



#Ensemble,
trouvons des traitements

Les maladies rares, un vrai défi au quotidien



Une maladie est dite «rare» quand elle touche moins d'1 personne sur 2 000. Chaque maladie rare concerne un nombre très restreint de malades.

Les maladies rares sont très diverses : on en dénombre 7 000 aujourd'hui dont 80% sont d'origine génétique. Elles sont difficiles à diagnostiquer et peuvent avoir des conséquences invalidantes plus ou moins visibles. Très peu de maladies rares disposent aujourd'hui d'un traitement.

DES MALADES NOMBREUX, DES VIES BOULEVERSÉES

En France, 3 millions de personnes sont concernées par les maladies rares et les enfants le sont au premier plan. Etre atteint d'une maladie rare, cela signifie, dans la plupart des cas :

- ne pas avoir de diagnostic,
- ne pas avoir de traitement,
- souffrir d'un isolement progressif.

La difficulté du diagnostic et l'absence de traitement engendrent une grande souffrance et peuvent provoquer un isolement sociétal progressif des malades et de leurs proches.

La Fondation maladies rares apporte des résultats concrets !



© Getty Images

Créée en 2012 dans le cadre du 2^{ème} plan national maladies rares, la **Fondation maladies rares accélère la recherche** pour :

- identifier la cause des maladies et aider au diagnostic,
- aider au développement de nouveaux traitements,
- rompre l'isolement des personnes malades et de leur famille.

Elle est devenue en quelques années, un acteur indispensable pour accélérer la recherche sur les maladies rares **en accompagnant et finançant les projets les plus prometteurs**.

DEPUIS 2012,

- **301 projets de recherche** financés,
- Plus de **60 nouveaux gènes** identifiés,
- **71 candidats médicaments** accompagnés.

Retrouvez le détail de ses résultats et son rapport d'activité sur son site internet :
www.fondation-maladiesrare.org

La Fondation maladies rares est gouvernée par un Conseil d'administration, présidé par le Pr Jean-Louis MANDEL et un Conseil scientifique, présidé par le Dr Nathalie CARTIER-LACAVE.

L'équipe de la Fondation maladies rares est composée d'experts qui travaillent au plus près des chercheurs pour les accompagner (conseil, financement) et aller au plus vite au traitement.

La direction

Directeur : Pr Daniel SCHERMAN

Directeur adjoint : Dr Ludovic DUPONT

7 responsables régionaux aux expertises complémentaires et en contact direct, dans les différentes inter-régions hospitalo-universitaires, avec les chercheurs, les organismes de valorisation de la recherche et les cliniciens experts des maladies rares.

9 personnes à Paris : direction, pôle Scientifique, pôle Opérations, pôle Affaires Économiques et Institutionnelles.

FONDATION MALADIES RARES

Plateforme maladies rares - 96, rue Didot - 75014 Paris

Tél. : + 33 (0)1 58 14 22 81 // Site : www.fondation-maladiesrares.org