Le 29 février dernier, à l'occasion de la journée internationale des maladies rares, les acteurs de la **Plateforme Maladies Rares** avaient lancé un appel pour un troisième plan national.

Lors de la séance des questions au gouvernement du Mercredi 15 juin, en réponse à une question de la députée Dominique Orliac, Marisol Touraine, Ministre de la santé et des affaires sociales, a déclaré : « *Je peux vous annoncer, puisque le deuxième plan est en train d'arriver à échéance, que je confierai très prochainement à deux personnalités l'élaboration d'une feuille de route pour mettre en œuvre un troisième plan maladies rares".*

Cette annonce, tant attendue, d'un futur 3ème plan maladies rares est une très bonne nouvelle. Les propos tenus par la Ministre suscitent cependant une réelle inquiétude : celle d'une réponse éloignée des enjeux actuels !

Dans son appel du 29 février dernier, la Plateforme Maladies Rares a, en effet, rappelé les deux conditions indispensables pour un 3eme Plan à la hauteur des enjeux : **une co-constructi on mobilisant l'ensemble des acteurs**
- institutionnels, associations de malades, chercheurs, professionnels de santé, industriels du médicament- et
un pilotage
interministériel (santé/recherche/affaires sociales/économie et industrie), disposant de réels moyens d'impulsion, de suivi et d'injonction.

Depuis cet appel, **le Haut Conseil de Santé Publique et le Haut Conseil d'Evaluation de la Recherche et de l'Enseignement Supérieur** ont rendu leurs rapports d'évaluation. Ils **insistent également fortement sur l'enjeu essentiel de la transversalité et du pilotage**

, point faible majeur du plan en cours.

Afin de répondre aux attentes fortes des malades et de tous les acteurs engagés dans la lutte contre les maladies rares, **il est impératif que les personnalités missionnées pour construire une feuille de route le soient non pas par le seul ministère de la santé et des affaires sociales mais aussi par ceux en charge de la recherche, de l'économie et de l'industrie. Il faut également qu'il leur soit très clairement demandé de co-construire leurs propositions avec tous les acteurs des maladies rares.**

Qu'est-ce qu'une maladie rare ?

Une maladie est dite rare lorsqu'elle touche moins d'une personne sur 2000, soit, le plus souvent, quelques centaines ou dizaines de malades pour une maladie donnée. Si les maladies sont rares, les malades sont nombreux car il existe 6 à 8000 maladies rares. Au total**, 3 millions de personnes sont concernées en France et 30 millions en Europe**
.

Les maladies rares sont extrêmement diverses : maladies neuromusculaires, métaboliques, infectieuses, auto-immunes, cancers rares… 80 % d'entre elles ont une origine génétique. Les deux tiers environ sont graves et invalidantes. Le pronostic vital est engagé dans presque la moitié des cas. La survenue d'un déficit moteur, sensoriel ou intellectuel est constatée pour la moitié d'entre elles.

La Plateforme Maladies Rares

La Plateforme Maladies Rares constitue un centre de ressources unique au monde car elle rassemble sur un même site :

- des représentants d'associations de malades et des professionnels de santé et de la recherche;
- des acteurs privés et publics ;
- des salariés et des bénévoles ;
- des intervenants français, européens et internationaux.

Les objectifs

- Favoriser la reconnaissance des maladies rares comme priorité de santé publique et porter la voix des malades.
- Soutenir la création et l'activité de toutes les associations de maladies rares grâce à la formation, l'échange d'information et l'entraide.
- Développer la connaissance et les services d'information en direction de tous les publics.

- Soutenir et renforcer la recherche sur les maladies rares, indispensable pour parvenir aux traitements.
- Proposer des espaces de réunion et de travail pour tous les acteurs engagés dans la lutte contre les maladies rares.

Six entités autonomes constituent la Plateforme

- **L' Alliance Maladies Rares** , collectif français de plus de 200 associations de malades.
- **L' AFM-Téléthon** , association de malades et parents de malades à l'origine de la création de la Plateforme en 2001 et financeur majeur de celle-ci grâce aux dons du Téléthon.

- **EURORDIS** , fédération européenne d'organisation de patients qui rassemble plus de 700 associations de 63 pays.
- **La Fondation maladies rares** réunit les acteurs de la recherche et du soin (publics, privés et associatifs) afin d'accélérer la recherche sur les maladies rares au bénéfice des malades.
- **Maladies Rares Info Services** est le service d'information et de soutien sur les maladies rares (téléphone, mail, ch@t, Forum maladies rares). 01 56 53 81 36 - www.maladiesraresinfo.org

.

- **Orphanet** (Unité de service de l'Inserm), le portail de référence sur les maladies rares et les médicaments orphelins. Cette unité héberge également la coordination de l'action conjointe européenne RD-Action (www.rd-action.eu) et le secrétariat scientifique du Consortium international de recherche sur les maladies rares (IRDiRC).