

**DISCOURS DE
Madame Agnès BUZYN
Ministre des solidarités et de la santé**

- - -

**Cinquièmes rencontres des maladies rares
Cité des Sciences et de l'Industrie**

- - -

Lundi 20 novembre 2017

Monsieur le président de la Fondation maladies rares, cher Daniel Scherman,

Monsieur le président d'Eurobiomed, cher Xavier Tabary,

Mesdames, messieurs les professionnels de santé,

Chers confrères,

Mesdames, Messieurs,

Je remercie la Fondation maladies rares et Eurobiomed de m'avoir invitée à ouvrir cette 5^{ème} édition des rencontres des maladies rares.

Je suis heureuse d'être ici, parmi vous, parce que je sais la richesse, la pertinence de vos idées, de vos analyses.

Vous avez à cœur de promouvoir une politique de santé et de recherche ambitieuse, pour notre pays – et ce au service des personnes atteintes de maladies rares.

- Non seulement vos rencontres développent les partenariats entre les acteurs des maladies rares :
 - o je pense aux associations de malades, aux professionnels de santé et de recherche, aux pouvoirs publics, aux laboratoires pharmaceutiques, ainsi qu'aux industriels,

- mais elles sont aussi très originales, par leur approche de terrain et par leurs aspects opérationnels, orientés vers les entreprises et vers le partenariat public-privé.

D'aucuns, trop souvent, ont **tendance à oublier les maladies rares**, sous prétexte qu'elles atteignent moins d'1 personne sur 2000.

Pourtant, on dénombre plus de 6 000 maladies rares, ce qui fait, tout compte fait, beaucoup de combats solitaires contre la maladie.

- Aussi ces maladies touchent-elles plus de 3 millions de nos concitoyens.

Je fais donc de cet enjeu majeur une priorité, en tant que ministre de la santé, mais peut-être avant tout, en tant que ministre des **solidarités**.

1. Je m'engage à porter une politique volontariste, forte de la mobilisation des professionnels de santé, des chercheurs, ainsi que des associations de personnes malades.

1.1. Le premier problème que posent les maladies rares, c'est sans doute ce sentiment d'errance, que suscitent la difficulté, et, pour plus de la moitié des malades, l'impossibilité, de poser un diagnostic précis.

Ce qui doit nous rassurer, cependant, c'est que les **deux plans nationaux** ont déjà permis de mieux organiser la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares.

Plusieurs opportunités se font jour :

- pour faire reculer l'errance diagnostique,
- et pour positionner la France en tête de l'organisation des soins et de la recherche en Europe.

Je pense, en particulier :

- au contexte actuel du développement des techniques de diagnostic moléculaire ;
- à l'adoption du plan France Médecine Génomique 2025 (PFMG),
- ainsi qu'à la mise en place du programme européen de recherche pour les maladies rares (EJP) coordonné par la France.

1.2. Cela étant, quand bien même le diagnostic serait posé, les solutions thérapeutiques n'existent pas toujours.

En conséquence :

- un **suivi médical et social**, au long cours, est nécessaire pour ces maladies chroniques, qui touchent en majorité des enfants – souvent déjà lourdement handicapés.
 - Or, ce suivi nécessite la coordination des secteurs sanitaire, médico-social et scolaire.
- Quant au développement de **l'innovation** dans les domaines du diagnostic et de la thérapeutique,
 - il suppose un partenariat public/privé entre les communautés médicale, scientifique et industrielle.

En parallèle, des actions concrètes sont sur le point de naître, grâce au travail important réalisé par plusieurs **groupes de travail**.

- Je tiens à saluer cette action de co-construction, qui a mobilisé plus de 160 personnes, venues d'horizons différents.

Par ailleurs, afin de consolider la structuration des réseaux de prise en charge des malades, j'ai le plaisir de vous annoncer que le processus de **labellisation** 2017-2022 réalisé cette année est à ce jour achevé.

- Pour les 23 filières maladies rares : 109 réseaux sont constitués, identifiant 387 centres de référence et 1845 centres de compétence.
- Ces **centres de prise en charge**, de coordination, d'expertise, de recherche, de formation, d'enseignement et de lien avec l'industrie et les associations, sont fondamentaux.

2. Ils constituent le socle opérationnel du futur 3ème Plan National Maladies Rares (PNMR).

2.1. En ce sens, 4 groupes de travail, pluridisciplinaires, sont mis en place depuis novembre 2016.

Ils ont pour mission :

- de rendre les parcours de santé plus efficaces, plus lisibles, en plaçant le patient au centre du dispositif ;
- d'assurer le passage du diagnostic à la médecine individualisée ;
- d'innover pour traiter les maladies rares ;
- et de mieux **former**, de mieux **informer**, ce qui nécessite d'améliorer la **santé numérique**.

Je félicite les groupes pour avoir su travailler dans le cadre d'une **consultation la plus large possible** d'acteurs, issus des communautés scientifique, médicale, industrielle, et de la société civile.

2.2. Le rapport présenté le 24 octobre dernier préfigure le futur plan, intitulé, je cite : « Partager l'innovation, un diagnostic et un traitement pour tous ».

Il s'articule autour de trois ambitions :

- Un diagnostic rapide pour chacun ;
- Une meilleure innovation pour un traitement de qualité ;
- Une amélioration de la qualité de vie et du parcours des malades.

Pour ce faire, il conviendra de mieux former, de mieux communiquer, et de moderniser nos organisations et nos financements.

2.3. Précisément, je veille à ce que ce futur plan soit conforme :

- aux orientations de la **stratégie nationale de santé** (SNS), dont j'ai lancé les travaux le 18 septembre dernier.
 - Le premier axe, celui de la **prévention**, comporte une rubrique qui mérite toute notre attention, je la cite :
 - *« Mobiliser les outils de prévention du système de santé / Développer une politique de repérage, de dépistage, et de prise en charge précoces des pathologies chroniques ».*
 - Par ailleurs, j'aurai également en vue l'adéquation du 3^e plan avec les 3 autres axes, à savoir :
 - l'égalité d'accès sociale et territoriale aux soins ;
 - une meilleure qualité et pertinence des soins, pour une meilleure sécurité du patient ;
 - et une meilleure innovation, qu'elle soit technologique, organisationnelle, ou numérique.

En parallèle, le futur plan devra prendre en compte les politiques de santé publique en cours. Je pense :

- au plan cancer 3 ;
- au plan France Médecine Génomique 2025 que j'ai mentionné (PFMG) ;
- ainsi qu'à la Stratégie nationale e-Santé 2020.

Enfin, il faudra tenir compte :

- des enjeux internationaux autour des maladies rares ;
- tout comme des nouveaux objectifs du Consortium international pour la recherche sur les maladies rares (IRDiRC) ;
- de la structuration en Réseaux européens de référence (ERN) ;
- ainsi que du futur programme européen de recherche pour les maladies rares, que j'ai mentionné (EJP).

A cet égard, j'ai toute confiance dans le prochain comité de suivi, prévu pour début 2018.

- - -

Mesdames, Messieurs,

Victor Hugo résumait sa vie en deux mots : « *solitaire et solidaire* ». Peut-être est-ce là le secret de tout combat, secret qui doit guider notre action.

- Nous savons qu'au fond, toute lutte pour la vie se fait dans la solitude – ô combien présente à l'esprit des personnes atteintes de maladies rares.

- Pourtant, cette solitude n'aspire qu'à une chose : trouver dans ses proches, son praticien, ses concitoyens, le regard bienveillant, qui rende enfin à chaque vie la dignité qu'elle mérite.

Nous avançons :

- vers un système de santé plus équitable et performant,
- vers plus de connaissances pour la prise de décision en santé,
- vers des procédés toujours plus innovants au service des besoins non satisfaits,
- et vers une meilleure qualité de vie pour les malades, pour leur famille.

Je ne doute pas que nos efforts, pour répondre aux enjeux de demain, soient couronnés de succès.

Je vous remercie.