

SOUS EMBARGO JUSQU'AU 28 FEVRIER 18H

« Regards croisés sur les maladies rares », premier rapport de l'Observatoire Alexion des maladies rares

Paris, 28 février 2023 – A l'occasion de la journée mondiale des maladies rares 2023, Alexion, l'entité dédiée aux maladies rares d'AstraZeneca, publie en partenariat avec OrphanDev, « Regards croisés sur les maladies rares », premier rapport de l'Observatoire Alexion des maladies rares.

L'Observatoire crée un nouvel espace de discussion pour l'ensemble des acteurs de l'écosystème des maladies rares pour trouver des solutions aux défis auxquels les patients et leurs proches font encore face aujourd'hui.

Neuf acteurs engagés de la communauté des maladies rares ont contribué à cette première édition, dirigée par Serge Guérin, sociologue et professeur à Omnes Éducation :

- **Adel Ayad**, président de l'association de patients HPN France – Aplasie Médullaire.
- **Dr. Bernard Avouac**, ancien président de la commission de la transparence de la Haute Autorité de santé (HAS) et consultant en market access.
- **Philippe Berta**, député et président du groupe d'études de l'Assemblée nationale consacré aux maladies rares.
- **Pr. Olivier Blin**, coordinateur du réseau OrphanDev, chef de service à l'hôpital de la Timone (Marseille).
- **Brigitte Champenois**, membre du Conseil d'administration de l'association de patients pour l'information et la recherche sur les maladies rénales génétiques (AIRG).
- **Olivier Coustere**, président de l'association de patients Trans-Forme.
- **Pr. Romain Marignier**, chef de service adjoint à l'hôpital Pierre Wertheimer des Hospices Civils de Lyon
- **Nadège Rallu**, présidente de l'association de patients Hypophosphatasie Europe.
- **Pr. Émerite Eric Rondeau**, ancien chef de pôle à l'hôpital Tenon (AP-HP).

« *La prise en compte des maladies rares implique de prendre la mesure de comment vivre en société avec un proche touché par une maladie rare, de comment mieux accompagner en termes de qualité de vie au quotidien les proches comme les malades, de comment valoriser l'implication des parents et de l'entourage direct. C'est le propos essentiel du rapport.* » a déclaré **Serge Guérin**.

Parmi les propositions contenues dans le rapport :

- **Renforcer la sensibilisation sur les maladies rares et leurs enjeux** chez les médecins, acteurs du soutien aux aidants et la société française plus généralement.
- **Améliorer et diversifier les sources d'information sur les maladies rares**, par exemple, en créant un portail de formation dédié, ouvert à tous et gratuit.
- **Progresser dans la reconnaissance de l'expertise des patients et de leurs aidants** (Validation des acquis de l'expérience VAE pour les maladies rares, création d'un statut spécifique de salarié maladie rare...).
- **Moderniser les procédures d'évaluation et de mise sur le marché des médicaments** pour les maladies rares, **créer une délégation interministérielle** aux maladies rares et **poser la question du dépistage néo-natal à davantage de maladies**.

« *Depuis trente ans, nous concentrons nos forces et nos capacités d'innovation dans la recherche de solutions pour répondre aux besoins des patients atteints de maladies rares. Il nous a semblé indispensable de donner la possibilité à tous les acteurs de la communauté*

*des maladies rares de partager leurs réflexions dans un forum dédié » a déclaré **Céline Khalifé, Directrice générale d'Alexion, AstraZeneca Rare Disease, France & BeLux***

Vous pouvez accéder au rapport complet et à l'ensemble des propositions en suivant ce lien.

A propos de Serge Guérin

Serge Guérin est sociologue. Il est professeur à Omnes Éducation où il dirige le MSc Directeur des établissements de santé. Précurseur et spécialiste des questions liées aux enjeux du vieillissement et de l'intergénérationnel, il travaille aussi sur les dynamiques et les formes d'action et de solidarité au sein de la société. Serge Guérin a publié une trentaine d'ouvrages dont La Silver économie chez la Charte, 2018 (avec D Boulbès), La guerre des générations aura-t-elle lieu ? chez Calmann-Lévy, 2017 (avec P. Tavoillot) et Silver Génération : 10 idées fausses à combattre sur les seniors chez Michalon, 2015

A propos du réseau OrphanDev

OrphanDev est le réseau national d'expertise FCRIN dédié aux maladies rares. Il s'agit une initiative collaborative public-privé unique qui rassemble professionnels de santé, chercheurs, entrepreneurs, industriels (biotech, medtech, laboratoires pharmaceutiques et leurs représentants, etc.), patients et familles de patients, tous mobilisés pour apporter des solutions innovantes aux patients atteints de maladies rares. OrphanDev est coordonné par le Pr Olivier Blin.

A propos d'Alexion, AstraZeneca Rare Disease

Alexion, AstraZeneca Rare Disease, est l'entité d'AstraZeneca dédiée aux maladies rares, créée à la suite de l'acquisition en 2021 d'Alexion Pharmaceuticals, Inc. En tant que leader des maladies rares depuis 30 ans, Alexion se concentre sur la découverte, le développement et la commercialisation de médicaments qui changent la vie de patients et de familles touchés par des maladies rares impactant gravement leurs conditions de vie. Ses projets de développement sont axés sur l'hématologie, la néphrologie, la neurologie, les troubles métaboliques, la cardiologie, et l'ophtalmologie. Basée à Boston, dans le Massachusetts, Alexion a des bureaux dans le monde entier et sert des patients dans plus de 50 pays. Plus d'informations sont disponibles sur www.alexionpharma.fr

Contact presse : Olivier Clement, +33 7 64 47 24 07, oclement@apcoworldwide.com