

---

## AVIS

---

### sur le projet de Plan national maladies rares 2010-2014 (PNMR2)

7 juin 2010

---

Le rapport d'évaluation du PNMR1 (2005-2008) publié en avril 2009 sous l'égide du HCSP avait souligné la pertinence globale du plan et la nécessité de poursuivre l'effort entrepris, compte tenu notamment de la réelle spécificité du problème posé par les maladies rares et de la nécessité reconnue de garantir aux malades une meilleure équité dans l'accès aux soins (en cohérence avec l'objectif n°90 de la Loi de santé publique : « équité pour l'accès au diagnostic, au traitement et à la prise en charge des maladies rares »).

Le projet de PNMR2 est cohérent avec les recommandations de l'évaluation. Les sept axes retenus (diagnostic, soins et prise en charge médicale et sociale ; recueil de données, connaissance des maladies rares et de leurs conséquences médico-socio-économiques ; recherche ; médicaments spécifiques ; prise en charge financière, remboursements ; formation, information et soutien aux actions associatives ; coopération européenne et internationale), ainsi que les différents sous objectifs et fiches d'action, s'inscrivent dans la continuité du précédent plan.

Le HCSP souhaite cependant faire trois observations :

1. Il y a lieu de s'interroger sur l'articulation entre un pilotage centralisé du plan – notamment en matière de vérification de la bonne affectation des crédits du plan au sein des établissements de soins – et le rôle donné par la loi HPST aux ARS en matière de santé publique. Ce point rejoint la question plus générale de la définition du rôle des agences régionales de santé dans la mise en œuvre des différents plans de santé publique (plans Cancer, Alzheimer, AVC, etc.), dont le Haut Conseil estime qu'elle devrait faire l'objet d'une réflexion plus large.
2. Plus généralement, tout en approuvant la volonté de mettre en place un pilotage plus effectif du plan, le HCSP s'interroge sur la lourdeur du dispositif de suivi, et notamment sur le nombre d'indicateurs qu'il est envisagé de collecter.
3. S'agissant des indicateurs d'impact (sur la qualité de la prise en charge, l'état de santé et la qualité de vie des malades, etc.), le HCSP souligne que le préalable est le choix d'un petit nombre de maladies traceuses. Par ailleurs, compte tenu de la difficulté prévisible de financer l'ensemble des enquêtes souhaitées, la priorité devrait être mise sur une meilleure connaissance des parcours de soins aboutissant à une prise en charge adaptée, de façon à mesurer les progrès réalisés au bénéfice des malades pour quelques pathologies démonstratives.

En conclusion, le HCSP souligne que le choix des actions à retenir dans le cadre du PNMR2 doit être déterminé au regard du budget effectivement consacré à ce domaine par notre politique de santé publique. Pour le HCSP, les priorités concernant les maladies rares sont :

- la consolidation du dispositif des centres de référence et la bonne intégration de ces structures dans le système hospitalier,
- la pérennisation des progrès accomplis en matière d'information du corps médical, des patients et de leur famille et du public,
- la poursuite du soutien à une recherche spécifique sur les médicaments orphelins,
- le développement de la coopération européenne autour des maladies rares.

**Haut Conseil de la santé publique**

14 avenue Duquesne

75350 Paris 07 SP

[www.hcsp.fr](http://www.hcsp.fr)