

R 1 • TRIBUNE de Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM Téléthon • INNOVATION Préparer l'arrivée des thérapies géniques • R 2 • ENGAGEMENT Un pionnier de l'innovation • EXIGENCE La recherche de l'excellence • ZOOM Quand le partage d'expériences porte le patient • PARCOURS DU PATIENT Pour une innovation au cœur de l'humain • R 3 • ERRANCE DIAGNOSTIQUE Un 4<sup>e</sup> Plan national, ambitieux et doté de réels moyens, est une impérieuse nécessité • CONTINUITÉ DES SOINS Assurer le succès des innovations • ENJEU Donner toutes ses chances au patient • PRIORITÉ Traiter pour alléger la vie du malade.

# Grand Angle

www.grandanglesante.fr

## Spécial Maladies rares

# Grand Angle

Communiqué spécial Maladies rares

MERCREDI 1<sup>ER</sup> MARS 2023

## Continuité des soins → ASSURER LE SUCCÈS DES INNOVATIONS

Dans les maladies rares de la peau, les innovations nécessitent que le réseau de soins ville-hôpital les accompagne, comme l'explique le Pr Christine Bodemer, coordinatrice de la filière Fimarad.

Comment la prise en charge des maladies rares de la peau est-elle organisée en France ?

La France dispose d'un système de prise en charge des maladies rares autour de 23 filières qui mettent en réseau des centres de référence labellisés pour leur expertise et des centres de compétence de proximité pour la suite de la prise en charge.

Ces réseaux ont réduit l'errance diagnostique et amélioré la prise en charge des patients. La filière maladies rares de la peau, Fimarad, compte 5 centres de référence dévolus aux maladies génétiques

de la peau (généodermatoses) comme la neurofibromatose, à des maladies bulleuses auto-immunes comme la pemphigoïde bulleuse ou à des manifestations cutanées sévères liées à des effets secondaires de médicaments, comme le syndrome de Lyell.

Quelles sont les avancées en matière de traitement des maladies rares de la peau ?

Elles sont importantes et de deux ordres : l'extension de l'indication de médicaments ayant déjà fait la preuve de leur efficacité et les innovations issues de la recherche. On connaît maintenant l'importance de l'inflammation dans certaines généodermatoses, ce qui a permis de repositionner, avec de vraies



Pr Christine Bodemer



améliorations, des biothérapies efficaces dans des maladies inflammatoires comme l'eczéma ou le psoriasis, dans le traitement de généodermatoses comme les ichtyoses ou les épidermolyses bulleuses. Les avancées viennent également de la recherche en thérapie génique, avec, par exemple, un traitement prometteur par voie topique contenant un vecteur viral sécurisé qui va faire produire par les cellules le collagène 7 qui est déficient chez les malades atteints d'un certain type d'épidermolyse bulleuse héréditaire.

Le réseau ville-hôpital est-il à même d'assurer la continuité des soins en marge des centres de référence et de compétence ?

La est la problématique, car les patients souffrant de maladies rares de la peau nécessitent des soins quotidiens longs et complexes et que, à date, notre réseau ville-hôpital ne répond pas à ces besoins. Les soignants manquent cruellement, en particulier les infirmières, insuffisamment formées sur le sujet et dont les actes ne sont pas valorisés au prorata de ce qu'ils signifient dans le cadre des maladies rares. Sans une volonté politique affirmée de remédier à ce problème, il est à craindre que les innovations attendues n'aient pas le succès escompté. © S. C.-M.

Pour en savoir plus : [www.fimarad.org](http://www.fimarad.org)