

## Les maladies rares : problématiques générales et dimensions médicales

Ce module comprend **plusieurs séquences** :

- Définition et caractéristiques des maladies rares : qu'appelle-t-on maladie rare ? Combien y a-t-il de maladies rares ? Origine des maladies rares et caractéristiques liées à la rareté de la maladie.
- Recherche, traitements et médicaments : quels sont les traitements symptomatiques et les médicaments orphelins disponibles ? Quels sont les grands axes de la recherche et les nouvelles thérapies ?
- La prise en charge médicale : l'organisation spécifique aux maladies rares, les centres de compétences et les centres de référence maladies rares. A qui s'adresser ? Quelles démarches entreprendre ?
- Des exemples de maladies sont proposés par les participants et sont évoqués en fonction de leurs besoins professionnels avec les formateurs.
- Les services d'information et les autres centres de ressources : quelles sont les sources d'information disponibles sur les maladies rares ? Comment les utiliser ? Les associations constituent-elles une aide potentielle ? Comment les contacter ?

Sur simple demande, une séquence supplémentaire consacrée à l'ensemble des ressources disponibles sur internet et aux techniques de recherche de l'information peut être ajoutée.

### Public concerné

Ce module s'adresse préférentiellement à des professionnels ou étudiants dont les dimensions médicales dans l'exercice professionnel sont (ou seront) prépondérantes. Ce module est par exemple destiné à des étudiants en médecine ou paramédicaux, des équipes d'instituts médico-éducatifs ou de Maisons Départementales de Personnes Handicapées...

### Pré requis

Ce module nécessite de connaître les grands principes et acteurs de l'organisation des soins en France. La capacité de comprendre les connaissances médicales de base est également requise, notamment dans le domaine du vocabulaire. Intérêt pour le domaine médical. Enfin, une condition importante de la réussite de la formation réside dans la motivation des participants et leur intérêt pour le domaine médical.



## Objectifs

Acquérir les notions de base sur les maladies rares.  
Comprendre le parcours et les besoins potentiels des personnes malades.  
Disposer des informations essentielles pour appréhender les dimensions médicales d'une situation, notamment au regard des traitements ou des structures de prise en charge médicale.  
Savoir utiliser toutes les ressources d'information et de soutien disponibles sur les maladies rares.  
Être en mesure de faire face à une situation impliquant une pathologie rare, en particulier dans ses dimensions médicales.

## Modalités pratiques de l'intervention

En général, le module de formation se déroule sur une demi-journée soit 3 heures. Ce format se décompose en deux parties : environ 2 heures d'exposé et 1 heure consacrée aux échanges entre les formateurs et les stagiaires.

La formation se fait sous forme d'exposé avec un support diaporama et un document papier (commentaires possibles pour chaque diapositive) remis à chaque participant.

## Qualité des formateurs

Deux chargées d'Ecoute et d'Information de Maladies Rares Info Services.

*Un questionnaire destiné aux personnes participant à la formation sera communiqué avant la session de formation. Ce questionnaire vise à recueillir les besoins de formation et à adapter le module pour y répondre.*

*Par ailleurs le format horaire du module peut être adapté, avec une durée minimale d'une heure.*

*Un questionnaire d'évaluation anonyme est également remis à l'issue de chaque session aux personnes formées.*