

Si vous avez des difficultés à visualiser cet email, [suivez ce lien](#)



GOUVERNEMENT

*Liberté
Égalité
Fraternité*

**Vers un 4ème Plan National Maladies Rares (PNMR4)
Catherine Vautrin, Sylvie Retailleau, Roland Lescure et Frédéric
Valletoux annoncent un soutien renforcé pour les personnes
malades par un maillage territorial plus étroit avec la labellisation
des nouveaux centres de référence maladies rares et le
renforcement de la collecte des données de santé entre la France
et l'Europe.**

Paris, le 29/02/2024

Alors que le 3ème Plan National Maladies Rares (PNMR3, 2018-2022) a permis d'atteindre des objectifs ambitieux dans le domaine du diagnostic et du suivi des traitements avec la mise en place de deux observatoires nationaux pilotés par les 23 filières de santé maladies rares, sa prolongation en 2023 a été l'occasion de mener d'intenses travaux d'évaluation et de préparation d'un 4ème plan (PNMR4) dont les premiers jalons ont été initiés.

Si les premiers plans ont permis de faire reculer l'errance et l'impasse diagnostiques, le PNMR4 devra renforcer le développement des thérapies et de

l'innovation afin que l'accès à des traitements devienne de plus en plus effectif pour les personnes touchées par une maladie rare.

En 2024, poser un diagnostic de maladie rare reste encore un enjeu majeur et malgré d'immenses avancées, seules 5% des maladies rares bénéficient d'un traitement dans leur indication.

Le 4ème Plan National Maladies Rares (PNMR4) prendra en compte ces enjeux en améliorant les possibilités de diagnostic (importance du lien ville hôpital, de l'information, de la formation et de la sensibilisation), en renforçant le lien vers la médecine génomique, pour une médecine et des traitements de précision et en s'inscrivant dans une politique forte et volontariste de la France pour renforcer l'innovation en santé dans les prochaines années.

Les premières actions du PNMR4 se concrétisent notamment par la labellisation de 132 nouveaux centres de référence maladies rares, soit une augmentation de 28% (publiée au BO le 29 décembre 2023) pour le fonctionnement desquels le ministère du Travail, de la Santé et des Solidarités a dégagé une enveloppe de près de 36 millions d'euros de crédits nouveaux.

Avec désormais 603 centres experts, cet effort de la France renforce son maillage en régions et dans les territoires d'Outremer. Cet ancrage est un des socles qui positionne la France comme un leader de cette politique de santé publique au niveau européen. Le lancement le 1er février 2024 de l'action conjointe JARDIN (Joint Action Rare Disease INnovation) verra la France coordonner le groupe de travail européen sur le partage des données de santé maladies rares et leur réutilisation.

Alors de que nous fêtons l'anniversaire des 20 ans du 1er Plan National Maladies Rares, le Gouvernement a confié à deux personnes qualifiées, éminemment reconnues, le soin d'établir des préconisations pour le soin, pour la recherche et l'innovation afin d'assurer le maintien de notre pays à la pointe dans le cadre du PNMR 4.

Ainsi la Professeure Agnès Linglart, pédiatre et chercheuse, spécialisée dans les maladies rares affectant le squelette et la croissance et le Professeur Guillaume

Canaud, professeur de néphrologie et plus récemment de thérapeutique à l'hôpital Necker Enfants Malades et à l'Université Paris Cité animent depuis plusieurs mois des groupes de travail regroupant plus de 300 personnes afin d'identifier les actions phares à mettre en œuvre autour des thématiques suivantes :

- le parcours de vie et de soin, en soulignant l'importance du lien entre la ville et l'hôpital, la formation des professionnels et l'information de tous et en particulier des personnes concernées par une maladie rare ;
- le diagnostic, avec le développement de l'observatoire du diagnostic des maladies rares, de la médecine génomique en lien avec le Plan France Médecine Génomique, de l'importance du dépistage néonatal et de la fœtopathologie ;
- les innovations et traitements, avec une coordination accrue des acteurs dans le processus de collecte de données pour faciliter, anticiper la construction des recueils pour les accès précoces et le cadre de prescription compassionnelle et renforcer la réutilisation secondaire des données de santé ;
- la collecte des données de santé et d'échantillons biologiques dans les parcours de soins et de recherche.

Les maladies rares (environ 7 000) concernent plus de 3,5 millions de nos concitoyens et environ 25 millions de personnes en Europe.

Depuis 2004, trois plans nationaux successifs ont conforté le leadership français dans le domaine des maladies rares par la création, entre autres actions, de la Banque Nationale des Données Maladies Rares (1,5 million de patients recensés), de 23 filières de santé s'appuyant aujourd'hui sur 603 centres de référence maladies rares (centres de référence, centres de compétence, centres de ressources et compétence) pour un suivi global et au plus proche des personnes malades.

Afin de maintenir et de renforcer cette excellence, reconnue au niveau international, les ministres annoncent les premières actions phares, jalon majeur vers le PNMR4, qui seront déployées dans les semaines à venir. Ces prochaines actions sont portées par une mobilisation de tous les acteurs dans le champ des maladies rares dans une démarche de co-construction et la contribution essentielle des associations de malades et de leurs proches à la définition et à la

mise en œuvre de la politique en faveur des maladies rares que le Gouvernement souhaite ainsi amplifier.

Plus d'informations sur les maladies rares :

<https://sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/article/les-maladies-rares>

Ministère du Travail, de la Santé et des Solidarités

Cabinet de Mme Catherine VAUTRIN

Mél : sec.presse.tss@social.gouv.fr

127, rue de Grenelle
75007 PARIS 07

**Ministère de l'Économie, des Finances et de la Souveraineté
industrielle et numérique**

Cabinet de M. Roland LESCURE

Mél : presse@industrie.gouv.fr

139, rue de Bercy
75572 Paris Cédex 12

Ministère du Travail, de la Santé et des Solidarités

Cabinet de M. Frédéric VALLETOUX

Mél : sec.presse.sp@social.gouv.fr

14, avenue Duquesne
75007 PARIS

Ministère du Travail, de la Santé et des Solidarités

Cabinet de Mme Sylvie RETAILLEAU

Mél : secretariat.communication@recherche.gouv.fr

21, rue Descartes
75005 PARIS

Conformément à la loi informatique et libertés du 06/01/1978 (art.27) et au Règlement Général sur la Protection des Données (Règlement UE 2016/679) ou « RGPD », vous disposez d'un droit d'accès et de rectification des données vous concernant. Vous pouvez exercer vos droits en adressant un e-mail à l'adresse DDC-RGPD-CAB@ddc.social.gouv.fr.

Si vous ne souhaitez plus recevoir nos communications, [suivez ce lien](#)