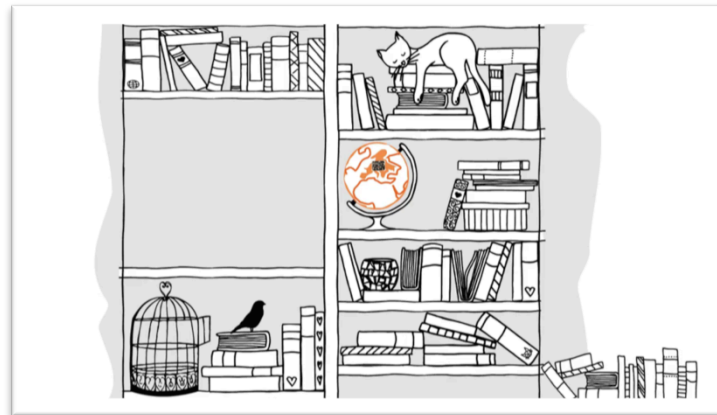




Panorama de la recherche dans les maladies rares



SERIE « 1 min pour comprendre »
[Qu'est ce qu'une maladie rare ?](#)



LES SPECIFICITES DE LA RECHERCHE FACE A LA RARETE D'UNE MALADIE

- ✓ 1/3 de malades **sans diagnostic**
- ✓ **4 ans d'errance diagnostique** en moyenne
- ✓ 97% de maladies **sans traitement**

Les défis sont multiples

- ✓ Une recherche à coordonner
- ✓ Une recherche à financer
- ✓ Une recherche à intensifier

La mobilisation des malades, de leurs proches et des associations est à l'origine des prises de conscience et avancées dans la recherche.

A L'INTERNATIONAL

IRDIRC

Consortium international de recherche dédié aux maladies rares
3 nouveaux objectifs pour 2027

- Un délai de diagnostic raccourci pour tous
- 1000 nouvelles thérapies pour les maladies rares
- Des évaluations de l'impact du diagnostic et du traitement

EURORDIS

Alliance non gouvernementale d'associations de malades représentant 792 associations de patients atteints de maladies rares dans 69 pays

A L'INTERNATIONAL

ERN

Réseaux européens de référence qui réunissent des professionnels de santé hautement spécialisés des différents Etats Membres de l'Union Européenne dans les domaines où l'expertise est rare.

La Commission européenne

La Commission européenne a lancé un appel fin 2017, pour un European Joint Programme (EJP) Cofund pour les maladies rares : cet instrument permettra une organisation stratégique de haut niveau de la recherche.

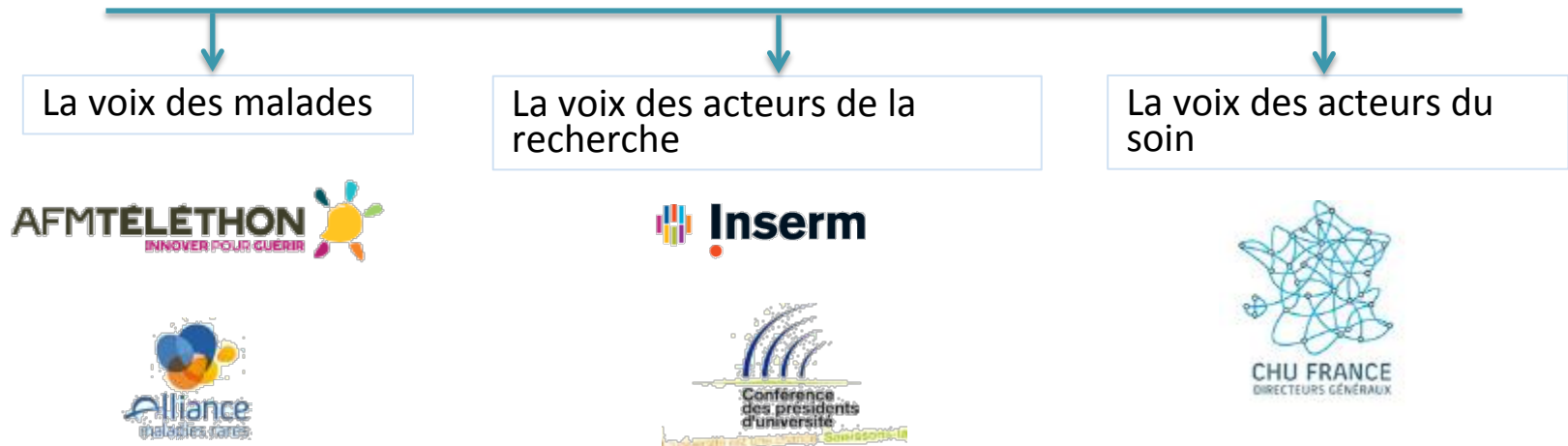
EN FRANCE

- ✓ Depuis 2005, un enjeu de santé publique
- ✓ 1^{er} pays à adopter en Europe un **plan national maladies rares**
- ✓ Un vrai travail collaboratif entre les acteurs de la recherche, du soin et les associations de patients pour la mise en place d'un **3^e Plan National Maladies Rares**.

MODELE D'UNE OFFRE DE SOINS SPÉCIFIQUE STRUCTURÉE

- ✓ 23 filières de santé maladies rares
- ✓ 387 centres de référence maladies rares
- ✓ 1845 centres de compétences

- ✓ Fondation de coopération scientifique
- ✓ Créée dans le cadre du 2^{ème} Plan National Maladies Rares 2011-2016, par décret du Ministère de l'Enseignement supérieur et de la Recherche le 7 février 2012
- ✓ Née de la volonté conjointe de 5 acteurs impliqués dans la recherche et la prise en charge des maladies rares



ACCÉLÉRER LA RECHERCHE
POUR TOUTES LES MALADIES RARES
pour :

DECRYPTER LES MALADIES

- Aider au diagnostic en identifiant la cause des maladies
- Aider au développement de nouveaux traitements

AMÉLIORER LE QUOTIDIEN DES PERSONNES MALADES

- Rompre l'isolement des personnes malades et de leur famille





320 projets lauréats

+ de 975 dossiers soumis

9,4 M€ attribués

+ de 15 plateformes partenaires



88 preuves de concept accompagnées