



A l'occasion de la 9^{ème} Journée internationale des Maladies Rares, la Plateforme Maladies Rares lance un Appel pour un 3^{ème} Plan National Maladies Rares

A l'occasion de la 9^{ème} Journée Internationale des Maladies Rares, mobilisant près de 80 pays à travers le monde le 29 février, les acteurs de la Plateforme Maladies Rares ont lancé un Appel pour un 3^{ème} Plan National Maladies Rares.

La co-construction, c'est maintenant !

Grâce notamment aux deux Plans Nationaux Maladies Rares qui se sont succédé en France depuis 2004, la lutte contre ces pathologies a fait de réels progrès. Mais aujourd'hui, les défis qui restent à relever sont nombreux : accès équitable au diagnostic et à une prise en charge harmonisée sur l'ensemble du territoire, information des patients et des professionnels, développement de traitements et enjeux industriels...

La Plateforme Maladies Rares rappelle qu'en raison des spécificités des maladies rares, « seule l'élaboration d'une stratégie nationale interministérielle prenant en compte l'ensemble des enjeux et permettant de développer les nécessaires interactions internationales, peut consolider les premiers acquis et apporter de nouvelles réponses au bénéfice des malades. »

La Plateforme Maladies Rares demande donc au gouvernement français :

→ un engagement immédiat pour un troisième Plan National Maladies Rares. Un plan doté d'un véritable pilotage interministériel disposant de réels moyens d'impulsion, de suivi et d'injonction.

→ la constitution d'une mission *ad-hoc* spécifique dès maintenant pour la co-construction de ce troisième Plan qui doit mobiliser l'ensemble des acteurs institutionnels et privés (associations de malades, professionnels de santé, industriels du médicament...). Cette mission doit avoir un mandat interministériel couvrant les champs de la santé, de la recherche, des affaires sociales, de l'économie et de l'industrie.

Pour les trois millions de personnes concernées par une maladie rare en France, pour les 30 millions d'européens touchés qui considèrent encore notre pays comme un modèle dans ce domaine, un nouveau Plan National Maladies Rares est



© AFM-Téléthon / © Thomas Lang

une impérieuse nécessité qui doit faire l'objet, dès maintenant, d'une mobilisation de toutes les énergies !

La Plateforme Maladies Rares, un centre de ressources unique au monde

La Plateforme Maladies Rares est un centre de ressources et de mobilisation unique au monde, qui favorise les synergies entre associations de malades, professionnels de santé et chercheurs, industriels et pouvoirs publics. Créée en juillet 2001 sous l'impulsion de l'AFM-Téléthon, dans les locaux de l'hôpital Broussais, elle rassemble sur un même site l'ensemble de ces acteurs, qu'ils soient salariés ou bénévoles, intervenants français, européens et internationaux, et ouvre la voie à de nombreuses collaborations.

Rappelons qu'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 pathologie donnée. Mais 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...

La Plateforme Maladies Rares se compose de six entités autonomes :

- **l'Alliance Maladies Rares**, collectif français de plus de 200 associations de malades et de parents de malades concernés par une maladie rare ;
- **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** qui 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**, le

service d'information et de soutien sur les maladies rares ;

- **Orphanet**, unité de service de l'Inserm, portail de référence en libre accès 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).

Un pôle de compétences et de connaissances, où chaque acteur garde son identité et son autonomie

Concrètement, la Plateforme Maladies Rares regroupe une centaine de professionnels spécialisés dans le soutien aux malades et aux familles, l'information, la recherche, l'informatique, la communication, l'aide aux associations...

En un même lieu collaborent :

- des médecins, des généticiens, des épidémiologistes... plus particulièrement spécialistes des maladies rares, des médicaments orphelins et de la recherche ;
- des représentants et des coordonnateurs des associations de malades ;
- des spécialistes de l'information et du soutien aux malades et à leurs familles ;
- des informaticiens (développeurs, webmasters...), des éditeurs et documentalistes scientifiques, des professionnels de la communication.

La Plateforme, c'est aussi la mobilisation de très nombreuses associations de malades (200 en France, 500 en Europe) et de tous les bénévoles engagés dans la lutte contre les maladies rares.

Chaque acteur de la Plateforme garde son identité, son autonomie et recherche ses propres financements. Leur regroupement permet d'optimiser les moyens techniques, humains et logistiques, et favorise les synergies afin de développer des projets destinés à répondre aux besoins des malades et de leurs proches.

Le budget commun annuel de la Plateforme s'élève à 100 000 € environ, financés principalement par l'AFM-Téléthon et, depuis l'année 2006, la Direction générale de la

parfaite

La maîtrise du dosage

Forum LABO BIOTECH LYON

STAND D59

we are 50

Faites confiance aux experts, aujourd'hui et demain

Car depuis plus de 50 ans, Socorex produit les instruments de précision qui ont forgé sa réputation auprès des scientifiques, génération après génération.

Vaste choix parmi une large gamme de micropipettes manuelles ou électroniques, dispensers et autres doseurs, pour le meilleur de vos tests.

Des instruments sur qui on peut compter.



SOCOREX ISBA S.A.
Suisse
Tel. +41 (0)21 651 6000
sccorex@sccorex.com
www.sccorex.com



SOCOREX
SWISS





© AFM-Téléthon / © Thomas Lang

Santé dans le cadre du Plan national maladies rares.

Les entités de la Plateforme bénéficient toutes de la dynamique créée !

A toutes les entités qui la composent, la Plateforme offre une meilleure visibilité nationale, européenne et internationale, et représente un exemple réussi de la participation des associations de malades à des projets et actions institutionnels.

Soulignons que ces acteurs ont été au cœur de l'élaboration et de la mise en œuvre du premier Plan national Maladies Rares qu'ils ont également contribué à évaluer. Pour le deuxième Plan national Maladies Rares, ils ont été à l'initiative de nombreuses propositions, en particulier lors des « Rencontres de la Plateforme », et ont joué un rôle central dans les sept groupes de travail mis en place pendant la phase de concertation.

Au cœur des objectifs de la Plateforme Maladies Rares, aujourd'hui, s'imposent :

- la reconnaissance des maladies rares comme priorité de santé publique et la représentation des malades ;
- le soutien de la création et de l'activité de toutes les associations de maladies rares grâce à la formation, l'échange d'information et l'entraide ;
- le développement de la connaissance et des services d'information en direction de tous les publics ;
- le soutien et le renforcement de la recherche sur les maladies rares, indispensable pour parvenir aux traitements ;
- la proposition d'espaces de réunion et de travail pour tous les acteurs engagés dans la lutte contre les maladies rares.

Pour en savoir plus :
www.maladiesraresinfo.org
www.afm-telethon.fr/actualites/plateforme-maladies-rares-2576
www.maladiesraresinfo.org/mris/en-savoir-plus-sur-maladies-rares-info-services/plateforme-maladies-rares.html

S.D.

RF-6000 Spectrofluorimètre

Aspirez à l'excellence

Ergonomie Parfaite :

- LabSolutions RF, un logiciel pour une analyse simplifiée
- Programme dédié à la validation
- Indicateurs de performance et de configuration visibles en temps réel

Large choix d'analyses spectrales:

- Mesure 3D via un scan haute vitesse
- Correction des spectres en temps réel
- Mesures de rendement quantique et de fluorescence simplifiées

Ultra Sensible, Ultra Rapide et Ultra Stable :

- Rapport S/N supérieur à 1000:1
- Vitesse d'acquisition de 60 000 nm/min
- Lampe Xe longue durée
- Plage de mesure au-delà du visible jusqu'à 900 nm

Stand B28

Stand N8

www.shimadzu.fr
01 60 95 10 10