

Succès pour le premier forum régional de la région Poitou-Charentes !



Le 12 octobre, à Poitiers, une centaine de personnes ont pu entendre et discuter avec des intervenants de choix sur des sujets aussi variés que l'information sur les maladies rares, le fonctionnement d'un centre de référence, les cellules souches embryonnaires, l'agence européenne du médicament ou encore l'encadrement juridique des thérapies. Ce forum fut aussi l'occasion pour les associations de partager un déjeuner en toute convivialité.

Les prochains forums régionaux auront lieu le 16 novembre à Besançon pour la Franche-Comté et le 24 novembre à Brest pour la Bretagne. Les programmes de ces forums sont disponibles sur le site Internet de l'Alliance (www.alliance-maladies-rares.org, rubrique Agenda). D'autres forums régionaux sont d'ores et déjà prévus pour 2007 : en région PACA, en Basse Normandie et en Pays de la Loire. ▲

Des ateliers pour les président(e)s d'associations de l'Alliance

À la demande de plusieurs président(e)s, l'Alliance a organisé en juin dernier une matinée de rencontre et d'échanges entre président(e)s d'associations membres. Cette réunion, à laquelle une cinquantaine de personnes ont participé, fut riche et productive et l'Alliance s'est engagée à ce qu'il y ait une suite. Les questions et préoccupations des uns et des autres ont été regroupées en trois thèmes principaux, pour lesquels il a été décidé d'organiser des ateliers :

- **Animation et dynamisation de l'association**

Jeudi 19 octobre 2006,
de 10 heures à 16 heures 30

- **L'association et sa gestion administrative**

Mardi 28 novembre,
de 9 heures 30 à 12 heures 30

- **Relations de l'association avec le monde scientifique et médical**

Mardi 28 novembre,
de 14 heures à 17 heures

L'atelier "Animation et dynamisation de l'association"

Cet atelier s'est déroulé le jeudi 19 octobre 2006 et une trentaine de président(e)s y ont participé. Ce fut l'occasion pour les participants, à la fois d'exposer leurs difficultés, mais aussi de se nourrir des expériences et solutions de chacun. Un échange de bonnes pratiques qui a répondu aux attentes des présents.

Les participants ont articulé leurs échanges autour des thèmes qui sont les plus prégnants dans la vie quotidienne de leurs associations : le fonctionnement du conseil d'administration, l'écoute, le rôle du conseil scientifique, les relais régionaux, l'organisation de l'assemblée générale, la constitution d'un réseau européen, la relève des président(e)s ou encore l'élaboration de projets associatifs qui répondent au mieux aux attentes des adhérents.

A la fin de l'atelier, les participants ont suggéré de nouveaux thèmes de travail : la stratégie de communication de leurs associations, les essais cliniques et la recherche de subventions. Par ailleurs, les président(e)s ont déjà poursuivi les échanges commencés lors de ce premier atelier, sur la "liste groupe" des présidents. Un moyen pratique de se tenir informé et de s'entraider. ▲

L'Alliance obtient enfin son agrément !

C'est officiel : l'Alliance est désormais agréée au niveau national, pour représenter les usagers dans les instances hospitalières ou de santé publique, pour une période de cinq ans. L'arrêté qui entérine cet agrément est daté du 30 octobre 2006 et figure au Journal Officiel n° 263, du 14 novembre 2006 (page 17 079). ▲

Pour la rentrée scolaire 2007, un seul mot d'ordre: AN-TI-CI-PEZ!

La loi a changé. Désormais, un enfant handicapé peut systématiquement être inscrit dans l'école ou l'établissement scolaire de son quartier qui constitue l'établissement de référence de l'enfant. Il n'y sera pas forcément accueilli. Cela dépendra de son projet individuel de scolarisation. Mais l'État s'engage à lui proposer un parcours de formation, comme à favoriser, chaque fois que possible, sa scolarisation en milieu ordinaire.

Quel que soit le mode de scolarité qui sera retenu ou organisé, il faut impérativement inscrire son enfant dans son école de référence, dès le mois de janvier 2007, pour la rentrée scolaire de septembre 2007.



Contacts utiles :

→ Pour retrouver l'ensemble des informations utiles aux parents qui scolarisent leur enfant en milieu ordinaire, le site du **Ministère délégué à la Sécurité sociale, aux Personnes âgées, aux Personnes handicapées et à la famille**: www.handicap.gouv.fr

→ Pour les familles d'enfants handicapés, souvent confrontés aux problèmes de la scolarisation, le **numéro de la cellule d'écoute Handiscol**: **0 810 55 55 01** (prix d'un appel local).

→ Pour toutes vos questions sur le handicap, pour vous informer et vous orienter, un **numéro de renseignement téléphonique: numéro indigo** **0820 03 33 33** (0,12 € TTC par minute).

→ Des **guides de la loi handicap** sont aussi disponibles auprès de l'Alliance. ▲

Préparez-vous pour la prochaine Marche des maladies rares !

La septième Marche des maladies rares aura lieu le samedi 9 décembre !

Vous pouvez d'ores et déjà noter que le **rassemblement** se fera, comme les années précédentes, à l'hôpital Broussais, mais **plus tôt que d'habitude, à 13 heures 30**. Ainsi, cette année, une grande partie de la Marche se déroulera avant la nuit. Après avoir parcouru vaillamment 8 kilomètres à travers Paris, vous rejoindrez le plateau du Téléthon au Trocadéro, vers 19 heures 15. Comme les années précédentes, la Faculté Necker nous accueillera pour une halte bien

méritée: l'occasion de reprendre des forces. Pour cette septième Marche, nous serons une nouvelle fois accompagnés par notre fidèle partenaire, la Fondation Groupama pour la Santé.

Pour plus de renseignements, n'hésitez pas à consulter le site Internet de l'Alliance (www.alliance-maladies-rares.org), qui sera mis à jour régulièrement, ou à contacter l'Alliance au 01 56 53 53 40.

En attendant, remémorez-vous les meilleurs moments de la Marche 2005 en regardant le film, réalisé par des bénévoles, qui peut être téléchargé sur le site Internet de l'Alliance! ▲

2006

Jeudi 16 novembre
Les 5 ans de la Plateforme Maladies Rares

Samedi 18 novembre
Réunion d'Information des Membres (RIME)

Samedi 9 décembre
Marche des maladies rares

Jeudi 14 décembre
Conseil national

2007

Jeudi 18 janvier
Réunion des antennes régionales

Vendredi 26 et samedi 27 janvier
Formation "Écouter et soutenir"

Vendredi 2 et samedi 3 février
Formation "Communiquer dans le cadre de mon engagement associatif" niveau I

Jeudi 8 février
Réunion d'information des membres (RIME)

Jeudi 15 février
Les 10 ans d'Orphanet

Jeudi 15 mars
Forum national

Samedi 24 mars
Assemblée plénière

Vendredi 28 et samedi 29 septembre
Formation "Communiquer dans le cadre de mon engagement associatif" niveau 2

Dans les régions 2006

Jeudi 16 novembre
Forum régional à Besançon

Vendredi 24 novembre
Forum régional à Brest ▲



Maladies Rares

Merci aux personnes ayant participé à la rédaction et à la réalisation de ce numéro.

Alliance Maladies Rares
Plateforme Maladies Rares
102, rue Didot 75014 Paris
Tél. 01 56 53 53 40

E-mail: alliance@maladiesrares.org
www.alliance-maladies-rares.org

Maladies Rares Info Services

0 810 63 19 20

N° Azur, prix appel local

Du lundi au vendredi de 9 h à 18 h

● Plan maladies rares : zoom sur la filière de soins

Les centres de référence

L'un des axes majeurs du Plan national maladies rares 2005-2008 est la mise en place d'une centaine de centres de référence labellisés pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares. Ces centres, "têtes de pont" d'une filière de soins spécialisés dans la prise en charge de ces pathologies, devraient permettre de structurer l'offre de soins au niveau national, de développer une expertise clinique et de recherche et de favoriser l'accès aux innovations diagnostiques et thérapeutiques.

Bilan des campagnes de labellisation

34 centres ont été labellisés en 2004, 33 en 2005 et 36 en 2006, soit au total 103 centres et il reste un appel à projets pour 2007.

Répartition par maladie ou type de maladies

Maladies auto-immunes et systémiques rares	7 centres
Maladies cardiovasculaires rares	4 centres
Anomalies du développement embryonnaire d'origine génétique	9 centres
Maladies dermatologiques rares	4 centres
Maladies endocriniennes rares	6 centres
Maladies hépato-gastro-entérologiques rares	5 centres
Maladies hématologiques non malignes rares	10 centres
Maladies héréditaires du métabolisme	9 centres
Maladies neurologiques rares	13 centres
Maladies neuromusculaires	10 centres
Maladies pulmonaires rares	7 centres
Troubles sensoriels rares	6 centres
Maladies rénales rares	4 centres
Maladies osseuses rares	3 centres
Maladies immunitaires rares	1 centre
Maladies de la trame conjonctive	3 centres
Autres maladies rares	3 centres

Répartition par CHU et par région

Les CHU de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris abritent 55 centres de référence, soit plus de la moitié, les Hôpitaux Civils de Lyon 8, le CHU de Lille 6 et les 34 autres centres sont répartis sur le reste du territoire.

7 CHU n'ont pas de centre et concernent 5 régions administratives: Basse-Normandie, Centre, Champagne-Ardenne, Franche-Comté et Picardie.

Appel à projets 2007

Ce dernier appel à projets du Plan national maladies rares donnera la priorité aux maladies rares ou groupes de maladies rares non couvertes par les 3 précédents appels, sur la base des travaux d'Orphanet. La circulaire est parue et figure sur le site Internet du Ministère de la Santé et de la Solidarité (www.sante.gouv.fr). La procédure reste inchangée et la date limite de dépôt des dossiers aux ARH est fixée au 19 janvier 2007.

Les "centres de compétences"

La mise en place des centres de référence labellisés constitue une première étape dans l'organisation de la filière de soins pour les patients atteints de maladies rares. 103 centres sont labellisés à ce jour. L'objectif fixé par le ministre de labelliser une centaine de centres de référence à l'issue du plan national maladies rares 2005-2008 est déjà atteint et le prochain appel à projets complétera le dispositif pour couvrir l'ensemble du champ des maladies rares.

Les centres de référence labellisés n'ont pas vocation à prendre en charge tous les malades atteints de maladies rares. Ils doivent donc organiser progressivement le maillage territorial avec des structures de prise en charge. Il est apparu aux membres du Comité national consultatif de labellisation qu'il était donc indispensable de compléter le dispositif de

labellisation par l'identification de "**centres de compétences**" qui auraient vocation à travailler avec les centres de référence labellisés, notamment pour orienter les malades dont le diagnostic est particulièrement complexe, mais également pour assurer le suivi de la prise en charge des patients.

Une procédure d'identification et de reconnaissance de ces centres fera l'objet d'une circulaire à paraître avant la fin 2006 et un cahier des charges précisera leurs missions.

Le dispositif proposé "centres de référence/centres de compétences" devrait permettre de structurer, à partir de 2007, une organisation graduée de l'offre de soins, améliorant ainsi la prise en charge des malades, associant:

- un niveau d'expertise le plus souvent national (les centres de référence labellisés) qui

Les missions des centres de référence

- faciliter le diagnostic et définir une stratégie de prise en charge thérapeutique, psychologique et d'accompagnement social;
- définir et diffuser des protocoles de prise en charge en lien avec la Haute Autorité de Santé;
- coordonner les travaux de recherche et participer à la surveillance épidémiologique;
- participer à des actions de formation et d'information pour les professionnels de santé, les malades et leurs familles;
- animer et coordonner des réseaux de correspondants sanitaires et médico-sociaux;
- être des interlocuteurs privilégiés pour les tutelles et les associations de malades.

Le Plan et la liste des centres de référence labellisés peuvent être consultés sur www.alliance-maladies-rares.org

permet le diagnostic des cas complexes, la définition des référentiels et protocoles thérapeutiques, la surveillance épidémiologique et la coordination des activités de recherche;

- un niveau de prise en charge le plus souvent régional (les centres de compétences) permettant d'établir un diagnostic dans le cas des maladies rares les plus courantes, de mettre en œuvre une thérapeutique quand elle est disponible et d'organiser la prise en charge en lien avec les centres de référence labellisés et les acteurs et structures sanitaires et médico-sociales.

Reste un point noir: le financement de ces centres de compétences qui reste flou à ce jour, ce qui risque de faire capoter ce bel édifice!

Les associations qui n'ont pas répondu au premier questionnaire, envoyé le 2 octobre 2006, peuvent contacter Sophie Deveaux :

Tél : 01 56 53 53 48

sdeveaux@maladiesrares.org

“Mission centres de référence” de l'Alliance

Parce que les associations de malades attendent beaucoup des centres de référence, parce que l'Alliance s'est engagée à être vigilante quant à l'application du Plan maladies rares, le Conseil national a décidé de se donner les moyens de pouvoir apprécier ce qui se vivait sur le terrain depuis la labellisation d'un certain nombre de centres, du côté des associations et du côté des équipes de ces centres.

Pour cette mission, sous forme d'enquête, l'Alliance a recruté une personne, Sophie Deveaux, docteur en génétique moléculaire, que vous pouvez joindre au 01 56 53 53 48 ou par mail sdeveaux@maladiesrares.org pour toutes questions concernant les centres de référence.

Sophie Deveaux répond à nos questions.

Pourquoi cette enquête ?

“Cette enquête s'adresse tout d'abord aux associations de l'Alliance. Elle vise à recueillir le ressenti des malades et de leurs familles sur les changements apportés par la labellisation des centres de référence. Globalement, cette enquête a pour objet de déterminer les points forts des centres de référence, mais aussi les problèmes, tant du point de vue des malades que des équipes des centres.”

Comment se déroule cette enquête ?

“Le 2 octobre, un premier questionnaire a été adressé à toutes les associations membres de l'Alliance. Il visait à déterminer quelles sont les pathologies couvertes par un centre de référence, et celles qui ne le sont pas. Cette première phase s'est révélée très importante. En effet, nous nous sommes aperçus que certaines pathologies étaient couvertes par un centre de référence, mais que les associations concernées l'ignoraient. Il importe de détecter ces défaillances dans la circulation de l'information. De mon côté, je peux aider ces associations à s'orienter.”

Comment poursuivez-vous l'enquête auprès des associations qui bénéficient d'un centre de référence ?

“J'ai établi un second questionnaire, plus approfondi que le premier, pour les associations dont

la ou les maladies bénéficient d'un centre. Il s'agit de savoir si les associations sont satisfaites de leur centre de référence, ce que le centre leur apporte, mais aussi quels sont les problèmes rencontrés. Nous cherchons à savoir si les centres de référence résolvent les problèmes des malades et des familles, par exemple en améliorant l'accueil des malades, en raccourcissant les délais de rendez-vous, ou en développant l'information sur les pathologies. Nous souhaitons aussi savoir si les centres de référence contribuent au renforcement des échanges entre les malades, les familles et les équipes des centres. J'ai approfondi ce questionnaire au cours d'entretiens, afin de savoir si les centres de référence couvrent bien tous les besoins des malades, tant du point de vue médical, que paramédical et médico-social.”

Qu'en est-il pour les associations qui n'ont pas de centre de référence ?

“Je m'entretiens avec ces associations, afin de connaître leurs attentes. Ces entretiens me fournissent des éléments qui vont permettre à l'Alliance d'argumenter sur certains dossiers auprès du Comité national consultatif de labellisation (CNCL), durant la vague de labellisation qui est en cours. Ces entretiens permettent également de détecter quels sont les manques majeurs.”

Avez-vous déjà relevé certains problèmes ?

“Le travail d'enquête n'est pas encore assez abouti. Toutefois, il ressort d'ores et déjà que les intitulés des centres de référence ne sont pas toujours très clairs en ce qui concerne les pathologies couvertes. Le CNCL a d'ailleurs entamé une réflexion sur ce sujet, qui nécessite d'agir rapidement, car ce manque de clarté dans les intitulés retarde la prise en charge des malades.”

Qu'en est-il du second volet de votre enquête : les coordonnateurs ?

“J'ai adressé un courrier électronique aux coordonnateurs pour leur présenter l'enquête et leur demander leur concours. Je leur ai également envoyé un questionnaire assez général, que j'ai approfondi désormais au cours d'entretiens.”

Ce questionnaire a-t-il été adressé à tous les coordonnateurs ?

“Tel n'est pas le cas. Pour mémoire, trois vagues de labellisation ont eu lieu jusqu'à présent : à la fin novembre 2004, en octobre 2005 et en juillet 2006. Nous avons décidé de mener notre enquête auprès des centres labellisés en 2004 et en 2005, soit 67 centres au total, ce qui représentera plus de la moitié des centres labellisés. Nous estimons que ceux qui ont été labellisés en 2006 ne disposent pas encore du recul suffisant pour apporter des réponses complètes. Nous interrogerons néanmoins brièvement quelques centres labellisés en 2006, ne serait-ce que pour nous assurer que ces derniers ont effectivement reçu leur financement.”

Cette enquête n'intervient-elle pas un peu tôt ?

“Je ne le pense pas. Elle va nous permettre de détecter les problèmes très rapidement et de mesurer la satisfaction des familles et des malades. Il s'agit de dresser un point d'étape. En outre, la labellisation valide le travail déjà effectué par certains services hospitaliers. Grâce au questionnaire, il s'agira de savoir si les centres ont bien reçu leur financement et quels sont les apports du label, vis-à-vis des autres professionnels ou des instances dirigeantes des hôpitaux. La labellisation valide une expertise au niveau national, européen, voire international. Nous souhaitons aussi savoir ce que la labellisation apporte aux professionnels dans leurs relations avec les malades, si elle a entraîné un afflux de patients, par exemple. Il nous importe aussi de savoir si la labellisation entraîne des difficultés pour les centres, par exemple en termes de charge de travail. Les centres labellisés doivent notamment renforcer leurs missions d'information et de formation, des activités nouvelles pour certains d'entre eux.”

Quelles seront les suites données à cette enquête ?

“L'Alliance en présentera les résultats lors d'un Forum national. Nous espérons également que les premiers résultats de cette enquête pourront être utiles au CNCL lors de l'étude des prochains dossiers. Cette enquête s'inscrit pleinement dans la mission de vigilance de l'Alliance vis-à-vis de l'application du Plan national maladies rares. Elle alimentera également la réflexion en cours sur les centres "experts" au niveau européen.” ▲

Forum national sur les centres de référence le 15 mars 2007

Le Forum national “centres de référence” se tiendra à Paris, le 15 mars 2007. À cette occasion, seront restitués les résultats de l'enquête “centres de référence” menée par l'Alliance. Ce Forum sera aussi l'occasion de se pencher sur l'organisation de la filière de soins pour les maladies rares, avec la mise en place des futurs centres de compétence.



L'Alliance en régions

Nomination des délégués régionaux de l'Alliance

Le processus de régionalisation de l'Alliance prenant de l'ampleur, le Conseil national a souhaité inscrire la régionalisation dans ses statuts. C'est ainsi que l'Assemblée plénière du 1^{er} avril de cette année a adopté à l'unanimité un nouvel article rédigé comme suit: "L'Alliance Maladies Rares couvre le territoire national par des implantations en régions correspondant aux régions administratives, dénommées "antennes régionales de l'Alliance". Chaque antenne est animée par un "délégué régional", désigné par le Conseil

national selon des modalités précisées dans le règlement intérieur." Le Conseil national a donc désigné des délégués régionaux. L'Alliance est donc présente dans vingt-et-une régions. Leur mission: établir un contact avec les autorités sanitaires régionales pour les informer du Plan national maladies rares et des spécificités de ces pathologies; voir ensuite quelles propositions d'actions pourraient être envisagées pour une meilleure prise en charge des malades et des familles dans la région.

Les délégués régionaux de l'Alliance

AQUITAINE

Françoise TISSOT
9, place des Cèdres
33000 Bordeaux
05 56 24 70 20
06 09 96 77 80
alantissot@yahoo.fr

AUVERGNE

Roger PICARD
Le Bourg BP 15
63220 Chaumont-Le-Bourg
tel/fax: 04 73 95 11 60
06 07 23 62 12
roger.picard@huntington.asso.fr

BASSE-NORMANDIE

Viviane VIOLLET
11, le Clos des Forges
61700 Les Forges St Bômer
02 33 64 95 17
vivianeviollet@aol.com

BOURGOGNE

Sylvie CASTELLA
5, rue de la Chaumière
21240 Talant
03 80 55 57 48
sylvie.castella@huntington.asso.fr

BRETAGNE

Ginette VOLF-PHILIPPOT
BP 21 22700 Perros Guirec
06 07 35 48 69
presidente@lupusfrance.fr

CENTRE

Alain HUGUET
9, passage des Noisetiers
45750 St Pryvé-St Mesmin
02 38 51 31 32
pierrette.huguet@wanadoo.fr

CHAMPAGNE-ARDENNE

Marie-Françoise MERESSE
28, rue Prieur de la Marne
51100 Reims
03 26 02 02 74
mf.meresse@wanadoo.fr

FRANCHE-COMTÉ

Philippe GRAMMONT
7D, rue des Granges
25000 Besançon
03 81 83 52 40
asl.spastic@wanadoo.fr

HAUTE-NORMANDIE

Virginie NAVARRO
2, rés. le Clos de Langle
29, allée Simone Signoret
27940 Aubevoye
06 16 29 12 76
virginie.navarro@huntington.asso.fr

ILE-DE-FRANCE

Paulette MORIN
13, allée des Terrasses
77200 Torcy
01 64 62 03 75
06 80 32 59 69

LANGUEDOC-ROUSSILLON

Olivier NEGRE
Villa le Cèdre
172, route d'Avignon
30000 Nîmes
04 66 67 13 63

LIMOUSIN

Dominique VERGNAUD
8, rue Lucien Rougerie
87000 Limoges
05 55 30 76 15
vergnaud.dominique@voila.fr

LORRAINE

Marianne RIVIERE
34, rue principale Lemestroff
57970 Oudrenne
03 82 55 09 23
06 85 17 49 59
riviere.marianne@wanadoo.fr

NORD-PAS-DE-CALAIS

Jean-Pierre BLOIS
285, sentier de Bouchain
59111 Hordain
03 27 26 17 50
06 85 13 37 83
jpblois@tiscali.fr

PROVENCE-ALPES- CÔTE D'AZUR

Philippe BRUN
20, rue ÉTIENNE Milan
13008 Marseille
04 91 22 88 69
06 76 34 15 59
assymcal@wanadoo.fr

PAYS DE LA LOIRE

Dominique LE BERRE
1, rue du Champ de l'Alouette
44240 La Chapelle-sur-Erdre
02 51 12 99 80
astb.grandouest@wanadoo.fr

PICARDIE

Nadine NOUGAREDE
15, rue le Féron
60200 Compiègne
06 33 87 20 81
nougana@hotmail.fr

POITOU CHARENTES

Jean Claude LOPEZ
2, chemin des Mésanges
17540 Anais
05 46 68 23 70
a.jc.lopez@cegetel.net

RHÔNE-ALPES

Pascal TREFFOT
Sainte-Euphémie
26240 Saint-Uze
06 62 17 27 01
pascal.treffot@wanadoo.fr

L'Alliance est représentée

EN ALSACE par:

Marianne RIVIERE
34, rue Principale Lemestroff
57970 Oudrenne
03 82 55 09 23
06 85 17 49 59
riviere.marianne@wanadoo.fr

Le correspondant de l'Alliance

EN MIDI-PYRÉNÉES est:

Pascal DERO
(Président de l'Association
des Maladies Orphelines
Midi-Pyrénées)
ADMO-MP
Hôpital Joseph Ducuing
15, rue de Varsovie
31076 Toulouse Cedex
05 61 77 50 50
pascal.dero@wanadoo.fr

