



MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET DE LA PRÉVENTION

*Liberté
Égalité
Fraternité*



FILIÈRE SANTÉ MALADIES RARES

*En route vers un 4^{ème} plan national maladies rares !
(PNMR4)*

3^{ème} plan



maladies rares

Mission Maladies Rares

Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS)

Vincent VAUCHEL

Chef de projet adjoint – mission maladies rares

Journée nationale MCGRE 2023 – 15/12/2023



+de 6300 maladies rares

84% affectent <1 personne / 1 000 000*

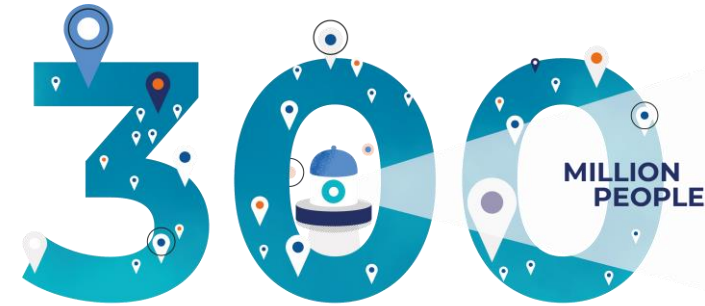
72% d'origine génétique

70% au moins sont pédiatriques

70% multisystémiques

5 ans d'errance diagnostique

* (Nguengang et al, Eur J Hum Genet 2020)

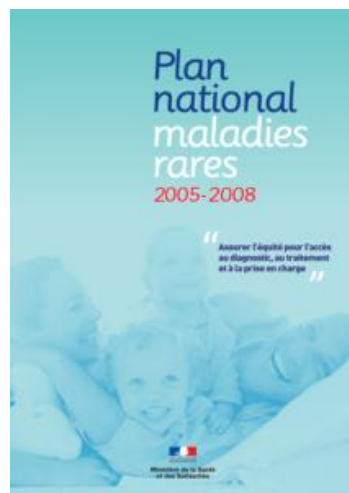


30 millions de personnes en Europe

+ 3 millions de personnes en France

Un peu d'histoire depuis 20 ans et 3 plans

La mobilisation des pouvoirs publics, des professionnels et des associations :
mise en place des plans nationaux maladies rares depuis 2004



PNMR 1

2004 (05)

2008 (11)

Les maladies rares
deviennent un enjeu de santé
publique

Labellisation de 131 CRMR



PNMR 2

2011

2014 (18)

Structuration des 23 FSMR
Lancement des travaux pour la
mise en place de la BNDMR

Fondation maladies rares



PNMR 3

2018

2022 (23)

Lancement le 4 juillet 2018

5 ambitions / 55 actions

Mise en place des PEMR

... PNMR 4 ?



3^{ème} plan national maladies rares (PNMR3) : 2018 - 2023

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

5 ambitions :

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



Le « réseau » maladies rares en 2023



Plateforme d'expertise
Maladies Rares

+ 4 plateformes
en Outre-mer

Depuis 2017 :
en Europe

24 ERN



European
Reference
Networks

3^{ème} plan



= 175M€ / an



Plans nationaux maladies rares (3 plans)

Depuis 2004 :

23

filières de santé



maladies rares

603

centre de référence



maladies rares

1708

centre de compétence



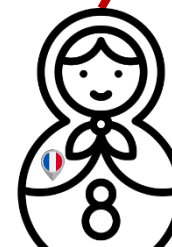
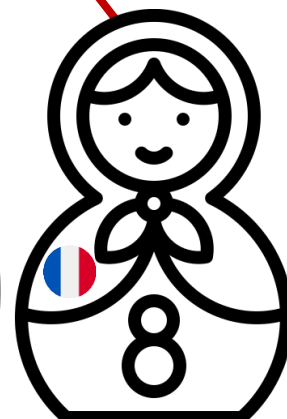
maladies rares

**Alliance
maladies rares**

UNIS POUR VAINCRE



Plus de 240
associations de
personnes malades



maladiesraresinfo.org

0 800 40 40 43

Service & appel
gratuits



FOCUS

10.6

2019
2023

MALADIES RARES sur les TERRITOIRES une action à pérenniser dans le PNMR4



PLEMaRa (Lille)

Rouen et Caen

RARES BREIZH (Bretagne)



PRIOR (Pays de la Loire)

Centre
Val de Loire

Limoges - Poitiers

CHU Bordeaux

Bourgogne-Franche-Comté



PEMR AURA (Auvergne-Rhône-Alpes)



COMARG (Guyane)

RE-MA-RARES (Réunion - Mayotte)

**KARUKERARES** (Guadeloupe)

PEMR en Ile-de-France

Plateforme d'Expertise Maladies Rares et Handicap AP-HP
Centre Université de Paris

ESMARA (Plateforme d'Expertise Maladies Rares Grand Paris Est)



Plateforme d'Expertise Maladies Rares Paris Nord

Plateforme d'Expertise Maladies Rares AP-HP Paris Saclay -
Université de Paris



Plateforme d'Expertise Maladies Rares AP-HP Paris Sorbonne -
Université de Paris



COMARG (Guyane)



ALLO Maladies Rares (Martinique)



**1 MIG dédiée dans le PNMR3 aux
« plateformes d'expertise maladies rares » :**

19 plateformes d'expertise maladies rares en métropole

4 plateformes de coordination en Outre-mer

Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG)

dédiées aux maladies rares chaque année

- Le troisième plan national maladies rares 2018-2022 (PNMR 3) est financé à hauteur de 147,6M€/an sur la durée du plan. Depuis le Ségur de la santé, l'intégration de la revalorisation du point d'indice des fonctionnaires et la prolongation d'un an du PNMR3, le plan est augmenté en 2023 à **175,1M€/an**



134M€

Soutien aux centres de référence (4 MIG)

- Une MIG « générale » (F04) pour l'ensemble des CRMR (hors 3 filières)
- Trois MIG spécifiques pour 3 filières dédiées (F05, F06, F07) : Maladies hémorragiques constitutionnelles (MHEMO), Mucoviscidose (Muco), Sclérose Latérale Amyotrophique et Maladies du Neurone Moteur (FiSLAN)
- 473 centres financés : 388 CRMR (coordonnateurs / constitutifs) + 85 CRC

= 4,2M€ pour CRMR MCGRE
en C1 2023

FILIERE SANTÉ MALADIES RARES

14,3M€

Soutien aux filières de santé maladies rares (1MIG)

- 1 MIG dédiée (F17) : les filières de santé maladies rares coordonnent des CRMR, des professionnels de santé, des laboratoires, des structures éducatives, sociales, médico-sociales, des associations, etc.
- Objectif du PNMR 3 : renforcer les filières dans les enjeux de soin et de recherche
- 23 filières de santé maladies rares relabellisées en juin 2019

= 540 774€ pour FSMR MCGRE
en C1 2023

FILIERE SANTÉ MALADIES RARES

26,8M€

Soutien aux actions et AAP du PNMR 3 (3 MIG)

- 1 MIG « plateformes d'expertise maladies rares » (F21): création de 19 plateformes d'expertise MR et 4 plateformes de coordination Outre-mer (3,1M€)
- 1 MIG Base de données maladies rares (F22): Banque Nationale de Données Maladies Rares, mise en place de la BaMaRa, module DPI, projet « registre patients en impasse de diagnostic », observatoire des traitements, prolongation d'un an du PNMR3 (16,4M€)
- 1 MIG « Appui à l'expertise (F23) : financement des PNDS, programmes ETP, formation, ERN, outils de RCP (7,2M€)

= 191 921€ pour FSMR MCGRE
en C1 2023

en C1 2023

MCGRE

FILIERE SANTÉ MALADIES RARES



Deuxième circulaire budgétaire validée : 26 septembre 2023

Rappel C1 : 154,7M€ (88% de l'enveloppe annuelle) → 134M€ pour les centres (toutes filières de santé maladies rares confondues) + 20,7M€ pour les actions clés du PNMR 3 : MIG filières, plateformes de coordination (outre-mer), ERN, BNDMR et soutien aux PNDS, ETP et RCP.

MIG F21 – Plateformes : 5,2M€

Plateformes d'expertise maladies rares (action 10.6 du PNMR3) :
Financement **pour 2 ans** des 19 plateformes au périmètre de la nouvelle labellisation

**C2 2023
=
16,2M€**

MIG F22 – Base de données : 7,1M€

Soutien au remplissage de BaMaRa pour les CRMR et CCMR à destination des PEMR / PCMR / FSMR selon leur taille et nombre de CRMR et CCMR : soit l'équivalent de 71 ETP d'ARC ou TEC pour les FSMR et 48 ETP pour les établissements des PEMR/PCMR
Bilan à n+1

**=
150 000€ pour MCGRE**



MIG F23 – Appui à l'expertise : 3,9M€

Formation professionnelle : 100K€/filière pour 2 ans
Bilan à n+1 

Soutien aux CRMR nouvellement labellisés : 1,2M€
aux FSMR selon le % d'évolution de CRMR pour financement de projets de PNDS, ETP ou RCP
= 75 000€ pour MCGRE 

Action pilote sur le lien ville-hôpital : 371K€ à destination de la FSMR FILSLAN

Total délégation
2023 C1 + C2 :
171,1M€,
soit **97,7%** de
l'enveloppe
annuelle
(175,1M€/an)

**Prévision 3^{ème} circulaire budgétaire
(décembre 2023) : 4M€**

- BNDMR (2nde tranche du forfait annuel)
- Observatoire des traitements (**25K€**) + observatoire du diagnostic (**50K€**) 
- Autres actions à soutenir du PNMR3

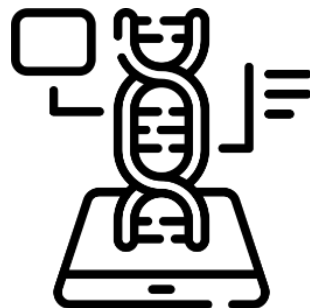


- ✓ **Evaluation du PNMR3 : HCSP + HCERES**
- ✓ **Labellisation CCMR/CRMR/CRC en 2023 : 1^{er} socle du prochain PNMR4**
 - Les maladies rares sur les territoires
 - Candidatures labellisées
- ✓ **Nomination de 2 personnes qualifiées pour piloter les groupes de travail pour construire le PNMR4**
- ✓ **Joint Action on Integration of ERNs into healthcare systems**
 - WP8 Data Management



Novembre 2022

- Saisine du HCSP et du HCERES pour évaluation du PNMR3



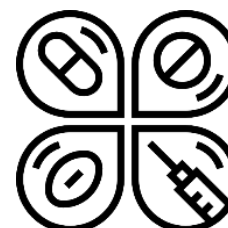
Dernier semestre 2023

- Remise du rapport conjoint d'évaluation du PNMR3 par le HCSP et le HCERES



Année 2023

- Mise en place d'un comité mixte soin et recherches (experts)
- Réunions des groupes de travail pour l'évaluation du PNMR3



Début 2024

- Lancement du PNMR4





Evaluation du PNRM3 par le HCSP et le HCERES : un bilan pour construire le futur PNMR4



Objectifs principaux (extrait du courrier de saisine) :

- ✓ Evaluer les aspects liés à la **prise en charge diagnostique des patients et thérapeutique**, à la collecte des données de santé, à la formation et l'information mais également à l'accompagnement à l'autonomie.
- ✓ Analyser l'impact des **différentes actions réalisées en faveur de la recherche** notamment la mise en œuvre au sein du programme prioritaire de recherche (PPR) maladies rares du PIA3 et le renforcement de la recherche translationnelle dans l'appel à projet générique de l'Agence nationale de la recherche (ANR).
- ✓ Mesurer l'impact des **réalisations françaises au niveau européen** (réseaux européens de référence, ORPHANET, European Joint Program, actions conjointes...).
- ✓ Réaliser un bilan des efforts en matière de **gouvernance du plan et de pilotage des actions**, de coordination entre les secteurs sanitaire et médico-social, de structuration des FSMR et de déploiement de la BNDMR
- ✓ Dégager les **grands axes de la politique devant être poursuivie** pour les années à venir dans ce domaine très sensible et complexe des maladies rares et qui mobilise de nombreuses associations de patients et de familles.

Les perspectives du PNMR4 et les enjeux de la labellisation des CRMR/CCMR/CRC :

Une première action majeure du prochain plan

pour une réponse adaptée avec les filières de santé maladies rares, les centres de référence maladies rares, les associations de patients et les plateformes d'expertise maladies rares

**Rendre les
parcours du
diagnostic
+ lisibles
pour les
personnes
malades et
leurs aidants**

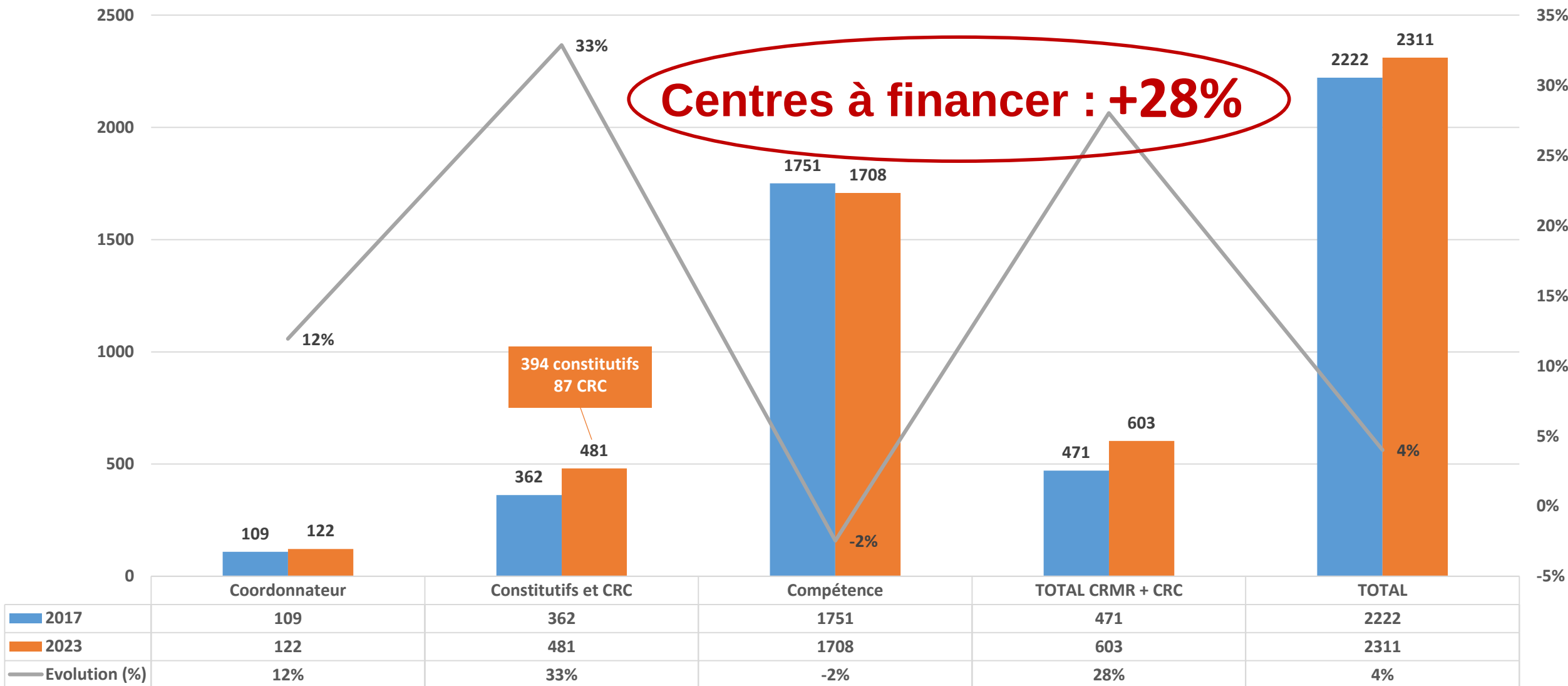


**Soutenir les
parcours
maladies
rares de
proximité**



**Personne
malade et
aidant :
Être acteur
de son
parcours de
soin, de vie et
de recherche**

Comparaison des résultats de la **labellisation 2023** avec la labellisation de 2017 (23 FSMR)



Résultats pour FSMR MCGRE :

2 CRMR coordonnateurs, 19 CRMR constitutifs

NOM DU CENTRE DE REFERENCE MALADIES RARES (CRMR)	Titre	Prénom	NOM DU RESPONSABLE	NOM DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE	GROUPE HOSPITALO-UNIVERSITAIRE (GHU), SITE DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE (AP-HP)	LABEL
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	Pablo	BARTOLUCCI	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU HÔPITAUX UNIVERSITAIRES HENRI MONDOR, HÔPITAL HENRI MONDOR	Centre de référence (coordonnateur)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	Patricia	AGUILAR MARTINEZ	CHU DE MONTPELLIER		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Slimane	ALLALI	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU CENTRE - UNIVERSITÉ PARIS CITÉ, HÔPITAL NECKER-ENFANTS MALADES	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	Jean-Benoît	ARLET	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU CENTRE - UNIVERSITÉ PARIS CITÉ, HÔPITAL EUROPÉEN GEORGES-POMPIDOU (HEGP)	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Cécile	ARNAUD	CHI DE CRETEIL		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Malika	BENKERROU	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU NORD - UNIVERSITÉ PARIS CITÉ, HÔPITAL ROBERT DEBRÉ	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Abdourahim	CHAMOUINE	CH DE MAYOTTE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Pierre	COUGOUL	CHU DE TOULOUSE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Arnaud	DESCLAUX	CHU DE BORDEAUX		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Cécile	DUMESNIL DE MARICOURT	CHU DE ROUEN		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	François	GIRODON	CHU DE DIJON BOURGOGNE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Corinne	GUITTON	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU UNIVERSITÉ PARIS SACLAY, HÔPITAL BICÊTRE	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	Arnaud	HOT	HOSPICES CIVILS DE LYON		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Sylvain	LE JEUNE	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU HÔPITAUX UNIVERSITAIRES PARIS SEINE-SAINT-DENIS, HÔPITAL AVICENNE	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	François	LIONNET	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU SORBONNE UNIVERSITÉ, HÔPITAL TENON	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Marie-Hélène	ODIÈVRE-MONTANIÉ	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU SORBONNE UNIVERSITÉ, HÔPITAL ARMAND TROUSSEAU	Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Professeur	Laurent	PASCAL	GCS GH INSTITUT CATHOLIQUE LILLE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïse	Docteur	Isabelle	THURET	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE MARSEILLE (AP-HM)		Centre de référence (constitutif)

Résultats pour FSMR MCGRE :

39 CCMR (1/2)

NOM DU CENTRE DE REFERENCE MALADIES RARES (CRMR)	Titre	Prénom	NOM DU RESPONSABLE	NOM DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE	GROUPE HOSPITALO-UNIVERSITAIRE (GHU), SITE DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE (AP-HP)	LABEL
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Valérie	LI-THIAO-TE	CHU D'AMIENS PICARDIE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Corentin	ORVAIN	CHU D'ANGERS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Philippe	BENSAID	CH VICTOR DUPOUY D'ARGENTEUIL		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Marie Sylvaine	BELLOY	CHI ROBERT BALLANGER (AULNAY SOUS BOIS)		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Pauline	SIMON	CHU DE BESANÇON		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Katia	STANKOVIC STOJANOVIC	CH SIMONE VEIL DE BLOIS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Marine	HOULIER	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU HÔPITAUX UNIVERSITAIRES PARIS SEINE-SAINT-DENIS, HÔPITAL JEAN VERDIER	Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Valérie	SOUSSAN-BANINI	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU UNIVERSITÉ PARIS SACLAY, HÔPITAL AMBROISE PARÉ	Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Liana	CARASU	CHRU DE BREST		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Damien	BODET	CHU DE CAEN NORMANDIE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Stéphanie	EYSSETTE-GUERREAU	HOPITAL NOVO - CH RENE DUBOS (PONTOISE)		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Professeur	Vincent	GAJDOS	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU UNIVERSITÉ PARIS SACLAY, HÔPITAL ANTOINE BÉCLÈRE	Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Professeur	Etienne	MERLIN	CHU DE CLERMONT-FERRAND		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Comlan Louis	AFFO	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU NORD - UNIVERSITÉ PARIS CITÉ, HÔPITAL LOUIS MOURIER	Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Cécile	GUILLAUMAT	CH SUD FRANCILIEN		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Laure	LE CARRER	GROUPE HOSPITALIER NORD ESSONNE, SITE ORSAY		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Hugo	LEGENDRE	CHU DE LA REUNION		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Christophe	PIGUET	CHU DE LIMOGES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Nathalie	GARREC	GRAND HOPITAL DE L'EST FRANCILIEN		Centre de compétence

Résultats pour FSMR MCGRE :

39 CCMR (2/2)

NOM DU CENTRE DE REFERENCE MALADIES RARES (CRMR)	Titre	Prénom	NOM DU RESPONSABLE	NOM DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE	GRUPE HOSPITALO-UNIVERSITAIRE (GHU), SITE DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE (AP-HP)	LABEL
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Joséphine	NZONZILA	GH DU SUD ILE DE FRANCE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Aurélié	PHULPIN	CHRU DE NANCY		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Marie-Laure	COUËC	CHU DE NANTES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Mohamed Aminata	CONDE	CHR D'ORLEANS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Latifatou	BOUKARI	ASSISTANCE PUBLIQUE - HOPITAUX DE PARIS (AP-HP)	GHU SORBONNE UNIVERSITÉ, HÔPITAL SAINT-ANTOINE	Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Catherine	VEYSSIER-BELOT	CHI POISSY ST-GERMAIN		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Justine	DAUTREMER	CHU DE POITIERS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Claire	PLUCHART	CHU DE REIMS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Stanislas	NIMUBONA	CHU DE RENNES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Faustine	TARDY	CHU DE SAINT-ETIENNE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	François	LHOTE	CH DE ST-DENIS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Jean-Baptiste	VALENTIN	CHU DE TOURS		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Sébastien	MONNIER	CH DE VERSAILLES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Gladys	BEAUJOUR	CHI DE VILLENEUVE-ST-GEORGES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Mélissa	BARBATI	CHU DE LILLE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Michel	BENEMOU	CH DE GONESSE		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Docteur	Caroline	MAKOWSKI	CHU DE GRENOBLE ALPES		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Professeur	Catherine	PAILLARD	HOPITAUX UNIVERSITAIRES DE STRASBOURG		Centre de compétence
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse	Professeur	Pierre-Simon	ROHRLICH	CHU DE NICE		Centre de compétence

Résultats pour FSMR MCGRE :
2 CRMR coordonnateurs, 19 CRMR constitutifs,
39 CCMR
*dont 1 CRMR coordonnateur, 2 CRMR constitutifs
et 1 centre de compétence aux Antilles*

NOM DU CENTRE DE REFERENCE MALADIES RARES (CRMR)	Titre	Prénom	NOM DU RESPONSABLE	NOM DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE	GROUPE HOSPITALO-UNIVERSITAIRE (GHU), SITE DE L'ETABLISSEMENT DE SANTE (AP-HP)	LABEL
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïèse Antilles-Guyane	Docteur	Maryse	ETIENNE-JULAN	CHU DE LA GUADELOUPE POINTE-A-PITRE/ABYMES		Centre de référence (coordonnateur)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïèse Antilles-Guyane	Professeur	Narcisse	ELENGA	CH DE CAYENNE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïèse Antilles-Guyane	Docteur	Gylna	LOKO	CHU DE MARTINIQUE		Centre de référence (constitutif)
Centre de référence des syndromes drépanocytaires majeurs, thalassémies et autres pathologies rares du globule rouge et de l'érythroïèse Antilles-Guyane	Docteur	Corine	CHARNEAU	CH DE LA BASSE-TERRE		Centre de compétence

Calendrier prévisionnel d'application de la labellisation des CRMR

Mars 2023

- Financement des CRMR et CRC labellisés en 2017 en C1 2023
- Décision finale du jury de labellisation sur les candidatures retenues fin mars 2023



Envoyée aux FSMR le 31 mars 2023

Dernier trimestre 2023

- Priorisation d'une mesure nouvelle pour l'ONDAM 2024 pour revalorisation des MIG dédiées aux CRMR
- Publication de l'arrêté de labellisation



**CSL Exceptionnel
2 octobre**



**CSL RETEX
11 décembre**



**AAP Labellisation
FSMR en 2024**

Été 2023

- Validation des candidatures de CRMR par la DGOS, la DGS et la DGRI
- Préparation de l'arrêté de labellisation (vérification des candidatures des CCMR > 1800)



*Courrier individuel
à chaque
candidat /
établissement*

Début 2024

- Financement des nouveaux CRMR et CRC labellisés en 2023 en C1 2024 avec application de la réforme de la part variable
- Lancement du PNMR4 : 29 février 2024 ?



RAREDISEASEDAY.ORG

Financement des centres de référence maladies rares avec la nouvelle labellisation :

- Mode de calcul** : une *part fixe* pour garantir le fonctionnement minimal des centres et une *part variable* basée sur l'activité déclarée pour l'année n-1 (PIRAMIG) → **versement en totalité en première circulaire budgétaire C1 2024**

La part fixe est garantie quelque soit le niveau de mesure nouvelle obtenue dans l'ONDAM 2024 :



MODULATION DE LA PART FIXE DU COORDONNATEUR	
Si nombre de centres constitutifs ≥6	74 230 €
Si nombre de centres constitutifs 3≤ - ≤5	49 487 €
Si nombre de centres constitutifs 1≤ - ≤2	24 743 €
Si nombre de centres constitutifs = 0	-

PART FIXE = ?% de la MIG CRMR (F04)

 (revalorisée avec Ségur et point d'indice du fonctionnaire)

148 461 euros pour les sites coordonnateurs

*305 909€ pour le site coordonnateur mucoviscidose, 233 714€ pour le site coordonnateur SLA, 159 953€ pour les sites coordonnateurs MHC

123 717 euros pour les sites constitutifs

*278 099€ pour les sites constitutifs mucoviscidose, 202 552€ pour les sites constitutifs SLA, 133 294€ pour les sites constitutifs MHC

39 988 euros pour les centres de ressources et de compétences (CRC)

 *139 050€ pour les CRC Muco, 42 308 pour les CRC SLA

+ une **PART MODULABLE** pour les sites coordonnateurs, selon leur nombre de sites constitutifs, pour financer le coût de la coordination

 + **coefficient géographique** selon la localisation du CRMR

% en fonction du niveau de la part variable obtenue dans l'ONDAM 2024



- Réunion du groupe de travail PIRAMIG – Maladies rares** : représentants des CRMR, de toutes les filières, des directions hospitalières et de la DGOS pour discuter des évolutions à apporter à PIRAMIG et au financement des centres
- Objectifs** : simplifier le rapport Piramig et mettre à jour les items pour que cela reflète davantage la charge de travail du centre.

La mise en place d'un futur PNMR4

Nomination ministérielle de 2 personnes qualifiées

- ✓ Lettre de mission aux **deux personnalités qualifiées** reconnues internationalement dans le champ de la prise en charge et de la recherche sur les maladies rares :

- **Professeure Agnès LINGLART**, pédiatre et chercheuse, spécialisée dans les maladies rares affectant le squelette et la croissance. Agnès Linglart coordonne le centre de référence pour les maladies rares du métabolisme du calcium et du phosphate ; elle anime également une filière de santé maladies rares, la filière OSCAR pour les pathologies de l'os, du calcium et du cartilage. Son implication a été également importante dans les relations internationales en tant que vice-doyenne à la faculté de Médecine de Paris Saclay.

- **Professeur Guillaume CANAUD**, professeur de néphrologie et plus récemment de thérapeutique à l'hôpital Necker Enfants Malades et à l'Université Paris Cité. Il dirige l'unité clinique de Médecine Translationnelle et Thérapies ciblées ainsi que le laboratoire INSERM du même nom situé à l'Institut Necker Enfants Malades. Guillaume Canaud et son équipe sont spécialisés dans la prise en charge de pathologies génétiques complexes. Ils sont à l'origine, entre autres, de l'identification et la mise sur le marché américain d'un médicament pour les syndromes de surcroissance secondaires à une mutation d'un gène appelé PIK3CA. Il est membre du centre de référence des maladies endocriniennes rares de la croissance et du développement.

rare2023

les rencontres des maladies rares
CENTRE INTERNATIONAL DE CONFÉRENCES SORBONNE UNIVERSITÉ (CICSU)

3 & 4 octobre | PARIS

FONDATION
Maladies Rares



La mise en place d'un futur PNMR4

Nomination ministérielle de 2 personnes qualifiées

« Il s'agit désormais de poursuivre les efforts consentis dans le PNMR3 dans la **réduction de l'impasse diagnostique** et dans la recherche de **nouveaux traitements** et de développer un plan qui s'articule avec la Stratégie Nationale de Santé 2023-2033 actuellement en construction.

Le PNMR4 se voudra ambitieux pour **offrir un diagnostic (rapide) à chaque patient** et faciliter **l'accès aux traitements**, aux essais cliniques en tout cas.

Nous souhaitons un plan tourné vers **l'Europe et l'international**. Cela passe par le soutien renforcé des actions européennes, la coordination des ERNs, l'interopérabilité des bases de données, les essais cliniques à l'échelle des ERN et la mobilité des acteurs.

Les moyens et leviers pour y parvenir s'appuieront sur la structuration, l'implémentation et **l'interopérabilité des bases de données**, la simplification des process, **la formation des acteurs de santé et le développement des nouvelles professions**, le soutien fort à la **recherche** et l'ouverture européenne et internationale, le développement et la facilitation des **partenariats publics-privés**, l'implication de tous les acteurs, des patients aux représentants des institutions et l'identification des freins.

Notre ambition : **que ce nouveau plan soit très concret et que l'on puisse obtenir des résultats tangibles pour les patients au quotidien** »

Pr Agnès LINGLART &
Pr Guillaume CANAUD

rare2023

les rencontres des maladies rares

CENTRE INTERNATIONAL DE CONFÉRENCES SORBONNE UNIVERSITÉ (CICSU)

3 & 4 octobre : PARIS

FONDATION
Maladies Rares



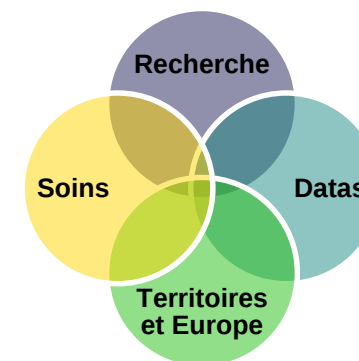
La mise en place d'un futur PNMR4

Les enjeux pour ne laisser personne de côté...

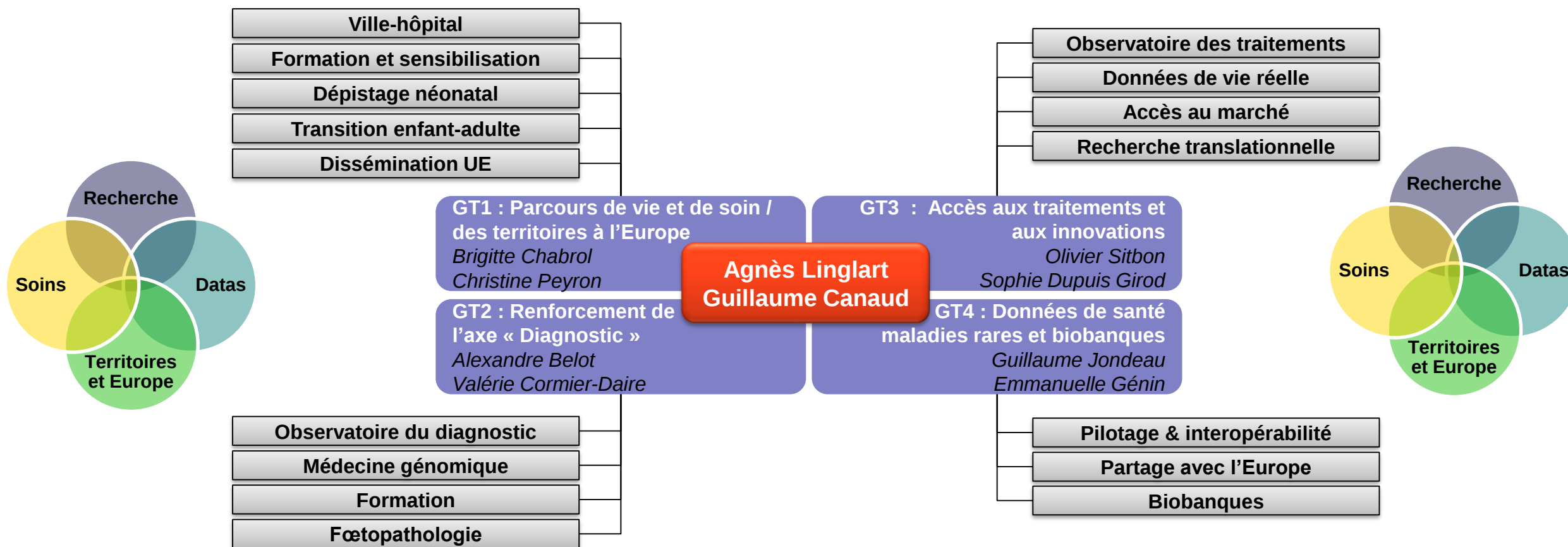
Pour élaborer le PNMR 4, des groupes de travail et de réflexion s'organiseront afin de proposer pour ce nouveau plan des actions phares autour des thématiques suivantes :

- **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 en y incluant le dépistage néonatal ;
- **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 de la foetopathologie ;
- **les innovations et traitements** et le maintien des actions de l'observatoire des traitements en lien étroit avec la DGS, l'ANSM et la HAS ;
- **la collecte des données de santé et d'échantillons biologiques** dans les parcours de soins et de recherche.

**Pour chaque GT, une approche transversale :
soin et recherche, nationale et Europe, datas**



Les groupes de travail PNMR4 animés par un tandem d'experts soins et recherche avec dans chaque sous groupe les associations de personnes malades





THANK
YOU!!

