



Communiqué de presse
Paris, 28 Février 2024

A l'occasion de la Journée internationale des maladies rares

4E PLAN NATIONAL MALADIES RARES :

VAINCRE LA MUCOVISCIDOSE DEMANDE UN PLAN AMBITIEUX QUI NE FASSE PAS L'IMPASSE D'UN TRAITEMENT DE CHOC POUR SAUVER L'HÔPITAL

A la veille de la Journée internationale des maladies rares et à l'aune du 4e Plan national maladies rares, Vaincre la Mucoviscidose, forte de près de 60 ans d'expérience dans son combat, appelle les pouvoirs publics à intensifier leurs actions en faveur de la lutte contre l'ensemble des maladies rares. Les dysfonctionnements structurels actuels dont souffre le système de santé français mettent en péril la prise en charge des patients atteints de maladies rares.

En 60 ans, Vaincre la Mucoviscidose avec l'ensemble de la communauté scientifique et médicale et le soutien des pouvoirs publics a su faire reculer la maladie, l'une des maladies rares les plus fréquentes, sans toutefois la vaincre... Si, il y a 60 ans, la mucoviscidose était essentiellement une maladie pédiatrique, aujourd'hui, les adultes représentent près de 65 % de la population atteinte de mucoviscidose ! Ce succès partiel, on le doit, en partie, à une structuration efficace du parcours de soins français : systématisation du dépistage néonatal, création d'une cinquantaine de centres de soins spécialisés (CRCM : centres de ressources de compétences de la mucoviscidose) regroupant des équipes pluridisciplinaires de professionnels experts. La mise sur le marché récente de la trithérapie (Kaftrio) constitue une avancée majeure sans toutefois permettre d'entrevoir la guérison et ne concerne pas toutes les personnes malades.

Mais, aujourd'hui, [ce modèle français de la prise en charge de la mucoviscidose souffre d'une crise du système de santé et d'une crise de l'hôpital entravant sévèrement la qualité du parcours de soin](#). Les patients atteints de mucoviscidose, à l'instar des autres patients atteints de maladies rares, subissent de plein fouet le manque de personnel soignant, les insuffisances matérielles et logistiques, la pénurie des médicaments... Les professionnels de santé sont las de gaspiller leur temps à des contraintes administratives ou à des recherches de financement, au détriment du temps passé auprès des patients.

Un 4e Plan national maladies rares :

Sauver l'hôpital, c'est remettre le patient au cœur des priorités

Le 4e Plan national maladies rares devrait être lancé, par le Gouvernement, en ce mois de mars. Vaincre la Mucoviscidose, témoin des situations vécues par les personnes malades et leurs familles, demande aux pouvoirs publics de consolider et développer les financements hospitaliers. Au-delà du financement, c'est l'attractivité de la fonction publique hospitalière qu'il est urgent de rétablir.

L'hôpital est l'élément pivot de la prise en charge des maladies rares. Les moyens dévolus aux CRCM doivent être sanctuarisés et développés au regard de l'augmentation de la population suivie. L'hôpital en proie à des difficultés financières, n'affecte pas l'intégralité de moyens (MIG & T2A) qui leurs sont dévolus dans le suivi des patients atteints de mucoviscidose pour pallier l'insuffisance de financement d'autres activités. Conséquence directe : sur les 5 dernières années, Vaincre la Mucoviscidose a consacré 7 millions d'euros au financement de postes de soignants dans les CRCM pour combler l'insuffisance de financement des hôpitaux.

Un 4e Plan national maladies rares : Redéfinir les parcours de santé au regard de l'évolution des besoins de santé

Ce 4e Plan national maladies rares doit aussi prendre en considération l'évolution dans les traitements des maladies et la pluralité des profils de patients, rendant obsolètes les parcours de soins préétablis jusqu'à présent. Il s'agit, donc, de :

- **Adapter le parcours de soins à l'évolution de la mucoviscidose, aujourd'hui devenue maladie plurielle.** Il est urgent de redéfinir un parcours de soins personnalisé en fonction des besoins de chaque patient et coordonné entre les centres hospitaliers spécialisés et la médecine de ville.
- **Favoriser la prévention et le traitement des comorbidités.** En 10 ans de lutte contre la mucoviscidose, l'âge moyen au décès a reculé de 10 ans. En revanche, cette avancée en âge entraîne l'apparition d'autres comorbidités tels que le diabète, le cancer et l'aggravation de trouble digestifs et hépatiques.
- **Prendre en compte les impacts sociaux et psychologiques de la maladie.** Jusqu'à présent le parcours de santé était centré sur l'aspect médical de la maladie. Mais, vivre avec une maladie rare, pour la plupart incurable et mortelle, a de fortes répercussions sociales et psychologiques chez les personnes malades. Il est plus urgent de mieux comprendre l'ensemble de ces conséquences, en développant la recherche en sciences humaines et sociales, en assurant l'effectivité des droits des patients, en finançant de façon pérenne des postes de psychologues au sein même des centres hospitaliers et en ville. Le dispositif « Monpsy » s'avère insuffisant au regard du nombre des séances possibles et du montant pris en charge.
- **Assurer la prise en charge financière de l'activité physique adaptée (APA) pour les patients atteints de pathologies chroniques et notamment respiratoires.** L'APA, reconnue comme thérapeutique non médicamenteuse par la Haute autorité de santé en 2011 ne bénéficie d'aucun financement pérenne et national, obligeant les associations de patients ou certaines mutuelles à financer sur leurs fonds propres l'activité physique adaptée.

- **Financer la collecte de données autour des maladies rares.** La connaissance des besoins se heurte à l'insuffisance de collecte des données de santé des personnes atteintes de maladies rares, faute pour la plupart du temps de financement. Sans ces données, la recherche et la médecine avancent à l'aveugle. Il est urgent de développer le financement de la collecte de données de santé dans le champ des maladies rares où trop peu de laboratoires pharmaceutiques investissent.
- **Accélérer la recherche pour obtenir un traitement efficace pour tous les patients.** Environ 25% des patients ne pourront pas accéder aux nouveaux traitements sous modulateurs au regard de leur profil génétique ou du fait qu'ils ont bénéficié d'une transplantation pulmonaire. Vaincre la Mucoviscidose a développé un plan d'investissement ambitieux au financement de projets qui leur sont destinés : plus de 3 millions d'euros. Le 4ème Plan national doit s'accompagner d'une stratégie ambitieuse pour la recherche en faveur des maladies rares.

La prise en charge de la mucoviscidose reste un modèle pour bon nombre de maladies rares. Un des défis du 4e Plan réside aussi, dans le fait, que le modèle de cette prise en charge soit transposé à d'autres maladies avec des centres dédiés.

Vaincre la Mucoviscidose attend donc du Gouvernement un plan ambitieux répondant aux besoins et aux attentes des personnes malades, de leurs proches mais aussi des professionnels de santé et des chercheurs.

A propos de Vaincre la Mucoviscidose :

Créée en 1965 par des parents de jeunes patients et des soignants, Vaincre la Mucoviscidose se consacre à l'accompagnement des personnes malades et de leur famille dans chaque aspect de leur vie bouleversée par la maladie. L'association organise son action autour de quatre missions prioritaires : guérir, soigner, améliorer la qualité de vie, et informer et sensibiliser. L'association se bat jour après jour pour trouver des nouveaux traitements afin que chaque patient puisse vivre mieux avec la maladie, se projeter dans l'avenir et guérir un jour. Défenseure acharnée des personnes malades et de leurs proches, elle milite pour faire entendre et faire reconnaître leurs droits. Vaincre la Mucoviscidose est une association reconnue d'utilité publique, labellisée par le Don en confiance et habilitée à recevoir des legs, des donations et des assurances-vie. En savoir plus : vaincrelamuco.org

Contact presse :

Pierre GERARD

pgerard@vaincrelamuco.org

07 52 05 34 96

