des acteurs du collectif Alliance maladies rares.

Ces moments sont très importants pour créer du lien, apporter de l'écoute et fédérer un engouement sur les actions à mettre en place par l'Alliance maladies rares et ses délégations régionales.

2. Porter les intérêts des malades et des familles en région

En 2023, les délégations de l'Alliance restent présentes au sein des 19 plateformes d'expertises maladies rares et 4 Plateformes de coordinations d'Outre mer, contribuant à s'assurer que ces dispositifs se développent et trouvent leur place dans l'écosystème maladies rares. Fort de cette dynamique, les délégations de l'Alliance, avec la communauté maladies rares régionale, rencontrent les différentes Agences Régionales de Santé, pour que les maladies rares puissent aussi être priorisées en région.

2.1 L'ALLIANCE PRÉSENTE DANS LES 19 PLATEFORMES D'EXPERTISE MALADIES RARES (PEMR) ET LES 4 PLATEFORMES DE COORDINATION D'OUTRE-MER (PCOM)

En 2023, l'Alliance, via ses délégations régionales participe à la gouvernance et au développement des 19 nouvelles Plateformes d'expertise maladies rares lancées par le 3e PNMR.

Au sein de ces structures, l'Alliance cherche à développer de nouveaux outils pour les malades et leurs associations, elle veille à la bonne complémentarité des actions proposées par ces plateformes au regard des actions ou outils déjà identifiés au niveau national et s'assure aussi de la bonne utilisation de services nationaux existants comme MRIS ou Orphanet.

L'Alliance assure également des échanges réguliers avec les 4 plateformes de coordination d'OutreMer, de Guadeloupe, de la Réunion, de Guyane et Martinique.



2.2 L'ALLIANCE PRÉSENTE AU SEIN DE DIFFÉRENTES INSTANCES RÉGIONALES DE SANTÉ

La reconnaissance et la prise en compte des maladies rares dans les politiques régionales sont le résultat du travail des délégués régionaux.

Mandatés par l'Alliance dans les instances, commissions de santé et handicap ou groupes de travail mis en place par les agences régionales de santé, ils représentent et portent la voix des malades.

Les délégations sont aussi présentes dans les France Assos Santé régionaux.

3. Sensibiliser les professionnels de santé de premières lignes

Tout au long de l'année, les délégations de l'Alliance poursuivent leurs actions de sensibilisation et d'information auprès des professionnels et futurs professionnels qui sont ou seront confrontés un jour aux maladies rares, avec comme leitmotiv la culture du doute : « Et si c'était une maladie rare ? ».

Trop de malades sont encore confrontés à l'errance diagnostique, à des prises en charge inadéquates, ou sont en rupture de parcours.



4. Sensibiliser le grand public aux maladies rares en région

L'Alliance poursuit son travail de sensibilisation du grand public en région au travers notamment des actions régionales déployées lors de la JIMR 2023.

L'Alliance poursuit son travail de sensibilisation du grand public en région au travers notamment des actions régionales déployées lors de la JIMR en 2023. Les délégations ont partagé le film et diffusé de nombreux kits de communication aux professionnels de santé de première ligne.

Des interviews des bénévoles en région ont permis une valorisation de la Journée Internationale des Maladies Rares dans les médias.

5. Renforcer les délégations bénévoles de l'Alliance maladies rares

L'accompagnement et le renforcement des délégations régionales.

En 2023, l'Alliance est composée de plus de 60 bénévoles actifs sur 12 délégations régionales. 15 nouveaux bénévoles ont été accueillis en 2023. Les 3e et 4e éditions des Universités des bénévoles de l'Alliance maladies rares ont eu lieu en mars et en juin 2023.

Ces journées spécifiquement dédiées aux bénévoles mêlent ateliers et réunions d'information pour renforcer leurs compétences et permettent le partage d'expériences. A chaque édition, une trentaine de bénévoles viennent se former et échanger ; les retours sont très positifs avec des liens inter-régions de plus en plus forts et un sentiment d'appartenance au groupe qui s'est développé.

En 2023, plusieurs réunions de travail, par délégation régionale se sont tenues en visioconférence pour présenter et détailler les missions des bénévoles sur les actions de l'Alliance maladies rares. Des réunions collectives ont été organisées pour présenter les actions de l'année : Journée Internationale des Maladies Rares de février et marche des maladies rares de décembre 2023.

Enfin deux commissions régions se sont tenues en 2023 : une première réunion en avril afin de faire le bilan de l'année 2022 et présenter les forums régionaux 2023 puis une seconde réunion en juillet, pour présenter les actions sur la fin de l'année et faire le point sur les bénévoles des différentes délégations régionales.

6. Poursuivre et renforcer l'autonomie en santé en région via la pair-aidance : le projet Compagnons maladies rares

Poursuivre et renforcer l'autonomie en santé en région via la pair-aidance : le projet Compagnons maladies rares

Le contexte de l'expérimentation «Compagnons maladies rares »

A travers l'article 92 de la loi de modernisation de notre système de santé de janvier 2016, le ministère des Affaires sociales et de la Santé a lancé un appel à projet dédié à l'accompagnement des personnes malades, en situation de handicap ou à risque de développer une maladie chronique, sur le plan administratif, sanitaire et social pour gagner en autonomie.

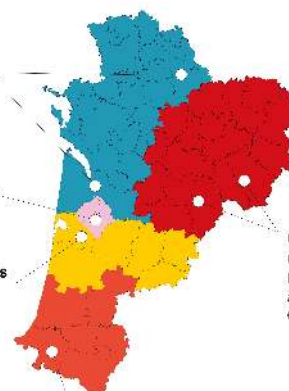
Ces expérimentations s'adressent principalement aux associations d'usagers ou aux autres structures, susceptibles de mettre en œuvre des projets pilotes d'accompagnement à l'autonomie en santé. Les maladies rares entraînent une multitude de difficultés médicales et sociales pouvant aboutir à un isolement et à une véritable détresse. Face à la rareté de l'expertise médicale, aux difficultés d'ouverture de leurs droits, à la stigmatisation liée à l'expression de la maladie, les patients et leurs familles peuvent avoir l'impression de se trouver au pied d'une montagne impossible à gravir. Pour beaucoup, un accompagnement pouvant les conforter dans leur capacité d'agir, d'opérer leurs propres choix est nécessaire; il s'agit d'établir les conditions leur permettant d'être plus autonomes dans leur parcours de vie ou celui de leur proche malade.

Où trouver son compagnon ?

Charente Maritime,
Charente, Deux-Sèvres,
Nord Gironde, Vienne
Boisset Emilie
e.boisset@maladiesrares.org
07 88 67 14 49

Bordeaux Métropole
Jeannot Sylvie
s.jeannot@maladiesrares.org
06 70 52 27 35

Lot-et-Garonne, Nord des
Landes, Sud Gironde
Menaull Fabienne
f.menaull@maladiesrares.org
07 88 67 14 20



Corrèze, Haute-Vienne,
Creuse, Dordogne
Iemfre Aline
a.iemfre@maladiesrares.org
07 88 67 82 43

Pyrénées-Atlantiques, Sud et Est des Landes
Del-Saz Laëtitia
l.del-saz@maladiesrares.org
06 70 55 37 21

Un projet expérimental sur cinq ans en Nouvelle-Aquitaine : les Compagnons maladies rares

Ce projet a pour objet de tester un accompagnement basé sur la pair-aidance, c'est-à-dire quelqu'un ayant une connaissance empirique des difficultés rencontrées par la personne à accompagner directement (en tant que malade) ou indirectement (en tant qu'aidant de personne malade) et formé à l'accompagnement. Suite à une sollicitation, les Compagnons maladies rares sont en mesure d'orienter, selon la nature de la demande, vers des dispositifs adéquats (association de la maladie rare concernée, Maladies Rares Info Services...). Si la demande requiert un accompagnement dans la durée, les compagnons interviennent avec pour objectif d'accompagner vers l'autonomie des personnes et non de coordonner des professionnels. Ils doivent d'abord évaluer la situation, les capacités d'agir, analyser les différents ressorts qui contraignent les individus dans leur autonomie décisionnelle. En lien avec eux, ils proposent un plan d'accompagnement et le mettent en œuvre, toujours dans une dynamique d'alliance avec le malade et sa famille.

Le projet a été évalué positivement par la plateforme Cassiopée de l'Université de Bordeaux fin 2021, évaluation qui participera à l'évaluation nationale de tous les projets retenus par le Ministère de la santé.

Quels bénéfices ont été démontrés ?

À l'heure actuelle, **200 personnes ont contacté un compagnon et une centaine de personnes ont bénéficié d'un accompagnement.** L'évaluation du projet a démontré que l'accompagnement prodigué par les Compagnons apportait la prise en considération du vécu des malades, le soutien moral et l'accès aux ressources adaptées. Cette écoute est essentielle pour la confiance en soi et permet aux personnes accompagnées de lever progressivement un certain nombre de freins et de difficultés rencontrées et in fine de renouer avec le système de prise en charge avec la possibilité de se projeter dans un nouvel avenir de vie.

Sur les sept compagnons recrutés initialement, cinq sont actuellement en poste. Pour rappel, l'expérimentation devait prendre fin en décembre 2021, l'ARS Nouvelle-Aquitaine, très engagée dans ce projet, a décidé d'apporter un soutien supplémentaire afin de prolonger le projet jusqu'au moins décembre 2024.



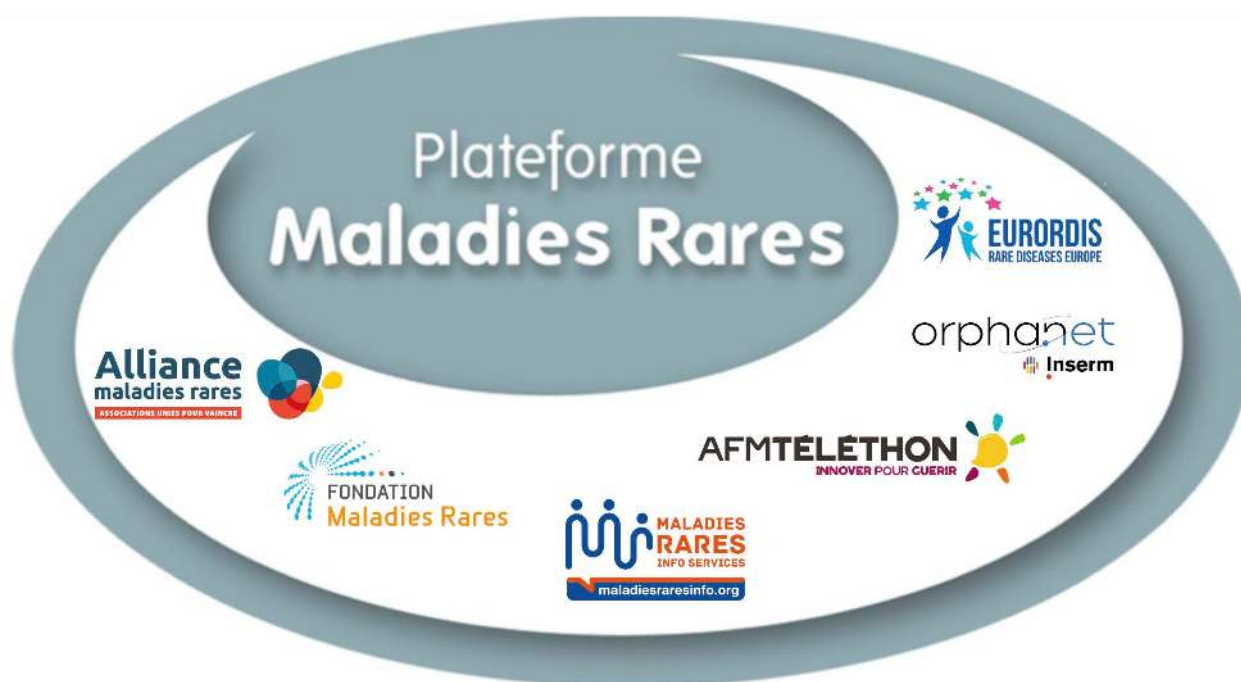
Faire bouger les lignes avec la Plateforme Maladies Rares

L'Alliance contribue aussi à la dynamique nationale portée par la Plateforme maladies rares.

Une occasion cette année, lors de la traditionnelle conférence de presse, de valoriser notre système de prise en charge maladies rares et de rappeler un nécessaire 4^e PNMR.

L'Alliance et ses élus sont également toujours aussi investis et assidus pour contribuer au Conseil d'administration de Maladies Rares Info Services et de la Fondation maladies rares, ainsi que dans les instances de décision d'Eurordis (Conseil National des Alliances), du Généthon et d'Orphanet. A noter que la présidente de l'Alliance maladies rares, Hélène Berrué-Gaillard a été élue cette année présidente de Maladies Rares Info Services. Elle succède à Marie-Pierre Bichet.

L'Alliance, qui a un rôle majeur au sein de cette Plateforme, est en interaction avec chacun de ses acteurs. Plus de douze représentants de l'Alliance œuvrent au quotidien pour son bon fonctionnement et pour favoriser les synergies au sein de cette Plateforme Maladies Rares.



La Plateforme maladies rares, le symbole d'unité

La Plateforme Maladies Rares, créée en 2001 et financée par l'AFM-Téléthon, a été déterminante pour l'émergence et la reconnaissance des maladies rares en France. Chaque jour, elle démontre que, dans les maladies rares, il faut faire converger les expertises et chercher sans cesse à penser dans l'intérêt des malades.

À la suite du 3e PNMR, l'émergence de nouveaux acteurs (plateformes d'expertise maladies rares), et le renforcement du rôle des filières, rendent nécessaire et urgent de s'assurer que toutes ces forces convergent dans la même direction, pour le bien des malades et de leurs familles.

Pour l'Alliance, la plateforme doit contribuer à ces « révolutions » et jouer tout son rôle dans cette nécessaire coordination des acteurs promus dans le cadre du 3e PNMR. Elle doit chercher, sans relâche, à partager et à tirer profit de son expérience de plus de vingt ans de combat contre les maladies rares.



Maladies Rares Info Services (MRIS)

Maladies Rares Info Services est un maillon essentiel d'écoute et de soutien auquel l'Alliance est très attachée. Au-delà de l'investissement important des sept représentants de l'Alliance au sein du conseil d'administration de MRIS, l'Alliance a veillé, tout au long de l'année, à promouvoir et à relayer le nouveau numéro vert de MRIS lors de la campagne de la JIMR, de conférences et de réunions en région et à l'occasion d'événements d'information et de formation pour les associations.

MRIS a notamment été invité à contribuer aux universités d'automne de l'Alliance, aux forums en région et à différentes réunions de travail.



L'Alliance participe au comité de rédaction et de relecture d'Orphanet qui permet de mettre notamment à jour le cahier « Vivre avec une maladie rare en France : aides et prestations », disponible sur son site web. Orphanet a également participé à différents outils de l'Alliance web conférences, Universités d'Automne, Congrès).



La Fondation maladies rares

L'Alliance maladies rares a été présente à l'ensemble des conseils d'administration et conseils scientifiques de la Fondation maladies rares.

L'Alliance a également participé au processus de sélection des projets en sciences humaines et sociales portés par la Fondation maladies rares, projets fondamentaux pour cette cause. Au quotidien, l'Alliance contribue au renforcement du lien avec la responsable association au sein de la Fondation maladies rares, le Dr Laura BENKEMOUN, pour développer de nouveaux outils au profit des associations.

La Fondation maladies rares a participé à différents outils de l'Alliance (web conférences, Universités d'Automne, Congrès).



Eurordis

L'Alliance était présente à l'événement phare annuel organisé par Eurordis : la Conférence européenne qui s'est déroulée en mai 2023. A cette occasion, l'Alliance a notamment participé à l'assemblée générale d'Eurordis et à l'élection des nouveaux membres de son conseil d'administration. Des conférences et des ateliers de travail sur de grandes problématiques des maladies rares à l'échelle européenne (médicaments, réseaux européens de référence, questions sociales, etc.) ont réuni plusieurs centaines de participants et ont permis d'enrichir les personnes présentes.

L'Alliance a par ailleurs participé en 2023 aux réunions du Conseil des Alliances nationales (CNA) qui se sont tenues en visioconférence. L'Alliance maladies rares a également participé à l'assemblée de RDI.

L'Alliance maladies rares a porté avec Eurordis le projet RARE 2030 afin de défendre une politique européenne ambitieuse sur les maladies rares.



AFM-Téléthon

L'Alliance collabore toujours avec force avec l'AFM-Téléthon. Outre l'organisation de la Marche des maladies rares organisée dans le cadre du Téléthon, l'Alliance participe au Généthon, créé en 1990 par l'Association française contre les myopathies.

Généthon est dédié à la conception et au développement préclinique et clinique de médicaments de thérapie génique pour les maladies rares, avec pour objectif de mettre à la disposition des malades des traitements innovants.

Généthon développe en particulier des thérapies pour les maladies rares neuromusculaires, du système immunitaire, du sang, du foie et de la vision.

La mission de Généthon est de développer des thérapies géniques pour des maladies génétiques rares.

Afin de transformer les résultats de la recherche en traitements de thérapie génique pour les patients, Généthon a mis en place une organisation intégrée de recherche et développement, combinant excellence interne et collaborations internationales de haut niveau.



Accroître la visibilité des combats

Tout au long de l'année, l'Alliance maladies rares communique ses prises de position, valorise ses événements pour promouvoir ses actions, affirmer son identité et engager ses publics dans une dynamique au service des combats de l'Alliance.

En 2023, l'Alliance a fortement développé sa communauté sur les différents réseaux sociaux.

16 vidéos ont été réalisées en 2023 pour valoriser la JIMR, le 4e congrès de l'Alliance, les universités d'automne, et la marche des maladies rares.

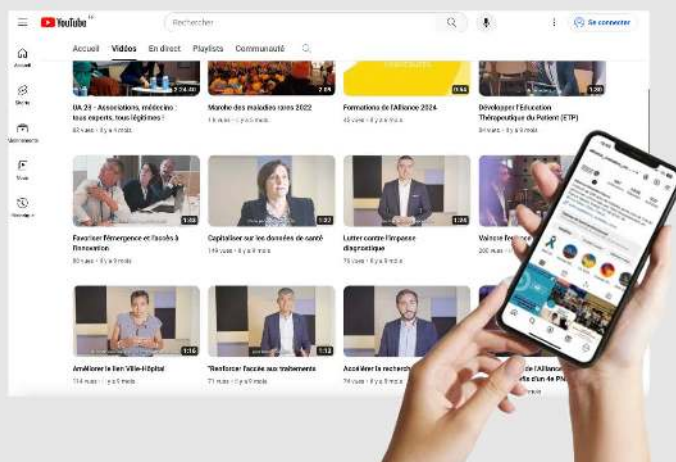
40 Flash Info de l'Alliance ont été adressés en 2023 aux Présidents et représentants des associations membres de l'Alliance maladies rares.

Sur les réseaux sociaux, la diversité des rendez-vous proposés et des contenus ont permis d'augmenter les communautés de l'Alliance.

Le nombre d'interactions à nos posts a été en moyenne doublé par rapport à 2022.

Le post qui a généré le plus d'engagement sur Meta a reçu 2400 interactions.

Valoriser notre identité, nos actions, nos résultats et promouvoir la « culture » Alliance



+18% d'abonnés sur Instagram



+6% d'abonnés sur Facebook



+35% d'abonnés sur LinkedIn

PARTIE 6

Des moyens pour évoluer

Événements et partenariats

Tout au long de l'année, les partenaires de l'Alliance maladies rares se sont mobilisés pour soutenir ses actions

Nos partenaires globaux : l'AFM-Téléthon et la Fondation Groupama pour la santé qui ont contribué à la réalisation de l'ensemble de nos activités.



Les soutiens sur les actions ciblées

sanofi Congrès, Forums, Formations, Universités d'automne et JIMR



Congrès, Universités d'automne et JIMR



Congrès et JIMR



Congrès



Forums, Universités d'automne, Formations



Compagnons maladies rares



Formations

Autres partenaires



Forums régionaux

L'Alliance maladies rares remercie l'ensemble de ses donateurs, réguliers et ponctuels, ainsi que ses partenaires pour leur soutien et leur engagement à ses côtés.

Éléments financiers 2023

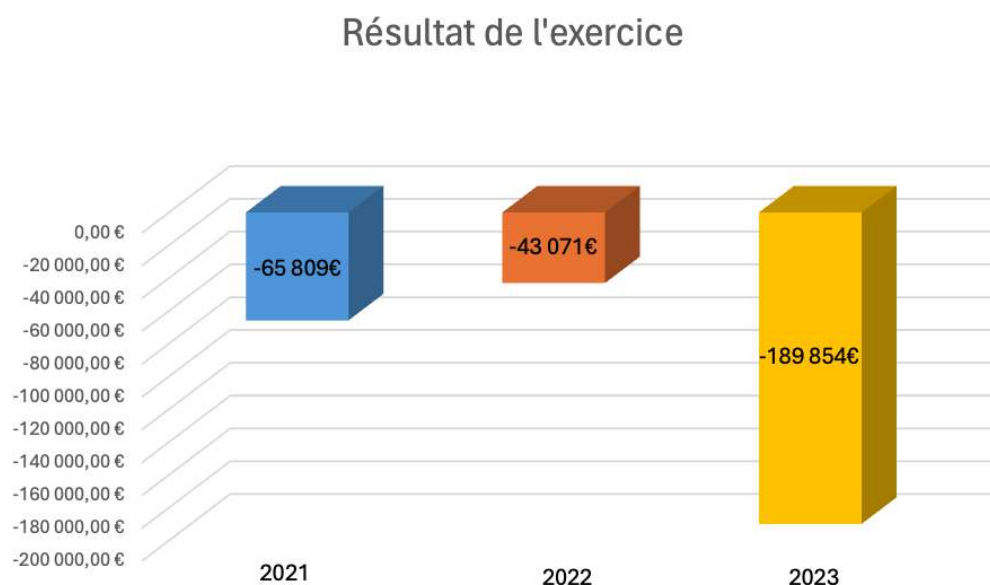
Évolution des fonds propres (en euros)

ÉLÉMENTS	2021	2022	2023
FONDS ASSOCIATIFS	168 314	168 314	168 314
REPORT À NOUVEAU	768 357	702 549	659 477
RÉSULTAT DE L'EXERCICE	- 65 809	- 43 071	- 189 853
SUBVENTION D'ÉQUIPEMENT	9 200	9 200	-
FONDS PROPRES	880 062	836 992	637 938

Le résultat déficitaire fait baisser les fonds propres en 2023. Toutefois, ils couvrent l'ensemble de l'actif immobilisé permettant ainsi d'assurer l'autonomie financière et la solvabilité de l'Alliance maladies rares.

Les fonds propres sont positifs de 637 938 € et il n'y a plus de fonds dédiés (ARS).

Évolution du résultat comptable de 2021 à 2023



Le résultat net comptable est déficitaire en 2023.

Détail des produits d'exploitation

Les subventions sont de 247 200€ contre 239 308 € en 2022 soit une augmentation de 3%.
Les financeurs sont l'AFM pour 550 000 €, l'ARS pour 130k€ et le FDVA pour 3 200 € et la subvention d'Etat (DGS) de 70 000 €.

Détail des charges d'exploitation

Cette année, l'association a augmenté les frais d'hôtels et de déplacements « organisations des événements en présentiel » de 36k €.

Les frais de réception-buffet-cocktail ont également augmenté de 10k €.

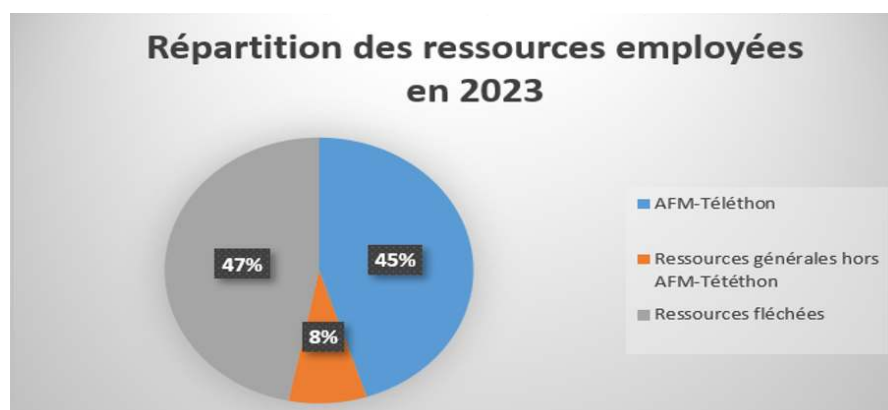
Les impôts et taxes ont faiblement augmenté de 3 274 €, les salaires de 19k€ et les charges sociales de 12k€.

Répartition des emplois en euros

La quasi-totalité des ressources (issues de la générosité du public ou non) est employée à la réalisation des missions sociales de l'Alliance maladies rares définies par le plan stratégique 2020-2025.



Répartition des ressources employées en 2023



Répartition des missions sociales en 2023

Elles se répartissent en 4 axes :

- axe 1

Etre la voix référence des malades et des familles

- axe

Etre une force d'empowerment référence des associations

- axe 3

Etre un acteur référence en proximité

- axe 4

Etre un partenaire référence

Répartition des missions sociales par axe en euros



Notre fonctionnement

1. La vie des instances

L'Alliance a tenu son assemblée plénière le 4 juin en présence de plus de 130 associations membres.

À cette occasion, les élus de l'Alliance ont présenté le rapport d'activité et les perspectives de l'Alliance. Comme chaque année, un renouvellement par tiers du Conseil national de l'Alliance a eu lieu.

À l'occasion de cette journée, l'Alliance maladies rares a également présenté son rapport d'activité 2022 à l'ensemble des membres et dessiner les perspectives de travail ambitieuses au service des malades et des associations pour les mois à venir, et pour lesquelles, le collectif aura besoin de l'en-semble de ses forces vives.

Composition du conseil national

ASSOCIATION	MEMBRE	FONCTION
Association Maladies Foie Enfants (AMFE)	Hélène Bernès-Galland	Présidente
Association Française du Syndrome de Klippel-Feil	Cécile Foujols-Gausson	Vice-présidente
Association Française contre les Neuropathies Périphériques	Jean-Philippe Plançon	Vice-président
Ligue nationale contre le Cancer	Xavier Brouatin	Trésorier
Association Ouvrir les Yeux	Maryse Leduc-Roger	Secrétaire
Association Fragile X France	Gilles Brabant	Administrateur
AFM-Téléthon	Jean-François MATELLE	Administrateur
Association Francophone des Glycosés	Florence Barthe-Vidal	
Association française des syndromes d'Ellers-Danlos	Zakir Bezhde	
Association Française de la Maladie de Fanconi	Marie-France Richet	
Association des malades souffrant d'angio-œdème héréditaire ou bradykinique	Michel Ragot	
Association Un défi de taille	Anne-Claire Leduc	
Association Syndrome Moebius France	Paul-Alexandre de Haet	
Association Française contre l'Amylose	Agnès Ramus	
Association du Syndrome de Lowe	Philippe Terrier	
Association Apaiser S&C	Mado Glanton	
Association des Sclérodermiques de France	Charlène Dersch	
Association AFA Crohn	Aïda Olympie	
Association CMT France	Alexandre Hoyau	
Association HTAP France	Maggie Serre	
Association Française du Syndrome Gilles de la Tourette	Aurélien Davoine	



2. Travaux du bureau et du Conseil national de l'Alliance

Le bureau s'est réuni 11 fois en 2023 et le Conseil national a rassemblé ses conseillers à 4 reprises. Des formations ont été réalisées pour tous les nouveaux conseillers nationaux.

Composition du bureau



3. Les commissions et les groupes de travail

En 2023, l'Alliance s'est concentrée sur de nombreuses auditions de ses associations membres et analyses de contributions volontaires de ses associations membres (contributions maladiesrares.org). Fort de ce succès, l'Alliance se donne pour ambition pour l'année 2024 de poursuivre ces échanges réguliers avec l'ensemble de ses membres.

L'Alliance a aussi poursuivi ses travaux avec les réunions associatives InterFilières composées des associations membres des gouvernances des Filières qui agissent en première ligne sur les décisions et projets des 23 filières de santé maladies rares.

De manière plus opérationnelle, l'Alliance s'est appuyée en 2023 sur :

- **Une commission adhésion,**
- **Un groupe communication,** afin de préciser la stratégie de communication de l'Alliance, en lien avec le plan stratégique de l'Alliance maladies rares proposé par le Conseil national sur 2020-2025,
- **Un groupe vie associative,** permettant de suivre les outils clés comme les Universités d'automne, les ateliers présidents ou les différents RDV Web proposés de manière plus régulière aux associations membres,
- **Une commission région,** afin de suivre et développer les nouvelles journées régionales des associations et des familles (douze journées programmées pour 2023), et le renforcement de l'Alliance pour la JIMR de 2023.

4. Équipe permanente

L'équipe de l'Alliance est composée de 11 salariés au siège et de 5 autres dans le cadre du projet Compagnons.

 Paul GIMENÈS Directeur général pgimenes@maladiesrares.org	 Aly BANGOURA Responsable administration finances abangoura@maladiesrares.org	
 Hélène THIOLLET Responsable des affaires médicales hthiollet@maladiesrares.org	 Isabelle HUET SALVETAT Responsable médicaments ihuetsalvetat@maladiesrares.org	 Clément PIMOUGUET Responsable scientifique cpimouguet@maladiesrares.org
 Fanny CLAVIER Responsable animation du réseau fclavier@maladiesrares.org	 Julien SCHOEVAERT Responsable formations jschoevaert@maladiesrares.org	 Valérie FOULON Responsable communication vfoulon@maladiesrares.org
 Manuela NEVES Chargée d'appui aux actions régionales mneves@maladiesrares.org	 Laura BENDAVID Responsable actions régionales lbendavid@maladiesrares.org	 Mathilde LEBRUN Chargée de Communication miebrun@maladiesrares.org

L'équipe de l'Alliance maladies rares - Compagnons Bordeaux

 Clément PIMOUGUET Chargé de projet cpimouguet@maladiesrares.org	 Aline IEMFRE Compagnon Maladies Rares a.iemfre@maladiesrares.org	 Fabienne MENAULT Compagnon Maladies Rares f.menault@maladiesrares.org
 Sylvie JEANNOT Compagnon Maladies Rares s.jeannot@maladiesrares.org	 Laëtitia DEL-SAZ Compagnon Maladies Rares l.del-saz@maladiesrares.org	 Emilie BOISSET Compagnon Maladies Rares e.boisset@maladiesrares.org

Annexe 1

Les représentations 2023 de l'Alliance maladies rares dans les instances de santé publique

Maladies rares

ORGANISME	INSTANCES
Ministère de la Santé	Comité stratégique Comité opérationnel Comité de pilotage des filières de santé maladies rares Comité de suivi de labellisation des centres de référence
Banque nationale de données maladies rares	Comité de pilotage Comité scientifique
Comité national du dépistage néonatal	
Les entreprises du médicament	Les entreprises du médicament
Fondations maladies rares	Conseil d'administration Conseil scientifique Appel à projet en sciences humaines et sociales
Généthon	Conseil d'administration
Maladies Rares Info Services	Conseil d'administration
Eurordis	Conseil des alliances nationales

Santé

ORGANISME	INSTANCES
L'agence nationale de sécurité du médicament L'ANSM a pour mission d'offrir un accès équitable à l'innovation pour tous les patients ; garantir la sécurité des produits de santé tout au long de leur cycle de vie, depuis les essais initiaux jusqu'à la surveillance après autorisation de mise sur le marché.	Conseil d'administration Comité de déontologie
L'agence de biomédecine L'agence exerce ses missions dans quatre domaines : le prélèvement et la greffe, la procréation, l'embryologie et la génétique humaines. C'est l'autorité de référence sur les aspects médicaux, scientifiques, juridiques et éthiques liés à ces questions.	Conseil d'orientation
Institut national de la santé et de la recherche médicale L'INSERM a la responsabilité d'assurer la coordination stratégique, scientifique et opérationnelle de la recherche biomédicale.	Groupe de réflexion avec les associations de malades Comité éthique (évaluation) Comité pédiatrie
France Assos Santé	Conseil d'administration Commission réseau

Annexe 1 - suite

Les représentations 2023 de l'Alliance maladies rares dans les instances de santé publique

Handicap

ORGANISME	INSTANCES
Le Conseil national consultatif des personnes handicapées Le conseil assure la participation des personnes handicapées à l'élaboration et à la mise en œuvre des politiques les concernant, veille aux bonnes conditions d'exercice de la fonction de coordination des conseils départementaux consultatifs des personnes handicapées et évalue la situation matérielle, morale et financière des personnes handicapées.	Le Conseil national consultatif des personnes handicapées
Le Collectif Handicaps permet aux 47 associations membres de défendre les intérêts des malades dans les politiques publiques du handicap et constitue un interlocuteur privilégié de l'État.	Le Collectif Handicaps

NOTES

This image shows a full page of primary-ruled paper. It features 20 evenly spaced horizontal blue dotted lines across the entire page, providing a guide for handwriting practice. The background is white, and there are no margins or other markings present.

Rapport d'activité 2023

À PROPOS DE L'ALLIANCE MALADIES RARES

Collectif de plus de 240 associations de personnes concernées par les maladies rares. Créée 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.

Alliance maladies rares
Plateforme Maladies Rares

96 rue Didot 75014 Paris
Tel : 01 56 53 53 47

Twitter : @AllianceMR
Facebook : AllianceMaladiesRares

| abangoura@maladiesrares.org
www.alliance-maladies-rares.org

LinkedIn : alliance-maladies-rares
Instagram : alliance_maladies_rares

Alliance
maladies rares
ASSOCIATIONS UNIES POUR VAINCRE

