



Communiqué de presse
28 février 2022

La France relance une dynamique européenne contre les maladies rares

Un engagement positif mais la France doit être exemplaire en pérennisant et amplifiant une politique nationale réellement ambitieuse

Aujourd'hui 28 février, à l'occasion de la 15^{ème} Journée Internationale des Maladies Rares, des milliers d'initiatives – nationales, européennes et internationales – se sont déroulées dans plus de 100 pays afin de rendre visibles les immenses besoins des 300 millions de personnes qui vivent avec une maladie rare dans le monde.

Cette journée s'est déroulée dans un contexte d'engagement mondial plus important pour les maladies rares. En effet, le 16 décembre 2021, l'Assemblée générale des Nations Unies a adopté une résolution, soutenue également par la France, visant à « *Relever les défis des personnes vivant avec une maladie rare et de leurs familles* ». Les 193 États membres de l'ONU se sont formellement engagés à mettre en œuvre des politiques visant à répondre aux besoins et aux droits de toute personne dans le monde vivant avec une maladie rare et de sa famille.

A l'échelle européenne, le respect de ces engagements nécessite un nouvel élan politique. Dans le cadre de la Présidence Française de l'Union Européenne s'est tenue aujourd'hui à Paris une Conférence de Haut Niveau dédiée aux « *Parcours de soin et d'innovation pour une politique européenne des maladies rares* ».

Cette conférence est une étape politique importante pour le lancement de la construction d'un plan européen ambitieux de lutte contre les maladies rares. L'avenir des 30 millions de personnes qui vivent avec une maladie rare en Europe dépend des mesures prises aujourd'hui par les décideurs politiques. 95% des maladies rares n'ont pas de traitement spécifique et 85% d'entre elles concernent moins d'une personne par million d'habitants. Pour toutes ces maladies, **une action coordonnée à l'échelle européenne, avec des objectifs concrets, apportera une meilleure valeur ajoutée de tous les pays membres pour que chaque personne vivant avec une maladie rare en Europe puisse bénéficier des progrès scientifiques, technologiques et thérapeutiques. Il y a urgence et tout doit être fait pour accélérer cette mobilisation.**

Depuis plus de 20 ans, les acteurs réunis au sein de la Plateforme Maladies Rares ont largement contribué à l'émergence et à la mise en œuvre des trois plans maladies rares français. A ce titre, ils saluent l'initiative politique de la France de mobiliser l'Union Européenne.

Pour autant, cela ne pourra être efficace que si chaque pays mobilise son système de santé dans la lutte contre les maladies rares. La France se doit d'être exemplaire en conduisant sur son territoire une politique globale et ambitieuse.

En effet, dans notre pays pionnier, il reste encore beaucoup à faire, notamment pour :

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

Le troisième plan national maladies rares arrivera à échéance fin 2022. Les acteurs de la Plateforme maladies rares demandent au Gouvernement Français de :

- **Décider dès maintenant d'organiser l'évaluation du PNMR 3, en poursuivant son financement en 2023 ;**
- **Lancer avec l'ensemble des acteurs des maladies rares le processus de co-construction d'un nouveau plan maladies rares national ambitieux, doté de moyens financiers conséquents, d'objectifs précis et d'un pilotage efficace ;**
- **Utiliser son leadership actuel en Europe pour que l'impulsion donnée aujourd'hui soit suivie d'effet par la construction d'un plan européen de lutte contre les maladies rares qui complétera et renforcera les efforts nationaux.**

De plus, ils demandent à tous les candidats à la Présidence de la République de s'engager clairement pour que les enjeux des maladies rares soient au cœur de leurs politiques de santé. Quelle que soit la rareté de sa maladie, aucun citoyen ne doit être oublié.

Ainsi, nous comptons sur la poursuite de l'engagement politique de la France pour les maladies rares pris ce jour lors de la conférence européenne de haut niveau.

A propos de la Plateforme Maladies Rares

Créée en juillet 2001, la Plateforme Maladies Rares, qui regroupe 6 associations (AFM-Téléthon, Fondation maladies rares, Orphanet, Maladies Rares Info Services, Alliance Maladies Rares et EURORDIS - Rare Diseases Europe) est un lieu unique en Europe. Elle favorise les synergies entre associations de malades, professionnels de santé et acteurs publics, pour améliorer la prise en charge des maladies rares et développer la recherche thérapeutique.

Contacts presse :

AFM-Téléthon : Stéphanie Bardon – 06 45 15 95 87 - presse@afm-telethon.fr

EURORDIS - Rare Diseases Europe : Lara Chappell - 01 56 53 52 60 - lara.chappell@eurordis.org

Alliance Maladies Rares : Paul Gimenes – 06 74 94 56 32 - pgimenes@maladiesrares.org

Maladies Rares Info Services : Marie-Pierre Bichet – 06 83 26 11 95 – mpbichet@maladiesraresinfo.org

Orphanet : Charlotte Rodwell - 01 56 53 81 37 - media.orphanet@inserm.fr

Fondation Maladies Rares : Pauline Nauroy – 06 89 12 93 60 - pauline.nauroy@fondation-maladiesrares.com