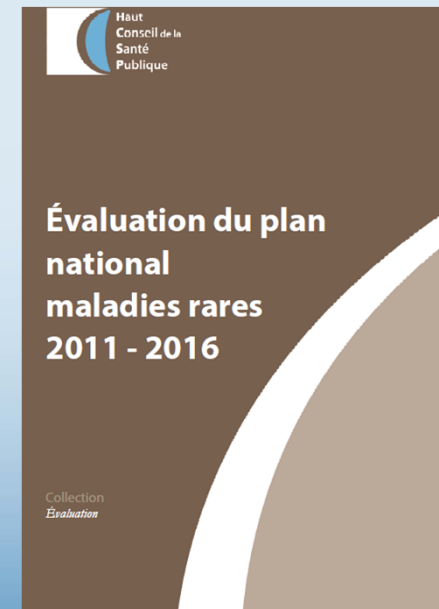


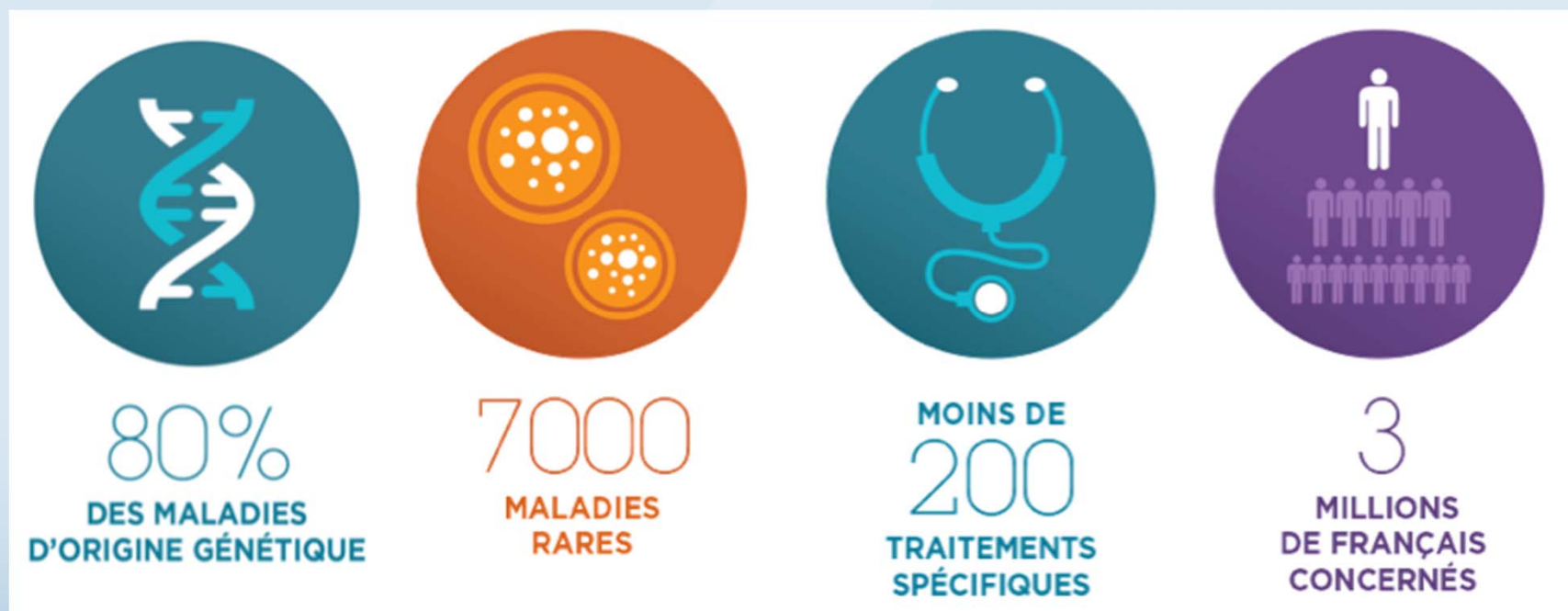
Retour sur l'évaluation du 2^o plan national maladies rares -PNMR2- Indicateurs & évaluabilité du plan

Elisabeth MONNET
Copilote CODEV HCSP



Les maladies rares en France

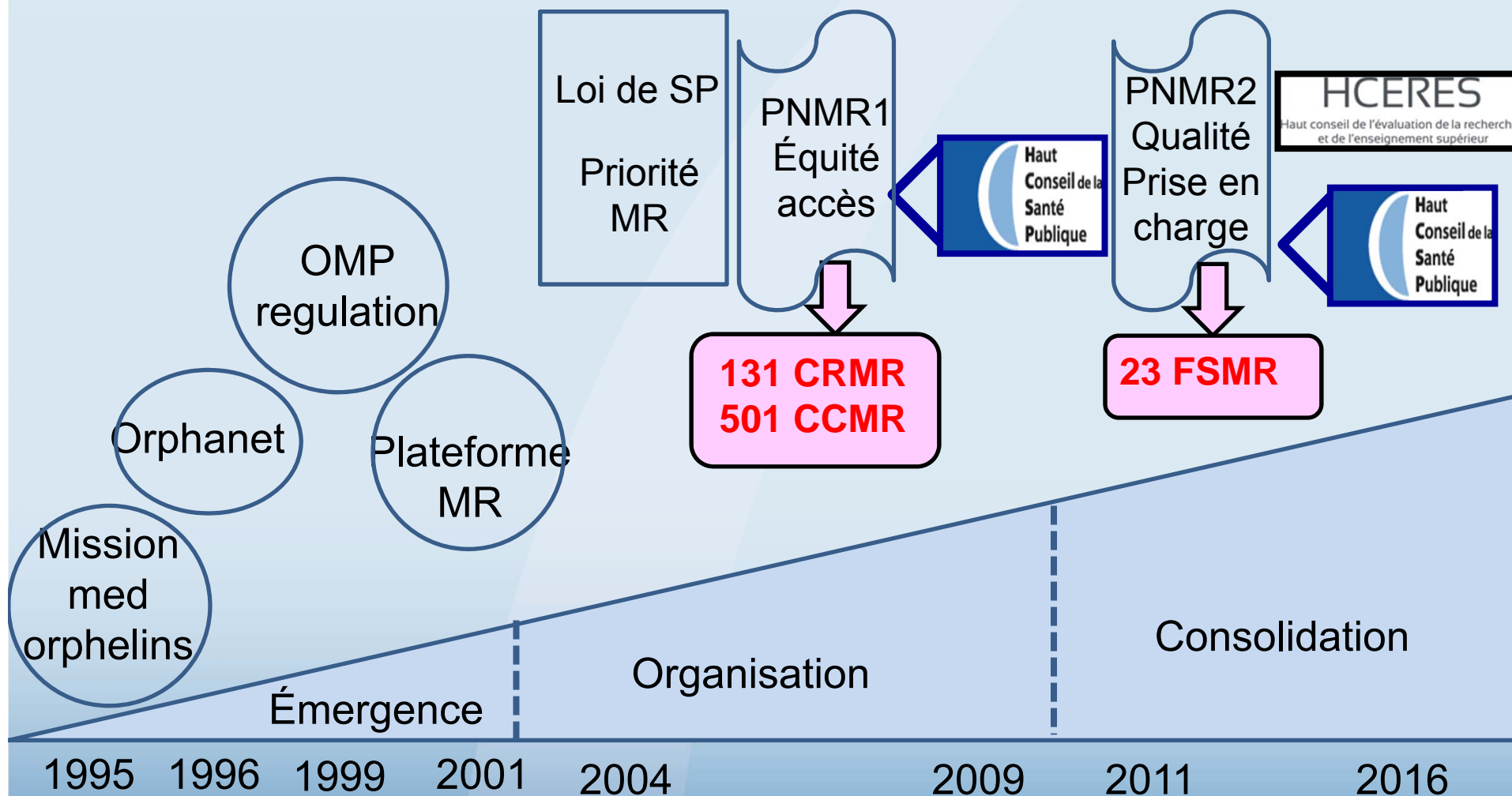
Maladie rare : → prévalence < 0,5 pour 1000 ⁽¹⁾



(1) Regulation n° 141/2000 European parliament & council on orphan medicinal products

(2) Fondation maladies rares

Maladies rares : 2 décennies de politique de santé



Retour sur l'évaluabilité et les indicateurs disponibles en 2009 pour l'évaluation du PNMR1

Le PNMR1 et la démarche évaluative du HCSP en 2009

Structure du PNMR1 2005-2008	Périmètre de l'évaluation HCSP en 2009
<p>10 Axes</p> <ul style="list-style-type: none">- 4 orientés malades- 6 orientés « organisation » <p>+ de 40 Mesures</p> <p>≈ objectifs opérationnels</p>	<p>5 thèmes</p> <ul style="list-style-type: none">- Pertinence des objectifs- Cohérence des actions- Mise en œuvre des mesures- Impact en terme d'équité- Effets en terme d'amélioration de la réponse (soins & recherche)

Indicateurs de suivi et d'évaluation du PNMR1 : constats et recommandation du HCSP en 2009

Constats	Recommandation
<p>pas d'outil de suivi</p> <ul style="list-style-type: none">- Ø indicateur épidémiologique fiable (mortalité, PMSI, ALD)- Ø indicateur d'activités- Ø indicateur de qualité- Ø tableau de bord de mise en œuvre & financement	<p>Définir et mettre en place des indicateurs de suivi</p> <ul style="list-style-type: none">→ activités de soin→ procédures→ efficacité→ coût

Le PNMR2 (2011-2016)

2011 - 2014

Plan National Maladies Rares

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

Structure du plan

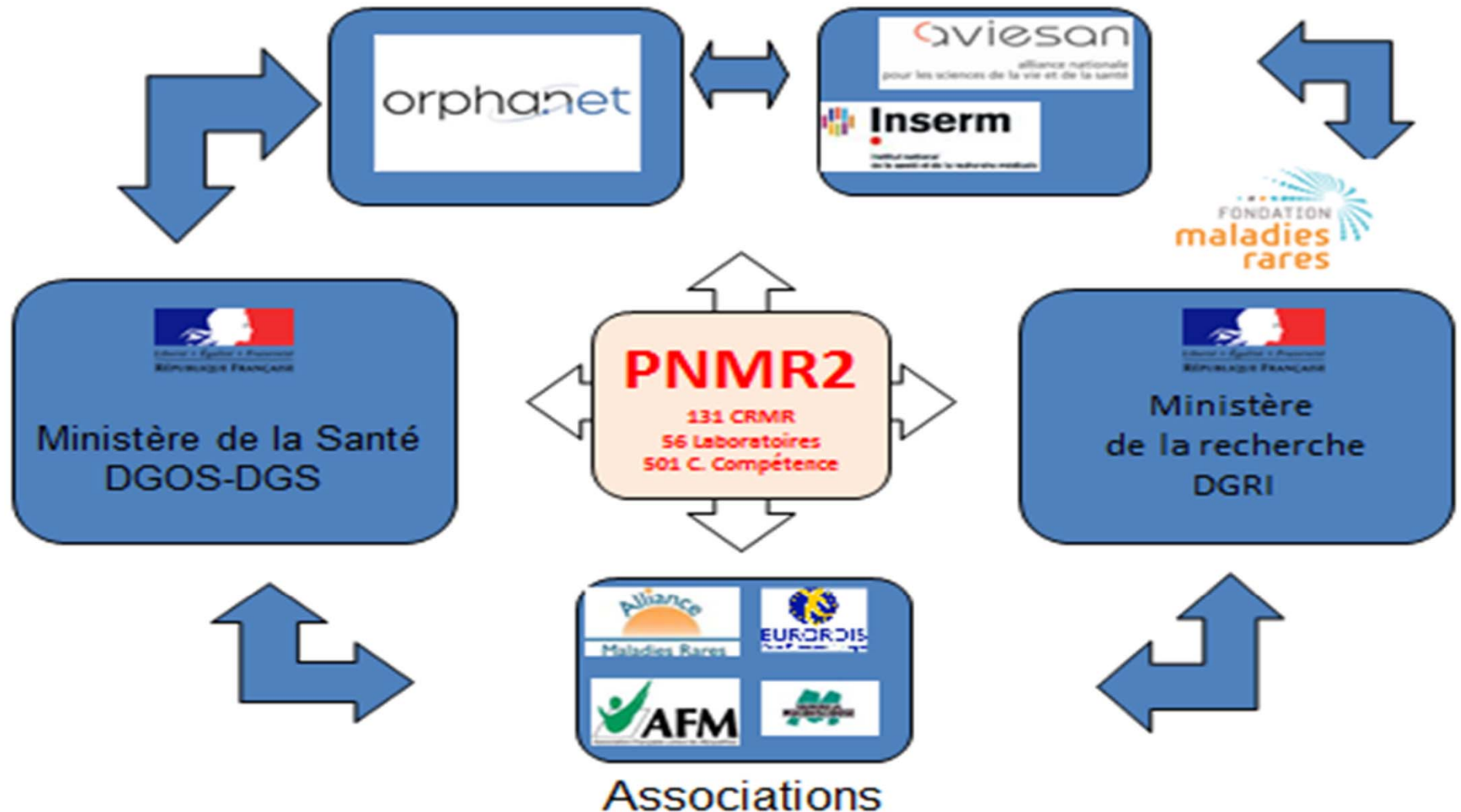
3 Axes

- Qualité des prises en charge
- Développement recherche
- Coopération Europe & international

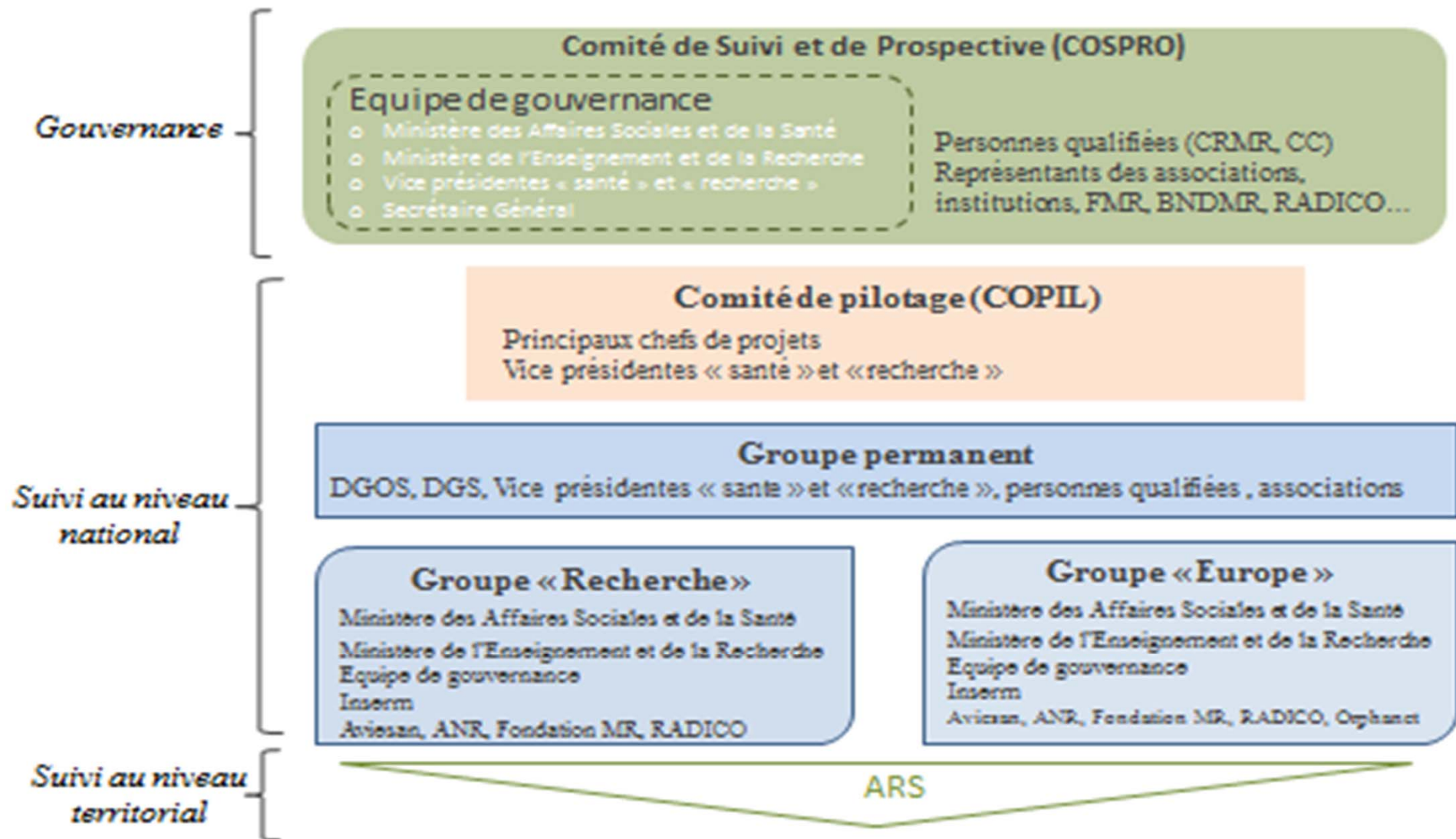
15 Mesures

43 Actions

De nombreuses parties prenantes



DISPOSITIF DE GOUVERNANCE ET DE SUIVI



Source: Secrétariat Général PNMR2 DGOS

• Les outils de suivi du PNMR2

- Un rapport annuel du secrétariat général devant le COSPRO
- Un suivi financier des sommes allouées sur les fonds gérés par le ministère (MIG/MERRI, FIR, FMESPP..)
- Un suivi de l'activité des structures financées par l'enveloppe MIG/MERRI
 - ☞ CRM (depuis 2013)
 - ☞ FSMR (depuis 2015)

→ **Tableau annuel d'avancement des actions**

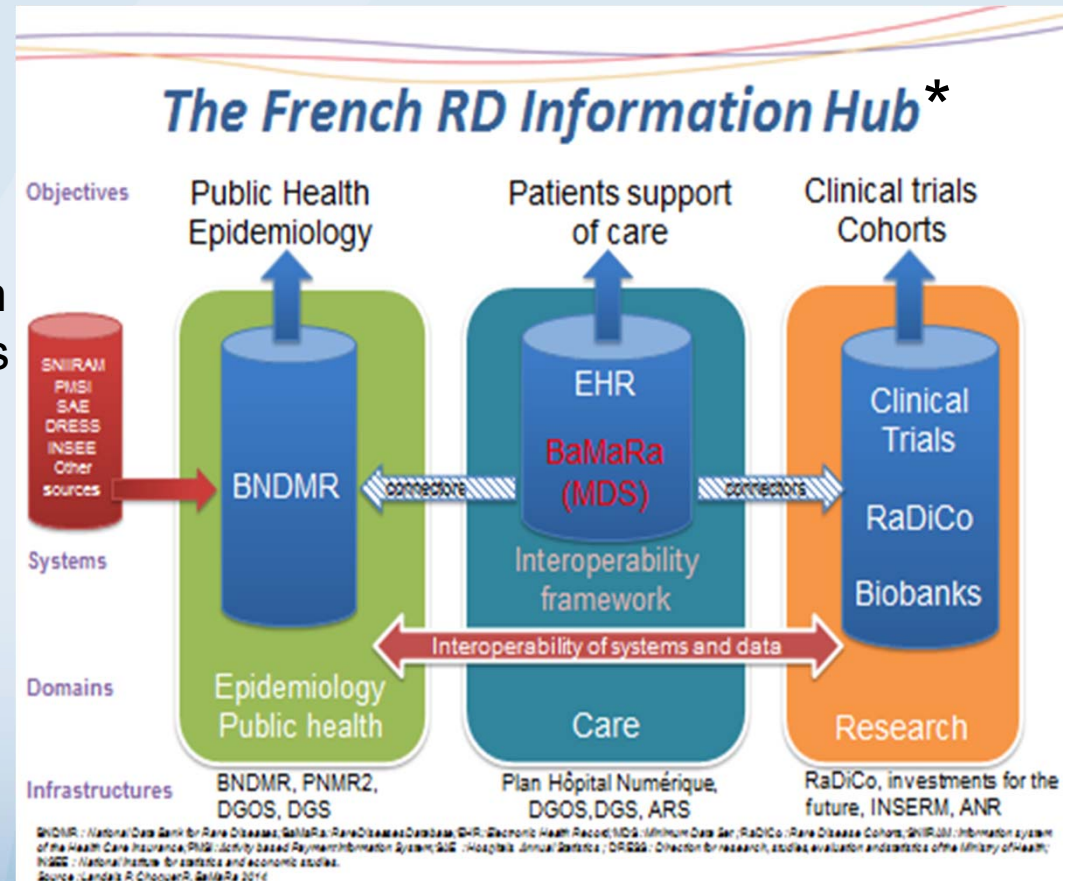
→ **Montants alloués par structure**

→ **Indicateurs annuels d'activités :**
(plateforme PIRAMIG)

- × Moyens humains et financiers
- × Activité clinique CRM
- × Modalités de fonctionnement
- × Activités de formation & recherche

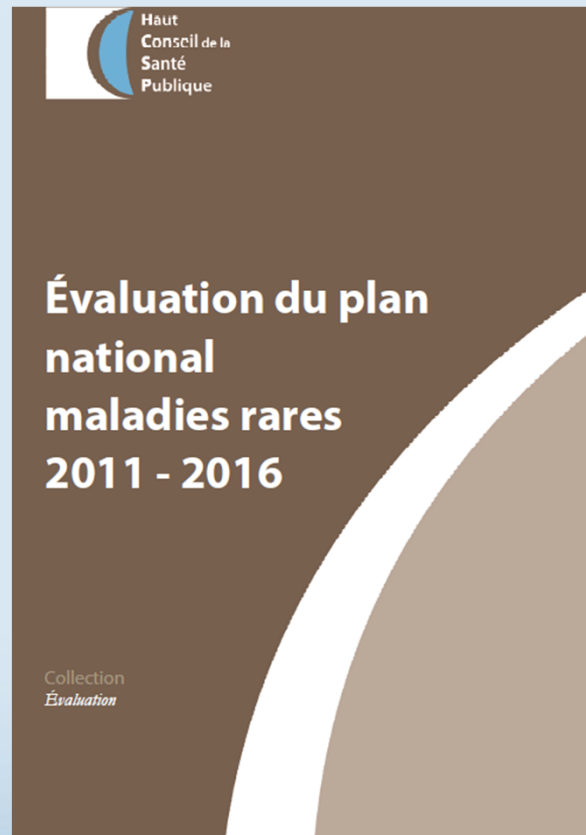
Action 1-4 déployer un système d'information commun pour le travail en réseau autour de la base nationale de données maladies rares (BNDMR)

- **SI commun** entre CRM, CCMR et registres MR (BAMARA)
- **Objectifs multiples** : épidémiologie, demande de soins, modes de prise en charge, données de recherche (essais cohortes RaDiCo)
- **Problèmes de gouvernance & mobilisation des équipes** (set minimal commun de données)
- **Difficultés techniques** : identifiant patient, interopérabilité, codage des MR, statut juridique..



*Communication R Choquet, P Landais (septembre 2015)

Le périmètre de l'évaluation en 2016



Choix de 8 thèmes d'évaluation

- Gouvernance: pilotage & financement
- Inégalités sociales & territoriales
- Système d'information
- Structuration de l'offre de soins
- Prise en charge des patients
- Politique européenne et internationale
- Pertinence et cohérence du plan

La démarche d'évaluation : Investigations et collecte d'informations

- **Des auditions pour rencontrer les principaux acteurs du plan**
 - 19 auditions groupées (ateliers) et individuelles
- **Des contributions écrites**
- **Des données à collecter : organismes, BNDMR, Orphanet**
- **Une étude qualitative sur les parcours des patients**
 - 24 « parcours de patients » : 3 entretiens par parcours
 - 4 pathologies (ou groupes de pathologies) : Maladies héréditaires métaboliques, Drépanocytose, Troubles du rythme cardiaque rares, Sclérose latérale amyotrophique
- **Une conférence d'évaluation (21 janvier 2016) pour partager les constats**

Indicateurs de suivi et d'évaluation du PNMR2 : les constats en 2016

Constats

- **Une ébauche de SI unique (BNDMR interopérable avec CRMR et PMSI)**

mais des difficultés et un retard de mise en œuvre

- **Des outils utilisables pour le suivi**

✓ Indicateurs de processus (avancée des actions)

✓ Indicateurs d'activités pour les structures financées (CRMR & FSMR)

Pas d'indicateur de qualité des soins

Pas d'indicateur d'analyse des inégalités

- **Des problèmes de gouvernance du plan & un retard dans la gestion des appels à projets (renouvellement des labels CRMR)**

Indicateurs de suivi et SI MR: les recommandations du HCSP

Recommandations

Systeme d'information commun et BNDMR

- Élaborer une stratégie partagée, préciser le rôle de chacun
- Recueillir des données sur la situation sociale des patients
- Utiliser le NIR pour apparier avec BDD de santé
- Lancer des AO pour faciliter l'exploitation des données
- Mettre en place une évaluation externe du SI MR

Gouvernance

- Établir des règles d'évaluation & de financement des structures prenant en compte leur niveau d'activité

Conclusion : que retenir de cette expérience ?

- **Une tendance à privilégier l'évaluation (et les indicateurs) de processus plutôt que l'évaluation des effets-impact de santé:** renforcée par la spécificité des MR et l'orientation du PNMR2 (qui visait à améliorer les prises en charge et l'efficacité).
- **La boîte à outils disponible pour le suivi et l'évaluation s'est enrichie entre les 2 PNMR :** tableau de bord des actions, suivi de l'activité des structures financées.
- **Un plan disposant d'indicateurs de suivi requiert une gouvernance utilisant des règles explicites et impliquant les différentes parties prenantes.**
- **La dynamique impulsée par un plan est une opportunité pour créer un SI commun** qui rassemble des données permettant d'évaluer l'efficacité des dispositifs de soin (réduction de l'errance diagnostique, lutte contre les inégalités).

Merci pour votre attention

<http://www.hcsp.fr/Explore.cgi/avisrapportsdomaine?clefr=558>