

2011 - 2014

Plan national maladies rares

Qualité de la prise
en charge,
Recherche, Europe :
une ambition
renouvelée

Dispositif de suivi



Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

MINISTÈRE
DE L'ÉCONOMIE,
DES FINANCES
ET DE L'INDUSTRIE

MINISTÈRE
DE L'ENSEIGNEMENT SUPÉRIEUR
ET DE LA RECHERCHE

MINISTÈRE
DES SOLIDARITÉS
ET DE LA COHÉSION
SOCIALE

MINISTÈRE DU TRAVAIL
DE L'EMPLOI
ET DE LA SANTÉ

Le dispositif de suivi du plan national maladies rares sera assuré selon des modalités adaptées des « Recommandations pour l'élaboration, le suivi et l'évaluation des plans de santé publiques » de la Direction Générale de la Santé (décembre 2009). Il tient compte des évaluations du précédent plan réalisées notamment le rapport d'évaluation du Plan National Maladies rares 2005-2008 du Haut Conseil de la Santé Publique¹ (avril 2009).

Ce dispositif est principalement structuré autour :

- d'un comité de suivi et de prospective, présidé par la directrice générale de l'offre de soins, auquel est confié le pilotage stratégique ;
- d'un secrétaire général chargé de la mise en œuvre du plan.
- de l'articulation avec les ARS

1. Le Comité de suivi et de prospective

Ce comité aura un rôle majeur d'aide à la décision stratégique. Il mettra en œuvre les mesures du plan et proposera, en cours d'exécution du plan, des évolutions si cela est nécessaire. Loin d'être figées, les actions pourront évoluer, ce qui nécessite qu'il soit rendu compte précisément de leur suivi à une instance ayant la possibilité de décider de telles évolutions.

1.1 Les missions.

Le Comité de suivi et de prospective est :

1°) l'instance devant laquelle est présenté le suivi de l'application des mesures du plan national maladies rares 2011-2014. Cette présentation, qui aura lieu au moins deux fois par an, vise, au-delà d'un simple suivi de la bonne exécution des mesures du plan, à faire, en cours de plan, les propositions d'adaptation nécessaires.

2°) une instance habilitée à proposer aux ministres des orientations structurantes.

Plus précisément, les missions du comité de suivi et de prospective consistent à :

- suivre la mise en œuvre du deuxième plan national maladies rares et des programmes qui en découlent ;
- mettre en place le groupe permanent « méthodologie de labellisation des centres de références » ;
- mettre en place des groupes de travail sur les thématiques suivantes :
 - le nombre et la définition des thèmes des filières,
 - les plateformes nationales de laboratoires de diagnostic approfondi,
 - les données disponibles sur les médicaments orphelins ;
- mettre en place tout autre groupe de travail en tant que de besoin ;
- proposer aux ministres les mesures correctives rendues nécessaires en cours d'exécution du plan en fonction du contexte ou à la lumière du rapport d'évaluation prévu

¹ Rapport d'évaluation du Plan National Maladies Rares 2005-2008 du Haut Conseil de la Santé Publique (avril 2009)

à mi-parcours. Ces mesures peuvent notamment porter sur la stratégie de prise en charge des patients atteints de maladies rares ainsi que sur l'organisation de leurs parcours de soins, le renforcement des actions de recherche, de formation, d'information et de surveillance épidémiologique ;

- proposer les thématiques pour lesquelles le Haut Conseil de la Santé Publique, l'Institut National de la Santé et de la Recherche Médicale et la Haute Autorité de Santé sont amenés à apporter leur expertise pour le pilotage du dispositif de prise en charge des patients atteints de maladies rares ;
- assurer une veille sur les nouvelles méthodes de diagnostic et de prévention ainsi que sur le traitement et la prise en charge des patients.

1.2 L'organisation du comité de suivi et de prospective

La présidence du comité interministériel est confiée à la **directrice générale de l'offre de soins** qui doit être en mesure de mobiliser l'ensemble des administrations centrales, et les agences nationales et régionales impliquées dans la mise en œuvre des mesures du plan

Le directeur général de la santé supplée le président à chaque fois que nécessaire et en accord avec celui-ci dans l'animation du comité de suivi et de prospective du plan national maladies rares.

Deux vice-présidents scientifiques, respectivement « recherche » et « santé ».

Ils sont les garants de la coordination et de la cohérence des actions menées dans chacun de leur domaine respectif.

Ils peuvent demander au président l'inscription à l'ordre du jour du comité de suivi et de prospective du plan national maladies rares les points qui leur semblent particulièrement importants.

Le vice-président scientifique « santé » :

- travaille en étroite coordination avec le vice-président scientifique "recherche" et avec le secrétaire général;
- rend compte de son action au comité.
- est garant de la qualité scientifique des actions santé qui sont menées dans le cadre du plan.

Les missions du **vice président scientifique « santé »** sont :

- être consulté sur des questions relatives aux maladies rares et plus particulièrement celles relatives à qualité des prises en charge des patients atteints de maladie rare.
- piloter les travaux du comité relatifs à la qualité des prises en charge de patient atteint de maladie rare, et de tout groupe de travail que le comité lui confie.

Il pilote notamment le groupe de travail « méthodologie de labellisation des centres de références ». Ce groupe de travail est un groupe permanent pour toute la durée du plan. Il se réunit régulièrement, au moins 4 fois par an.

Ce groupe a pour mission de :

- faire des propositions au comité pour faire évoluer la procédure d'évaluation actuellement confiée à la HAS en coordination avec l'AERES;
- s'appuyer sur les résultats de l'évaluation pilotée par la HAS pour définir des préconisations de labellisation des centres de référence.

Le vice président scientifique « recherche » :

- travaille en étroite coordination avec le vice-président scientifique "santé" et avec le secrétaire général;
- rend compte de son action au comité ;
- est garant de la qualité scientifique des actions recherche qui sont menées dans le cadre du plan.

Les missions du **vice président scientifique « recherche »** sont de veiller:

- à la cohérence stratégique des actions recherche ;
- à la bonne coordination entre les différents acteurs de la recherche impliqués dans les maladies rares (fondation, aviesan, ANR, autres), en adéquation notamment avec l'évolution des connaissances et avec la structuration à l'échelle nationale, européenne et internationale, à l'évolution de l'évaluation de l'activité recherche des centres de références.

1.3 La composition

Sa composition large vise à assurer la représentation des différents acteurs parties prenantes du domaine maladies rares :

- associations de malades ;
- scientifiques intervenant dans la prise en charge des patients et la recherche ;
- agences sanitaires, autorités scientifiques et organismes de recherche ;
- directions d'administration centrale.

2 Le secrétaire général

Le mandat du secrétaire général est défini par lettre de mission interministérielle.

Il travaille en collaboration avec le Président et les vice-présidents scientifiques « santé » et « recherche » auxquels il rend compte.

Il a pour missions notamment

- le suivi et la mise en œuvre opérationnelle des mesures du plan (au niveau national et régional) ;
- de conforter le rôle exemplaire de la France sur les maladies rares auprès des autorités européennes ;
- d'identifier les difficultés de mise en œuvre des mesures du plan et de proposer des actions pour y remédier ;
- de contribuer à l'élaboration du rapport d'étapes annuel du plan ;
- d'assurer la communication et l'échange d'information avec les représentants des ministères, des organismes (agences sanitaires, HAS, INSERM...) et des professionnels et associations d'usagers en les réunissant régulièrement.

Dans ce but :

- il a accès à toute information utile à sa mission,
- il prend les initiatives appropriées à la bonne mise en œuvre du plan,
- il participe et rend compte au comité de suivi et de prospective du plan auquel il peut proposer l'organisation de groupes de travail

Le secrétaire général assure ses missions grâce à une équipe dédiée, positionnée à la sous direction pilotage de la performance des acteurs de l'offre de soins de la DGOS, qu'il réunit régulièrement.

Le suivi financier du plan sera assuré par cette sous-direction.

Le bureau qualité et sécurité des soins (PF2) dispose d'un mi-temps de gestionnaire de plan et un 60% de chargée de mission dédiés uniquement au plan national maladies rares.

3 Agences Régionales de Santé

Les structures développées dans les plans nationaux maladies rares, comme les centres de référence, ou les plateformes nationales de laboratoires, ne répondent pas en premier lieu à une logique de maillage territorial mais à une logique d'excellence, d'expertise reconnue au niveau national et international.

Pour autant, les plans nationaux poursuivent des objectifs de facilitation de l'accès aux soins et d'harmonisation des prises en charge qui revêtent une importance particulière pour le pilotage régional. En outre, les filières de centres de référence maladies rares ont dans leurs missions l'établissement de liens étroits avec les institutions du secteur médico-social qui, comme les maisons départementales des personnes handicapées (MDPH), ont un ancrage territorial.

Les missions assignées aux ARS permettent de rechercher :

- l'adéquation de l'offre médico-sociale aux besoins de prise en charge des maladies rares en dehors du champ sanitaire ;
- l'accompagnement des patients atteints de maladies rares et la coordination autour d'eux des différents intervenants des secteurs tant sanitaire que médico-social.

Ces problématiques, si elles ne sont pas spécifiques des maladies rares, y revêtent une importance toute particulière compte tenu des phénomènes d'errance diagnostique qui touchent encore trop souvent ces patients, des difficultés administratives et d'orientation entre les différentes structures ou de prise en charge auxquelles la complexité et la rareté des pathologies peuvent confronter les patients ainsi que leurs aidants.

Les ARS ont également à soutenir la mise en œuvre et le suivi :

- des programmes d'éducation thérapeutiques élaborés par les centres de référence maladies rares,
- des programmes de télémédecine,
- et d'une façon générale des objectifs de la politique nationale de santé.

Pour ce faire, les missions relatives aux « maladies rares » seront identifiées au sein de chaque ARS. L'ARS veillera à :

- identifier un interlocuteur notamment pour le chef de projet opérationnel de façon à garantir la qualité des échanges avec le niveau national, notamment sur la mise en place des différentes actions, le suivi des objectifs assignés aux structures, la coordination entre les secteurs sanitaire et médico-social ;
- apporter une réponse rapide et adaptée aux éventuelles difficultés liées à la mise en œuvre de ces actions sur le terrain, notamment sur les questions de prise en charge financière des soins où les relations avec le réseau des caisses primaires d'assurance maladie est primordial ;
- faciliter les échanges avec les centres de référence et les centres de compétence ou les autres professionnels de santé concernés.

Afin de tenir compte des modes d'organisation des ARS, les missions relatives aux « maladies rares », qui ont vocation à être confiées plutôt à des personnels médicaux, peuvent être mutualisées avec la réponse aux besoins liés à d'autres prises en charge rares et complexes (cancers rares, AVC de l'enfant, Alzheimer précoces, ...).

Les ARS seront sensibilisées aux problèmes spécifiques de prise en charge ou d'articulation entre secteurs sanitaires et médico-sociaux que peuvent rencontrer les professionnels confrontés à des personnes atteintes de maladies rares. Ils veilleront, en lien avec les associations représentant les patients et les professionnels à y apporter, dans le cadre de leurs missions générales, les solutions adaptées.

Les ARS pourront s'inspirer d'expérience pilote telle que celle de la plateforme régionale d'information et d'orientation (PRIOR) dont l'objectif est d'accompagner dans leur parcours de soins les patients atteints de maladie rare, d'aider les familles et les patients et d'informer le monde professionnel médical et médico-social.