



**MINISTÈRE
DES SOLIDARITÉS
ET DE LA SANTÉ**

*Liberté
Égalité
Fraternité*



fimarad

Filière Santé Maladies Rares
Dermatologiques

FIMARAD

***L'observatoire des traitements
Un enjeu majeur du PNMR3***

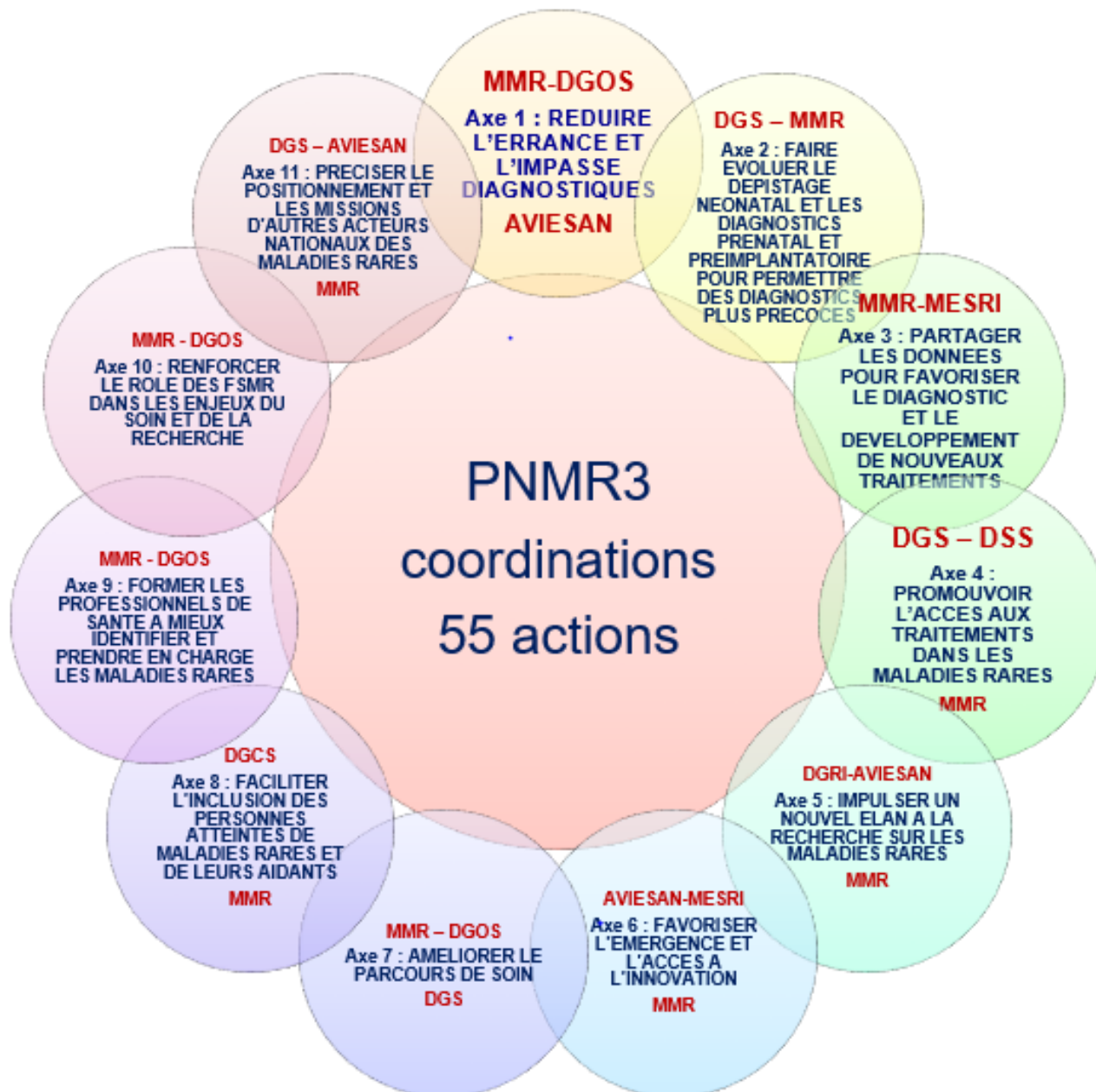
Partager l'innovation, un diagnostic et un traitement pour chacun

5 ambitions

- Permettre un diagnostic rapide pour chacun ;
- Innover pour traiter ;
- Améliorer la qualité de vie et l'autonomie des personnes malades ;
- Communiquer et former ;
- Moderniser les organisations et optimiser les financements.



- Réduire l'**errance et l'impasse** diagnostiques ;
- Faire évoluer le dépistage néonatal et le diagnostic prénatal et préimplantatoire pour permettre des **diagnostics plus précoces** ;
- **Partager les données** pour favoriser le diagnostic et le développement de nouveaux traitements ;
- Promouvoir l'**accès aux traitements** dans les maladies rares ;
- Impulser un nouvel élan à la **recherche** sur les maladies rares ;
- Favoriser l'émergence de l'**innovation** et son transfert ;
- Améliorer le **parcours de soins** ;
- Permettre une **société inclusive** des personnes atteintes de maladies rares et de leurs aidants ;
- **Former les professionnels de santé** à mieux identifier et prendre en charge les maladies rares ;
- Renforcer le rôle des **filières de santé** sur les enjeux du soin et la recherche ;
- Préciser le positionnement et les missions d'autres **acteurs nationaux** des maladies rares.



AXE N°4 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENT DANS LES MALADIES RARES

- La création d'un observatoire des traitements au sein de 16 FSMR sur 23 a permis la mise en place de réseaux en terme de recherche clinique.
- Pour avoir une bonne visibilité du travail réalisé, des rapports sont publiés et accessibles sur les sites des FSMR.
- Pour une FSMR, la création de ce réseau qui rassemble l'ensemble de ses CRMR et CRC a pour but :
 - de soutenir les projets de recherche académique
 - de promouvoir les essais thérapeutiques
 - De les évaluer, tout en assurant des liens resserrés avec un consortium de recherche clinique européen.

Commentaire mission maladies rares :

Enjeux soulignés le 12 novembre 2020 au COMOP du PNMR3 : garder une articulation avec la BNDMR pour un recueil des traitements + le lien avec les registres existants.

OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>1. Favoriser un accès rapide aux innovations thérapeutiques</p>	<p>Optimiser l'accès procédures d'enregistrement le traitement des maladies rares</p>	<p>Saisir la HAS pour dresser un état des lieux sur le recours, dans le médicaments orphelins et des médicaments utilisés dans le cadre des maladies rares, aux dispositifs existants (les consultations précoces et procédures d'évaluation anticipée)</p> <ul style="list-style-type: none"> • Fait : état des lieux en cours d'élaboration • A faire : établir et mettre en place des propositions
<p>2. Renforcer la connaissance en vie réelle des médicaments orphelins</p>	<p>Mettre en place une organisation nationale de suivi en vie réelle des médicaments</p>	<p>Créer une instance de coordination stratégique entre institutions publiques sur les projets visant à accroître les connaissances sur les médicaments en vie réelle et faire de la thématique des maladies rares / médicaments orphelins un domaine prioritaire</p> <ul style="list-style-type: none"> • Fait : état des lieux élaborés (bilan sur les études en vie réelle, les référentiels et la place des maladies rares) • A faire : format du GT à définir avec pour objectif un lancement GT 2021
	<p>Etablir des guides méthodologiques sur les études en vie réelle portant sur les médicaments / maladies rares</p>	<p>Etablir des référentiels méthodologiques pour la réalisation d'étude en vie réelle des médicaments spécifiques aux problématiques des maladies rares / médicaments orphelins</p> <ul style="list-style-type: none"> • A faire : établir un état des lieux sur les difficultés méthodologiques rencontrées dans le cadre des études portant sur les maladies rares et produire un guide méthodologique

OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>2. Renforcer la connaissance en vie réelle des médicaments orphelins</p>	<p>Enrichir le recueil de données portant sur les traitements médicamenteux dans le cadre des maladies rares</p>	<p>Ré-orienter la mesure initiale qui visait à faire faire évoluer le set minimal de données national maladies rares (SDM-MR) pour intégrer l'ensemble des prescriptions médicamenteuses pour :</p> <ul style="list-style-type: none"> ⇒ Articuler ce recueil avec celui de l'objectif 3. portant sur les prescriptions hors-AMM ⇒ Tester les dispositifs existants en matière de recueil (ex : SDM et BNDMR)

OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>3. Disposer d'un état prospectif des développements de nouvelles thérapeutiques en cours ou attendus et disposer d'un état des lieux des thérapeutiques proposées</p>	<p>Mise en place d'un observatoire des traitements dans chaque filière de santé maladies rares</p>	<p>- Chaque FSMR sera dotée d'un observatoire des traitements avant la fin 2020.</p> <p>- Les observatoires pourront, dès leur mise en place, engager un repérage des molécules d'intérêt et un recensement des pratiques hors AMM. Les documents seront aménagés pour prendre en compte les dispositifs d'accès précoce et compassionnel après la publication de la LFSS pour 2021 et de ses décrets d'application</p> <p>- Mise en place, dans le courant de l'automne, d'un pilote par la mission maladies rares, à partir de 5 filières volontaires, en vue de la mise en place de registres par pathologie, confiée à la fédération des spécialités médicales (FSM).</p> <p>- Ce pilote bénéficiera d'un financement dédié, alloué aux filières volontaires par la DGOS, pour la mise en place, par chacune d'elles, de 2 registres :</p> <p>⇒ Seront éligibles les maladies rares reposant sur des traitements hors AMM insuffisamment étayées pour prétendre à un encadrement par l'ANSM (RTU/ futur accès compassionnel porté par le PLFSS pour 2021).</p> <p>⇒ <i>Des échanges avec l'ANSM seront indispensables pour préciser les items suivis de sorte à bien répondre à ses attendus au regard de l'accès compassionnel.</i></p>

OBJECTIFS	RÉCURRENT	BILAN ANNUEL
<p>4. Adapter le dispositif des RTU aux spécificités des maladies rares</p>	<p>Mieux encadrer les pratiques de prescriptions hors AMM :</p> <p>Objectif : garantir que le nouveau dispositif d'encadrement et de sécurisation des pratiques hors AMM par l'ANSM introduit par la LFSS pour 2021 (accès compassionnel qui se substituera aux RTU), bénéficie aux traitements des maladies rares.</p> <p>Clés de Réussite :</p> <p>⇒ forte mobilisation des observatoires des traitements</p> <p>⇒ établissement de liens étroits avec l'ANSM</p>	<ul style="list-style-type: none"> - Un groupe de travail, composé de représentants des directions d'administration centrale, de la HAS et de l'ANSM, a été mis en place à l'automne 2019 pour proposer une mesure dans le cadre du PLFSS 2021 pour réformer les dispositifs ATU/RTU. - Les propositions du groupe de travail ont servi de base à l'élaboration de la mesure du PLFSS pour 2021 relative aux accès précoce et compassionnel aux traitements. - le nouveau dispositif d'accès compassionnel, qui devrait succéder aux dispositifs des ATU nominatives et des RTU à l'issue du vote de la loi, prévoit que l'efficacité et de la sécurité des médicaments concernés devront être présumées par l'ANSM au regard des données cliniques disponibles, ainsi que, lorsque l'indication concerne une maladie rare, des travaux et des données collectées par les professionnels de santé dans des conditions définies par décret en Conseil d'Etat. - Le projet décret d'application de la mesure sera soumis en janvier prochain à la consultation du groupe de travail mis en place pour accompagner la mise en œuvre des actions 4.2 et 4.4.

Action 3.1 : Déploiement de la BNDMR dans les CRMR/CRC/CCMR en lien avec les systèmes d'information hospitaliers

- Chargé de mission BDD (Bases De Données) : **formation à l'application BaMaRa** auprès des équipes des centres de la filière, notamment à l'hôpital Necker-Enfants malades, à l'hôpital la Pitié Salpêtrière et au CHU de Limoges
 - Les équipes des centres de la filière ont participé aux formations proposées en interfilière : La Réunion, Guadeloupe et Marseille.
 - Le chargé de mission BDD a été formé à la fiche maladies Orbis pour ensuite assurer une formation auprès des équipes des centres concernés par ce logiciel
- Le chargé de mission BDD et les chargés de mission en région : appui à la post-formation dans les centres et ont assuré le lien avec l'équipe de la BNDMR.
- Lien avec le réseau ERN-Skin : harmonisation des codages des maladies dermatologiques rares.

Action 4.2 : Créer un observatoire des traitements placé au sein des comités consultatifs multidisciplinaires d'évaluation (gouvernance bureau/COPIL) dans chaque filière de santé maladies rares

- **Groupe de travail de la filière « Médicaments/Recherche » : création de l'observatoire des traitements de la filière (action 4.2 du PNMR3)**
 - *lieu d'échange*
 - *de concertation*
 - *de centralisation de l'information concernant le repérage de nouvelles molécules en développement et un recensement des médicaments prescrits, avec ou hors AMM*

L'objectif de ce groupe de travail est de mettre en place une stratégie spécifique en matière d'accès aux médicaments

- **Recrutement d'un chef de projet scientifique/médical :**
 - veille bibliographique avec une centralisation d'information concernant les molécules d'intérêt à partir de données de la littérature et de celles de l'observation au sein des CRMR et CCMR

Action 4.4 : Mieux encadrer les pratiques de prescriptions hors-AMM

- **GT DGS-DGOS : pilotes avec 6 FSMR référentes dont FIMARAD**



MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

*Liberté
Égalité
Fraternité*

filières de santé
maladies rares

COVID-19 : RECOMMANDATIONS DES FILIÈRES MALADIES RARES

Une maladie nouvelle telle que le COVID-19 amène les patients et les médecins à se poser de nombreuses questions. C'est **d'autant plus le cas en ce qui concerne les maladies rares**, car une double problématique se pose.

Certains patients atteints de maladies rares sont plus exposés au virus car ils éprouvent davantage de difficultés à effectuer les gestes barrières de protection :



Ces patients sont également susceptibles de développer une forme grave. Dans ce cadre, il n'est pas toujours facile de pouvoir les conseiller.

C'est pourquoi les Filières de Santé Maladies Rares (FSMR) ont publié des recommandations sur leurs sites web.

Ces recommandations sont aussi répertoriées sur le **portail ORPHANET**.

Cette page recense des recommandations et des avis d'experts concernant le COVID-19 et les maladies rares en plusieurs langues, y compris ceux fournis par les FSMR et les Réseaux Européens de Référence (ERNs).



www.orpha.net