MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES

Liberté
Égalité
Fraternité

Direction générale
de l'offre de soins

maladies rares

PLAN NATIONAL 4 MALADIES RARES 2025 2030
DES TERRITOIRES A L'EUROPE

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

FIMATHO
Filière Santé Maladies Rares

Nouvelles orientations du PNMR4

Anne-Sophie Lapointe
Cheffe de la mission maladies rares - DGOS

20 ans de planification dans le système de santé français

Une adaptation progressive des programmes nationaux aux enjeux territoriaux

Les plans nationaux maladies rares ont structuré progressivement la prise en charge. Le **premier** a jeté les bases avec la création de centres de référence et le portail Orphanet. Le **deuxième** a consolidé les soins via les FSMR, lancé la BNDMR et ouvert la coopération européenne. Le **troisième** a renforcé les réseaux, axé sur l'innovation, la qualité de vie et la réduction de l'errance diagnostique.

Le **quatrième** Plan renforce la dimension européenne, favorise le diagnostic précoce, l'autonomisation des patients et l'intégration des données de santé, tout en consolidant les liens entre soins, recherche et associations.

Un PNMR4 en co-construction

Un parcours de soin structuré et européen

Le PNMR4 est élaboré en co-construction, mobilisant quatre groupes de travail.

Le GT1, intitulé Parcours de vie et de soin, se concentre sur la coordination entre la ville et l'hôpital, la transition enfant-adulte, la formation des professionnels, et la diffusion des bonnes pratiques à l'échelle européenne.

Améliorer et accélérer le diagnostic

Le GT2, Renforcement de l'axe diagnostique, vise à améliorer l'identification des maladies via un observatoire du diagnostic, la médecine génomique, et le dépistage néonatal.

Ces actions s'inscrivent dans une volonté d'accélérer les diagnostics précoces, réduire l'errance médicale et harmoniser les pratiques sur le territoire.

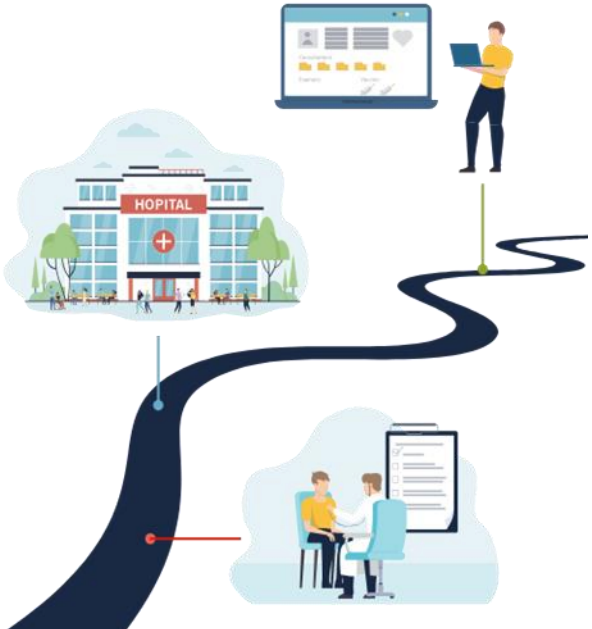
Accès aux traitements et valorisation des données

Le GT3, Accès aux traitements et aux innovations, se penche sur l'accès au marché, l'observatoire des traitements, les données de vie réelle et la recherche transitionnelle.

Le GT4, Données de santé MR et biobanques, traite du partage des données, du pilotage et de l'interopérabilité, ainsi que du développement des biobanques.

Mise en place avec une : Réunion interministérielle (RIM)

Quatrième plan national maladies rares (PNMR4)



MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES
Liberté
Égalité
Fraternité

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

Direction générale de l'offre de soins — maladies rares — PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4 2025 2030 DES TERRITOIRES A L'EUROPE

Lancement du PNMR4

Discours des ministres : Catherine VAUTRIN / Yannick NEUDER / Philippe BAPTISTE / Yannick NEUDER

Table ronde avec contributeurs des GT du PNMR4 :

Axe 1 : Pr Brigitte CHABROL et Anne-Sophie LAPOINTE (mission maladies rares, DGOS)

Axe 2 : Pr Sylvie ODENT (Vice-présidente du PNMR4) et Marine JEANTET (agence de la biomédecine)

Axe 3 : Pr Alexandre BELOT (Vice-président du PNMR4) et Charles-Edouard ESCURAT (agence de l'innovation en santé)

Axe 4 : Pr Guillaume JONDEAU et Alban LERMINE (directeur de la banque nationale des données maladies rares)

Parole de l'Alliance maladies rares au nom des associations de patients Hélène BERRUÉ-GAILLARD, présidente de l'Alliance maladies rares

MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES
Liberté
Égalité
Fraternité

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

Direction générale de l'offre de soins

maladies rares

PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4 2025 2030
DES TERRITOIRES À L'EUROPE

Lancement du PNMR4

Titre : « Plan national maladies rares 4 (2025-2030) : des territoires vers l'Europe »

Comme tous les plans précédents, la durée du PNMR4 couvre 5 années, soit de 2025 à 2030 : Le PNMR4 sera pour la première fois porté également avec le ministère chargé de l'industrie, en plus de la santé et de la recherche

Sous-titre : « Les plans nationaux maladies rares en France : plus de 20 ans d'actions au service des personnes touchées par une maladie rare. Pour un parcours de soin fluide et coordonné, avec un diagnostic rapide et l'accès à de nouvelles thérapies, des soins de qualité centrés sur la personne malade et davantage de formation et d'information sur les maladies rares. Pour soutenir un accompagnement social, humain et solidaire et une recherche porteuse d'espoir. »

GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

Vers un 4ème Plan National Maladies Rares (PNMR4)
Catherine Vautrin, Sylvie Retailleau, Roland Lescure et Frédéric Valletoux annoncent un soutien renforcé pour les personnes malades par un maillage territorial plus étroit avec la labellisation des nouveaux centres de référence maladies rares et le renforcement de la collecte des données de santé entre la France et l'Europe.

Paris, le 29/02/2024

MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES
Liberté
Égalité
Fraternité

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

Direction générale de l'offre de soins

maladies rares

PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4 2025 2030
DES TERRITOIRES A L'EUROPE

Le PNMR4, un investissement sur 4 Axes

Un développement interdisciplinaire, décliné en 26 objectifs et 75 actions.

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS
8 objectifs et 22 actions

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES
4 objectifs et 16 actions

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC
10 objectifs et 24 actions

RARE DISEASES

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES
4 objectifs et 13 actions

MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES
Liberté
Égalité
Fraternité

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

Direction générale de l'offre de soins

maladies rares

PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4 2025 2030
DES TERRITOIRES A L'EUROPE

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Le 1er axe du PNMR4 se concentre sur

L'amélioration de l'accès aux soins dans les centres experts

La coordination entre les structures hospitalières et les soins de ville ainsi que l'optimisation du parcours de santé des patients

Il inclut des mesures pour renforcer l'éducation thérapeutique des patients, améliorer les périodes de transition – adolescence, vieillissement, grossesse – et mobilise les outils numériques pour soutenir la coordination des soins.

Soutien à la structuration de la recherche clinique pour les maladies rares: création d'un réseau national de Centres d'Etudes et d'Innovation Maladies Rares (CLEIO) en lien avec PedStart et kids France (implication patients). Parmi les objectifs, augmenter le nombre d'essais cliniques de Médicaments de Thérapie Innovante (MTI)

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS

8 objectifs et 22 actions

FIMATHO
Filière Santé Maladies Rares

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS

Objectif 2 : Renforcer la coordination ville-hôpital et les parcours de santé, de soins et de vie.

Action 2.1 : Renforcer la coordination entre la ville et l'hôpital, en soutenant les prises en charge multidisciplinaires proches du domicile pour les patients ayant un handicap important.

Action 2.2 : Consolider les plateformes d'expertise et de coordination en Outre-Mer en intégrant les acteurs locaux pour structurer des parcours adaptés aux spécificités territoriales,

Action 2.3 : Promouvoir les parcours innovants pour les maladies rares via l'article 51, en accompagnant leur généralisation à l'échelle nationale.

Action 2.4 : Mettre à disposition des professionnels et des patients des Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins pour harmoniser les pratiques.

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS
8 objectifs et 22 actions

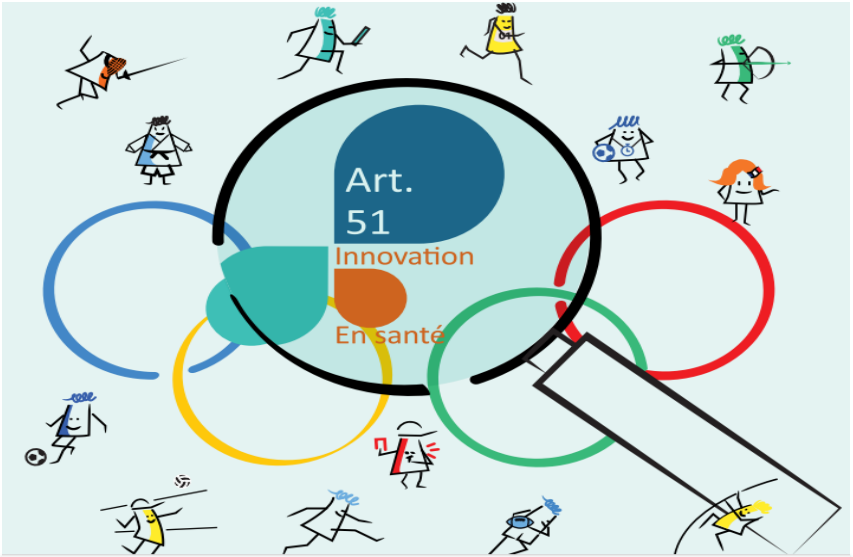
L'élaboration de projets innovants renforçant le lien Ville-hôpital comme le projet de l'AFM Téléthon avec l'Article 51 ou le projet pilote NeuroRare de Brainteam

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Un plan prenant en considération des évolutions et adaptations en réactions aux plans précédents

L'Article 51 de la Loi de Financement de la Sécurité Sociale (LFSS) pour 2018 a instauré un dispositif permettant d'expérimenter de nouvelles organisations en santé, notamment en matière de financement, afin d'améliorer le parcours des patients et l'efficience du système de santé.

Dans ce contexte, l'AFM-Téléthon a initié une expérimentation en Corse, visant à adapter son modèle d'accompagnement des maladies neuromusculaires à des pathologies neurodégénératives invalidantes, telles que la sclérose en plaques et la maladie de Parkinson chez les patients de moins de 60 ans.



La cohésion des territoires comme mesure phare du PNMR 4 en réaction aux projets portés et développés : Exemple de l'Article 51.

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Un plan prenant en considération des évolutions et adaptations en réactions aux plans précédents

- Cette initiative repose sur la mise en place de Référents Parcours de Santé, professionnels transdisciplinaires servant d'interlocuteurs uniques pour les patients et leurs familles. **Les RPS collaborent avec les acteurs locaux pour coordonner une prise en charge complète.**

- L'objectif est d'améliorer la qualité de vie des patients, de réduire les ruptures dans leur parcours de soins et de renforcer la coordination entre les professionnels de santé locaux et les centres de référence situés sur le continent. Le développement de la télémédecine est également envisagé pour limiter les déplacements des patients.

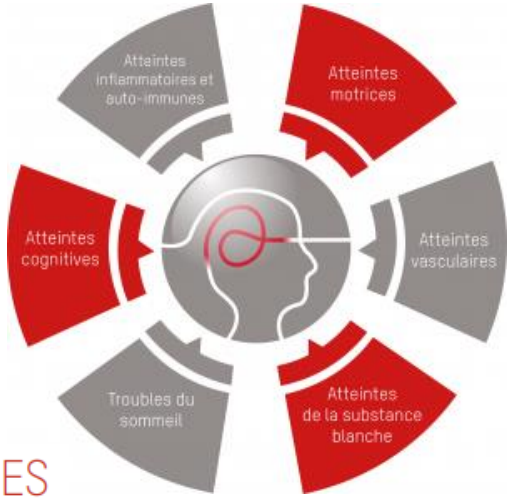
Art. 51 Innovation En santé

La directrice générale de l'ARS Corse a pris un arrêté en date du 15 octobre 2024 autorisant l'AFM Téléthon à poursuivre l'expérimentation durant une période transitoire de 18 mois soit jusqu'au 14 avril 2026 au plus tard

Soutient d'actions pour l'autonomie du patient

Focalisation sur le projet pilote NEURORARE

Le projet NeuroRare a pour ambition de déployer une équipe mobile interdisciplinaire capable d'intervenir directement sur les lieux de vie des patients. Cette approche vise à améliorer la prise en charge médicale et sociale des personnes atteintes de maladies neurologiques rares, en particulier celles confrontées à des situations complexes ou à des difficultés d'accès aux soins.



ACTIONS MAJEURES réalisées en 2023

- En C3 2023, la filière a reçu un financement DGOS pour un projet pilote pour développer une équipe mobile maladies rares neurologiques « Neuro Rare », au CHU d'Angers (porteur PRIOR).

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS

Objectif 5 : Sensibiliser, informer et former aux maladies rares

Action 5.1 : Renforcer la communication et la formation autour des maladies rares en structurant une stratégie coordonnée avec les acteurs clés (DGOS, Orphanet, FSMR, etc.). Former les professionnels de santé (médecins, infirmiers…) et soutenir les nouveaux métiers d'accompagnement dans le parcours de vie des patients.

Action 5.2 : Mettre en place une communication spécifique des parcours de soins en génétique pour les maladies rares, coordonnée par l'Agence de Biomédecine

Action 5.3 : Valoriser le statut de patient partenaire

Un enjeu sur le terrain dans les établissements (ex. Lyon, Nice, Toulouse,….)

FIMATHO
Filière Santé Maladies Rares

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS
8 objectifs et 22 actions

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS

OBJECTIF 6 : Mettre les outils de la santé numérique au service de la coordination des parcours maladies rares

Action 6.3 – Créer l'application "France maladies rares" connectée à la BNDMR. Développer une plateforme numérique intégrée à la BNDMR, accessible aux patients, professionnels et associations, permettant :

- Le partage et l'enrichissement des données (SDM, phénotypes, arbres généalogiques, PROs). L'accès aux données personnelles de santé et au e-consentement.
- Une interopérabilité avec "Mon espace santé" et un référencement dans son catalogue. Une interface facilitant le suivi, la recherche et l'implication active des personnes concernées par une maladie rare..

AXE 1 : AMELIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS
8 objectifs et 22 actions

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Le deuxième axe du PNMR4 se concentre sur

- **Renforcer les outils existants** : Poursuite de l'observatoire du diagnostic, des registres d'errance et d'impasse diagnostique, en lien avec les FSMR et le plan France Médecine Génomique 2025
- **Améliorer l'accès au diagnostic** : Réduire les délais, faciliter l'accès à la médecine experte, et organiser la réinterprétation des données génomiques.
- **Anticiper les évolutions** : Répondre aux avancées technologiques (automatisation, tests fonctionnels), combler le manque de professionnels formés, et intégrer les nouvelles possibilités de dépistage.

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC

10 objectifs et 24 actions

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC

Objectif 9 – Accompagner et renforcer le rôle de l'observatoire du diagnostic

- **Action 9.1 :** Poursuivre le déploiement d'outils automatisés et durables pour alimenter la base BaMaRa, notamment pour les patients sans diagnostic. Renforcer la collaboration avec Orphanet et les ERNs pour améliorer le codage ORPHA, y compris dans les registres européens. Les FSMR continueront à renseigner les registres complémentaires lancés lors du PNMR3.

- **Action 9.2 :** Étendre le champ de l'observatoire à d'autres techniques diagnostiques (génétique, biochimie, imagerie, neuropathologie…) et intégrer la fœtopathologie dans les FSMR concernées. Développer, avec la HAS et Santé publique France, des indicateurs médico-économiques pour évaluer l'efficacité des parcours de diagnostic et guider les décisions de santé publique.

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC
10 objectifs et 24 actions

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC

Objectif 14 : Accélérer et simplifier le diagnostic des maladies rares

- **Action 14.1 :** Intégrer des conseillers en génétique dans les centres experts (CRMR, CPDPN) en lien avec les services de génétique, pour renforcer l'accompagnement du diagnostic.
- **Action 14.2 :** Accroître la capacité diagnostique en facilitant *l'accès aux analyses génétiques* avancées (panels, exome, génome entier) via le PFMG, ses plateformes nationales, et les laboratoires de biologie médicale conformes à ses standards.
- **Action 14.3 :** Soutenir les expertises fonctionnelles pour lever les impasses diagnostiques, en lien avec le PFMG, en adaptant les dispositifs d'accès anticipé, en collectant des données en vie réelle et en faisant évoluer la nomenclature pour intégrer ces innovations dans le soin courant.

AXE 2 : FACILITER ET ACCELERER LE DIAGNOSTIC
10 objectifs et 24 actions

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Le troisième axe du PNMR4 se concentre sur

- Favoriser l'accès aux traitements existants utilisés hors des procédures de mise sur le marché dans les maladies rares ;
- Trouver des solutions réglementaires pour les DM pour permettre aux personnes touchées par une maladie rare d'accéder à l'innovation et garantir le recours aux cadres existants pour les médicaments
- Mettre en relation les acteurs de la prise en charge des maladies rares au niveau national

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES

4 objectifs et 16 actions

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES

Objectif 19 : Renforcer l'observatoire des traitements et l'accès des personnes touchées par une maladie rare aux traitements innovants

Action 19.1 : Développer, renforcer et pérenniser le groupe inter-filières des observatoires des traitements avec le GRIOT

- Il veille à garantir une prise en charge thérapeutique homogène et équitable sur l'ensemble du territoire ;
- Il coordonne les travaux d'identification des pratiques de prescription hors AMM en vue de bâtir une stratégie spécifique à la FSMR,
- Améliorer la prise en charge des DM en repérant leurs usages avec un reste à charge (travaux de la CNAM et de la CNSA) pour ensuite signaler les tensions au ministère en charge de santé, à la HAS et au CEPS pour déterminer les leviers possibles

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES
4 objectifs et 16 actions

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES

Objectif 21 – Structurer la collecte des données en vie réelle pour les traitements précoces et compassionnels

Action 21.1 : Utiliser le Set de Données Minimum Traitement (SDM-T) dans BaMaRa, en lien avec la HAS et l'ANSM, pour fiabiliser la collecte de données sur les traitements en accès précoce (AAP) et compassionnel (CPC, AAC), et garantir leur réutilisation.

Action 21.2 : Renforcer la pharmacovigilance avec un recueil structuré des effets indésirables, automatisé et intégré dans BaMaRa, avec coordination d'un CRPV référent.

Action 21.3 : Créer un set de données pour les dispositifs médicaux, interopérable avec les outils européens, pour un suivi post-inscription harmonisé.

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES
4 objectifs et 16 actions

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES

Objectif 22 – Favoriser l'accès à l'innovation thérapeutique en lien avec l'Europe

Action 22.1 : Anticiper les évolutions européennes en santé (règlements HTA) avec la HAS et l'ANSM : mise en place d'évaluations conjointes des médicaments (notamment orphelins) et appui sur l'Espace européen des données de santé pour renforcer la collecte de données en vie réelle à l'échelle européenne.

Action 22.2 : Étendre le Set de Données Minimum Traitement (SDM-T) au niveau européen, pour harmoniser le recueil des données en vie réelle et valoriser l'expertise française (BaMaRa, cadre compassionnel) dans la refonte réglementaire de l'UE.

AXE 3 : PROMOUVOIR L'ACCES AUX TRAITEMENTS DANS LES MALADIES RARES
4 objectifs et 16 actions

Des actions spécifiques propres aux maladies rares

Le quatrième axe du PNMR4 se concentre sur

- Faciliter le partage de données entre acteurs hospitaliers et de ville en s'appuyant sur des bases existantes (BNDMR, France Cohortes) et en assurant leur interopérabilité à tous les niveaux.

- Harmoniser les outils et procédures pour fluidifier les parcours entre ville et hôpital, grâce à la standardisation des documents juridiques et à la reconnaissance des registres et biobanques.

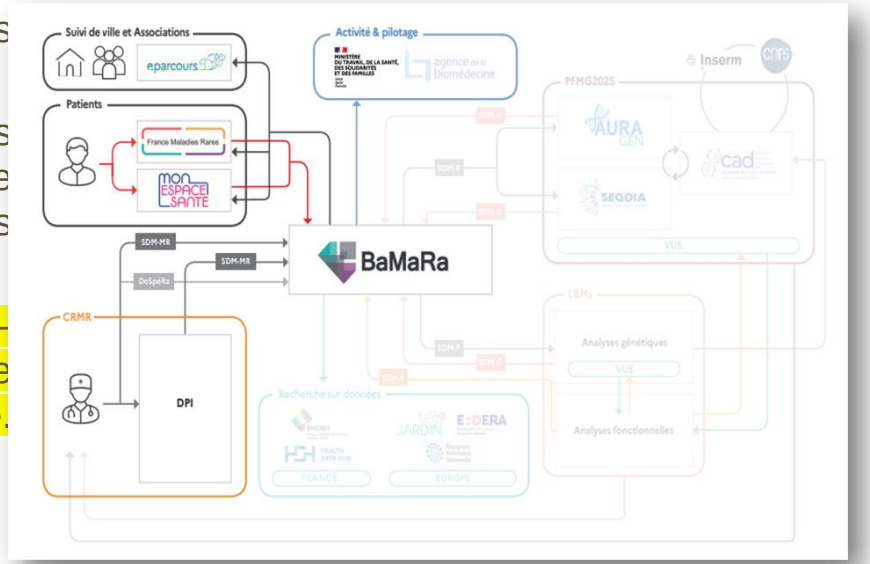
- Renforcer la coordination ville-hôpital en valorisant les données issues du terrain, y compris en soins primaires, et en développant des outils d'IA soutenant les décisions partagées et le suivi des patients.

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES
4 objectifs et 13 actions

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES

Objectif 23 : Améliorer la collecte et la réutilisation des données de santé

- **Action 23.6** : Renforcer la collecte et l'usage de données « maladies rares » au sein de BaMaRa
- Enrichir BaMaRa avec des dossiers de spécialités comportant des centaines d'items spécifiques à chaque maladie rare, réutilisables via la BNDMR et adaptables rapidement selon les besoins des projets.
- Coordination renforcée via un pilotage conjoint DGOS–BNDMR, pour garantir une gouvernance cohérente et une articulation fluide entre soins de ville, hôpital et recherche.



AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES
4 objectifs et 13 actions

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES

Objectif 24 – Renforcer les biobanques et leur usage à des fins de recherche

- **Action 24.1 :** Cartographier et centraliser l'information, Un recensement exhaustif des biocollections maladies rares sera mené par les FSMR. Un portail numérique national sera créé pour faciliter l'accès aux collections par pathologie, informer les patients, décrire les finalités, conditions de partage, résultats déjà obtenus, et permettre une transparence totale de l'utilisation.

- **Action 24.2 :** Créer une collection biologique nationale générique, Une collection unifiée sera mise en place dans tous les **CRB** (centres de ressources biologiques), sous forme d'une entité juridique commune. Chaque prélèvement sera référencé localement mais utilisable à l'échelle nationale, avec un *dataset minimal commun* et des compléments spécifiques selon les pathologies.

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES
4 objectifs et 13 actions

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES

Objectif 24 – Renforcer les biobanques et leur usage à des fins de recherche

- **Action 24.3 :** Structurer et certifier les biocollections existantes, Les biocollections actuelles seront évaluées et mises en conformité (certification ISO 20387, RGPD, gouvernance). Ce travail s'appuiera sur l'expertise juridique et opérationnelle de FrBioNet, afin de garantir une qualité homogène des échantillons et de leur gestion à long terme.

- **Action 24.4** : Faciliter leur usage pour la recherche, Un cadre opérationnel sera mis en place pour ouvrir l'usage des échantillons à la recherche translationnelle, avec des règles partagées entre biobanques (consentement unique, traçabilité, e-consentement, qualité pré-analytique…). Un financement spécifique sera mobilisé pour les projets utilisant ces ressources, avec un objectif de partage national et international sécurisé.

AXE 4 : BASE DE DONNEES ET BIOBANQUES
4 objectifs et 13 actions

BILAN : Financement PNMR 4

Le PNMR4 s'inscrit dans la continuité du PNMR3 en le renforçant, le développant et en tirant les enseignements des précédents plans.

Le financement des propositions, portées par la DGOS pour le volet soin du PNMR4, mises en œuvre à se base sur:

- le budget des mesures du PNMR3 (175,1M euros/an)
- les MN2024 à hauteur de 48,4M euros/an permettent notamment d'accompagner les nouveaux centres de référence (+28%) financés pour améliorer le maillage territorial :

⟹ **Total: 223,5 M euros/an**

De nouvelles mesures sont envisagées avec une mise en œuvre.

Leur financement se basent principalement sur deux modalités:

- Mesures qualitatives: autofinancement
- Mesures innovation prévention: éligibles au financement France 2030

BILAN : Financement PNMR 4

Suivi du budget axé sur l'objectif ville-hôpital

AXE				
AXE 1 : AMÉLIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS	DGOS (MMR)	Les centres de référence pour la prise en charge des maladies rares	**133,6M€**	Améliorer la prise en charge du patient à l'hôpital sur les territoires en finançant de nouveaux centres maladies rares labellisés
	DGOS (MMR)	Les centres de référence sur les maladies hémorragiques rares	**8M€**	Améliorer la prise en charge sur les territoires en finançant de nouveaux centres labellisés
	DGOS (MMR)	Les centres de référence et de ressources et de compétences sur la mucoviscidose et affections liées à une anomalie de CFTR	**21,2M€**	Améliorer la prise en charge sur les territoires en finançant l'ensemble des centres (CRMR/CRCM)
	DGOS (MMR)	Les centres de référence sur la sclérose latérale amyotrophique (SLA) et autres maladies rares du neurone moteur	**9,7M€**	Améliorer la prise en charge sur les territoires en finançant de nouveaux centres labellisés
	Objectif 5 : Sensibiliser, informer et former aux maladies rares	Action 5.1 : Renforcer la communication et l'information des professionnels, des malades et du grand public autour des maladies rares	DGOS / DGS	2,3M€ par an sur l'enveloppe formation des FSMR (DGOS) 400K€ par an pour Orphanet, 310K€ par an pour Maladies Rares Info Services et 120K€ par an pour l'Alliance Maladies Rares (DGS/DGOS)

Financement de l'Action 1.1 : **Faciliter l'accès des personnes touchées par une maladie rare à un centre de référence expert**

Financer et déployer les nouveaux centres de référence maladies rares (CRMR) labellisés et apporter un soutien renforcé au réseau des centres de compétence (CCMR) et aux filières de santé maladies rares (FSMR).

BILAN : Financement PNMR 4

Suivi du budget axé sur l'objectif ville-hôpital

AXE				
AXE 1 : AMÉLIORER LE PARCOURS DE VIE ET DE SOINS	Objectif 2 : Renforcer la coordination ville-hôpital et les parcours de santé, de soins et de vie	Action 2.1 : Renforcer le rôle des plateformes d'expertise et de coordination Outre-mer maladies rares (PEMR/PCOM) avec les acteurs du territoire	DGOS	8,3M€ par an pour les PEMR/PCOM : garantir leur financement sur la durée du PNMR4 en les labellisant et développer le lien domicile-ville-hôpital par des appels à projets dédiés
		Action 2.2 : Renforcer la coordination maladies rares entre les acteurs régionaux	DGOS	3,1M€ par an pour le lien ville-

ACTIONS 2.3 & 2.4 : Guider les professionnels de santé et les personnes touchées par une maladie rare dans le parcours de soin : 5,8 millions € par an

DGOS (MMR)	Protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)	**2,7M€**	S'appuyer sur les PNDS existants et en lancer de nouveaux pour en faire un outil de certification et de formation à destination des centres de référence maladies rares et des acteurs de la ville
	Lien ville-hôpital	**3,1M€**	Accompagner le déploiement national d'article 51 transposés dans le droit commun

MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES

Liberté
Égalité
Fraternité

FIMATHO
Filière Santé Maladies Rares

LA SANTÉ MA PRIORITÉ !

PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4

2025
2030

DES TERRITOIRES VERS L'EUROPE