



FONDATION
Groupama
vaincre les maladies rares

DOSSIER DE PRESSE

Juin 2020

Contact presse :

Leslie Toledano

Tél. : 06 10 20 79 60

Email : leslietoledano.rp@gmail.com

<http://www.fondation-groupama.com/>

À PROPOS DE LA FONDATION GROUPAMA POUR LA SANTÉ

En 2000, à l'occasion de son centenaire, Groupama choisissait d'incarner ses valeurs mutualistes de solidarité et de proximité en créant une Fondation dont l'ambition est de « vaincre les maladies rares ».

A cette époque, 4 ans avant le 1^{er} Plan national maladies rares, la lutte contre les maladies rares n'est encore quasiment pas prise en compte. Et pourtant, quelques 3 millions de personnes sont concernées. Au-delà d'une question de santé publique, les maladies rares sont aussi une question de société. Ainsi, les actions de la Fondation Groupama se concentrent autour de ses deux axes stratégiques :

- la proximité et la solidarité au plus près des patients, de leurs familles, des associations et institutions maladies rares ;
- Et l'innovation et la recherche avec les Prix de l'innovation sociale, de la Recherche médicale et le soutien de projets d'envergure en région ou au plan national.

Depuis 2000, la Fondation Groupama compte déjà : près de 200 associations soutenues, plus de 600 projets financés et plus de 8 millions d'euros reversés.

Cet engagement durable, est un pilier de l'action du Groupe dans la société civile. Plus d'informations sur : <http://www.fondation-groupama.com/>.

I. LES MALADIES RARES EN FRANCE

I.I - Généralités et chiffres clés

Une maladie est dite « rare » ou « orpheline » lorsqu'elle touche moins d'une personne sur 2 000. En France, près de 3 millions de personnes sont concernées. Pourtant, les maladies rares souffrent encore d'un manque criant de connaissances médicales et scientifiques.

6 000 à 8 000 maladies sont dénombrées à ce jour, mais de nouvelles apparaissent chaque mois dans la littérature médicale.

Si presque toutes les maladies génétiques (80 %) sont des maladies rares, toutes les maladies rares ne sont pas génétiques. Il y a des maladies auto-immunes, neuromusculaires, métaboliques, infectieuses, des cancers pédiatriques. Pour un grand nombre de maladies rares, l'origine demeure inconnue.

Les personnes touchées rencontrent toutes des difficultés similaires dans leur parcours pour un diagnostic. En moyenne, elles devront attendre 2,5 ans pour ce que ce dernier soit enfin posé.

Les maladies rares sont des maladies graves, chroniques dans de nombreux cas, parfois évolutives et le pronostic vital est souvent en jeu. L'atteinte peut être visible dès la naissance ou l'enfance. Cependant plus de 50 % des maladies rares apparaissent à l'âge adulte. 80 % d'entre-elles altèrent l'espérance de vie et 35 % sont directement en cause dans un décès avant l'âge d'un an. Et dans 65 % des cas elles génèrent des handicaps parfois très lourds.

Aujourd'hui encore, les personnes atteintes de maladies rares rencontrent des difficultés dans leur parcours de soins. Le diagnostic, l'accès à l'information et l'orientation vers les professionnels compétents restent toujours difficiles. Les traitements sont essentiellement symptomatiques, nombreux sont les malades qui se retrouvent isolés, la prise en charge est souvent insuffisante et le parcours de vie est souvent un parcours du combattant.

I.II - Une priorité de santé publique

En 2004, sous l'impulsion des associations de malades, les maladies rares sont devenues l'une des cinq priorités de la loi relative à la politique de santé publique. Un premier Plan National Maladies Rares 2005-2008 (PMR1) a alors été mis en place.

Ce plan a structuré l'organisation de l'offre de soins pour les maladies rares. Il a contribué à améliorer sa lisibilité pour les patients, les différents acteurs et les structures impliquées dans cette prise en charge. 131 centres de référence (CRMR) ont vu le jour. Ce dispositif a été complété par 501 centres de compétences rattachés à ces CRMR pour une prise en charge de proximité.

Pour poursuivre les progrès engagés, un second plan maladies rares est lancé en 2011. Il comporte 47 mesures regroupées en trois axes : la qualité de la prise en charge du patient, le

développement de la recherche sur les maladies rares et les coopérations européennes et internationales. Ce plan a été prolongé jusqu'en 2016.

Le 29 février 2016 à l'occasion de la Journée internationale des maladies rares, les acteurs de la Plateforme Maladies Rares avaient lancé un appel pour un troisième plan national. Le 15 juin de cette même année, Marisol Touraine, Ministre de la Santé et des affaires sociales annonçait sa création. Dans la foulée, les professeurs Sylvie Odent et Yves Lévy étaient nommés pour co-piloter ce 3^{ème} Plan.

4 axes ont été proposés vers :

- un parcours de santé clair ;
- une médecine individualisée ;
- des thérapies innovantes ;
- des nouvelles compétences et des développements technologiques au service de l'information et de l'autonomie.

Pour chacun de ces axes, des groupes de travail rassemblant les différents acteurs concernés ont été constitués.

Le 4 juillet 2018, à l'occasion des deuxièmes Rencontres des maladies rares, le 3^{ème} Plan national Maladies Rares 2018-2022 est officiellement lancé.

Un plan national porteur de 5 ambitions :

- Permettre un diagnostic rapide pour chacun, afin de réduire l'errance et l'impasse diagnostiques ;
- Innover pour traiter, pour que la recherche permette l'accroissement des moyens thérapeutiques ;
- Améliorer la qualité de vie et l'autonomie des personnes malades ;
- Communiquer et former, en favorisant le partage de la connaissance et des savoir-faire sur les maladies rares ;
- Moderniser les organisations et optimiser les financements nationaux.

Et s'articulant autour de 11 axes :

- Axe 1 : réduire l'errance et l'impasse diagnostiques
- Axe 2 : faire évoluer le dépistage néonatal et les diagnostics prénatal et préimplantatoire pour permettre des diagnostics plus précoces
- Axe 3 : Partager les données pour favoriser le diagnostic et le développement de nouveaux traitements
- Axe 4 : Promouvoir l'accès aux traitements dans les maladies rares
- Axe 5 : Impulser un nouvel élan à la recherche sur les maladies rares
- Axe 6 : Favoriser l'émergence et l'accès à l'innovation
- Axe 7 : Améliorer le parcours de soin
- Axe 8 : Faciliter l'inclusion des personnes atteintes de maladies rares et de leurs aidants
- Axe 9 : Former les professionnels de santé à mieux identifier et prendre en charge les maladies rares

- Axe 10 : Renforcer le rôle des filières santé maladies rares (FSMR) dans les enjeux du soin et de la recherche
- Axe 11 : Préciser le positionnement et les missions d'autres acteurs nationaux des maladies rares.

II. LA FONDATION GROUPAMA POUR LA SANTÉ EN ACTION

II.I - Un engagement de plus de 20 ans dans la lutte contre les maladies rares

- ***Un soutien de proximité***

Les Caisses régionales Groupama, les élus et les collaborateurs viennent en soutien de la Fondation Groupama et contribuent par leurs actions à l'accompagnement des associations, des institutions maladies rares, dans leurs initiatives visant à faciliter le quotidien des patients et leur parcours de vie.

- ***Un soutien à la Recherche et l'Innovation***

Depuis plus de 20 ans, la Fondation Groupama soutient chercheurs, associations et start-up pour faire avancer la connaissance des maladies rares, et faire bouger les lignes dans la lutte contre les maladies rares et leurs conséquences. Elle remet notamment deux prix : le Prix de l'Innovation sociale et le Prix de Recherche maladies rares

- ***Un soutien à l'information***

La Fondation Groupama participe à la sensibilisation des professionnels de santé et du grand public aux maladies rares et facilite l'accès à l'information. L'objectif est de réduire l'errance diagnostique, aujourd'hui encore beaucoup trop longue. C'est ainsi que, depuis sa création, elle soutient [Orphanet](#), le portail européen d'information sur les maladies rares et les médicaments orphelins de l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (Inserm). Elle contribue également à l'édition des livrets de la collection « Espoirs-Maladies rares » en partenariat avec des associations. Cette collection permet de mieux faire connaître les pathologies aux patients et aux médecins non spécialistes.

Pour visionner la vidéo « La Fondation Groupama pour la santé : 20 ans d'engagement dans la lutte contre les maladies rares » : <https://youtu.be/08oa1hogjiQ>

II.II - Le Prix de Recherche maladies rares

Le soutien à la recherche est l'une des missions phares de la Fondation qui a financé, depuis sa création, les travaux de 32 jeunes chercheurs - principalement des doctorants - durant les 3 années de leur thèse.

En 2016, sous l'impulsion du Conseil d'administration un nouveau Prix de Recherche maladies rares est institué. Doté de 500 000 €, il vise à soutenir, 5 années durant, une équipe dynamique dirigée par un chercheur confirmé, ouvrant une voie courageuse dans les maladies rares.

Les projets soumis doivent s'appuyer sur une approche pluridisciplinaire et porter sur une recherche clinique et/ou fondamentale. Le thème de la recherche doit contribuer à améliorer la connaissance et le diagnostic des maladies rares (identification de gènes responsables, compréhension des mécanismes à l'origine des maladies ...) ou permettre le développement de nouveaux traitements.

Après une présélection réalisée par trois Professeurs de médecine, administrateurs de la Fondation, les porteurs de projet retenus sont audités par le Comité scientifique pour une évaluation de :

- la qualité scientifique du porteur de projet et de l'équipe ;
- la qualité scientifique du projet et sa faisabilité ;
- la priorité scientifique du projet, l'importance de l'étude et de ses applications médicales, son originalité ;
- les perspectives de résultats à court terme.

Le choix définitif revient au Conseil d'administration.

❖ Notre comité scientifique

Président :

- **Antoine Lafont**, Professeur de cardiologie à l'hôpital Georges Pompidou, cofondateur de la société française ART (ARTERIAL REMODELLING TECHNOLOGIES) qui a mis au point le Stent bio-résorbable européen, administrateur de la Fondation Groupama.

Membres :

- **Marc Brodin**, administrateur de la Fondation. Pédiatre, professeur de santé Publique à l'université Paris VII il a été Président du Comité national consultatif de labellisation des centres de référence pour les maladies rares de 2004 à 2009
- **Cécile Delettre**, première lauréate de la Fondation en 2001. INSERM - Institut des Neurosciences de Montpellier – INSERM U1051 – Equipe «Génétique et Thérapies des cécités rétinienne et des neuropathies optiques»

- **Xavier Jeunemaitre**, chef du département de Génétique de l'Hôpital Européen Georges Pompidou et coordonnateur du Centre de Référence des Maladies Vasculaires Rares. Il dirige également l'unité INSERM 772 « Gènes et Pression artérielle » au Collège de France
- **Sabine Sarnacki**, coordinatrice et clinicienne du centre de référence pour les malformations anorectales et pelviennes (MAREP), vice-présidente Santé du Comité de suivi du PNMR2 à la DGOS
- **Georges Uzan**, docteur ès-sciences, Hôpital Paul Brousse (Villejuif), INSERM - unité mixte de recherche 1197 - Interactions cellules souches-niches : physiologie, tumeurs et réparation tissulaire à Villejuif
- **Christophe Verny**, neurologue au CHU d'Angers, coordinateur de centres experts des maladies neurogénétiques, clinicien de centre expert et coordinateur de réseau de centres experts, animateur de la filière BrainTeam
- **Denis Vivien**, professeur de Neurosciences à l'Université de Caen Basse Normandie, INSERM directeur de UMR S 919 – Sérine protéases et physiopathologie de l'unité neurovasculaire.

❖ **Le lauréat du Prix de Recherche maladies rares 2017**

Le Prix de Recherche maladies rares a été remis à une équipe de l'Institut Jacques Monod, CNRS Paris, dirigée par **Delphine Delacour**.

Il récompense le projet de recherche portant sur une pathologie très rare, la Dysplasie Epithéliale Intestinale (DEI) qui touche des enfants ayant une espérance de vie très courte.

L'équipe est composée de biologistes, biophysiciens et cliniciens qui collaborent avec le département de gastroentérologie pédiatrique de l'hôpital Necker-Enfants malades et une start-up spécialisée dans les technologies innovantes en science du vivant.

L'avancement des travaux sera évalué par le Comité scientifique et le Conseil d'Administration de la Fondation à 18 et à 36 mois. A l'issue des 5 années, l'équipe de recherche présentera les résultats des travaux menés et les pistes thérapeutiques envisagées.

II.III Le Prix de l'Innovation Sociale : faire bouger les lignes dans le quotidien des malades

Ce prix soutient des initiatives novatrices marquant une avancée significative ou une rupture, et contribuant à rompre l'isolement. Il vise à favoriser le lien social, l'insertion professionnelle, ou le développement de l'éducation thérapeutique. Et ceci pour les enfants comme pour les adultes, trop souvent isolés par la maladie.

Le projet retenu bénéficie d'un soutien financier de la Fondation de 20 000 euros.

Ce prix s'adresse aux associations, aux entreprises et aux équipes de recherche dès lors qu'elles entrent en phase de développement "industriel" de leur découverte.

Une première sélection est réalisée par un jury composé de représentants issus du monde associatif des maladies rares, et de représentants de Groupama. La sélection finale revient au Conseil d'administration. Les résultats sont communiqués lors de la soirée de la Fondation Groupama.

Les projets seront évalués sur les critères suivants :

- L'innovation : le projet doit apporter une réponse innovante à un besoin non satisfait.
- L'ouverture : le projet doit avoir une capacité de modélisation pour un transfert d'expertise et d'expérience à d'autres catégories de personnes ou de pathologies.
- La faisabilité : le projet doit avoir fait l'objet d'une étude approfondie quant à sa faisabilité technique et doit justifier d'un modèle économique viable.
- L'évaluation : le projet devra préciser les modalités d'évaluation prévue à partir d'objectifs clairement définis.
- La mise en œuvre : elle devra avoir lieu dans les 24 mois suivant la remise du Prix.

❖ Les derniers lauréats

- **2020** : L'Association "Les Enfants de la Lune", pour le projet de dosimètre "nouvelle génération" appelé "Luvi". Élaboré par deux ingénieurs du Centre Européen pour la Recherche Nucléaire (CERN), cet appareil est indispensable aux enfants atteints de Xeroderma Pigmentosum, afin de connaître le taux d'ultra-violets auxquels ils ne doivent absolument jamais être exposés.
- ❖ **2019** : Les docteurs Marie-Paule Gellé et Véronique Vallot, du laboratoire universitaire EA 4691 » Biomatériaux et inflammation en site osseux » de la faculté dentaire de Reims. Ce prix récompense la conception d'un articulateur prototype qui facilite la réalisation de prothèses dentaires pour les enfants et adolescents atteints de maladies rares ayant un impact bucco-dentaire.
- ❖ **2018** : La plateforme d'expertise maladies rares des hôpitaux Universitaires Paris-Sud, pour le projet de cuisine mobile pour l'organisation d'ateliers culinaires éducatifs dans l'enceinte des services hospitaliers. Il répond à un besoin d'accompagner les enfants atteints de maladies rares du métabolisme hépatique (telles que la

tyrosinémie héréditaire de type I, glycogénose hépatique ou épilepsie pharmaco-résistante) et leurs parents, dans le suivi de leur régime alimentaire strict.

- ❖ **2017** : La filière de Santé Maladies Rares NeuroSphinx a été récompensée pour son application Poop&Pee. L'application Poop&Pee est un outil-clé d'aide au diagnostic et au suivi des patients atteints de troubles de la continence.

- ❖ **2016** : La Fondation Université de Strasbourg pour son projet très novateur dans son approche collective et hors des lieux de soins d'un espace dédié à l'Education Thérapeutique du Patient (ETP). Ce projet « Le Tiers Lieu » est conçu et porté par les Hôpitaux Universitaires de Strasbourg.