



# Observatoire de l'action associative dans les maladies rares en 2019

Résultats d'enquête mai-juillet 2020



## Table des matières

Edito.....	3
Méthodologie.....	5
Construction du questionnaire.....	5
Cible et diffusion du questionnaire.....	5
Profil des associations répondantes.....	7
Informations générales.....	7
Maladies couvertes.....	8
Répartition géographique des associations.....	13
Effectifs des associations.....	14
Ressources budgétaires.....	17
Communication.....	19
Projets d'accompagnement.....	23
Représentation des malades.....	24
Recherche.....	28
Environnement scientifique.....	28
Composition et fonctionnement du Conseil scientifique.....	28
Implication des associations dans la recherche en 2019.....	29
Associations récentes : vers des organisations de plus en plus spécifiques ?.....	32
Des enjeux différents.....	33
Les effectifs.....	35
Informations financières.....	38
Audience de l'association.....	39
Projets d'accompagnement.....	40
Représentation.....	41
Recherche.....	44
Zoom sur les associations avec un salarié.....	47
Pourquoi cette observation ?.....	47
Maladies couvertes.....	48
Traitement.....	50
Effectifs.....	50
Budget.....	52
Audience de l'association.....	54
.....	54
Représentation.....	55
Recherche.....	58
Focus : membres de la gouvernance des FSMR.....	61

Pourquoi un focus sur les associations membres de la gouvernance de FSMR ?.....	61
La maladie .....	61
Taille.....	63
Des effectifs plus importants et plus stables .....	63
Des ressources plus importantes .....	64
Accompagnement et information.....	65
Une plus grande visibilité sur internet.....	65
Un accompagnement s'appuyant sur des équipes plus conséquentes et formées pour des actions touchant un public plus large .....	66
Des associations plus insérées dans leur environnement.....	67
Des conseils scientifiques plus fréquents et pluridisciplinaires.....	69
Recherche.....	69
Des enjeux de mobilisation différenciés.....	71
Synthèse Le tissu associatif dédié aux maladies rares.....	72
Données concernant l'activité opérationnelle .....	74
Conclusions .....	75
Table des illustrations .....	77

## Edito

Chers amis,

C'est avec joie que l'Alliance maladies rares présente aujourd'hui les résultats de l'enquête support au premier observatoire de l'action associative dans le domaine des maladies rares. Les enjeux autour de sa mise en place étaient en effet pluriels et de taille.

### **Doter l'Alliance d'un outil lui permettant de mesurer plus finement le fonctionnement des associations sur le terrain**

Les remontées de terrain des associations et les échanges que nous pouvons entretenir avec les membres du collectif sur les réunions que nous organisons ou lorsque nous avons la chance d'être conviés à leurs manifestations (colloques, assemblées générales...) ont longtemps été la jauge de l'Alliance pour appréhender les réalités de terrain des associations de malades. C'est cette proximité qui a permis au collectif de se forger de manière suffisamment solide pour accueillir les nouvelles associations qui manifestaient le désir de le rejoindre.

Soyons clairs dès à présent, cette culture et ces outils demeurent encore indispensables. Mais ils méritent de voir émerger une démarche complémentaire permettant de structurer de manière plus homogène et plus systématique des données comparables entre les associations. Elles nous permettront d'une part de mieux défendre et valoriser le travail mené par les associations de malades au niveau national et notamment, nous le verrons plus tard, dans le cadre de l'élaboration des politiques publiques dédiées aux maladies rares. De manière pragmatique, gageons que cet outil nous permette à l'avenir d'adapter de façon plus opérante notre proposition d'accompagnement :

- en identifiant des tendances, des réalités qui émanent de vos réponses
- en nous permettant de mieux connaître certaines organisations dont l'action nous serait par discrétion ou humilité, par éloignement ou tout simplement par oubli, étrangère alors qu'elle pourrait être de nature à inspirer les membres de notre communauté

### **Vers un 4<sup>e</sup> Plan National Maladies Rares**

A l'heure où il est déjà question du bilan du Plan National Maladies Rares 3 (PNMR3) et de projection vers un PNMR4 que nous appelons de nos vœux, il appartient à l'Alliance de porter la voix des malades auprès des autorités publiques impliquées. La réussite de cette mission dépendra également de notre capacité à identifier et à mobiliser les nombreuses expertises existantes dans vos organisations. Cette enquête pose un premier jalon dans cette perspective mais reste encore à compléter sur certains aspects.

Elle constitue par ailleurs un aiguillon qui nous permettra de mettre en parallèle la réalité de vos structures avec les attentes, nombreuses et exigeantes, auxquelles elles sont confrontées. Si la défense de la prise en compte de la voix du malade reste un enjeu de taille, la question du comment se pose en effet de façon de plus en plus prégnante. A bien des égards, nous percevons la nécessité de répondre à cette dernière mais sans forcément que nous ayons tous les éléments de réponses à apporter pour le moment.

## 1er bilan

Avec près d'une centaine d'organisations ayant participé à cette enquête, la mobilisation du réseau associatif dédié aux maladies rares a été réelle. Elle nous permet dès à présent de disposer d'un outil permettant de mieux objectiver le tissu que nous incarnons au niveau national : l'importance de la mobilisation bénévole au sein de vos organisations pour les malades, un modèle économique reposant très largement sur les cotisations et la générosité des donateurs ou encore l'importance de l'engagement financier des associations dans la recherche.

Hétérogènes à bien des égards, les associations qui le composent doivent bien sûr trouver au sein de notre collectif un espace où cette diversité sera prise en compte pour permettre à chacun de nos membres d'apporter sa pierre à l'édifice commun que nous construisons ensemble pour les malades.

Cette photographie prise à un instant T, bien qu'indispensable, n'exprimera néanmoins son plein potentiel qu'à travers des projections régulières, certaines données dont nous disposons aujourd'hui méritant évidemment d'être inscrites dans des comparaisons sur du moyen et long terme. Elles nous seront notamment utiles à l'avenir pour évaluer les impacts de la crise que nous traversons sur le fonctionnement des associations de malades mais plus globalement pour comprendre la manière dont nos membres évoluent.

Pour conclure cet édito, je souhaitais remercier toutes celles et ceux qui ont permis à cet observatoire de voir le jour à commencer par tous les représentants associatifs qui ont pris le temps nécessaire pour y participer. Nous savons bien que ce temps leur est bien souvent compté et qu'il n'est pas neutre de prendre une heure pour répondre à un questionnaire. Leur adhésion à cette démarche traduit à mes yeux un haut niveau d'engagement.

J'adresse mes pensées très reconnaissantes aux membres du groupe vie associative du collectif et à Lyne Valentino de la Fondation Maladies Rares pour le temps consacré à la préparation et à la conception du questionnaire. Leurs contributions ont été décisives pour rendre la démarche ancrée dans le terrain et respectueuse de grands équilibres.

Je vous souhaite à toutes et à tous une bonne lecture des résultats de cette enquête.

# Méthodologie

## Construction du questionnaire

La mise en place de l'observatoire de l'action associative dans le domaine des maladies rares est une initiative nouvelle pour l'Alliance maladies rares qui s'inscrit dans une démarche de moyen-long terme. Afin de disposer en cette année de lancement d'un socle de données large sans sur-solliciter les répondants potentiels, il a été retenu de construire un questionnaire unique reprenant sept grandes catégories.

Trois d'entre elles reprenaient la classification utilisée régulièrement par l'Alliance maladies rares pour mettre en exergue la typologie des actions des associations de son collectif : Information et Accompagnement des malades et des familles, la Recherche et enfin le Plaidoyer et les actions de représentation des malades et des familles. Nous sommes bien conscients que les pratiques associatives pourront diverger dès lors qu'il s'agira d'affecter tel ou tel projet dans une catégorie : par exemple, la participation à l'élaboration d'un protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) pourra être considéré par les uns comme une action de représentation et comme une action d'accompagnement des malades par les autres. Mais cette catégorisation constitue un premier pas vers l'établissement d'un jeu de données exploitable pour comprendre la réalité globale des projets associatifs aujourd'hui et les tendances qui se dessinent à l'avenir. Les quatre autres avaient pour objectif de mieux comprendre la structuration de l'association et de comprendre davantage l'environnement et le contexte dans lequel elles évoluaient.

Le regard des membres du groupe vie associative de l'Alliance maladies rares, qui rassemble des personnalités venant d'associations de maladies rares diverses, a été précieux dans cette recherche d'équilibre entre une collecte d'informations importantes pour observer et comprendre la réalité de l'action associative sur l'année 2019 et la manière dont ce travail de remontée d'informations pouvait s'inscrire dans le quotidien des répondants.

## Cible et diffusion du questionnaire

L'action associative dans le domaine des maladies rares recouvre des réalités diverses. Il y a celle identifiée des associations membres de l'Alliance maladies rares portée par des personnes concernées une maladie rare et à vocation nationale mais qui est loin d'être l'unique incarnation de l'action collective pour les maladies rares. En effet, elle côtoie dans ce paysage de nombreuses associations qui se démarquent d'elles notamment par leur vocation régionale ou leur caractère de solidarité autour d'une situation familiale.

Au regard de la mission de cet observatoire (appui au plaidoyer national de l'Alliance maladies rares et amélioration des dynamiques d'accompagnement des associations), il est apparu plus pertinent de restreindre la cible aux associations de malades s'inscrivant dans un cadre national. Ce choix ne préjuge bien évidemment en rien de l'efficacité ou de l'opportunité des associations n'entrant pas dans ce cadre. Nous avons par contre choisi de ne pas borner la réponse au questionnaire aux seules associations membres de notre collectif.

Le questionnaire a été diffusé de mai à juillet sur le site internet de l'Alliance maladies rares et par ses différents canaux de communication : newsletter, réseaux sociaux... Il a été relayé par différentes parties prenantes du paysage maladies rares connectées au monde associatif. Une action spécifique d'identification a par ailleurs été menée pour identifier les structures dans la cible du questionnaire non membres de l'Alliance maladies rares. Après ce travail, le nombre

d'associations de malades à vocation nationale dans les maladies rares est estimé entre 280 et 320.

Au total, 121 réponses ont été obtenues. 102 ont finalement été retenues après retraitement. Les motifs de retraitement ont été les suivants :

- Réponses multiples par association
- Associations n'entrant pas dans le périmètre précis de l'enquête
- Réponses non exploitables

74 associations ont répondu à la totalité des questions. Le tableau ci-dessous indique l'évolution du nombre de participants au fil du questionnaire. Nous avons fait le choix de retenir les réponses valides aux questions quand bien même le répondant n'aurait pas intégralement rempli le questionnaire au regard de la construction de ce dernier qui propose quasi-exclusivement des questions indépendantes les unes des autres.

Questions	Abandons	Participants
Q1-9	0	102
Q10-12	2	100
Q13	2	100
Q14-22	4	98
Q23-25	5	97
Q26-34	6	96
Q35-38	13	89
Q39-46	15	87
Q47-50	22	80
Q51-59	23	79
Q60-62	26	76
Q63-65	26	76
Q66-81	27	75
Q82-105	27	75
Q106-fin	28	74

Figure 1 Evolution de la participation au questionnaire

# Profil des associations répondantes

## Informations générales

102 associations ont participé à l'enquête support de l'observatoire de l'action associative dans les maladies rares. Parmi elles, 80 sont membres de l'Alliance maladies rares et 22 ne le sont pas ce qui souligne une diffusion intéressante en dehors des membres du collectif.

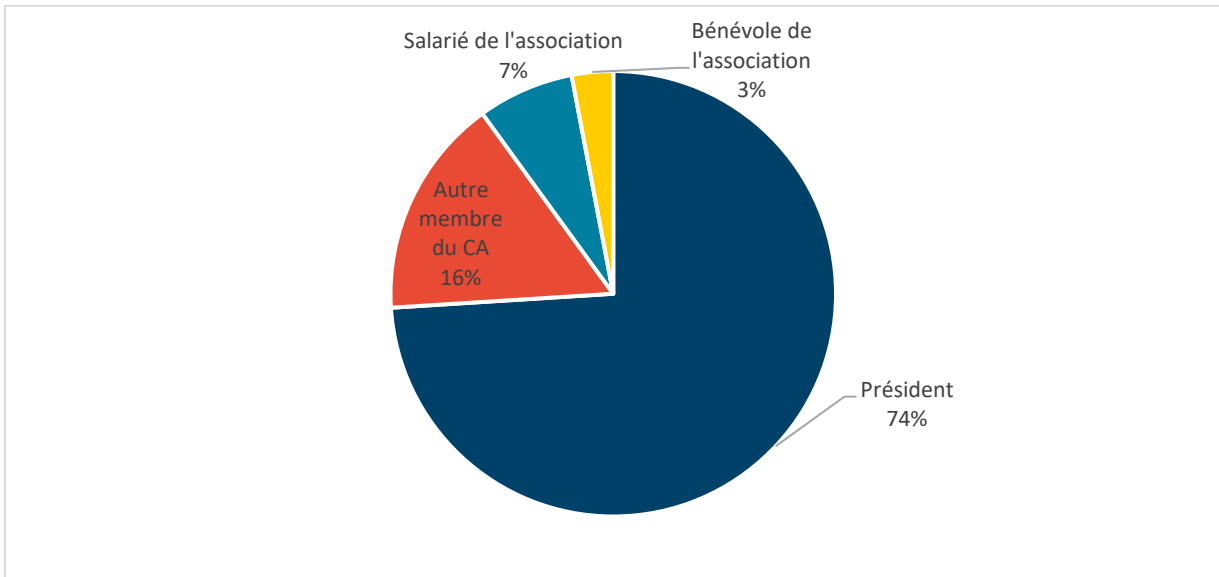


Figure 2 - Statut des répondants (question 7)

Le questionnaire a été rempli à 90% par des élus associatifs et aux  $\frac{3}{4}$  directement par le président.

Les autres répondants sont des salariés de l'association (7%) et des bénévoles en dehors du Conseil d'administration (3%).

100 associations se sont déclarées actives. 2 se sont déclarées comme étant en sommeil au sens où elles n'exercent pas d'activité opérationnelle. Pour évoquer les raisons de cet état de sommeil, une association évoque l'absence de bénévoles engagés dans l'activité opérationnelle ainsi que dans les instances dirigeantes. La seconde signale également une absence de bénévoles engagés dans l'activité opérationnelle ainsi qu'une absence de fonds pour maintenir une activité minimale. Au-delà des données fournies, ces associations en sommeil nous rappellent aussi la fragilité des organisations.

Les associations de création récente (après 2015) représentent plus du  $\frac{1}{4}$  des répondants. Cette répartition nous semble correspondre à la réalité du tissu associatif dans les maladies rares avec une augmentation du nombre d'associations dans le paysage à partir du milieu des années 1990 et une accélération plus prononcée ces dernières années.



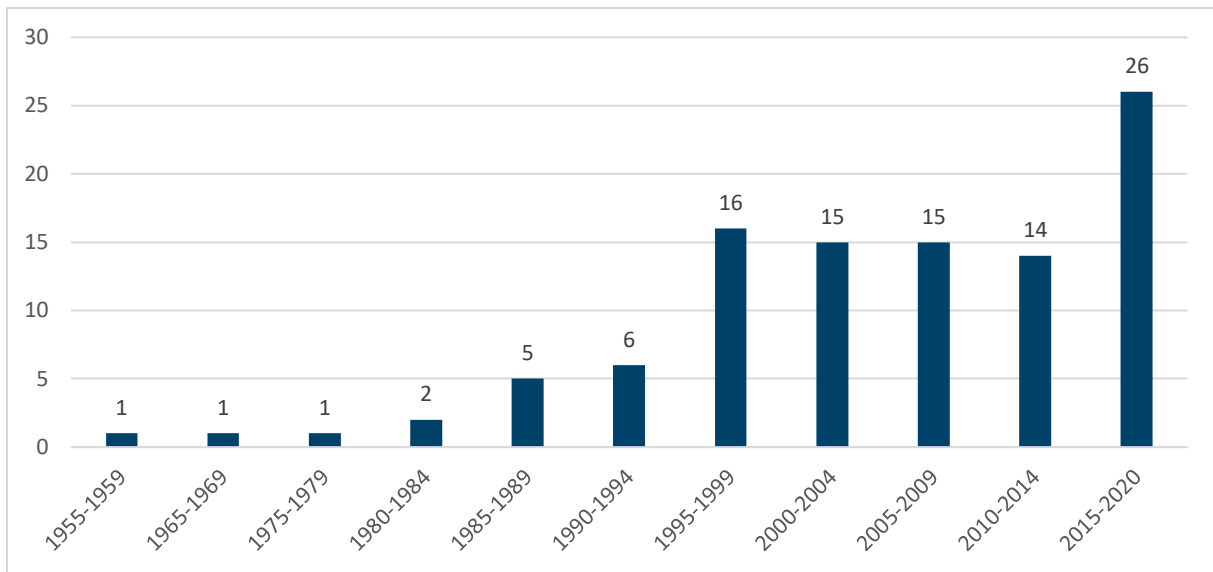


Figure 3 - Date de création des associations répondantes (question 3)

## Maladies couvertes

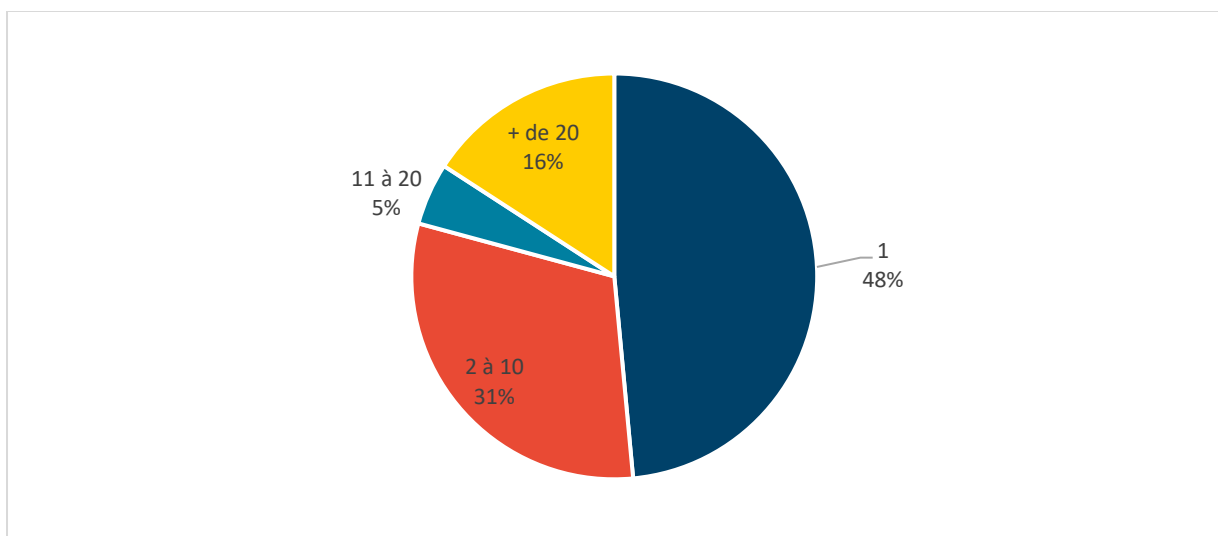


Figure 4 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12)

48% des associations couvrent une seule maladie et 52% s'intéressent à un groupe de maladies. Pour cette seconde catégorie, il s'agit le plus souvent de groupes comprenant 2 à 10 maladies.

16% des associations couvrent plus de 20 maladies.

L'observation de cette donnée dans le temps permettra d'identifier si la précision des diagnostics influence la composition du paysage associatif dédié aux maladies rares, ce que nous pressentons et qui semble déjà se traduire au regard de l'observation plus fine que nous effectuerons plus loin dans notre enquête.

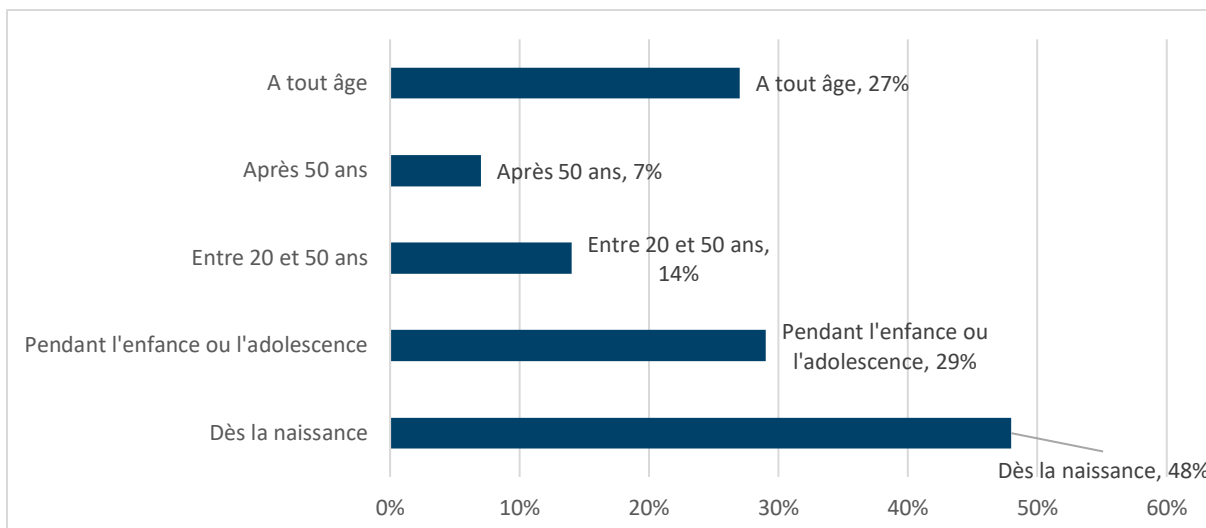


Figure 5 - Moment d'apparition le plus fréquent de la maladie (question 13)

La plupart des maladies couvertes par les associations apparaissent dès la naissance (48%) ou pendant l'enfance ou l'adolescence (29%). Pour ces associations, la maladie a un impact majeur sur l'espérance de vie dans 44% des cas.

Pour 27% des associations, la ou les maladie(s) peuvent apparaître à tout âge de la vie.

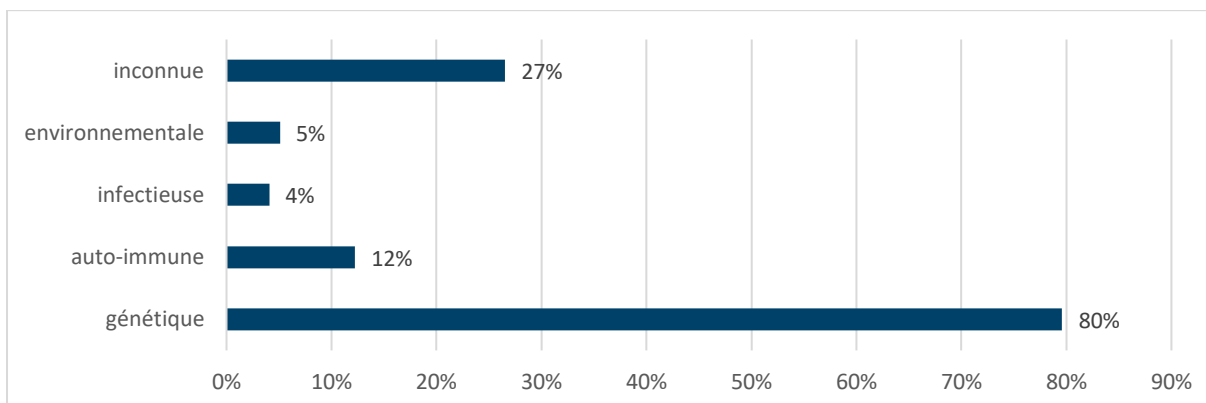


Figure 6 – Origine de la / des maladie(s) (question 15)

Dans près de 80% des situations, les maladies couvertes par les associations sont d'origine génétique.

26% des associations couvrent des maladies dont l'origine est encore inconnue à ce jour.

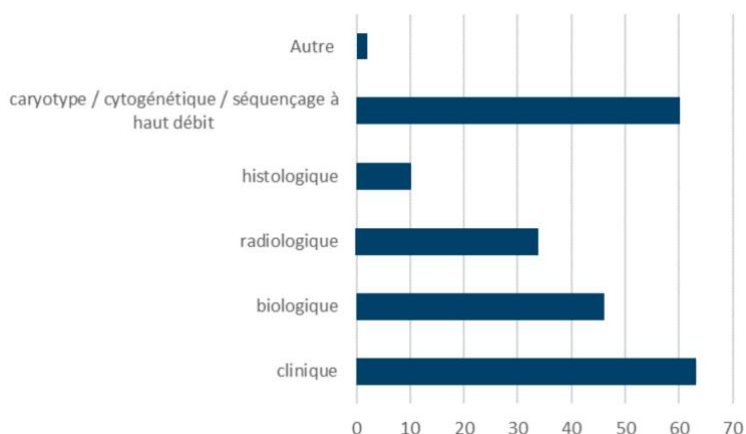


Figure 7 - Modalité(s) de réalisation des diagnostics (question 17)

Pour 63% des associations répondantes, le diagnostic des pathologies couvertes est posé par un bilan clinique. Dans 60% des cas, il procède d'un caryotype, d'un examen cytogénétique ou d'un séquençage génétique.

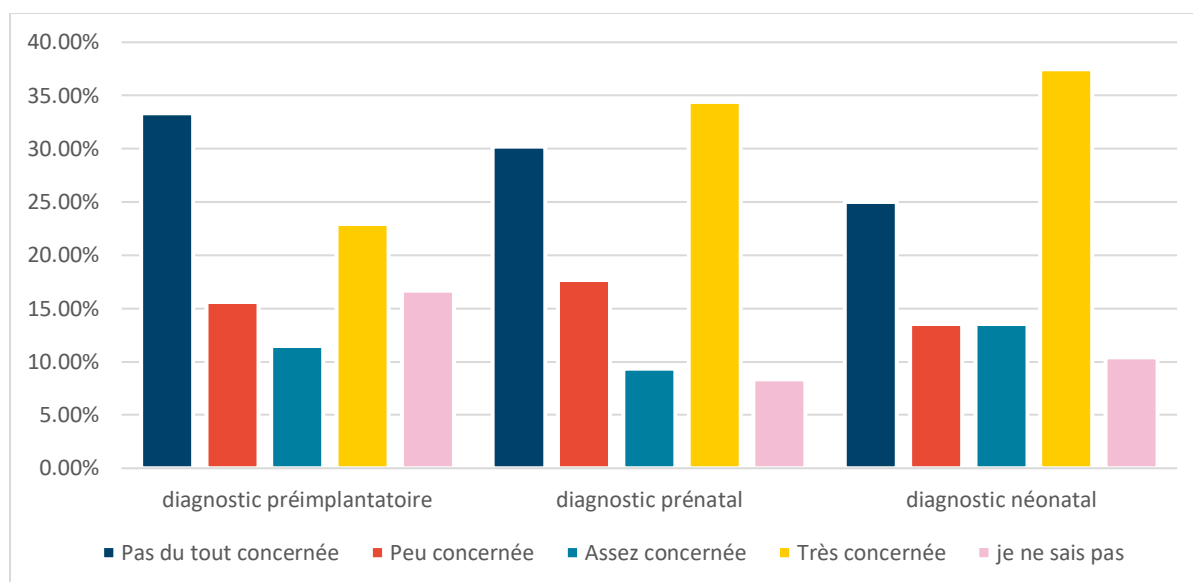


Figure 8 – Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18)

Près du tiers des associations se sent assez (11%) ou très concerné (23%) par les enjeux du diagnostic préimplantatoire et un autre tiers ne s'estime pas du tout concerné par ces derniers. Près de 17% des associations ignorent si elles sont concernées ou pas.

Les enjeux du diagnostic prénatal concernent près de 44% des associations. 30% ne s'estiment pas du tout concernés par ces derniers et 8% des associations ignorent si elles sont concernées ou pas.

Les enjeux du diagnostic néonatal concernent plus de la moitié des associations répondantes (13% se disent assez concernées et plus de 37% très concernées). Le quart des associations ne s'estime pas du tout concerné et 10% ignorent si elles le sont ou pas.

63% des associations disent être confrontées très régulièrement à des situations d'errance diagnostique. Seules 3% des associations n'y sont jamais confrontées.

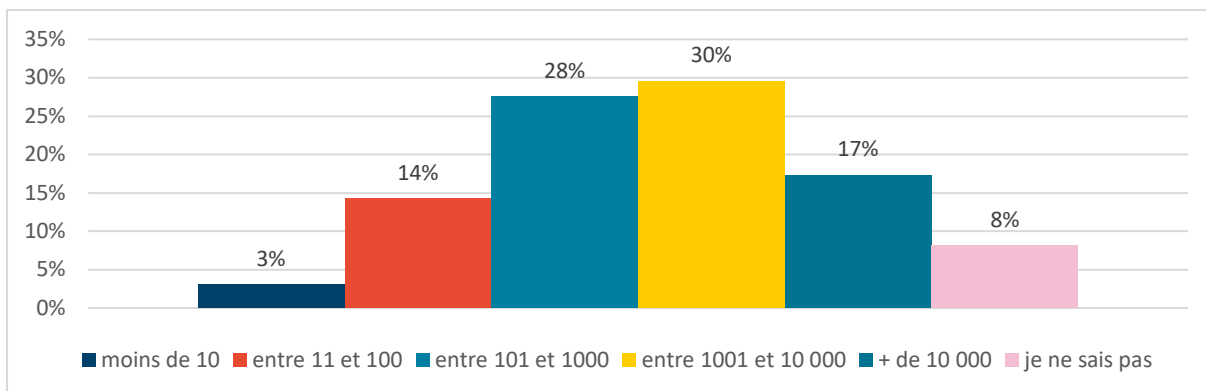


Figure 9 – Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16)

45% des associations couvrent des maladies qui touchent moins de 1000 personnes en France et 37% des associations couvrent des maladies qui concernent plus 1000 personnes.

8% des associations ne connaissent pas le nombre de malades potentiellement concernées par la ou les pathologies qu'elles couvrent.

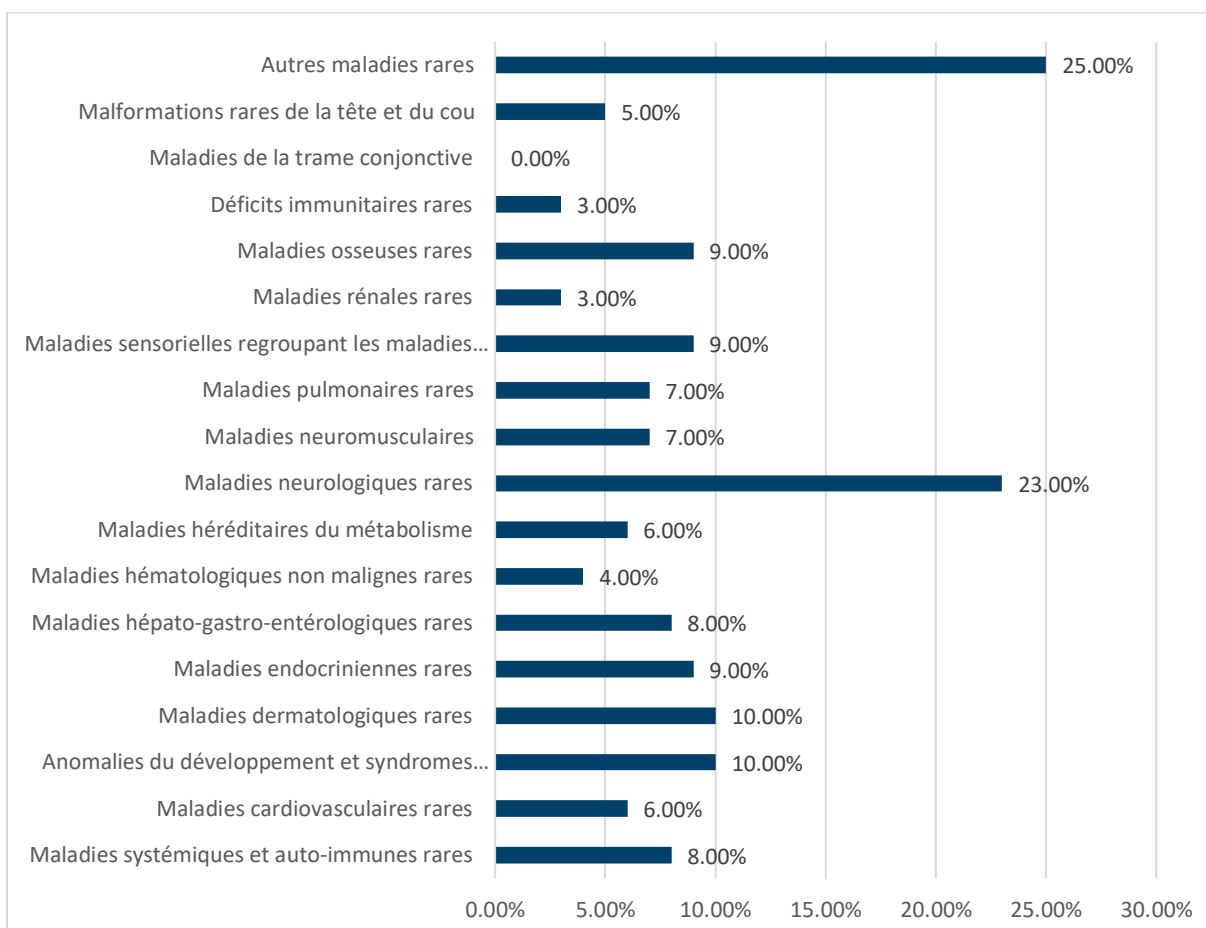


Figure 10 – Typologie des maladies couvertes par les associations (question 10)

La catégorie « Autres maladies rares » est citée par 25% des associations répondantes. Dans un quart des situations, l'association répondante a également coché une ou plusieurs autres options proposées dans la liste. Pour celles qui ont répondu uniquement « Autres maladies

rare » figurent notamment des associations concernées par des cancers rares. La seconde catégorie la plus citée est celle des maladies neurologiques rares (23% des répondants).

71% des associations ont cité une seule catégorie de maladies. 16% des associations ont cité deux catégories de maladies, 9% trois catégories et 4% en ont cité 4 ou plus.

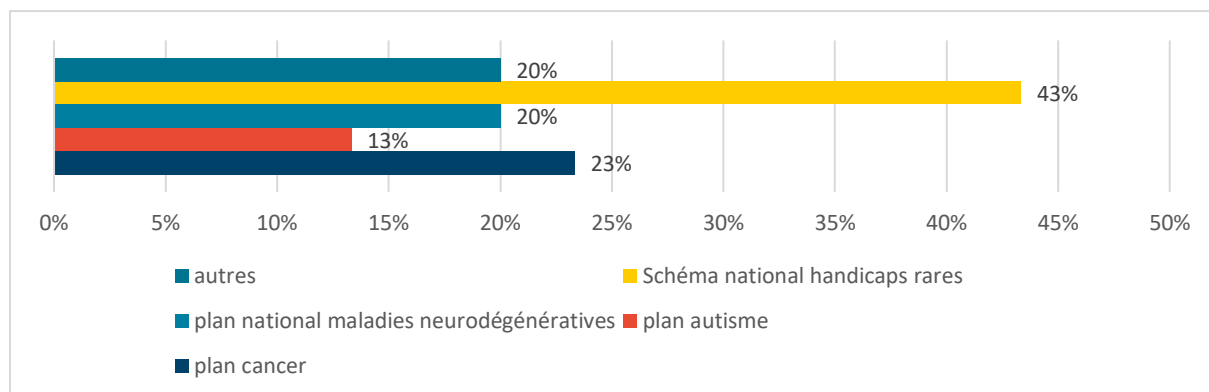


Figure 11 – Autres plans de santé publique concernant les associations (question 11)

Près de 30% des associations se sentent concernées par des plans de santé publique autres que le plan national maladies rares.

Le plus cité est le schéma national handicap rare (43%) devant le plan cancer (23%) et le plan national maladies neurodégénératives (20%) et enfin le plan autisme (13%).

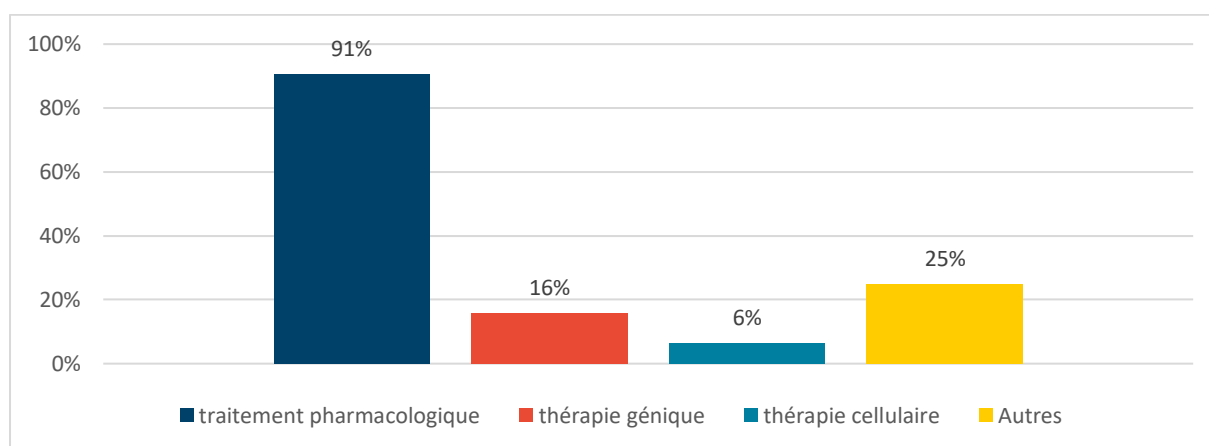


Figure 12 – Types des traitements spécifiques (question 21)

Le tiers des associations bénéficient d'un traitement avec indication spécifique dans l'une de leurs maladies. Pour près de 91% d'entre elles, il s'agit de traitements pharmacologiques.

Un autre tiers d'associations bénéficient d'un traitement sans indication spécifique. Pour près de 61% d'entre elles, il s'agit de médicaments faisant l'objet d'une prescription hors-AMM (autorisation de mise sur le marché).

## Répartition géographique des associations

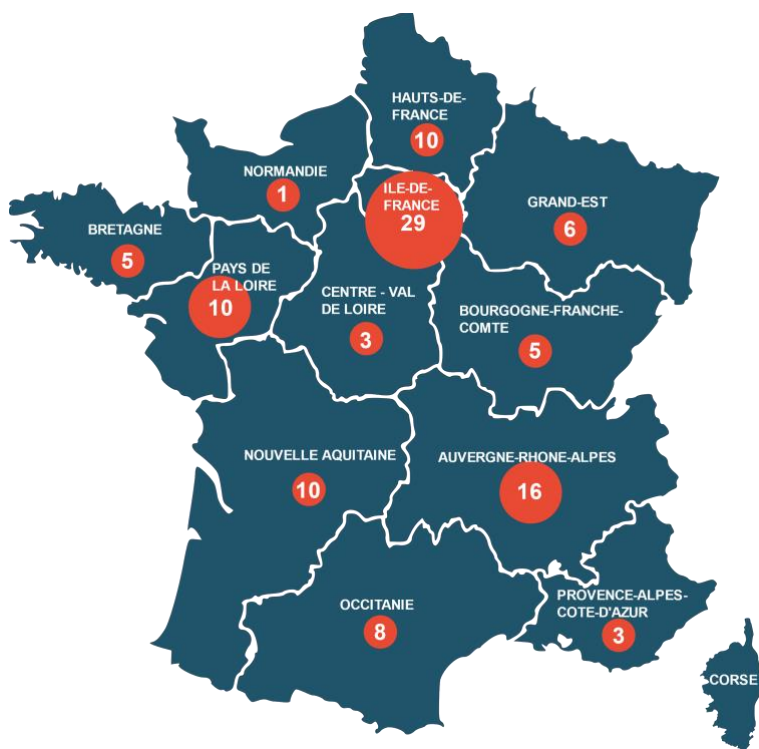


Figure 13 - Répartition géographique des sièges sociaux (question 4)

Près de 30% des sièges sociaux des associations répondantes se trouvent en Île-de-France. Les autres régions accueillant le plus de sièges sociaux associatifs sont Auvergne-Rhône-Alpes (16) et les Hauts-de-France et Pays de la Loire (10 chacun).

La répartition des sièges sociaux ne renseigne pas sur les zones d'activité de l'association dans le cadre des associations nationales que nous observons.

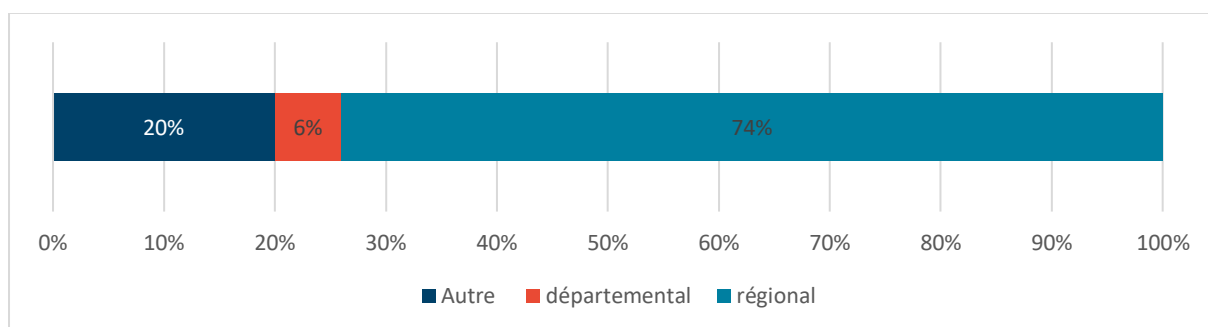


Figure 14 - Périmètre des responsables territoriaux dans les associations (question 31)

Plus de la moitié des associations répondantes sont d'ailleurs structurées de manière territoriale. Ces délégations ont pour une grande majorité (près des  $\frac{3}{4}$ ) un périmètre d'action régional.

Dans la catégorie « autre », nous retrouvons notamment des associations qui adaptent le périmètre d'action des délégués hors territoire administratif, de manière souple en fonction de l'étendue de la zone géographique ou des possibilités du ou des bénévoles impliqués

localement. Certaines sont restées sur l'ancien découpage régional et d'autres ont choisi d'étendre la couverture géographique (répartition en fonction des numéros de téléphone).

## Effectifs des associations

**Des associations globalement dynamiques du point de vue des adhésions et du nombre de bénévoles...**

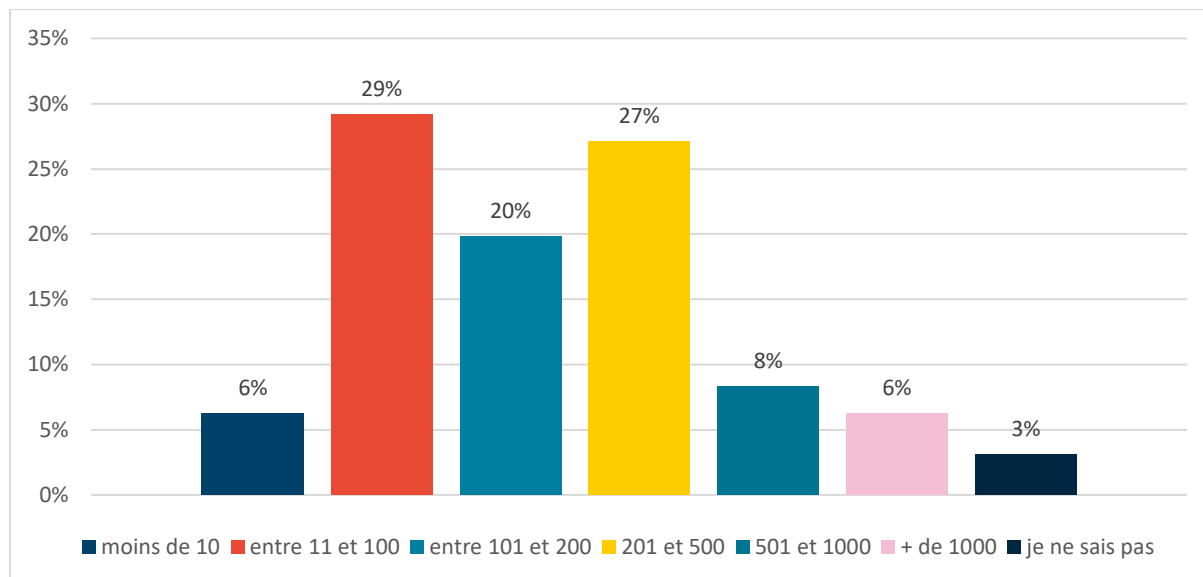


Figure 15 - Nombre d'adhérents des associations (question 26)

Les associations de maladies rares comptent moins de 100 membres dans plus d'un tiers des situations.

Il y a dans les répondants autant d'associations à moins de 10 membres qu'à plus de 1000 membres.

Près de 45% des répondants ont un effectif compris entre 101 et 500 membres.

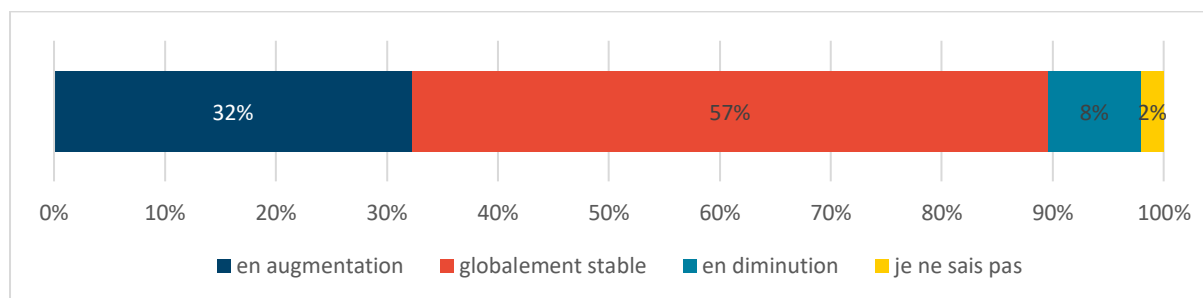


Figure 16 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27)

La majorité des associations connaissent des effectifs d'adhérents stables entre 2018 et 2019. Les associations en progression de ce point de vue sont plus nombreuses (32%) que celles qui rencontrent un déclin de leurs membres (8%).

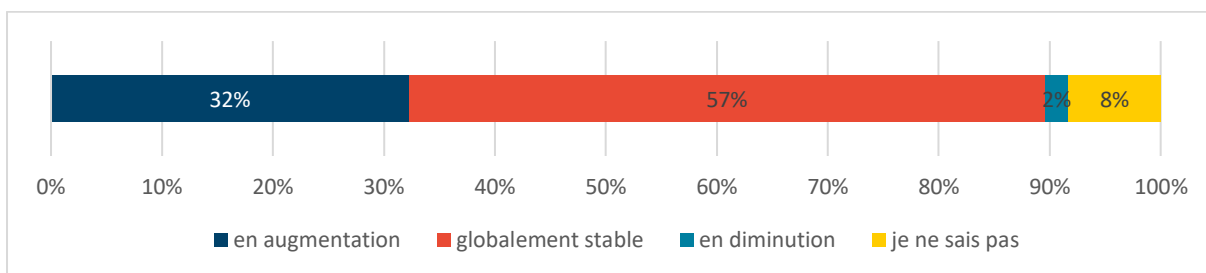


Figure 17 -Evolution du nombre de malades adhérents par rapport à 2018 (question 29)

Pour la majorité des associations répondantes (55%), les effectifs d'adhérents malades sont stables entre 2018 et 2019.

Ils sont en augmentation pour près du tiers des répondants et seuls 2% des associations répondantes voient le nombre d'adhérents malades diminuer entre 2018 et 2019.

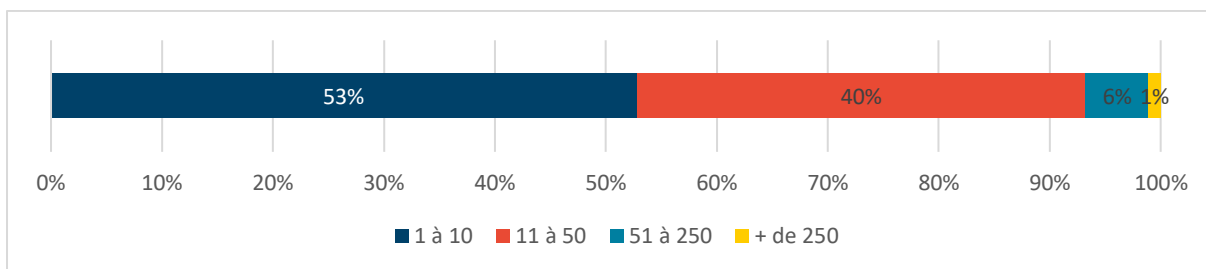


Figure 18 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35)

Plus de la moitié des associations s'appuient sur des effectifs bénévoles compris entre 1 et 10 personnes.

40% des associations répondantes comptent entre 11 et 50 bénévoles.

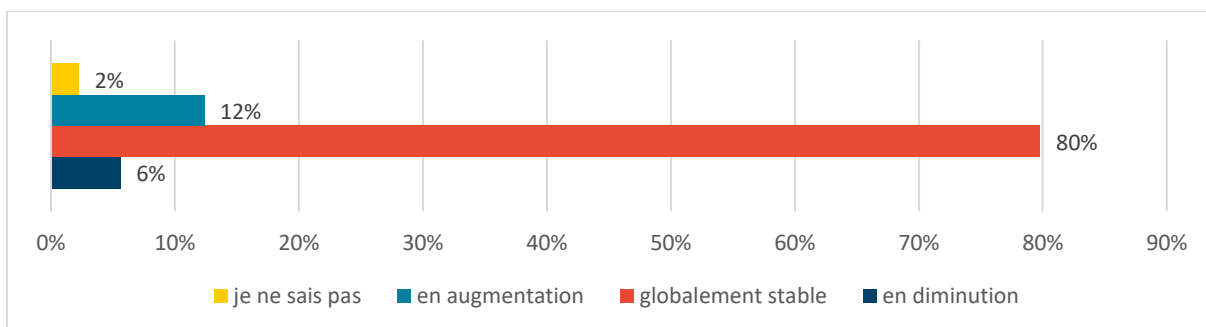


Figure 19 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36)

On observe une part très significative d'organisations s'appuyant sur une équipe de bénévoles stable en nombre (près de 80%). En dehors de ces organisations, elles sont deux fois plus nombreuses à voir le nombre de bénévoles augmenter que baisser.



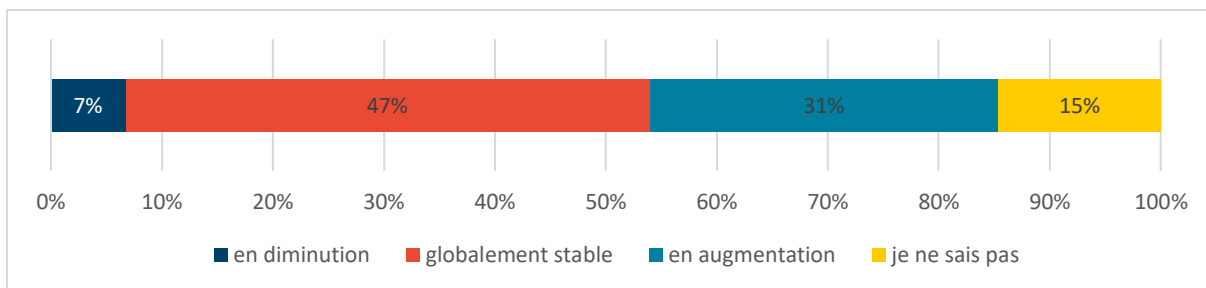


Figure 20 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38)

Le nombre d'heures de bénévolat en augmentation est proportionnellement plus important que l'augmentation du nombre de bénévoles.

L'augmentation globale de ce volume horaire est portée très certainement par un nombre peu ou prou équivalent de personnes.

Les associations ayant chiffré le nombre d'heures de bénévolat en leur sein déclarent en moyenne 2300 heures de bénévolat représentant environ 1,5 équivalents temps plein. Cette donnée masque une réelle hétérogénéité au sein des associations puisque 50% des associations déclarent moins de 1000 heures de bénévolat, 37% entre 1000 et 4000 heures de bénévolat et 12% plus de 4000 heures de bénévolat.

Nous précisons que les méthodes de recueil de cette information n'ont pas fait l'objet d'une investigation spécifique : ces informations peuvent aussi bien résulter d'une estimation d'un dirigeant ayant une bonne vision d'ensemble de l'action de l'association que d'un travail très élaboré de comptabilisation.

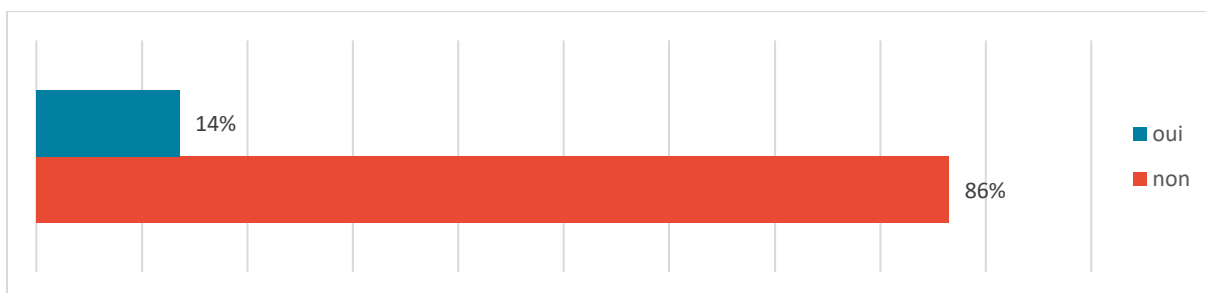


Figure 21 - Présence de salariés dans les effectifs des associations (question 32)

13% des associations répondantes s'appuient sur une équipe permanente salariée.

Dans 54% des cas, il s'agit d'une équipe représentant 1 équivalent temps plein. Dans 92% des cas, il s'agit d'effectifs inférieurs à 10 équivalents temps plein.

## Ressources budgétaires

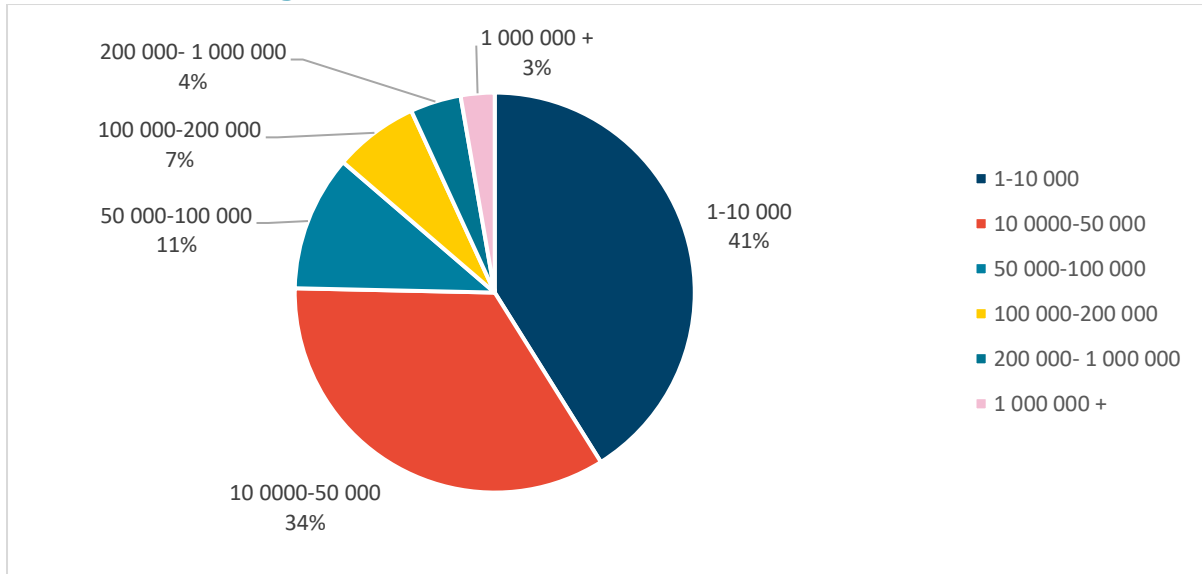


Figure 22 - Montant des ressources financières annuelles (en euros) de l'association hors contributions volontaires (question 39)

Les ressources financières à disposition des associations mettent en évidence deux dimensions essentielles du réseau associatif engagé dans les maladies rares :

- La majeure partie du tissu est constitué de structures aux ressources limitées : 41% des associations de maladies rares répondantes ont des ressources financières inférieures à 10 000 euros. 75% des associations ont des ressources inférieures à 50 000 euros.
- Elles côtoient quelques associations disposant de ressources plus conséquentes : 3% des organisations répondantes déclarent des ressources supérieures à un million d'euros

Pour près de 45% des associations, ces ressources sont globalement stables entre 2018 et 2019. 26% disposent de ressources financières plus importantes et 20% de ressources en diminution. 9% des répondants ne mettent pas en évidence d'évolution entre 2018 et 2019 (c'est notamment le cas des entités créées en 2019).

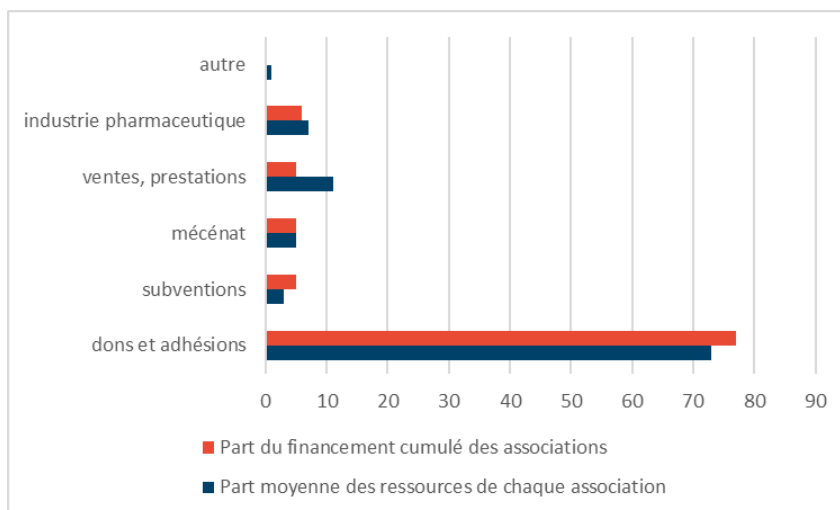


Figure 23 - Nature des ressources des associations (question 41)

Au regard de l'hétérogénéité du montant des ressources financières des associations, il nous a semblé opportun d'analyser de manière parallèle la structuration générale du financement global des associations de maladies rares (en calculant la proportion des différentes sources de financement dans les ressources cumulées de toutes les associations répondantes) et la part moyenne représentée par une ressource financière dans le budget de chaque association. Le premier calcul nous permet de comprendre le financement global du tissu associatif dédié aux maladies rares tandis que le second nous permettra de mieux comprendre les dynamiques de financement des associations, organisation par organisation. La mise en parallèle de ces deux approches nous semble utile dans le contexte de très forte hétérogénéité des ressources constaté précédemment.

Les ressources financières des associations de maladies rares proviennent très majoritairement des dons et cotisations (77% du financement cumulé de l'ensemble des associations, 73% de la part moyenne des ressources associatives). Pour plus du quart des associations répondantes, ils représentent même l'unique mode de financement.

On notera que si les ventes et prestations représentent 5% du financement global des associations de maladies rares, elles représentent une part moyenne de leurs ressources de 11%. Les fonds provenant de l'industrie pharmaceutique représentent 6% des ressources des associations répondantes (7% en part moyenne). Les fonds provenant de l'industrie pharmaceutique représentent plus de 50% des ressources chez 5% des répondants.

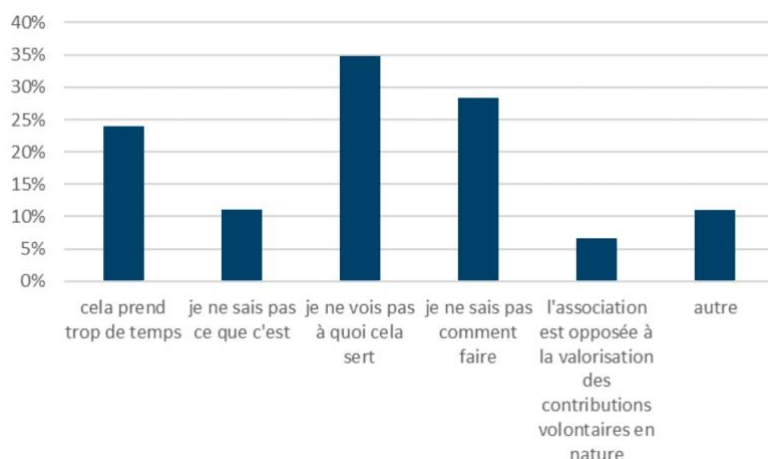


Figure 24 - Raison expliquant la non-valorisation des contributions volontaires dans la comptabilité des associations (question 44)

Un tiers des associations valorise les contributions volontaires dans leur comptabilité en 2019.

Pour les associations n'ayant pas valorisé les contributions volontaires en nature en 2019, on constate que près d'un tiers d'entre elles ne voient pas à quoi sert cette valorisation.

Les autres raisons invoquées concernent des difficultés de méthode (28%) et de temps (24%).

Il sera intéressant d'observer dans le temps si les évolutions comptables introduites en 2020 inciteront davantage d'associations à valoriser comptablement leurs contributions volontaires.

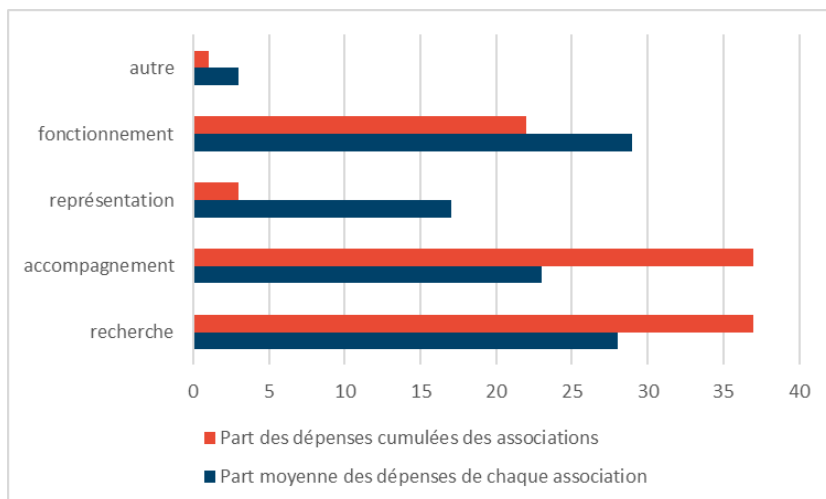


Figure 25 - Postes de dépense des associations en 2019 (question 48)

Comme pour les ressources financières, nous analyserons les dépenses des associations de maladies rares d'un point de vue global pour comprendre l'orientation des dépenses de l'écosystème dans son ensemble et la part moyenne d'une affectation dans les dépenses de chaque association afin de cerner plus précisément les dynamiques qui se jouent dans les petites associations.

La recherche et l'accompagnement des malades représentent près des  $\frac{3}{4}$  des dépenses globales des associations répondantes (37% pour chaque poste de dépense).

On notera le différentiel important entre le faible poids total des frais liés aux activités de représentation des associations (3% des dépenses globales) et le poids moyen dans le budget des associations (17%) qui met très certainement en exergue l'investissement financier majeur que représente cette mission pour les organisations disposant des budgets les moins importants.

## Communication

La quasi-totalité des associations de maladies rares dispose d'un site internet (lorsque cela n'est pas le cas, la mise en ligne d'un site est à l'étude ou en cours).

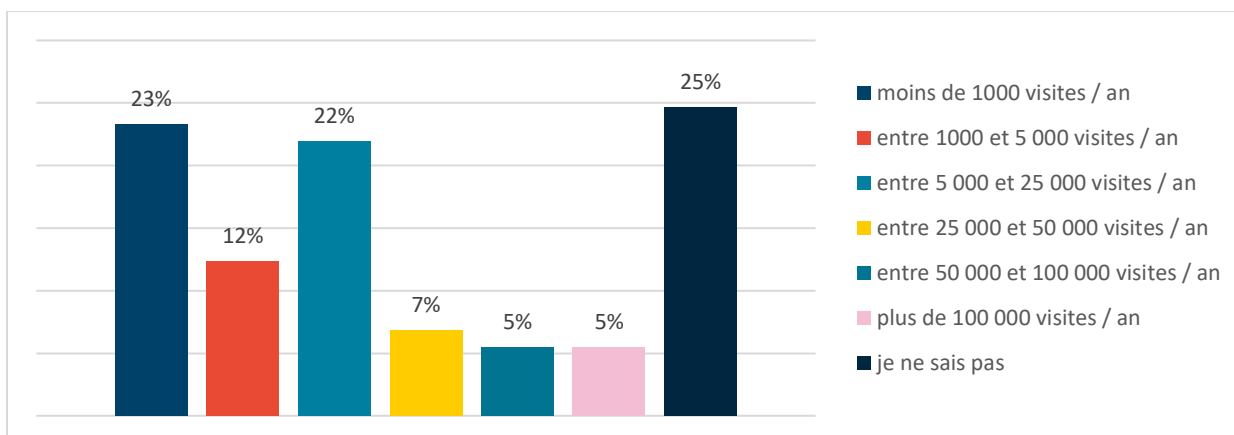


Figure 26 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56)

Près du quart des associations n'ont pas d'idée de la fréquentation de leur site internet.

20% des associations ont une fréquentation de leur site internet supérieure à 25 000 visites par an.

Les malades et les familles concernées par une maladie rare constituent la cible prioritaire des sites internet dans 97% des cas. Les professionnels de santé sont cités en seconde position par 71% des associations suivis par les acteurs médico-sociaux puis par les chercheurs. Les associations citent ensuite le grand public, les donateurs, les mécènes et les médias de manière spontanée mais ils apparaissent plutôt comme des cibles secondaires.

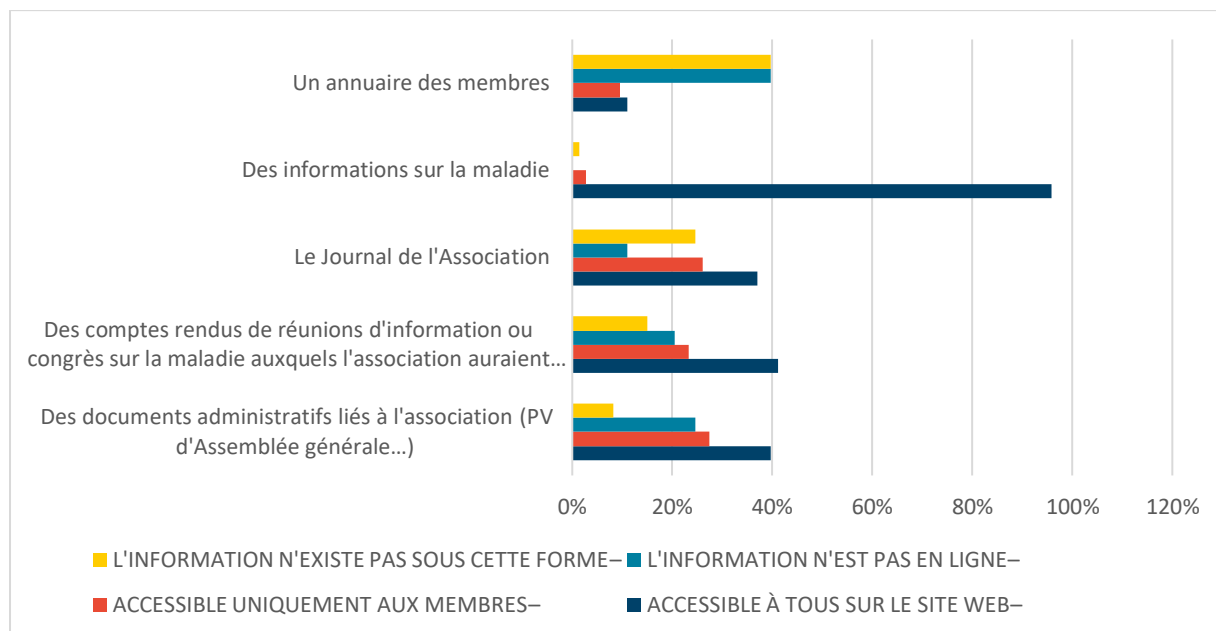


Figure 27 - Disponibilité des informations en ligne (question 59)

Toutes les associations fournissent des informations sur la maladie sur leur site internet. De manière très majoritaire, cette information est accessible sans restriction à l'exception des informations provenant de congrès ou réunions auxquels l'association a participé qui est disponible en ligne dans 41% des cas (23% des associations les mettent en accès sur un espace réservé aux adhérents, 21% des associations ne mettent pas cette information en ligne).

De la même manière, la moitié des associations disposant d'un journal le met en ligne en accès libre et l'autre moitié le met en accès sur l'espace adhérents ou ne le met pas en ligne.

Les documents administratifs de l'association sont, quant à eux, majoritairement non disponibles en ligne.

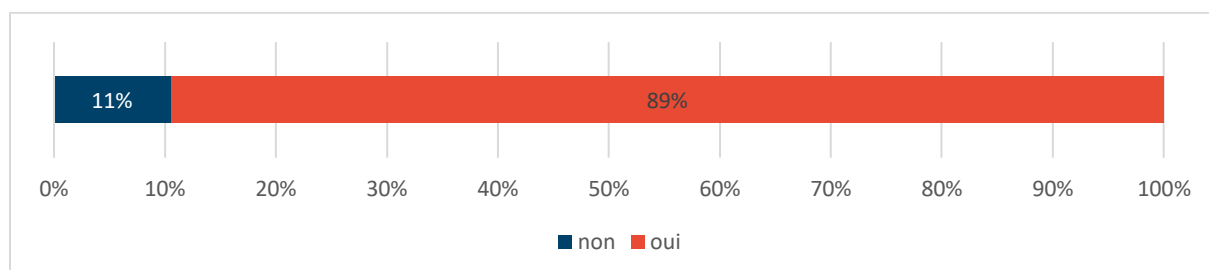


Figure 28 - Présence de l'association sur les réseaux sociaux (question 60)

Très majoritairement les associations sont présentes sur les réseaux sociaux (89% des associations). Toutefois si l'absence de site internet est un manque à combler, l'absence des

réseaux sociaux est plus souvent motivée : absence d'intérêt et/ou méfiance vis-à-vis des réseaux sociaux, absence de bénévoles qualifiés ou disponibles.

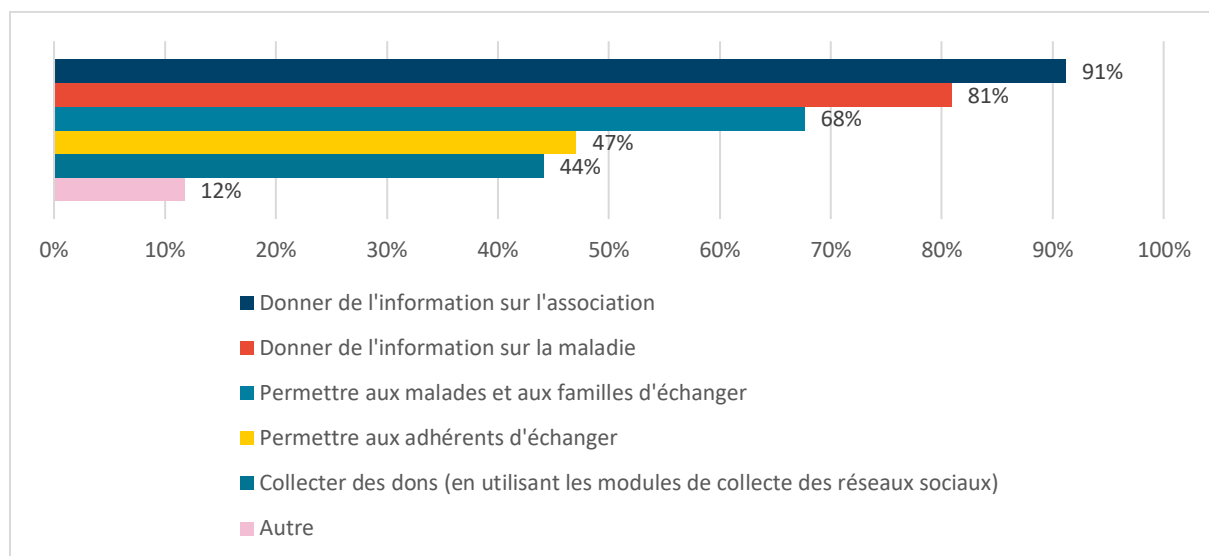


Figure 29 - Objectifs principaux de la présence des associations sur les réseaux sociaux (question 62)

La diffusion d'informations sur l'association (91% des associations) et sur la maladie (81%) constitue les objectifs les plus cités par les répondants.

La possibilité d'échanger que ce soit entre familles/malades (67%) ou entre adhérents (47%) constitue également un objectif important mais moins significativement moins cité que la diffusion d'information.

La collecte de dons est quant à elle citée comme un objectif de la présence de l'association sur les réseaux sociaux par 44% des répondants.

A noter que dans les autres objectifs cités par les associations figurent la diffusion d'information d'acteurs du paysage des maladies rares ou de partenaires ou encore la volonté d'aller à l'encontre des fausses informations susceptibles de circuler sur ces canaux de communication.

55% des associations ont édité un journal en 2019. Chez la majeure partie des associations, le support est disponible au format numérique et au format papier (55%). 28% des associations le diffusent uniquement par voie numérique et 17% uniquement sur support papier.

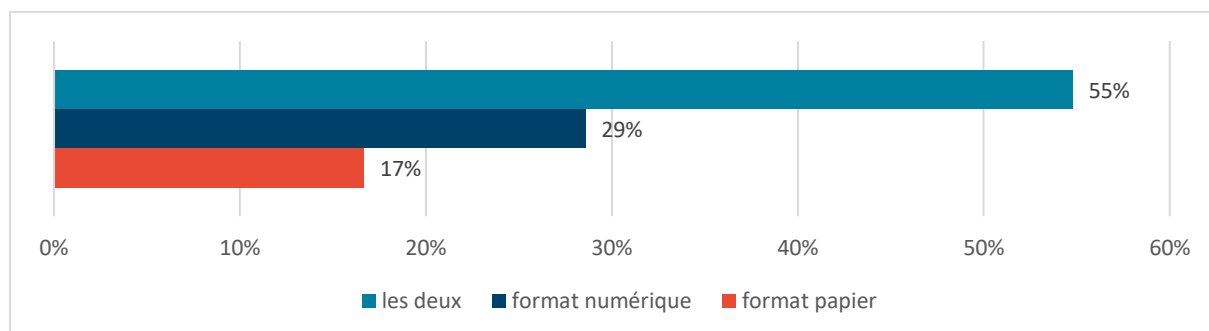


Figure 30 - Format de diffusion du journal de l'association (question 64)

Pour la majeure partie des associations, la diffusion du journal est semestrielle (48%) ou trimestrielle (24%).

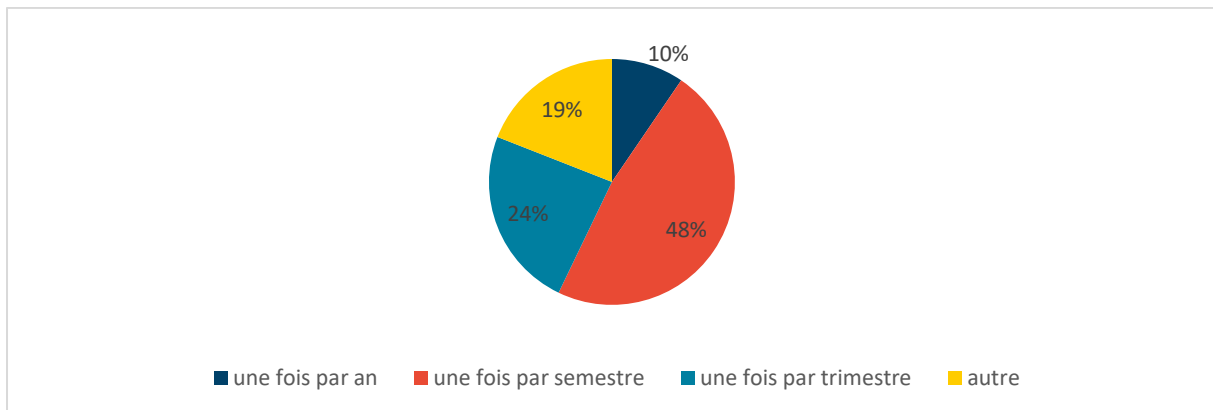


Figure 31 - Fréquence de diffusion du journal (question 65)

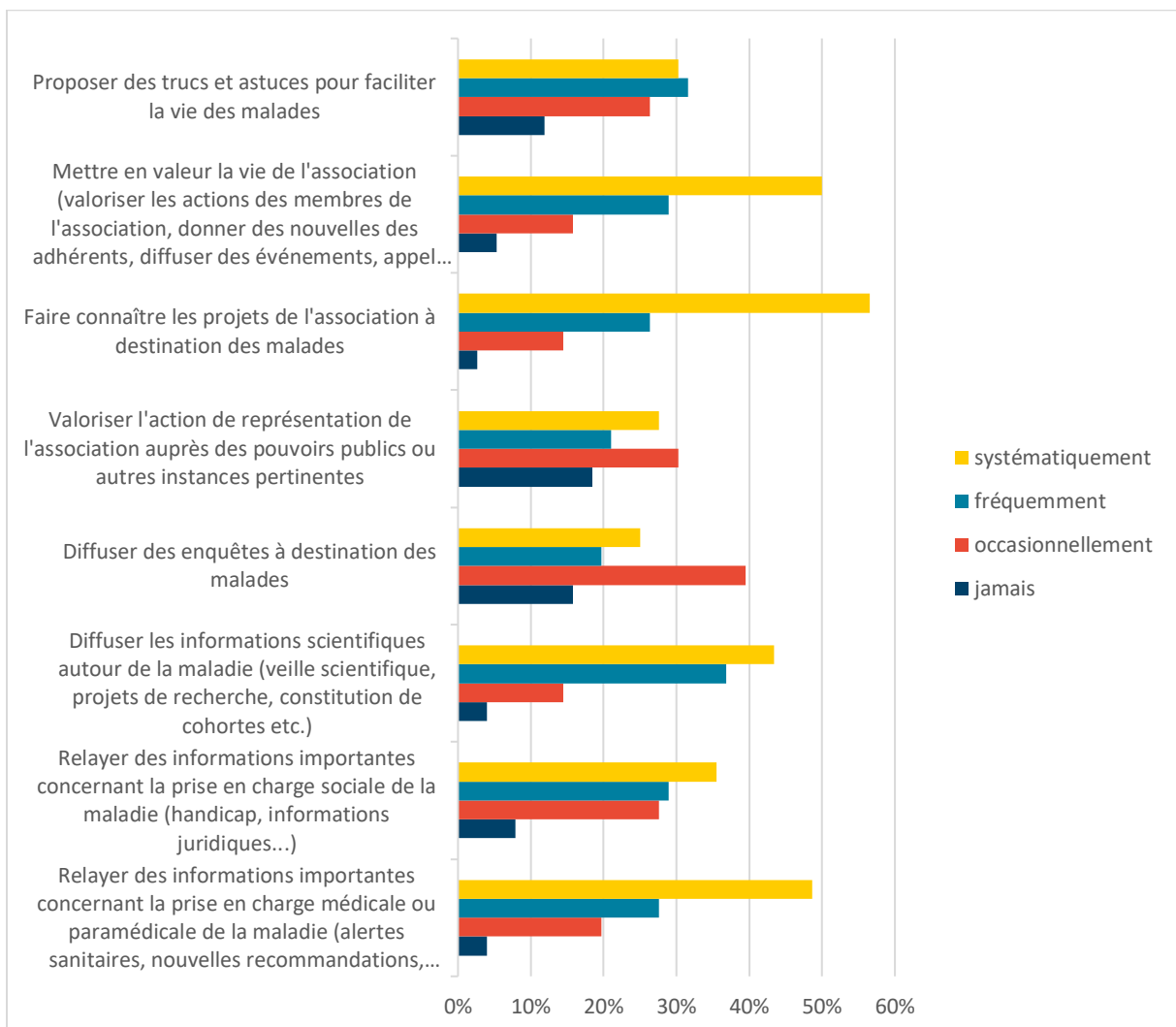


Figure 32 - Missions des supports de communication (sites web, réseaux sociaux, journal) des associations (question 66)

Les associations s'appuient systématiquement sur leurs outils de communication pour faire connaître leurs projets (56% des répondants) et mettre en avant la vie de l'association (50%). Les autres éléments les plus systématiquement relayés sont les informations importantes concernant la prise en charge médicale ou paramédicale des malades (49%), les informations scientifiques liées à la maladie (44%) et les informations concernant la prise en charge sociale des malades (35%).

Près d'une association sur cinq (19%) ne s'appuie jamais sur ses outils de communication pour valoriser son action de représentation auprès des pouvoirs publics ou d'autres instances pertinentes. Il sera intéressant de comprendre si cette donnée procède d'une absence d'intérêt de la part des récipiendaires des communications des associations, d'une absence d'action de l'association en la matière ou d'une difficulté à traduire en mots et/ou en images une action souvent peu visible. Près de 16% des associations ne diffusent jamais d'enquête auprès des malades et 12% ne diffusent jamais de trucs et astuces pour faciliter la vie des malades.

22% des associations mettent en place un annuaire des adhérents. Celui-ci n'est jamais mis à disposition de manière autonome à chaque adhérent. Il est le plus souvent réservé à une catégorie d'adhérents (les délégués régionaux par exemple) ou remis par l'association sur demande. Une charte d'utilisation de l'annuaire a été élaborée pour 29% des associations.

## Projets d'accompagnement

Les associations de malades répondantes proposent en moyenne 2,9 modalités d'accompagnement aux malades.

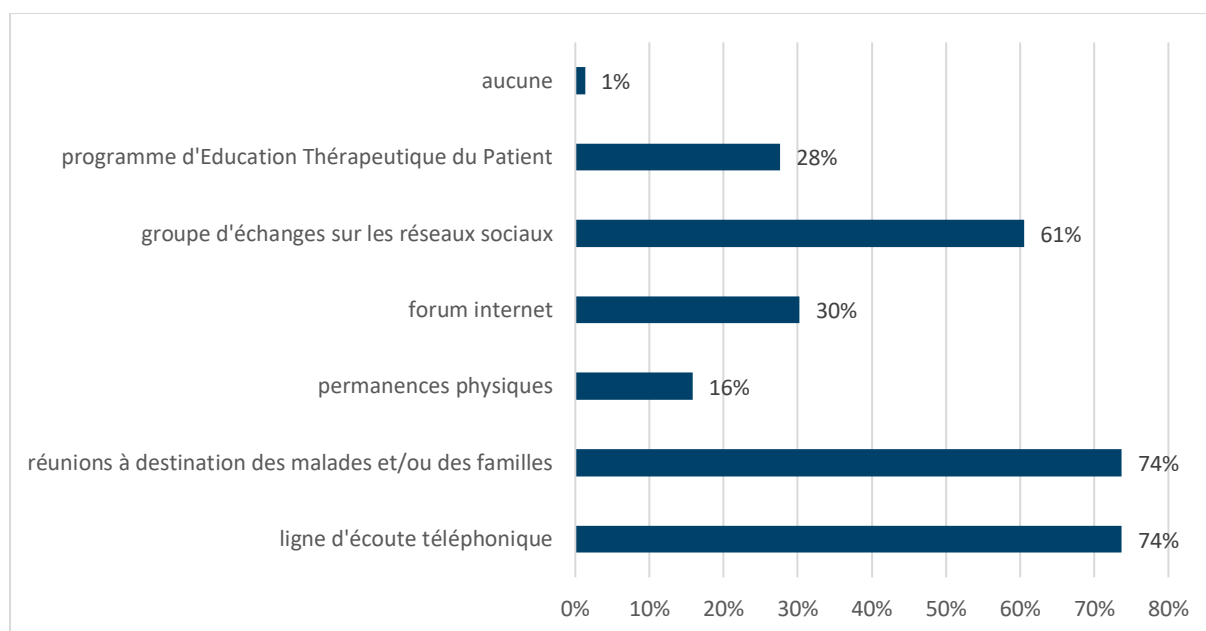


Figure 33 - Actions d'accompagnement menées auprès des malades et des familles (question 71)

Les actions d'accompagnement les plus fréquemment mises en place par les associations sont les lignes d'écoute téléphonique (77% des associations). La pratique des associations en la matière est hétérogène : numéro unique ou orientation vers différents points de contact au



sein de l'association, proposition de RDV téléphonique si les autres moyens de communication ne permettent pas de répondre à la demande.

L'organisation de réunions à destination des malades et des familles est mentionnée par 73% des associations. L'animation de groupes d'échange sur les réseaux est la 3<sup>e</sup> action la plus régulièrement mentionnée (60% des associations).

La gestion d'un forum internet et la participation à un programme d'éducation thérapeutique du patient sont cités par respectivement 30% et 27% des répondants.

Dans la catégorie « Autres », sont citées la mise en place de formations, d'activités ludiques thématiques et de week-end répit.

Une seule association signale ne mettre en place aucune action d'accompagnement. Son action est essentiellement centrée sur le soutien à la recherche et il convient de préciser qu'il existe une autre association de malades couvrant cette pathologie

Les projets d'accompagnement mobilisent en moyenne 9,3 personnes au sein des associations répondantes. Dans la plupart des associations, le nombre de personnes impliquées dans les actions d'accompagnement est compris entre 1 et 5 (53% des associations) et 6 et 10 personnes (26%).

Dans 57% des associations, certains bénévoles ont été formés à l'écoute ; dans 28% des associations à l'éducation thérapeutique du patient et dans 21% à l'animation de groupes de parole.

Les actions d'accompagnement des malades ont bénéficié en moyenne à environ 230 malades par association. Toutefois, 61% des associations estiment que leurs actions ont bénéficié à moins de 100 malades, 23% entre 100 et 500 malades et 11% à plus de 500 malades.

39% des associations développent par ailleurs des outils à destination des professionnels de santé (formations, documents explicatifs, journées scientifiques...).

## **Représentation des malades**

84% des associations répondantes participent à au moins une Filière de Santé Maladies Rares. Ces chiffres sont similaires à ceux concernant les Centres de référence maladies rares (voir infra).

Ces dernières font en moyenne partie d'1,5 filières. 67% des associations participent à une filière et 33% à au moins deux filières. 40% des associations répondantes participent par ailleurs à la gouvernance d'une filière.

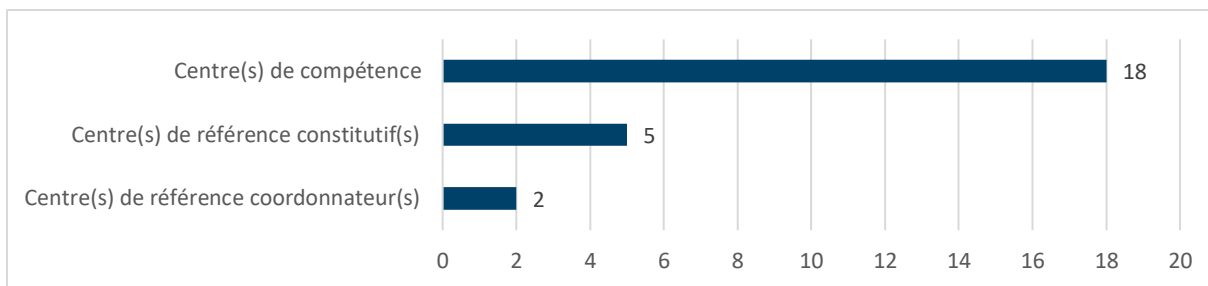


Figure 34 - Nombre de centre(s) de maladies rares concernant l'association (question 79)

Près de 85% des associations sont concernées par au moins un Centre de référence maladies rares labellisé.

En moyenne, elles sont concernées par deux Centres de référence coordonnateurs, 5 Centres de référence constitutifs et 18 Centres de compétences. Les réponses les plus fréquemment fournies indiquent que l'environnement type des associations sur ce plan est plutôt le suivant : 1 Centre de référence coordonnateur, 1 à 3 Centres de référence constitutifs et moins de 10 Centres de compétence.

Les associations estiment avoir une implication forte ou assez forte dans 39% des situations pour ce qui concerne les Centres de référence coordonnateurs et faible ou assez faible dans 30% des situations.

Elles estiment que leur participation est forte ou assez forte dans 24% des situations pour ce qui concerne les Centres de référence constitutifs et faible ou assez faible dans 34% des cas.

Pour les Centres de compétences, l'implication associative est forte ou assez forte dans 8% des cas et faible ou assez faible dans 47% des cas.

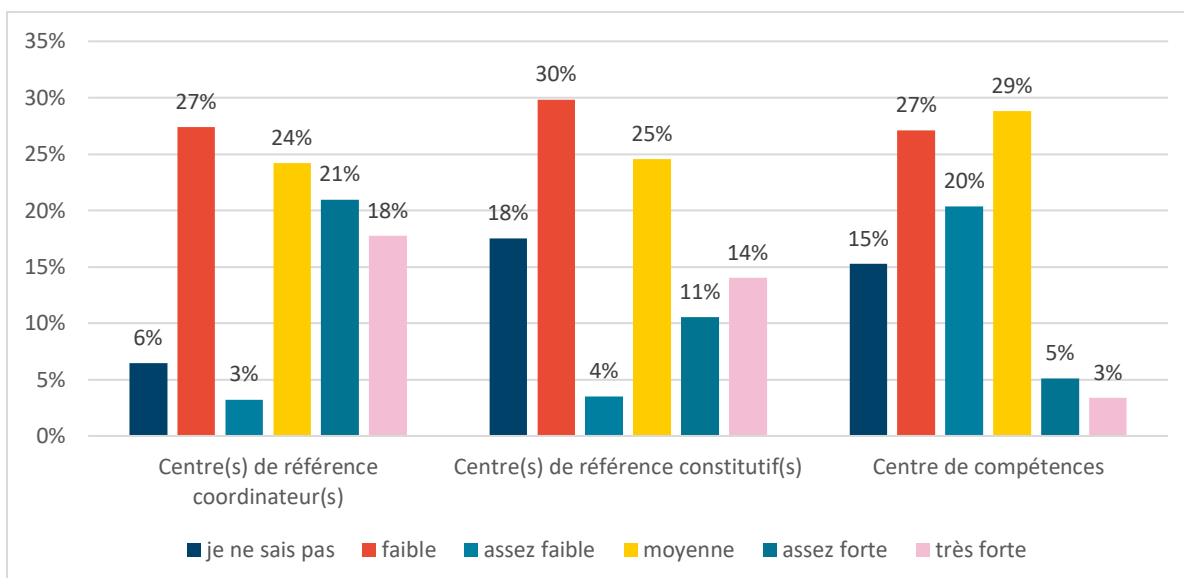


Figure 35 - Implication dans les centres de référence (question 80)

Un tiers des associations est impliqué dans la gouvernance d'un réseau européen de référence. 55% des associations sont membres d'une organisation internationale s'intéressant à la pathologie.

Un quart des associations répondantes dispose d'un agrément d'association représentant des usagers du système de santé. Dans 84% des cas, le périmètre de l'agrément est national (16% périmètre régional).

73% des associations n'ont pas demandé l'agrément.

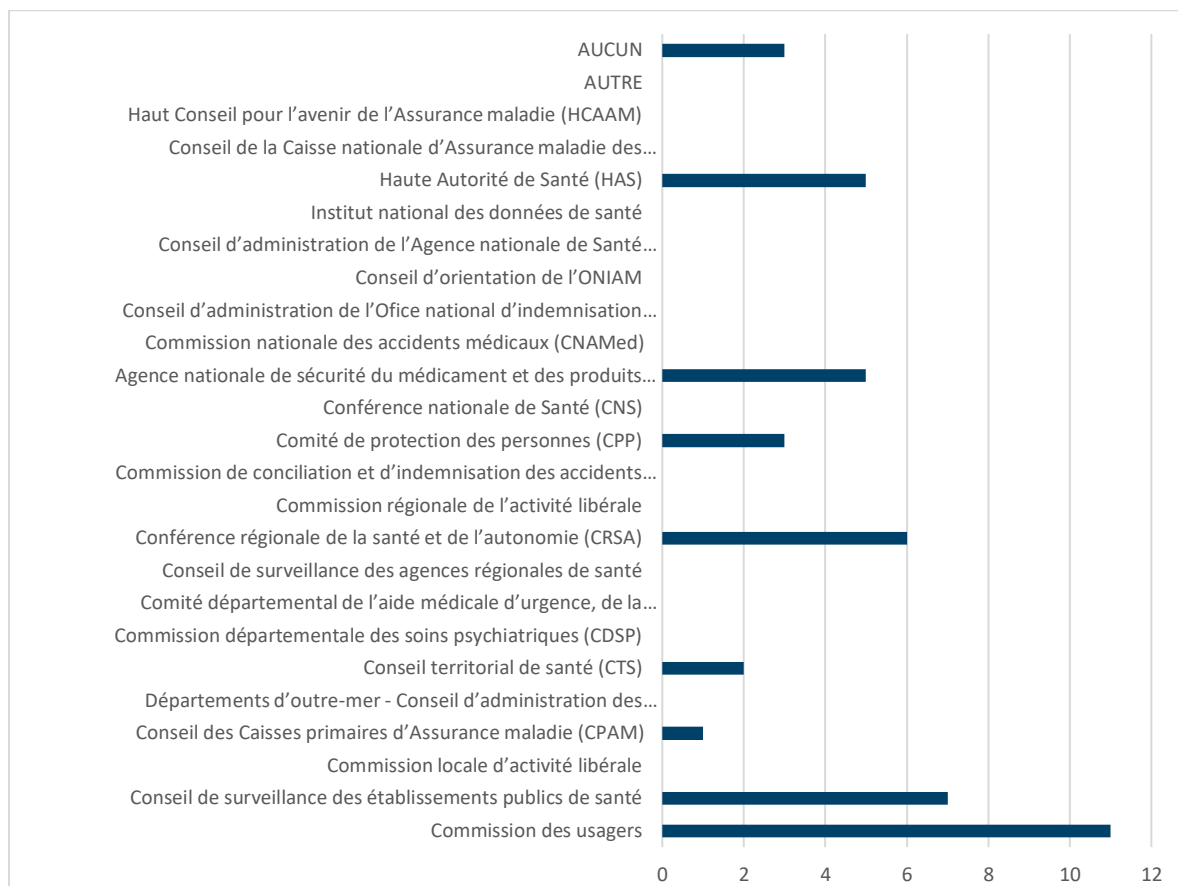


Figure 36 - Mandat(s) au(x)quel(s) l'agrément a permis d'accéder (question 87)

Les mandats auxquels elles ont pu prétendre se situent au sein des Commissions des Usagers pour 58% des associations et au sein des Conseils de surveillance des établissements publics de santé (37%). 26% des associations ont pu accéder à un mandat à la Haute Autorité de Santé du fait de l'agrément. 26% des associations également ont pu accéder à un mandat auprès de l'Agence Nationale de Sécurité du Médicament et des Produits de Santé. Enfin 32% des associations ont obtenu un mandat au sein des Conférences régionales de la santé et de l'autonomie. 15% n'ont accédé à aucun mandat pour le moment du fait de leur agrément.

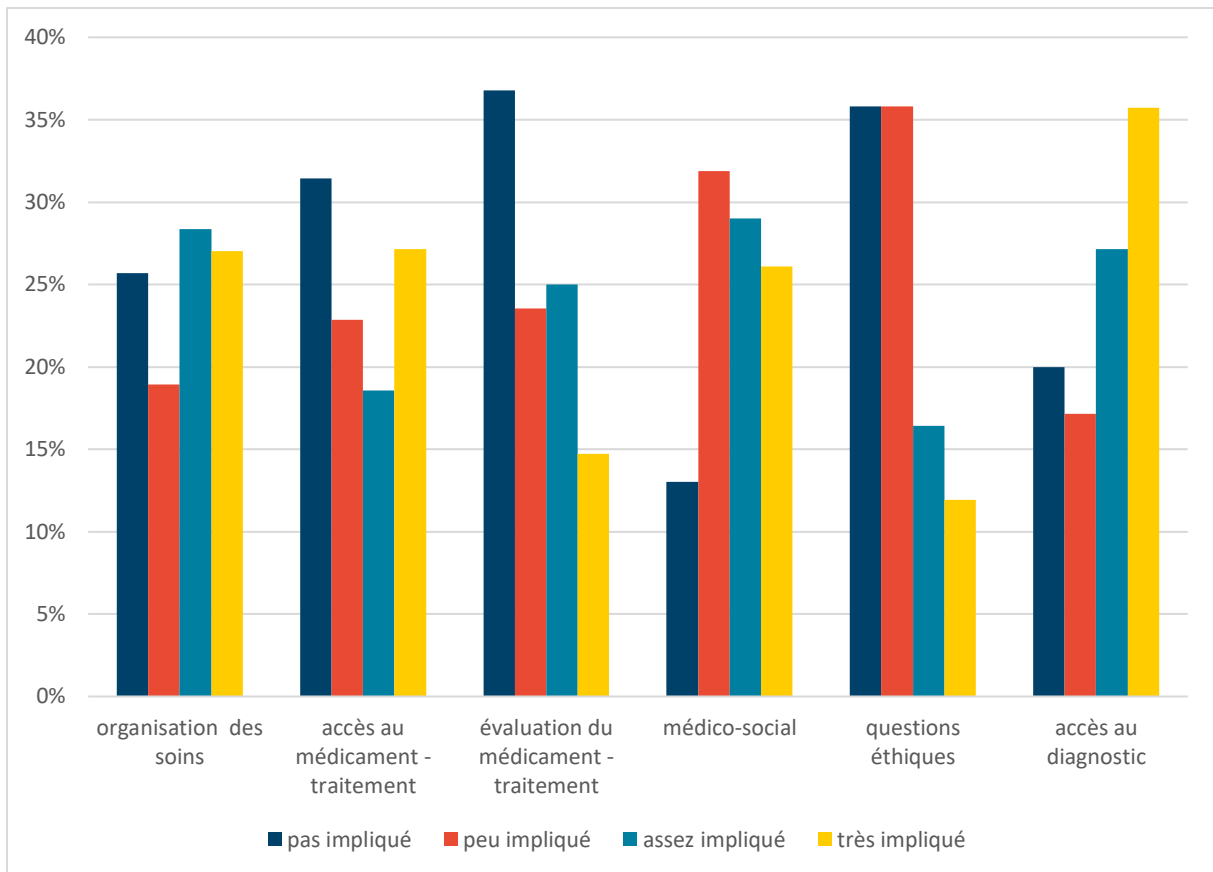


Figure 37 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104)

Les dossiers relatifs au diagnostic sont ceux qui ont le plus mobilisé les associations répondantes en 2019 (63% des associations ont été impliquées sur ce type de dossier (36% très impliquées et 27% assez impliquées)).

Viennent ensuite ceux relatifs à l'organisation des soins (55%) et au secteur médico-social (55%). Les questions relatives à l'accès au traitement arrivent quant à elles en 2<sup>ème</sup> position si on observe uniquement la très forte implication, elles concernent donc moins de structures mais nécessitent un engagement important pour les associations.

En moyenne, les associations répondantes ont été assez ou très impliquées dans 2,7 des items proposés soulignant la mobilisation importante de ces organisations dans la représentation des malades.

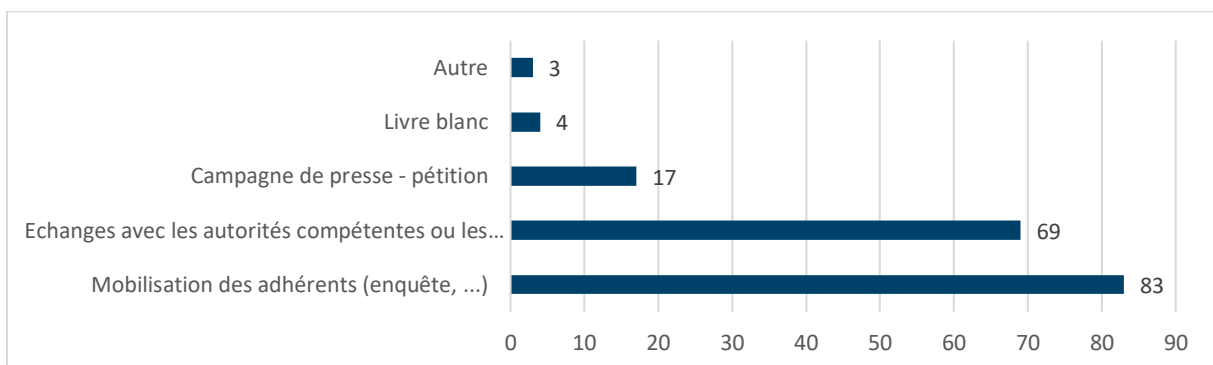


Figure 38 - Actions entreprises par l'association dans le cadre de cette mobilisation (question 107)

Les actions les plus communément mises en place sont la mobilisation des adhérents, à travers des enquêtes par exemple (83% des associations répondantes) et les échanges avec les autorités ou organisations compétentes, qu'elles soient sanitaires, politiques... (69%). La plupart des associations (56%) utilisent plusieurs leviers d'action pour intervenir sur ces dossiers.

## Recherche

### Environnement scientifique

96% des associations entretiennent des relations avec des professionnels de santé ou des chercheurs experts de la maladie. Pour celles qui ne sont pas dans cette démarche, le rapprochement peut être en cours mais la situation peut aussi s'expliquer par l'absence d'expert sur la pathologie ou leur manque de disponibilité pour s'impliquer auprès de l'association ou encore la volonté de bien cloisonner les rôles.

Pour 59% des associations, le réseau de professionnels ou de chercheurs est structuré sous la forme d'un conseil scientifique. Il comprend alors 6 à 10 personnes dans plus de 40% des cas et moins de 5 personnes dans 31% des situations. Lorsque le réseau de professionnels n'est pas structuré sous la forme d'un Conseil scientifique, plus de 4 associations sur 5 bénéficient de conseils informels de la part de professionnels de santé. D'autres s'appuient sur les structures existantes du paysage maladies rares (CRMR, FSMR) en guise de Conseil scientifique.

### Composition et fonctionnement du Conseil scientifique

La composition du Conseil scientifique est pluridisciplinaire dans 81% des cas. Près d'un tiers des associations intègrent une dimension paramédicale dans leur Conseil scientifique. Près d'un quart des associations intègrent une dimension dédiée aux sciences humaines et sociales dans leur Conseil scientifique.

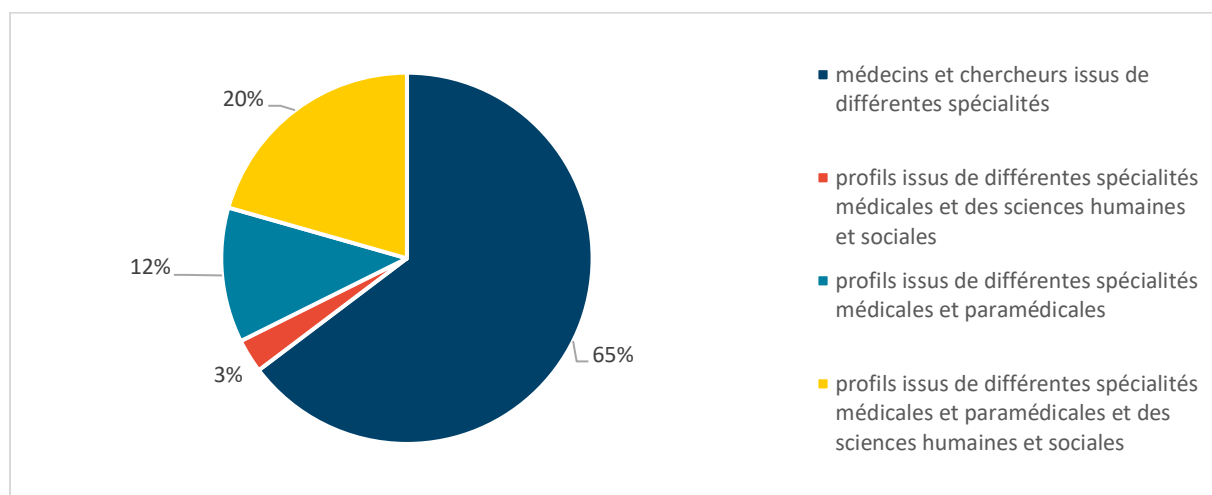


Figure 39 - Composition du conseil scientifique (question 94)

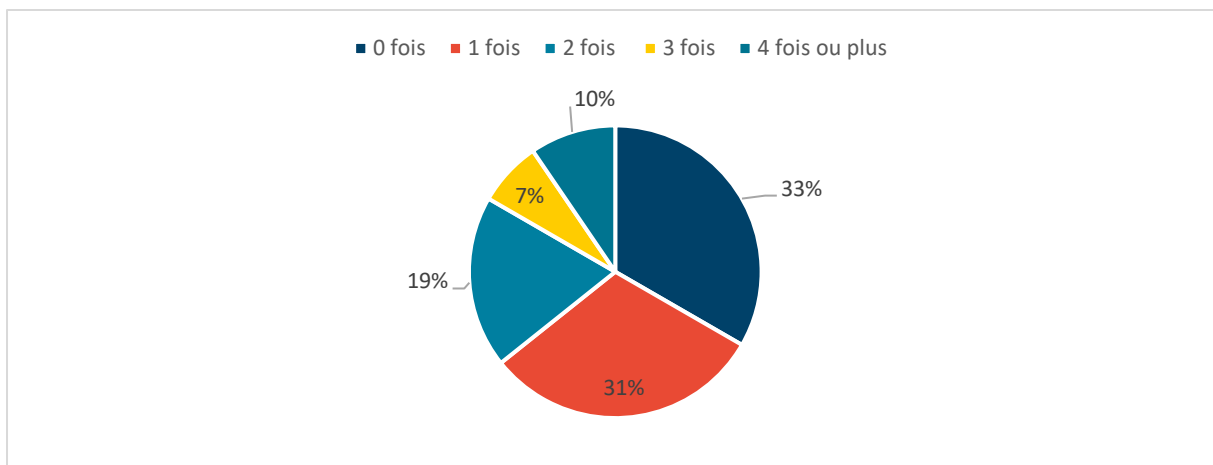


Figure 40 - Nombre de réunions du conseil scientifiques en 2019 (question 95)

Pour un tiers des associations, le Conseil scientifique n'a pas tenu de réunion (en présentiel ou à distance) en 2019. Dans 31% des cas, il s'est réuni une fois au cours de l'année. Pour 10% des associations, il s'est réuni 4 fois ou plus.

Les missions du Conseil scientifique les plus fréquemment citées par les associations sont la participation aux réunions d'information de l'association (67% des associations), la contribution à la rédaction ou à la lecture des communications de l'association (64%) et le soutien à la politique de recherche de l'association (62%). Pour 57% des associations, le Conseil scientifique apporte des réponses aux adhérents de l'association durant l'année. Dans la catégorie « Autre » figure le soutien à l'organisation d'évènements scientifiques de l'association (colloque, symposium).

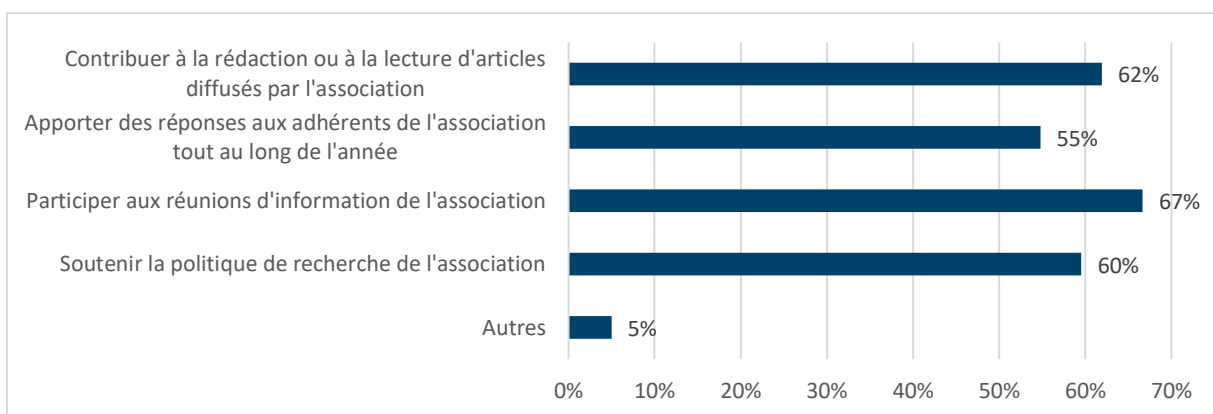


Figure 41 - Principales missions du conseil scientifique (question 96)

## Implication des associations dans la recherche en 2019

78% des associations répondantes se sont impliquées dans des activités de recherche en 2019.

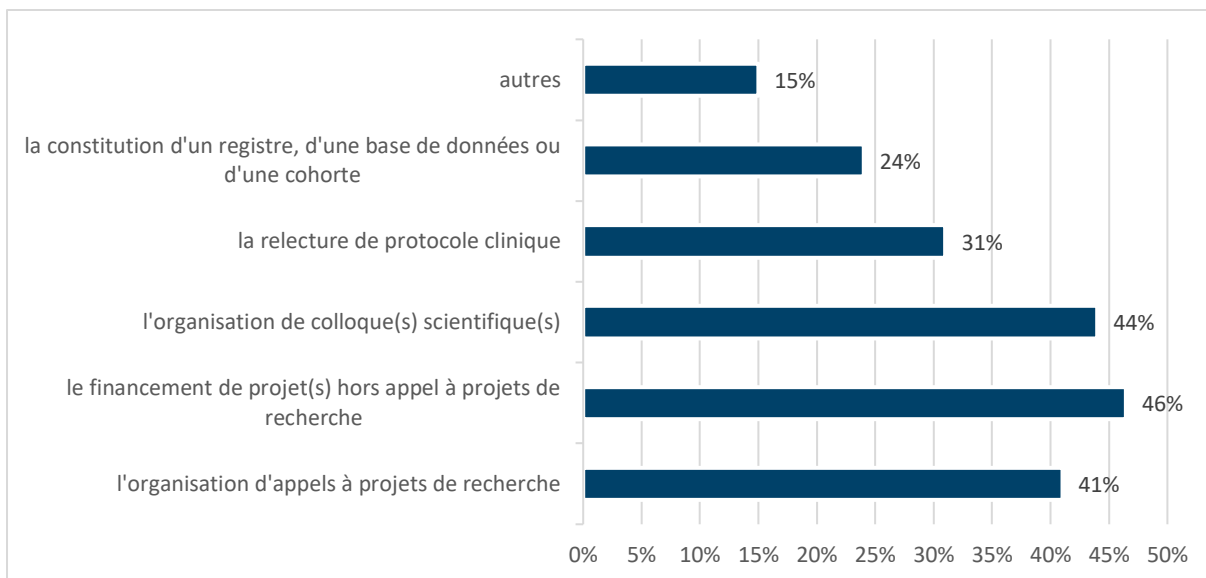


Figure 42 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99)

Les actions les plus régulièrement entreprises par les associations sur le thème de la recherche sont le financement de projets hors appel à projets de recherche (46% des associations), l'organisation de colloque scientifique (44%) et la mise en place d'un appel à projets de recherche (41%).

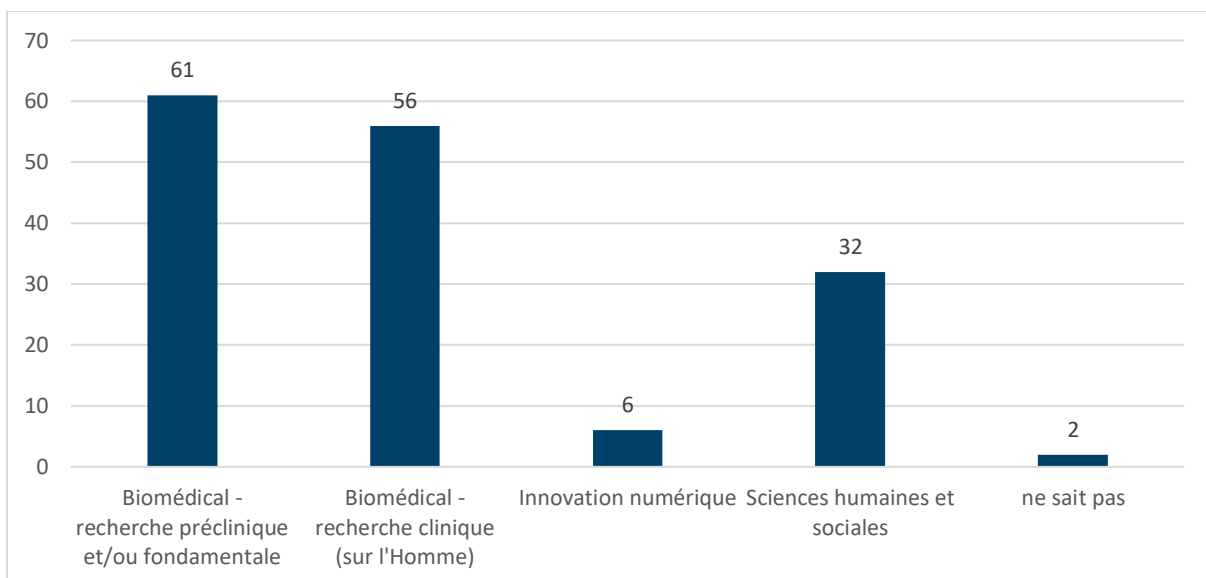


Figure 43 - Champs disciplinaires concernés par les activités de recherche (question 100)

61% des associations répondantes interviennent dans des projets de recherche concernant la recherche préclinique ou fondamentale. 56% des associations répondantes interviennent dans des projets de recherche clinique et 32% des projets liés aux sciences humaines et sociales.

44% des associations consacrent un budget inférieur à 5000 euros pour la recherche. Près des 2/3 des associations y consacrent un budget inférieur à 20 000 euros.

5% des associations répondantes ont consacré un budget supérieur à 100 000 euros à la recherche.

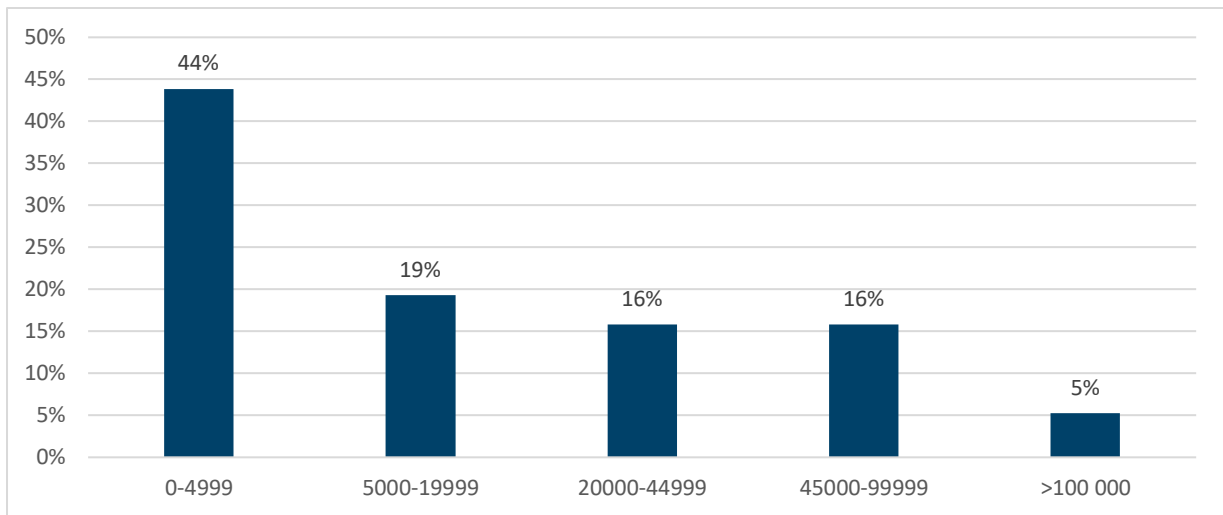


Figure 44 - Budget total alloué par l'association à la recherche en 2019 (en euros) (question 103)



## Associations récentes : vers des organisations de plus en plus spécifiques ?

### Pourquoi réaliser un focus sur les jeunes associations ?

Les jeunes associations font l'objet d'une attention particulière pour l'Alliance maladies rares, consciente du défi que représente le fait de mener de concert la structuration d'une association et de répondre aux attentes placées dans les associations de maladies rares par nombre d'acteurs. Elles font d'ailleurs l'objet d'une proposition d'accompagnement plus ciblée de la part de l'Alliance (réalisation de points d'étape réguliers afin de permettre aux associations de gagner du temps et d'éviter certains écueils dans cette phase de structuration initiale).

Le critère de trois années d'exercice étant souvent retenu par les pouvoirs publics pour établir une certaine forme de pérennité d'une association, nous avons isolé le groupe des associations ayant moins de 3 années d'existence (donc créées après 2017) pour procéder à notre analyse. Parmi les répondants, elles sont au nombre de 22 (pour 80 créées avant 2017).

### Des différences notables dans les pathologies couvertes

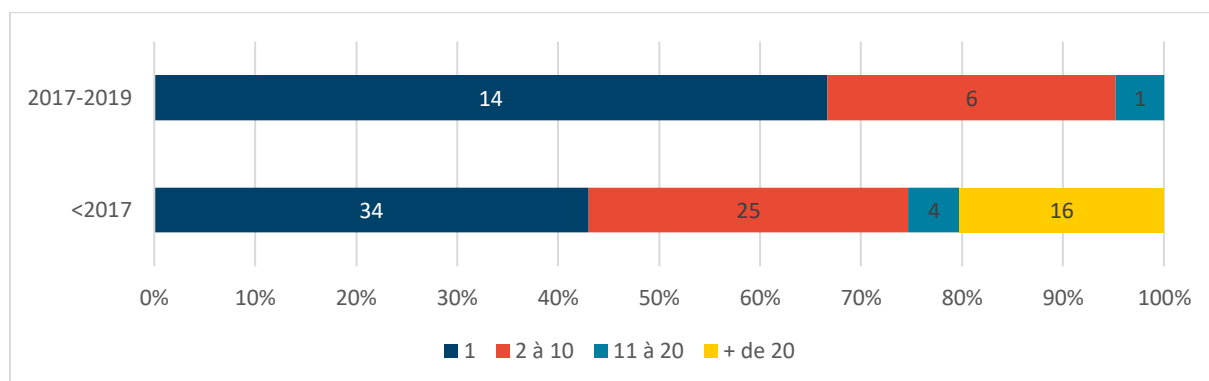


Figure 45 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12)

Les associations de création récente couvrent un nombre plus restreint de maladies par rapport à celles créées auparavant. Près des deux tiers d'entre elles s'intéressent en effet à une seule maladie (43% pour celles créées auparavant).

Nous supposons que ce sont notamment les progrès réalisés ces dernières années en matière de diagnostic génétique qui ont permis de mieux identifier ces maladies qui expliqueraient cette situation. D'autres indicateurs semblent d'ailleurs corroborer cette hypothèse comme par exemple la part plus importante d'associations concernées par des maladies génétiques.

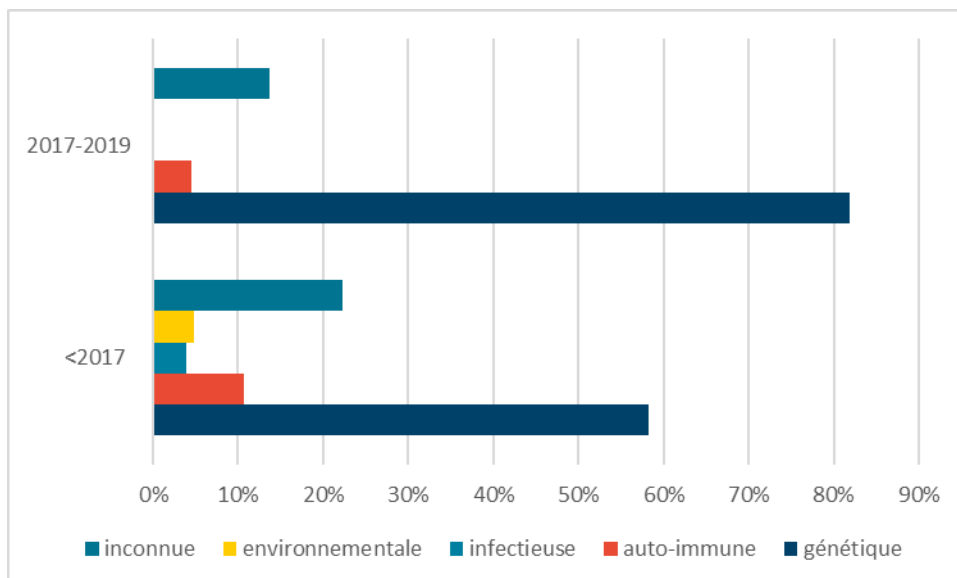


Figure 46 - Origine de la / des maladie(s) (question 15)

Elles s'intéressent significativement plus à des pathologies apparaissant dès la naissance (46% contre 36% pour les associations créées avant 2017) ou pendant l'enfance (28% contre 21%).

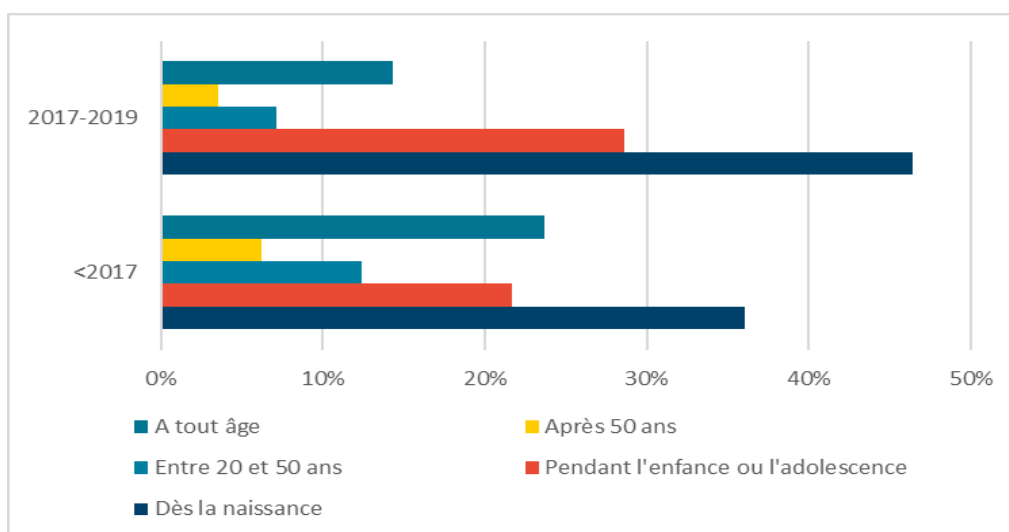


Figure 47 - Moment d'apparition le plus fréquent de la maladie (question 13)

## Des enjeux différents

### Sur le plan du diagnostic

Les associations créées après 2017 se sentent davantage concernées par les enjeux du diagnostic prénatal et néonatal. Il n'y a pas de différence majeure sur les questions liées au diagnostic préimplantatoire si ce n'est le poids des associations se sentant très concernées qui est plus important chez les associations créées avant 2017. On notera qu'elles sont deux fois plus nombreuses chez les jeunes associations à ne pas savoir à quel niveau elles sont concernées par ce dernier (28% contre 13%).

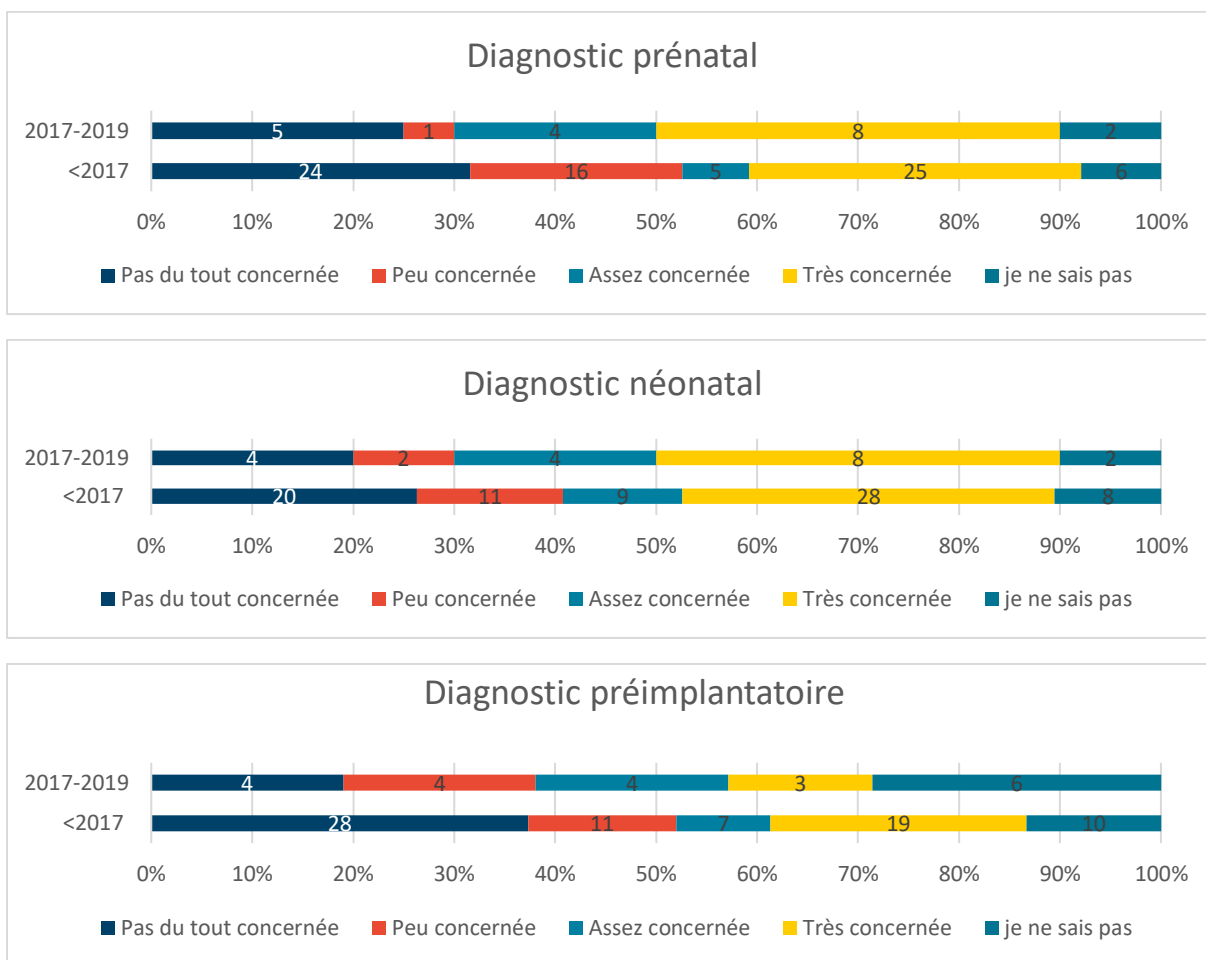


Figure 46 - Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18)

Les jeunes associations sont par ailleurs significativement moins confrontées aux problématiques d'errance diagnostique que leurs prédécesseures. Elles restent néanmoins prégnantes au sein de ces associations.

### Sur le plan des traitements

Les jeunes associations couvrent des maladies moins concernées par d'éventuels traitements, qu'ils soient avec indication spécifique (9% des associations contre 40%) ou sans (23% contre 36%).

Pour les traitements non spécifiques, ils impliquent des prescriptions hors-AMM dans les maladies couvertes par 71% des associations créées avant 2017 et 17% pour celles couvertes par les jeunes associations.

## Les effectifs

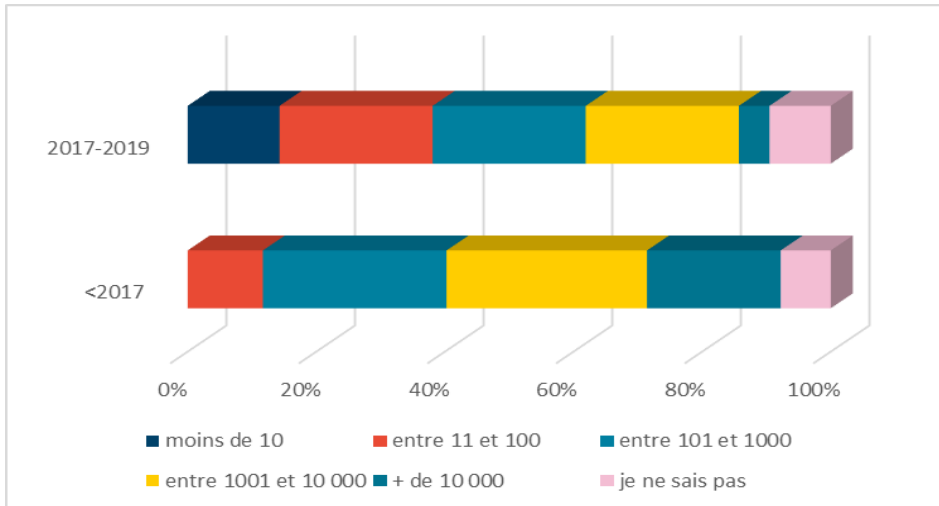


Figure 47 - Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16)

Les jeunes associations couvrent des maladies touchant significativement moins de monde sur le territoire national. 36% des jeunes associations couvrent des maladies qui concernent moins de 100 malades en France (10% des associations créées avant 2017). Pour 13% d'entre elles, moins de 10 malades sont identifiés en France (ce cas de figure ne se présente pas chez les associations créées avant 2017).

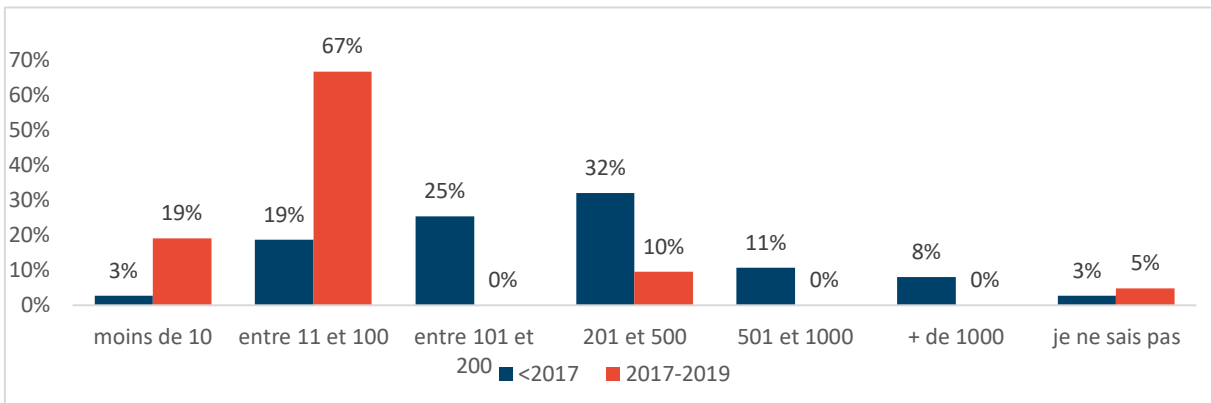


Figure 48 - Nombre d'adhérents des associations (question 26)

9 jeunes associations sur 10 rassemblent moins de 100 adhérents. Elles sont 2 sur 10 chez celles créées avant 2017. Près de 20% des jeunes associations comptent moins de 10 adhérents en 2019.

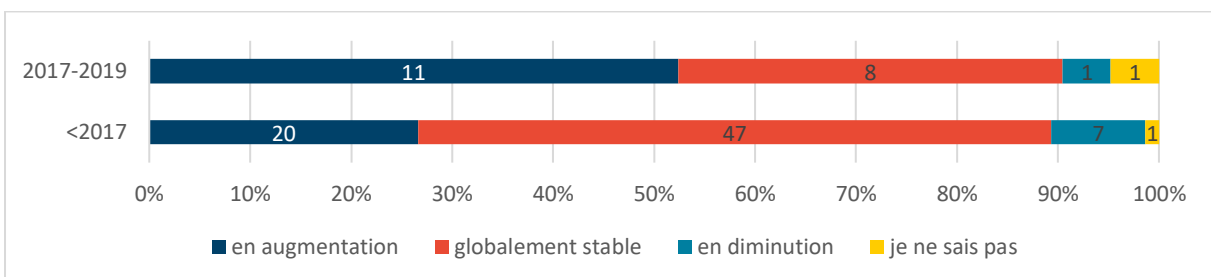


Figure 49 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27)

De manière générale, les jeunes associations sont globalement dans une phase plus ascendante que celles créées avant 2017 du point de vue du dynamisme des effectifs de membres. En observant de manière plus détaillée des groupes associatifs en fonction de leur année de création, cette phase semble se prolonger au-delà de cette phase initiale.

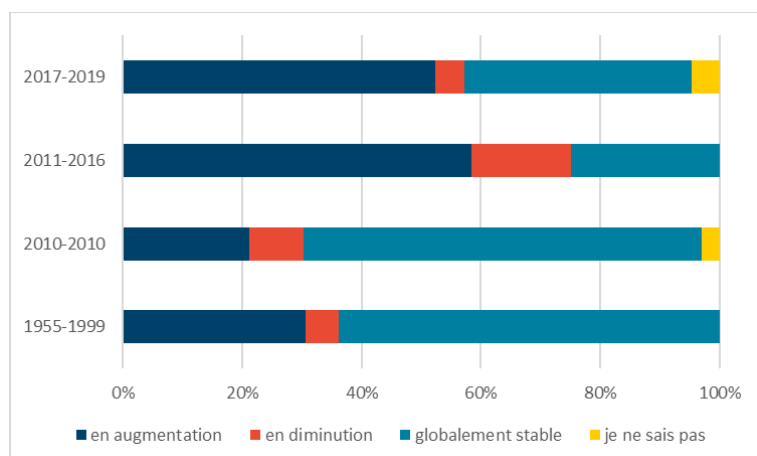


Figure 50 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27)

Les associations créées entre 2011 et 2016 sont ainsi celles qui connaissent le plus une progression de leurs effectifs. Elles sont d'ailleurs celles qui ont les effectifs les moins stabilisés puisque c'est également ce groupe associatif qui connaît le plus grand nombre d'associations enregistrant une perte de leurs effectifs.

1/3 des jeunes associations sont structurées territorialement contre plus de la moitié de leurs aînées.

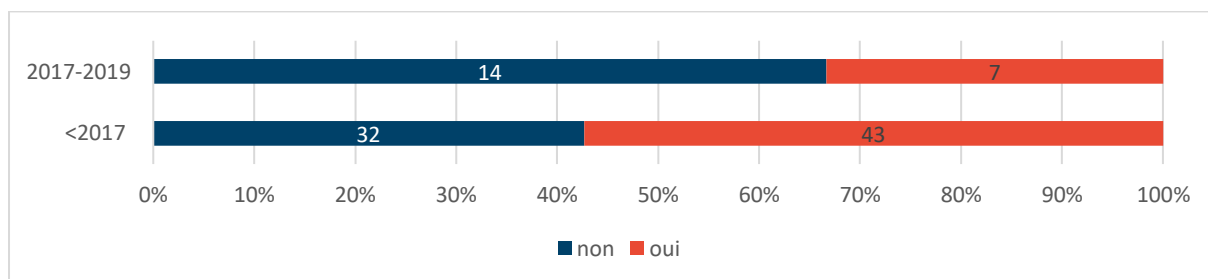


Figure 51 - Associations disposant de responsables territoriaux (ou toute autre dénomination : délégués, correspondants, référents,...) (question 30)

La part des associations s'appuyant sur moins de 10 bénévoles est plus significative chez les jeunes associations (61%) que chez leurs aînées (52%).

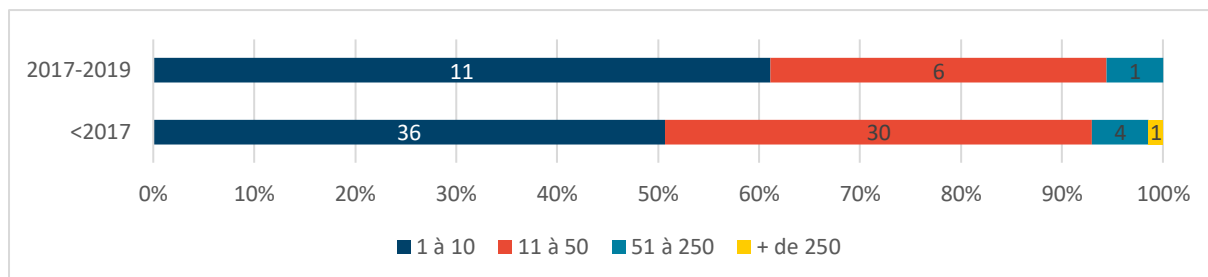


Figure 52 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35)

Les effectifs bénévoles sont majoritairement stables chez les jeunes associations (77%) comme chez leurs aînées (80%). A la différence de ces dernières, il n'y a pas de cas chez les

jeunes associations mettant en évidence une diminution du nombre de bénévoles et elles sont un peu plus nombreuses à voir leurs effectifs bénévoles progresser. Les dynamiques de ce point de vue entre les jeunes associations et celles créées avant 2017 sont donc relativement similaires, contrairement à celle constatée précédemment sur les effectifs d'adhérents.

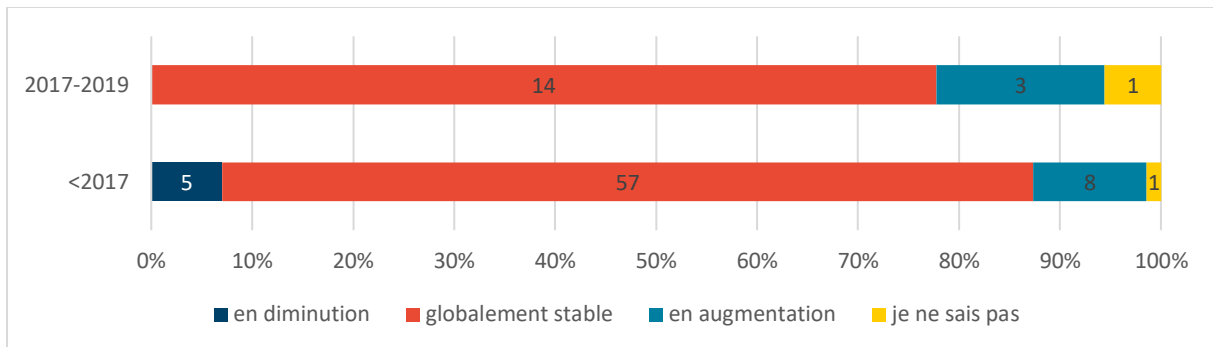


Figure 53 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36)

Le volume d'heures de bénévolat des jeunes associations est moins stabilisé que celui de celles créées avant 2017. Elles sont ainsi plus nombreuses à constater une augmentation (45% contre 25%) ou une diminution (12% contre 5%) des heures de bénévolat consacrées à l'association.

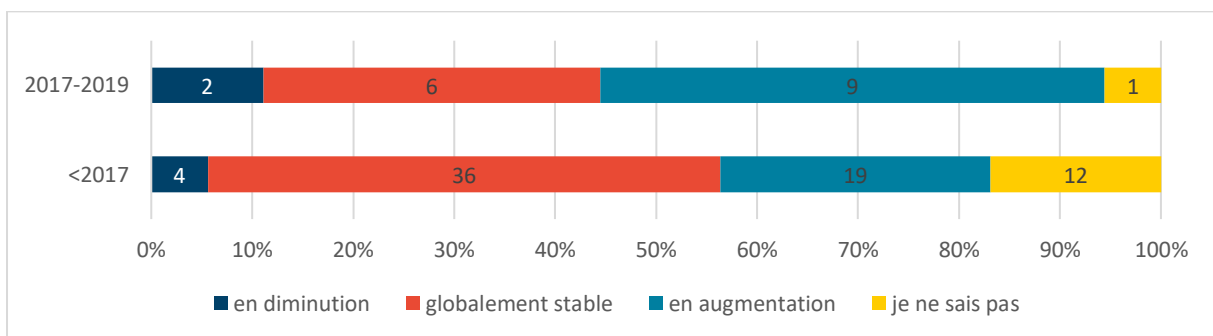


Figure 54 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38)

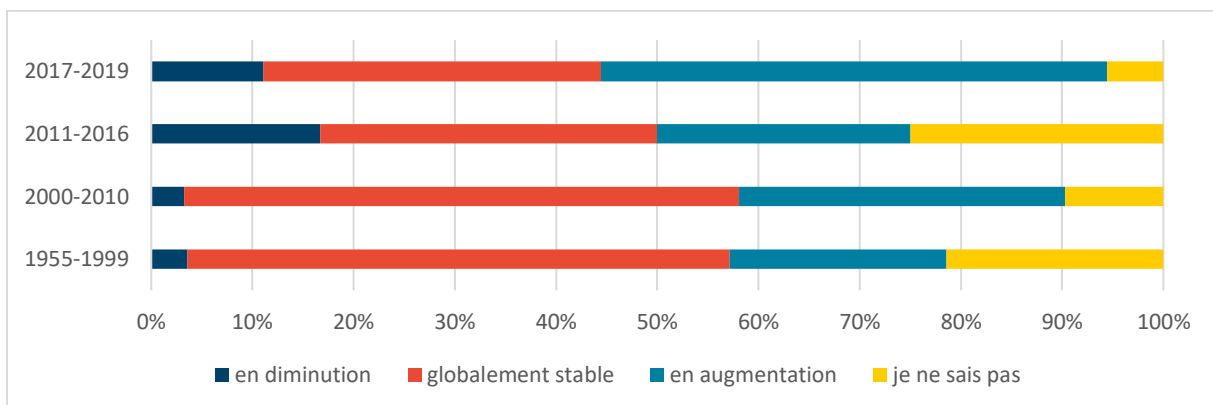


Figure 55 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38)

A noter que les dynamiques sur le nombre d'adhésions ne coïncident pas avec celles du nombre d'heures de bénévolat au sein des associations, notamment sur la tranche des associations créées entre 2011 et 2016, qui étaient les plus nombreuses à voir le nombre d'adhérents à augmenter.

## Informations financières

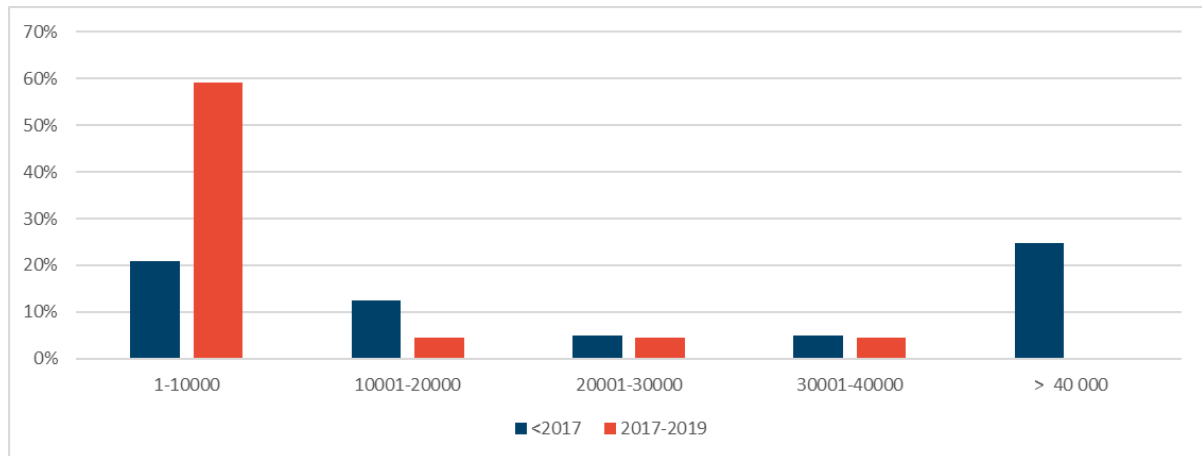


Figure 56 - Montant des ressources financières annuelles (en euros) de l'association hors contributions volontaires (question 39)

La majorité des jeunes associations disposent de ressources financières inférieures à 10 000 euros en 2019 (36% chez celles créées avant 2017). Aucune jeune association ne dispose de ressources supérieures à 40 000 euros alors que plus d'une association sur 4 créée avant 2017 est dans ce cas de figure.

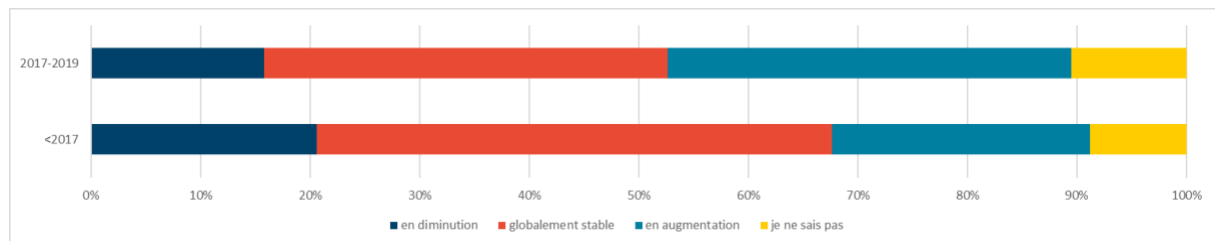


Figure 57 - Evolution des ressources par rapport à l'année 2018 (question 40)

Ces ressources sont plus souvent en progression chez les jeunes associations que chez leurs devancières.

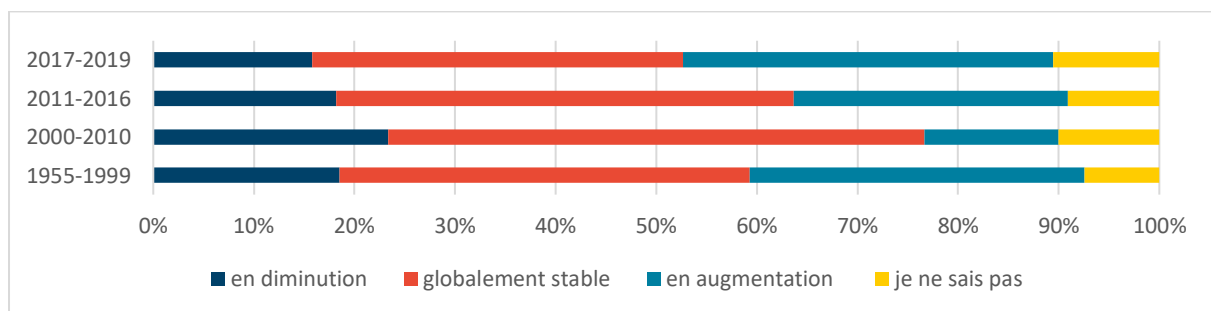


Figure 58 - Evolution des ressources par rapport à l'année 2018 (question 40)

Cette dynamique semble toutefois n'avoir que peu de rapport avec la date de création puisque le sous-groupe des associations créées entre 1955 et 1999 connaît un nombre quasiment similaire d'organisations dont les ressources sont stables, en augmentation ou en diminution que chez les jeunes associations.



Figure 59 - Part moyenne et part du financement global (question 39)

1/5<sup>e</sup> des financements des jeunes associations provient des ventes et prestations. Elles ne perçoivent pas de ressources de l'industrie pharmaceutique.

## Audience de l'association

4 jeunes associations sur 5 ont une fréquentation de leur site internet inférieure à 1000 visites / an. Chez leurs aînées, elles sont 4/5 à avoir une fréquentation supérieure à ce seuil. Aucune jeune association répondante ne dépasse les 5 000 visites / an.

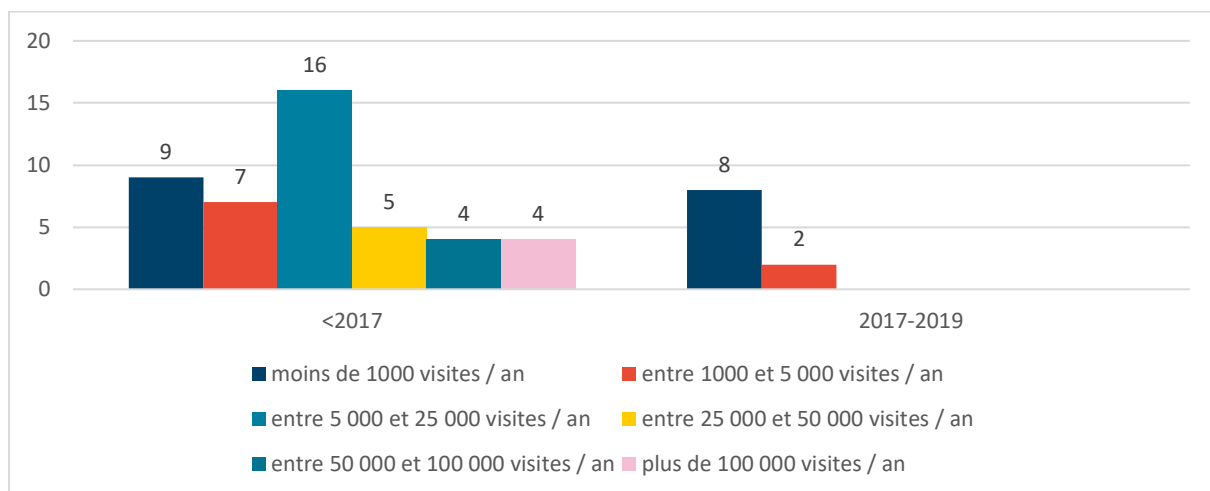


Figure 60 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56)



## Projets d'accompagnement

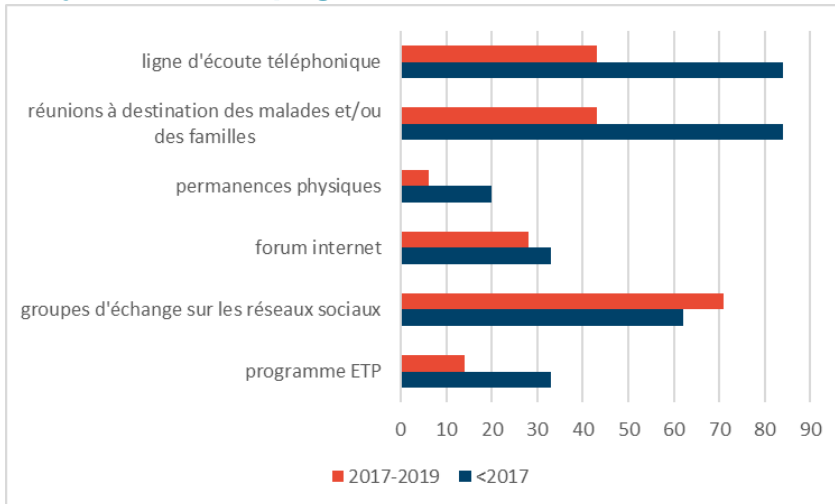


Figure 61 - Actions d'accompagnement proposées par les associations (question 71)

Les associations les plus anciennes ont un panel d'actions d'accompagnement plus étoffé que celui des jeunes associations puisqu'elles indiquent mettre en place 3,2 types d'action en moyenne parmi le panel proposé contre 2 actions pour les jeunes associations.

Le digital occupe une place centrale dans les actions d'accompagnement des jeunes associations notamment dans l'animation de groupes d'échanges sur les réseaux sociaux qu'elles sont proportionnellement plus nombreuses à mettre en place.

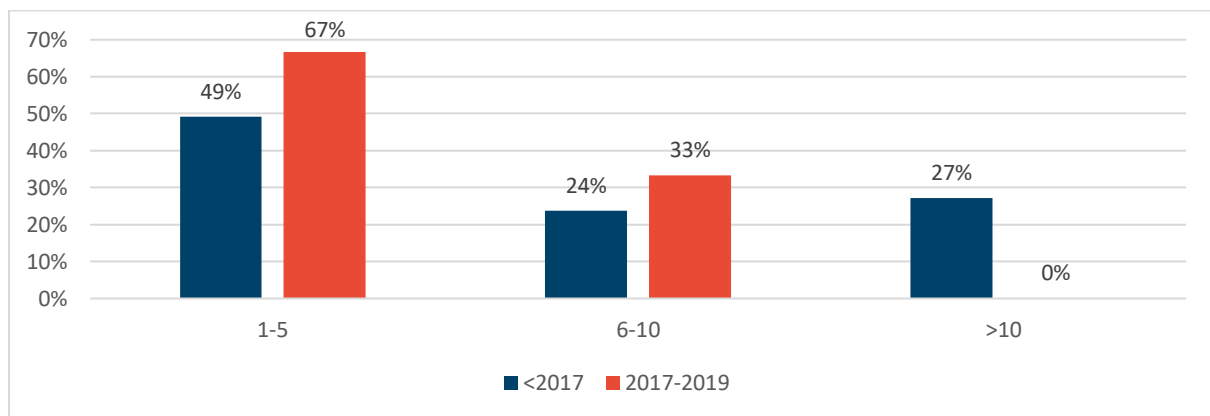


Figure 62 - Nombre de membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 72)

Pour la mise en place des actions d'accompagnement qu'elles mènent, elles s'appuient sur des équipes plus petites que leurs aînées. Elles sont constituées dans près de 2/3 des cas de moins de 5 personnes.

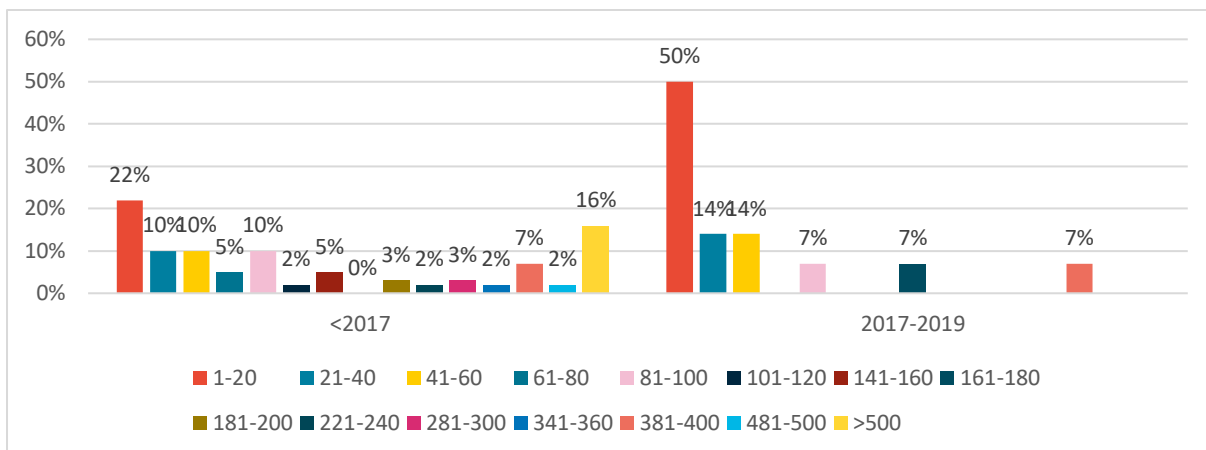


Figure 63 - Estimation du nombre de malades ayant bénéficié des accompagnements des associations en 2019 (question 74)

Les actions d'accompagnement des jeunes associations bénéficient de manière générale à un public moins étendu que pour les aînées. Pour la moitié d'entre elles, elles s'adressent à moins de 20 malades en 2019.

## Représentation

La participation des jeunes associations à la gouvernance des filières de santé maladies rares est logiquement moindre que celles créées avant 2017 puisque certaines n'avaient même pas vu le jour au moment où s'installaient ces gouvernances. On notera toutefois la participation d'une jeune association à la gouvernance d'une filière et que près de 3 jeunes associations sur 4 ont pu devenir partie prenante d'au moins une filière.

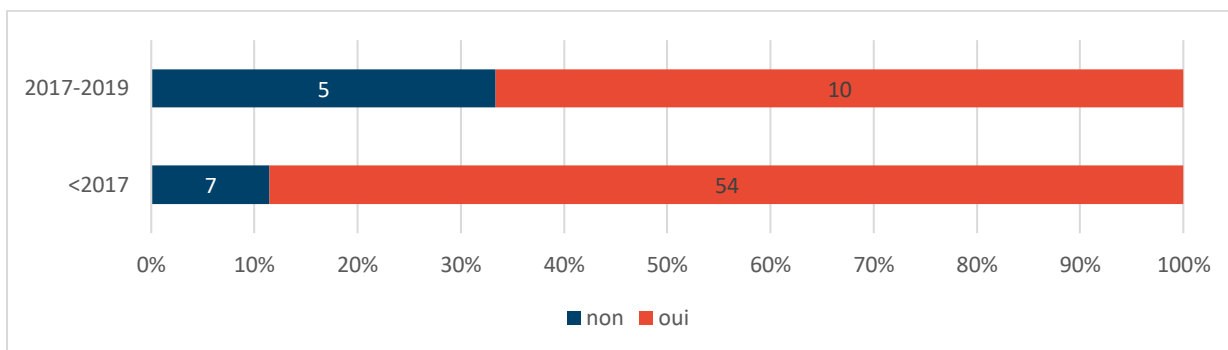


Figure 64 - Maladies disposant d'un Centre de Référence Maladies Rares (question 78)

Les maladies couvertes par les jeunes associations bénéficient moins d'un centre de référence maladies rares identifié que leurs devancières (67% pour les jeunes associations contre 89% pour les plus anciennes).

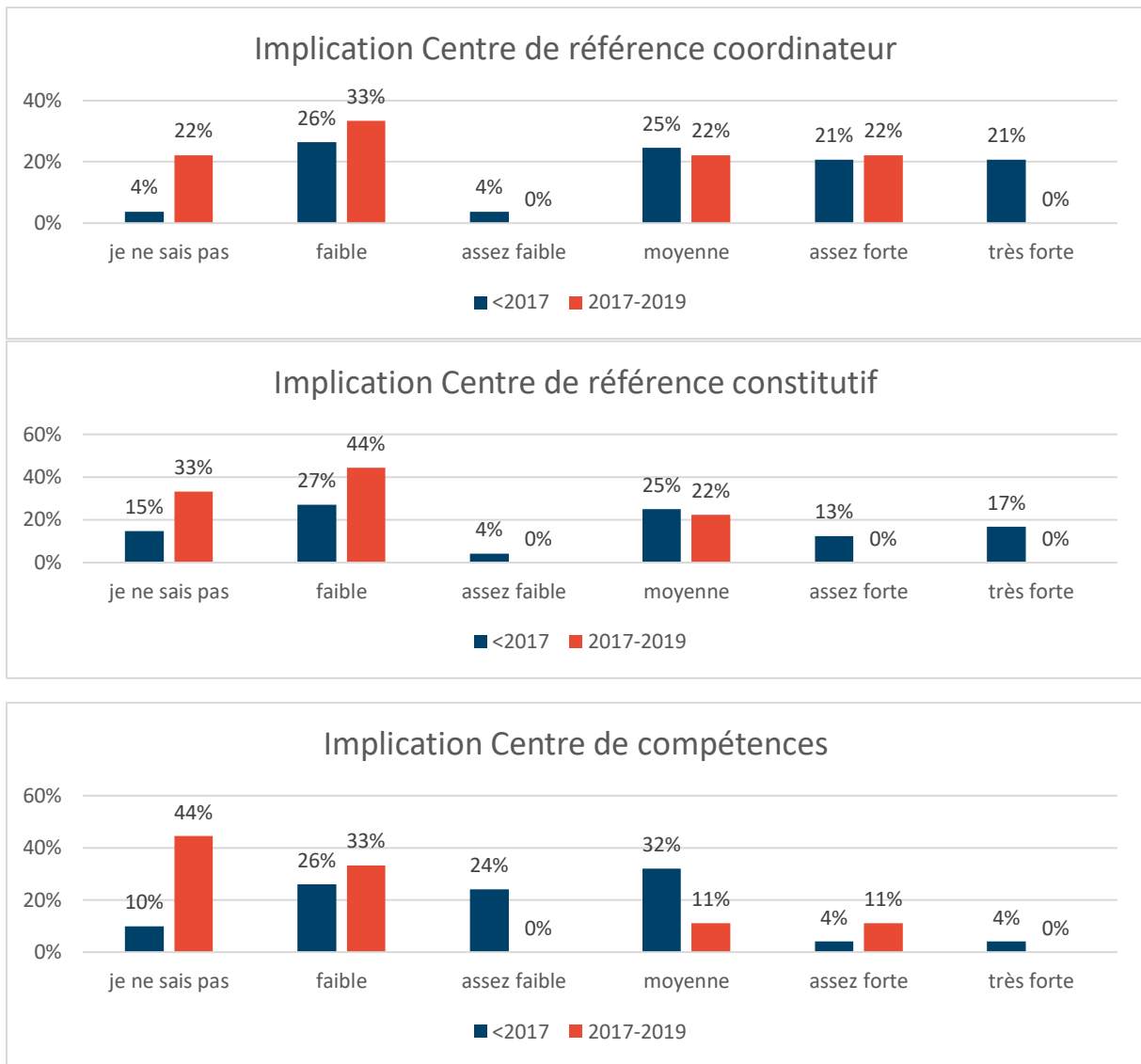


Figure 65 - Nombre de centres de maladies rares concernant les associations (question 79)

Les jeunes associations sont significativement moins impliquées au sein des centres de référence (coordonnateurs ou constitutifs). Elles sont également plus nombreuses à ne pas savoir situer leur niveau d'implication au sein de ces organisations surtout pour ce qui concerne les centres de compétences.

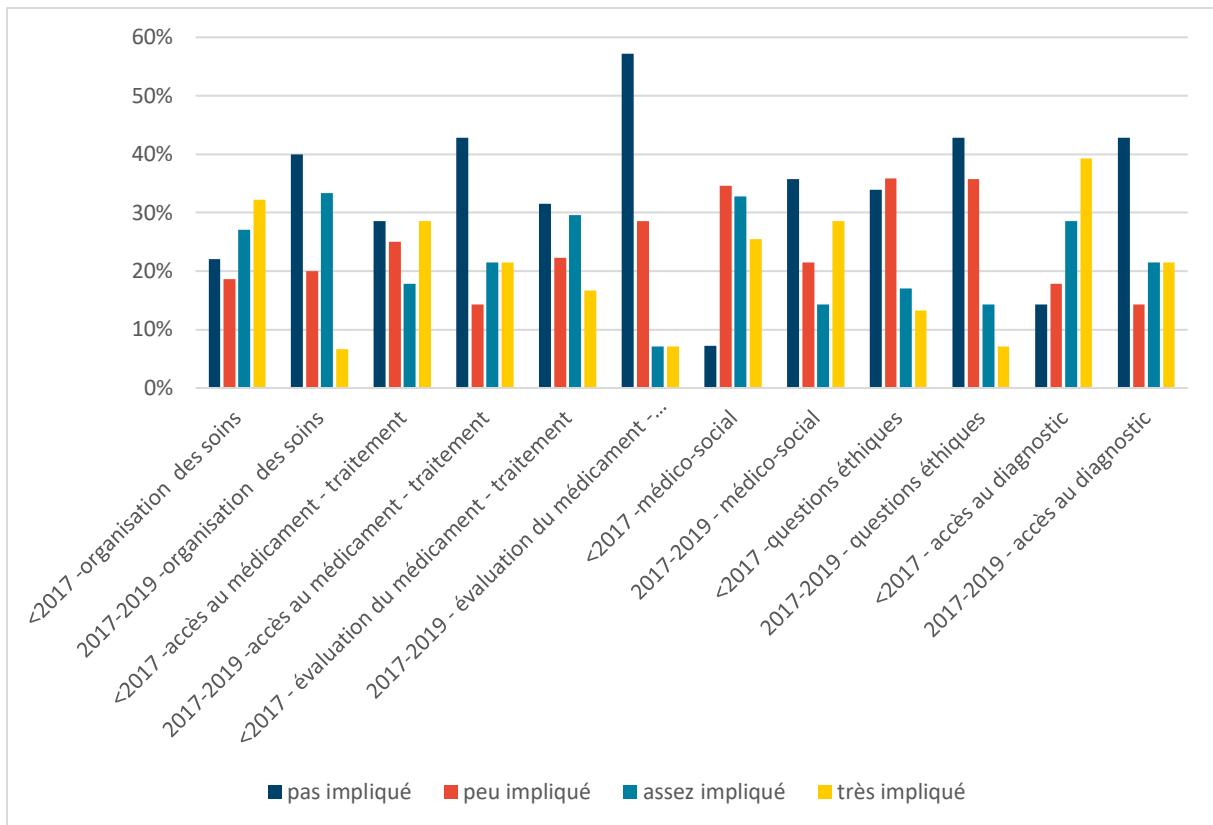


Figure 66 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104)

Les jeunes associations sont globalement moins impliquées que leurs devancières sur les dossiers de représentation et de défense des intérêts des malades à l'exception des questions médico-sociales. Elles portent ces dossiers systématiquement seules tandis que plus du tiers de leurs aînées inscrivent leur mobilisation dans le cadre d'un collectif inter-associatif.

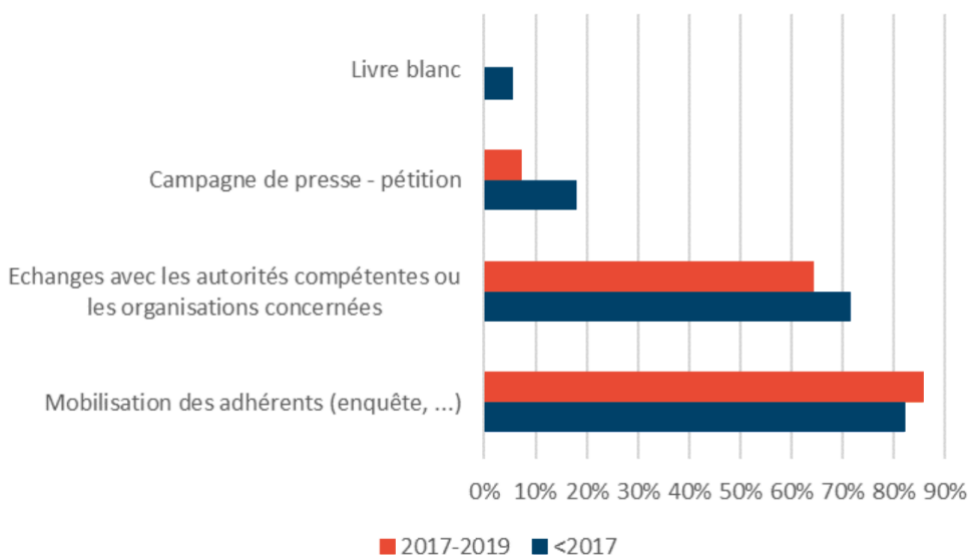


Figure 67 - Actions entreprises par l'association dans le cadre de cette mobilisation (question 107)

Jeunes associations et plus anciennes s'appuient principalement sur la mobilisation des adhérents et les échanges avec les autorités compétentes dans leur action de représentation

et de défense des intérêts des malades. Les autres leviers, même s'ils sont plus utilisés par les associations créées avant 2017, restent relativement marginaux.

## Recherche

Toutes les jeunes associations sont en réseau avec des professionnels de santé experts de la maladie. Elles sont toutefois moins nombreuses que leurs aînées à avoir structuré un Conseil scientifique (40% contre 64%).

Si les objectifs et missions du Conseil scientifique ne diffèrent pas sensiblement selon le groupe d'associations, on retiendra que la dimension SHS est absente de la composition des conseils scientifiques des associations les plus récentes.

Les conseils scientifiques des jeunes associations se sont plus fréquemment réunis que ceux des associations créées avant 2017. Pour 1 jeune association sur 2, le Conseil scientifique s'est réuni à plus d'une reprise.

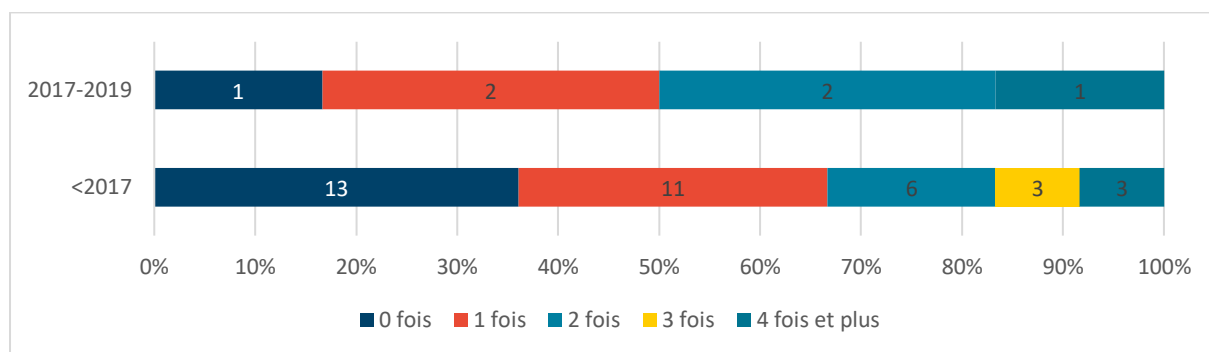


Figure 68 - Nombre de réunions du conseil scientifiques en 2019 (question 95)

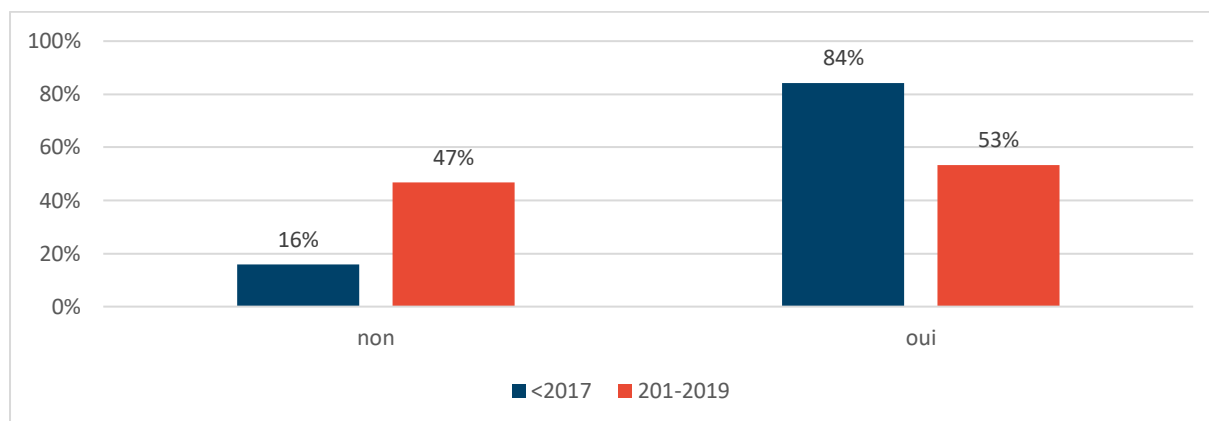


Figure 69 - Implication des associations dans des activités de recherche (appels à projets, organisation de colloques, protocoles de recherche, etc.) (question 98)

L'implication dans des projets de recherche mobilise moins les jeunes associations que leurs aînées. Elles sont 53% à s'être impliquées dans un projet de recherche (84% chez les associations créées avant 2017).

Les modalités de participation des jeunes associations à la recherche s'appuient principalement sur le financement de projet(s) hors appel à projets de recherche et

l'organisation de colloque(s) scientifique(s). Celles des associations plus anciennes prennent des formes plus diverses.

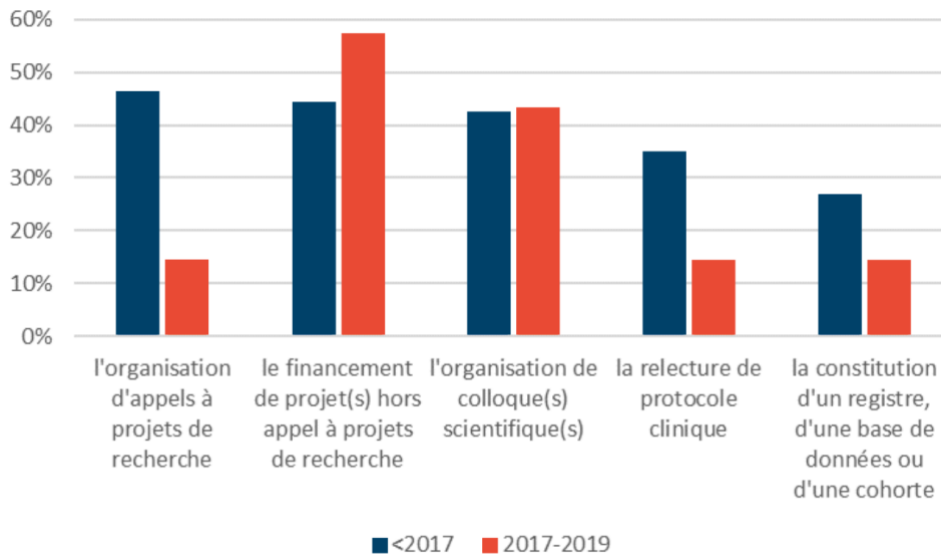


Figure 70 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99)

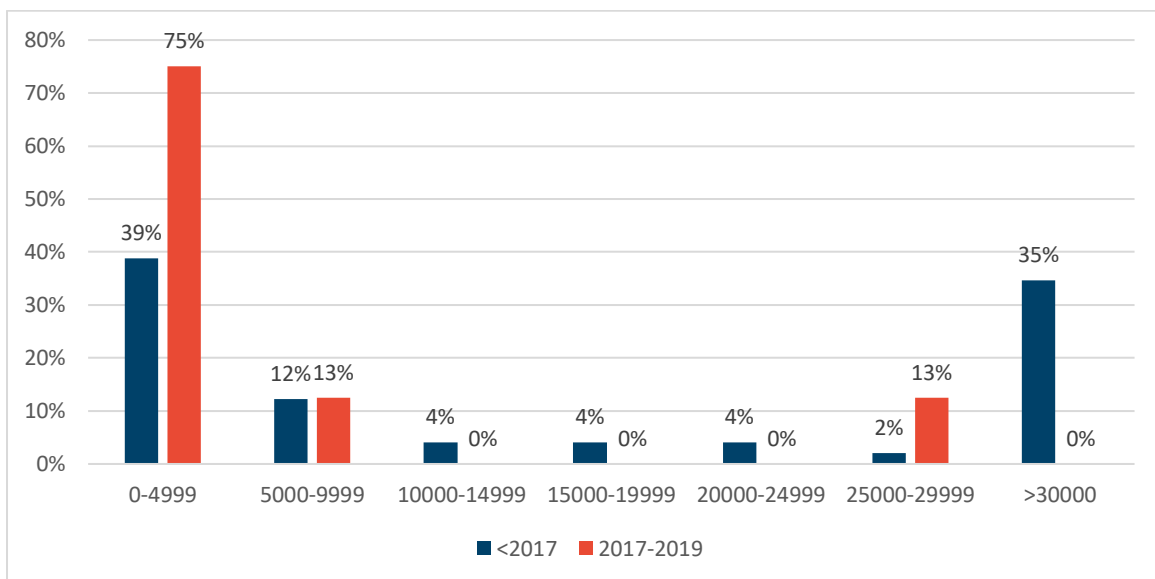


Figure 71 - Budget total alloué par l'association à la recherche en 2019 (question 103)

3 jeunes associations sur 4 ont consacré un budget inférieur à 5000 euros à la recherche. La proportion chute de moitié chez les associations plus anciennes. Aucune jeune association ne consacre plus de 30 000 euros à la recherche (1 association sur 3 créée avant 2017).

### **L'essentiel**

Une part très significative des répondants à l'enquête support de l'observatoire de l'action associative dans les maladies rares est constituée d'associations de création récente qui ont notamment vu le jour dans le sillon des progrès réalisés en matière de diagnostic.

Par rapport à leurs devancières, ces associations sont beaucoup plus spécialisées et s'adressent à un public plus restreint. Que ce soit du point de vue des actions d'accompagnement des malades ou de la recherche, elles parviennent à devenir rapidement des structures engagées de manière opérationnelle sur le terrain (même si, logiquement est-on tenté de dire, l'ampleur de ces engagements reste moindre qu'au sein des associations plus anciennes car ils se construisent dans le temps).

Il conviendra néanmoins d'observer si les répercussions positives et négatives de cette nouvelle sociologie d'associations plus spécialisées sur l'organisation et le fonctionnement de l'écosystème dédié aux maladies rares. Elle nous invite d'ores et déjà à développer une réflexion sur la manière dont nous parviendrons dans le futur à construire collectivement nos contributions à l'évolution des politiques sanitaires, scientifiques, sociales... des personnes qui vivent avec une maladie rare.

## Zoom sur les associations avec un salarié

### Pourquoi cette observation ?

Pour alléger la charge représentée par l'engagement associatif pour certains dirigeants, une des réponses étudiées par les associations de maladies rares consiste à évaluer l'opportunité de créer un poste salarié. Nous observerons donc avec plus de détails les structures qui comptent une personne salariée dans les effectifs.

Il nous semble toutefois peu pertinent de les comparer avec l'ensemble des associations sans salarié car ce questionnaire n'intervient généralement que lorsque les organisations atteignent un certain stade de développement. Plus que le nombre d'adhérents ou l'ancienneté, nous avons retenu comme groupe de comparaison les associations sans salarié ayant atteint une certaine surface économique (ressources supérieures à 40 000 euros).

Nous avons choisi comme seuil le plus petit budget renseigné par les associations à un salarié. Nous comparerons ainsi deux groupes restreints : un effectif de 11 associations sans salarié avec 7 associations qui s'appuient sur un 1 salarié.

Cette observation peut être utile notamment pour les associations qui s'interrogent sur l'opportunité de créer un poste permanent. Cette photographie à instant T méritera peut-être d'être complétée car elle ne permet qu'une analyse figée (la création d'un premier poste pouvant être le point de départ d'une équipe plus étoffée par la suite).

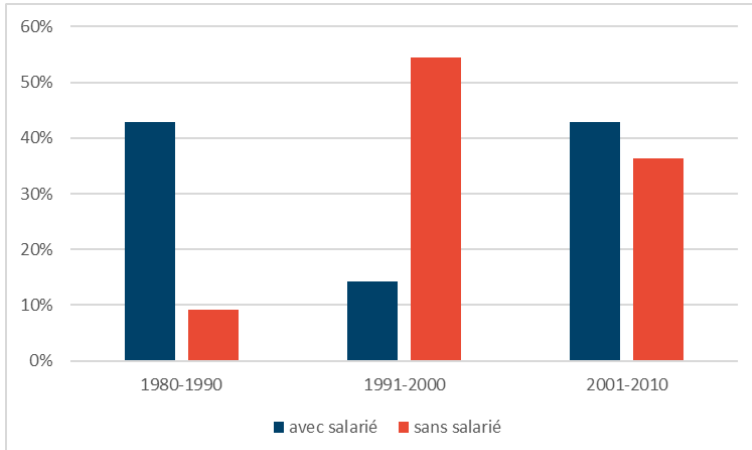


Figure 72 - Date de création des associations

Toutes ces associations bénéficient d'une certaine expérience puisqu'aucune des associations de ces deux groupes n'a été créée après 2010. On notera la part plus importante des associations avec un salarié nées dans les années 1980 et celles plus importantes des associations sans salarié nées dans les années 1990.



## Maladies couvertes

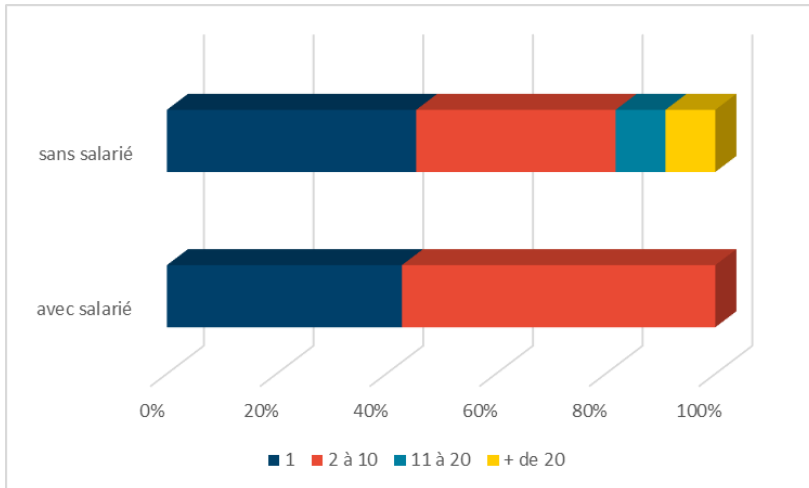


Figure 73 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12)

Les associations retenues dans cette section – avec un salarié ou aucun – s’intéressent majoritairement à une maladie rare ou un groupe de maladies rares n’excédant pas 10 pathologies.

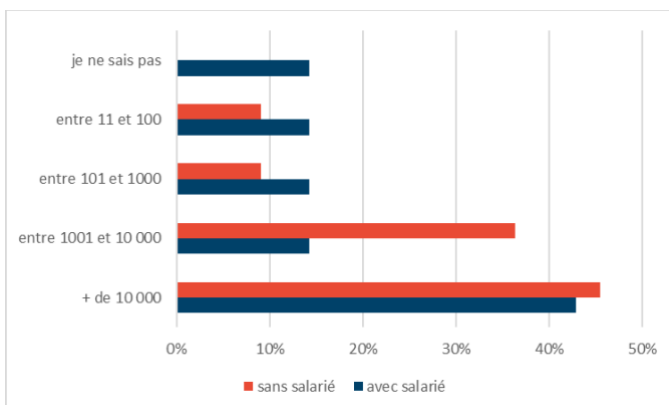
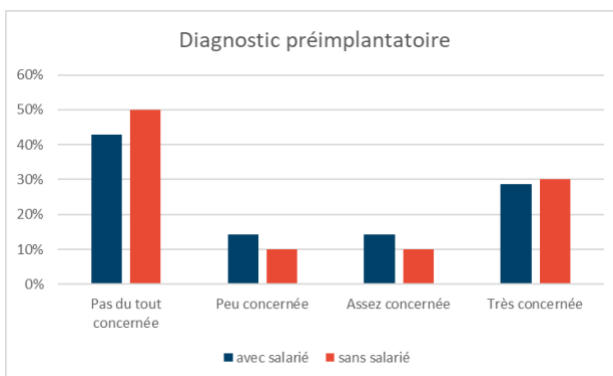


Figure 74 - Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16)

Les deux groupes s’intéressent dans des proportions similaires à des pathologies touchant plus de 10 000 personnes en France.



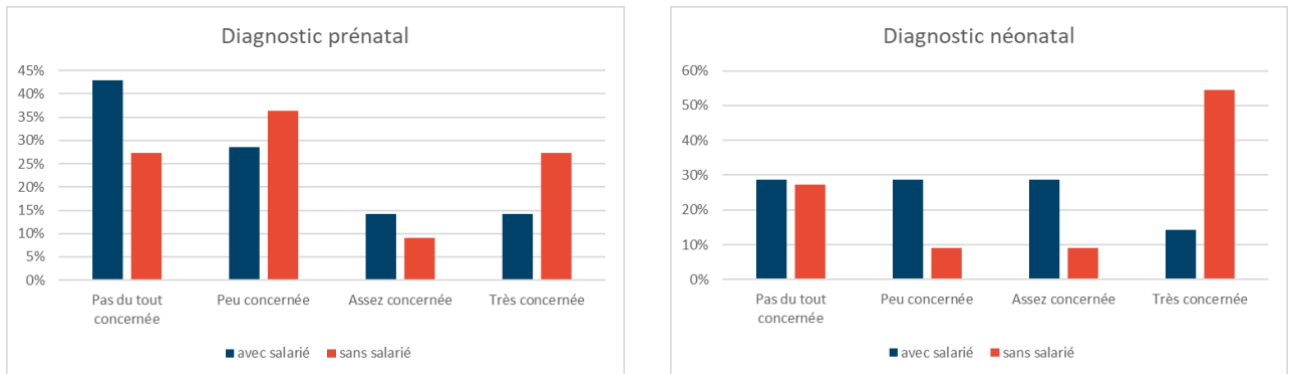


Figure 75 - Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18)

Si les associations avec un salarié et celles sans salarié retenues dans cette section se sentent concernées à des niveaux très similaires par les enjeux du diagnostic préimplantatoire, on constatera que ces dernières ont davantage le sentiment d'être très concernées par les enjeux du diagnostic prénatal. Cette tendance est encore accentuée sur les enjeux du diagnostic néonatal où plus de la moitié des associations sans salarié étudiées dans cette section s'estiment très concernées.

On notera également l'absence de réponse de « Je ne sais pas » sur les enjeux du diagnostic pour ces deux groupes cibles.

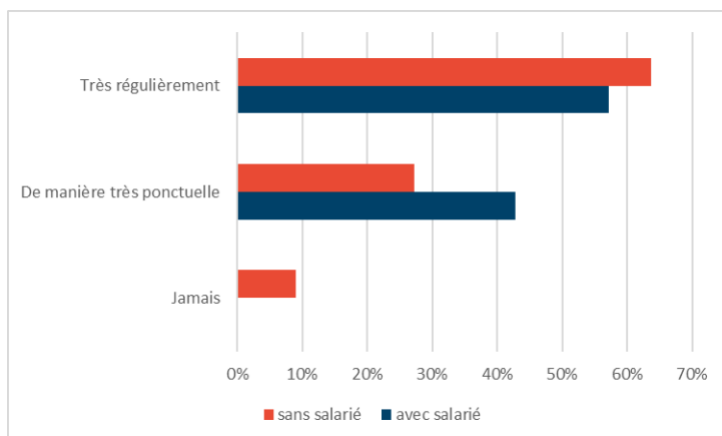


Figure 76 - Fréquence de confrontation aux problématiques liées à l'errance diagnostique (question 19)

Les deux groupes sont confrontés dans des proportions similaires aux situations d'errance diagnostique.

## Traitement

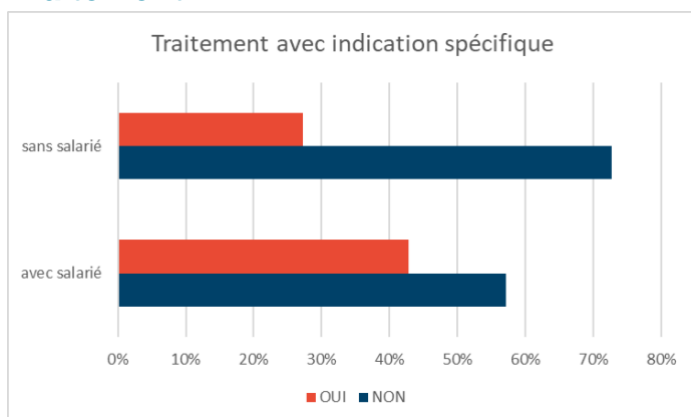


Figure 77 - Existence de médicaments avec indication spécifique (question 20)

Les associations avec un salarié sont proportionnellement plus nombreuses à couvrir des maladies bénéficiant de traitement avec une indication spécifique (43% contre 27%).

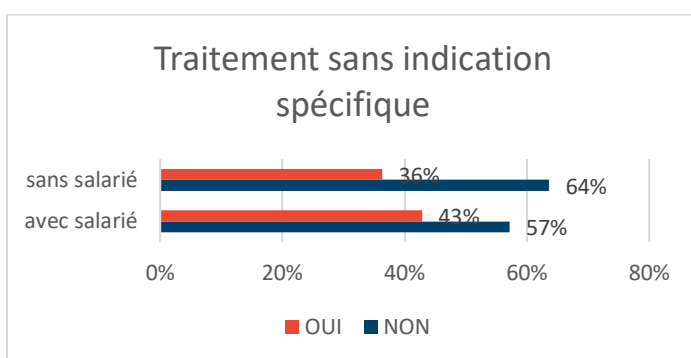


Figure 78 - Présence de médicaments sans indication spécifique (question 23)

Elles sont également plus nombreuses à être concernées par des maladies bénéficiant d'un traitement sans indication spécifique mais avec un écart réduit (43% contre 36%).

## Effectifs

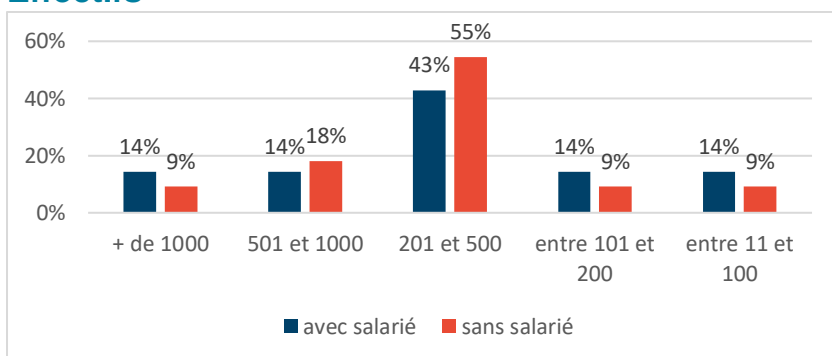


Figure 79 - Nombre d'adhérents des associations (question 26)

Le nombre d'adhérents des associations avec un salarié ou sans salarié comparées est sensiblement le même puisqu'on les retrouve principalement dans la catégorie des associations comptant entre 201 et 500 adhérents.

Ce nombre d'adhérents est stable chez la majorité des associations des deux groupes.

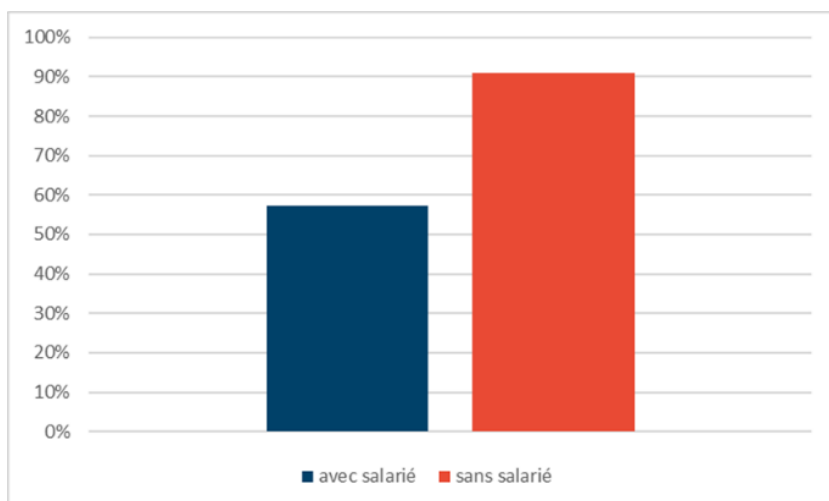


Figure 80 - Associations disposant de responsables territoriaux (ou toute autre dénomination : délégués, correspondants, référents,...) (question 30)

Les associations sans salarié étudiées dans cette section disposent davantage de responsables territoriaux que celles qui compte un salarié (91% contre 57%).

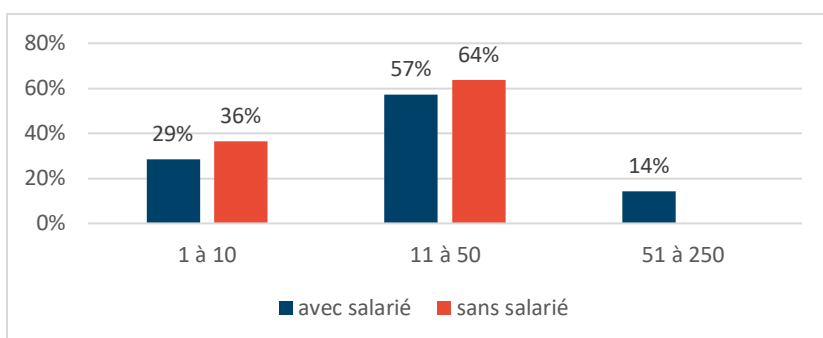


Figure 81 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35)

Les associations avec un salarié et celles sans salarié comparées s'appuient essentiellement sur 11 à 50 bénévoles.

Pour la majorité des structures répondantes des deux groupes, le nombre de bénévoles est stable entre 2018 et 2019, les associations avec un salarié étant un peu plus nombreuses à connaître une augmentation des effectifs bénévoles.

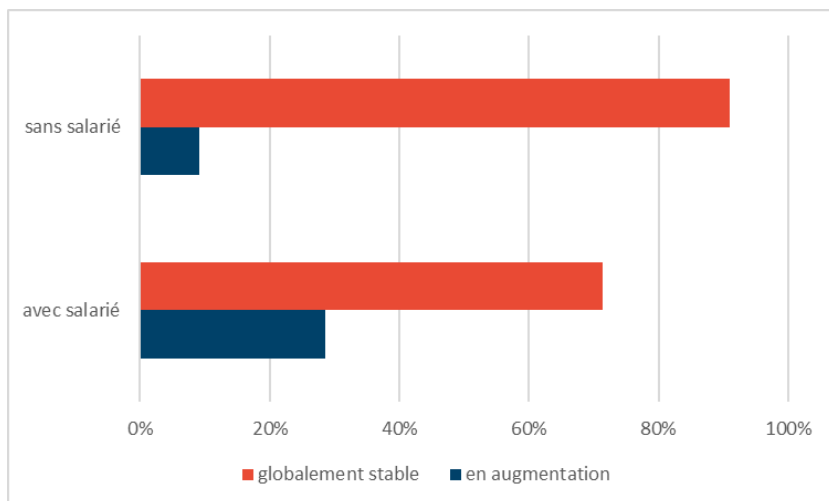


Figure 82 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36)

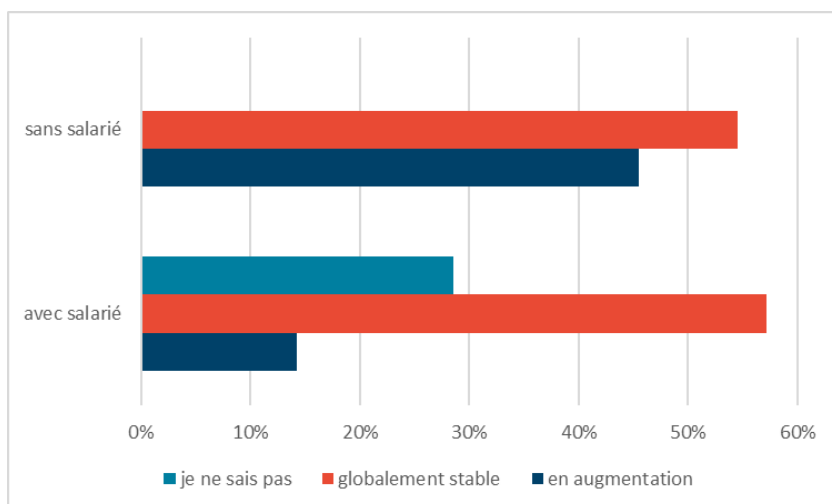


Figure 83 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38)

Le nombre moyen d'heures de bénévolat indiqué dans les deux catégories est par ailleurs très proche : 3814 heures de bénévolat en 2019 pour les associations avec un salarié, 3894 heures pour les associations sans salarié comparées. Les associations sans salarié du groupe sont plus nombreuses à signaler une augmentation du nombre d'heures de bénévolat réalisées en 2019 (si l'objectif de départ est de contenir la charge bénévole, cet indicateur semble aller dans le sens de la création d'un poste salarié).

Les groupes cibles étant relativement restreints, il est difficile de dégager des tendances définitives sur les effectifs bénévoles mais en tout état de cause, les associations avec un salarié et celles sans salarié ne semblent pas connaître de trajectoires opposées du point de vue des dynamiques bénévoles.

## Budget

Si les ressources moyennes des deux groupes cibles sont très proches (102 988 euros pour les associations comptant 1 salarié et 101 766 euros pour les associations sans salarié comparées), la provenance des fonds diffère sensiblement d'une catégorie à l'autre.

Pour les associations sans salarié, la part moyenne des dons et cotisations dans leur structure financière se situe aux alentours de 70% tandis qu'elle se situe à 53% pour les associations

comptant 1 salarié. Ces dernières disposent par ailleurs toutes d'un autre type de ressource représentant au moins le quart de leurs fonds. Les associations avec un salarié s'appuient donc sur un modèle économique plus diversifié où les parts représentées par les subventions, les ventes / prestations, le mécénat et d'autres types de ressources sont plus importantes que dans les associations comparées sans salarié.



Figure 84 - Nature des ressources des associations (question 41)

Les associations comptant un salarié ont dépensé en moyenne 93 590 euros et les associations sans salarié comparées 96 021 euros. Si la recherche représente la part moyenne la plus élevée pour chacune des catégories, les associations sans salarié y consacrent presque la moitié de leur budget alors que ce poste représente le tiers des dépenses des associations avec un salarié. Ces dernières consacrent logiquement une part plus importante de leur dépense aux frais de fonctionnement mais également aux projets liés à l'accompagnement des malades. La part du budget consacré aux activités de représentation des malades est identique chez les deux groupes.



Figure 85 - Postes de dépense des associations en 2019 (question 48)

Les associations sans salarié étudiées dans cette section déclarent des contributions volontaires en nature plus de 3,5 fois supérieures à celles qui comptent un salarié (111 679 euros contre 31 388 euros). Il est toutefois à noter que le groupe des associations avec un salarié est très homogène de ce point de vue avec des contributions volontaires comprises entre 28 000 et 37 350 euros tandis que celui des associations sans salarié déclare des contributions comprises entre 1000 et 423 193 euros.

## Audience de l'association

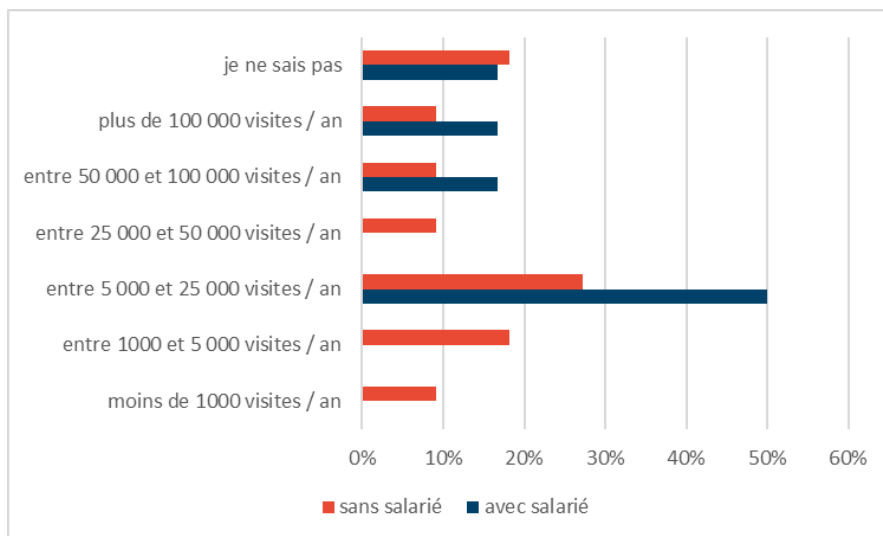


Figure 86 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56)

Toutes les associations des groupes étudiés disposent d'un site internet. Pour la majorité des associations avec un salarié, il est visité 5 000 à 25 000 fois par an. Aucune association de ce groupe ne constate une fréquentation inférieure ce qui est le cas chez les tiers des associations ne disposant pas de salarié.

## Projets d'accompagnement

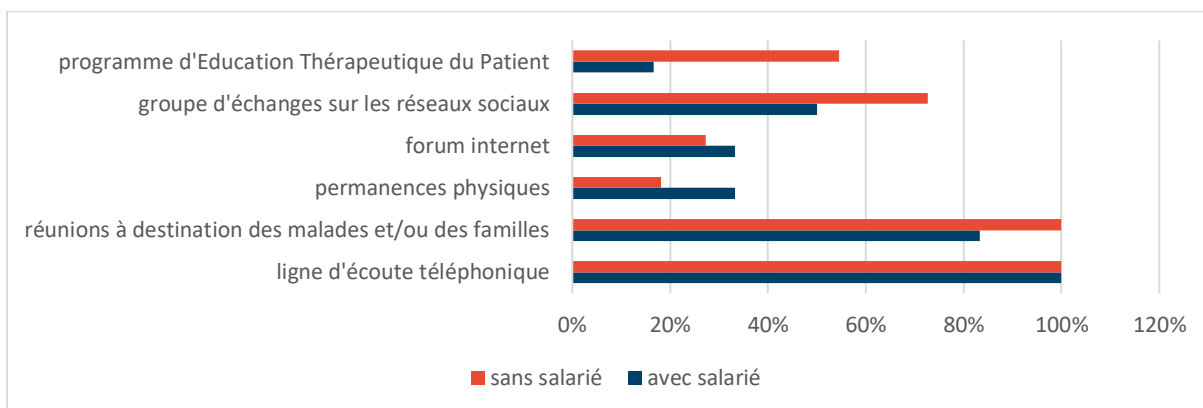


Figure 87 - Actions d'accompagnement menées auprès des malades et des familles (question 71)

Les associations avec un salarié mettent en place près de 3 types d'action en moyenne contre près de 4 pour les associations sans salarié comparées.

Dans les deux groupes, les lignes d'écoute téléphonique et les réunions d'information sont les actions les plus communément mises en place.

Près de la moitié des associations sans salarié étudiées dans cette section sont engagées dans un programme d'éducation thérapeutique du patient (17% des associations avec un salarié).

Les groupes d'échanges sur les réseaux sociaux sont également plus fréquents chez les associations sans salarié (près de 3 associations sur 4 de ce groupe contre la moitié des

associations avec un salarié). Les permanences physiques et les forums internet sont en revanche plus fréquents chez les associations avec un salarié.

Les associations sans salarié étudiées ici sont par ailleurs nettement plus nombreuses à développer des outils ou des formations à destination des professionnels de santé que celle avec un salarié (73% contre 33%).

Les actions d'accompagnement des associations avec un salarié ont bénéficié en 2019 en moyenne à environ 425 malades contre 325 malades pour les associations sans salarié. Dans les deux groupes, on observe de fortes variations du nombre de bénéficiaires des actions d'accompagnement proposées par les associations.

Pour résumer, si les associations avec un salarié répondantes développent un spectre de projets d'accompagnement plus restreint que celui des associations sans salarié comparées, elles touchent un nombre plus important de malades et de familles.

## Représentation

### Centre de référence maladies rares

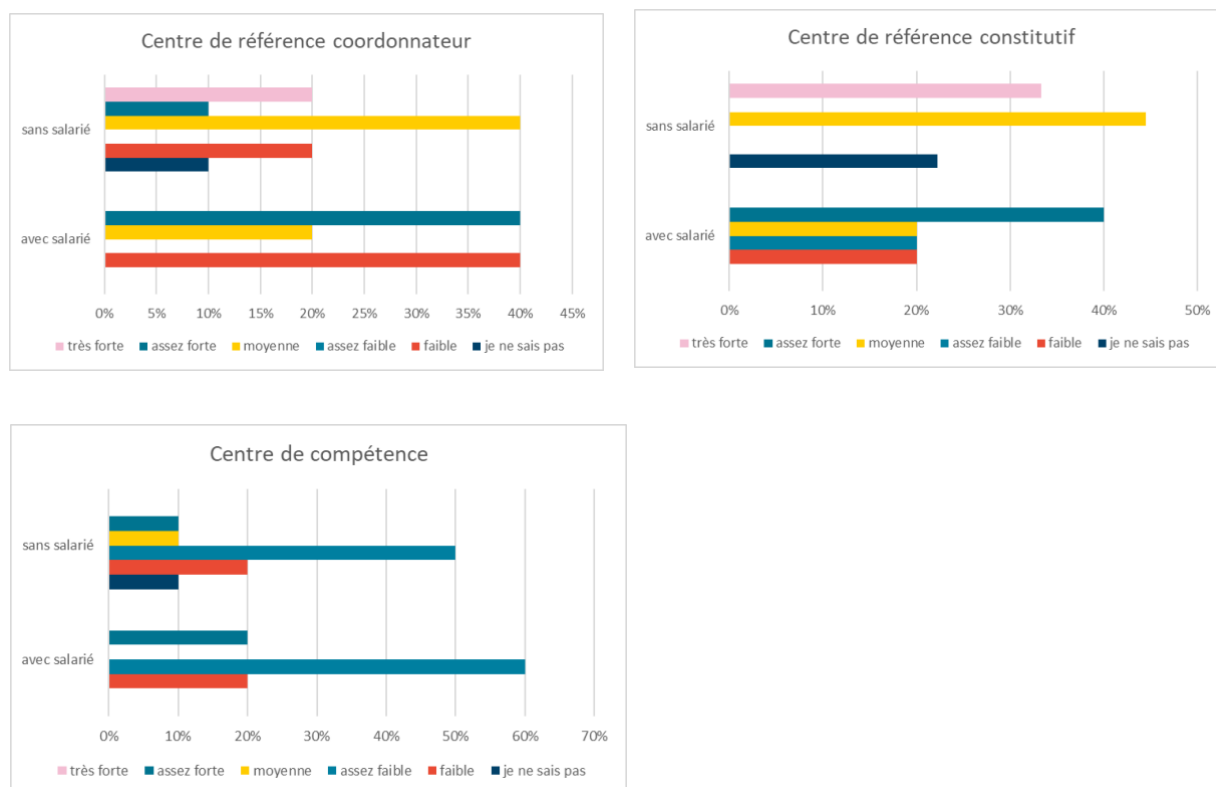


Figure 88 - Nombre de centres de maladies rares concernant les associations (question 79)

Les associations avec un salarié ne déclarent pas d'implication très fortes au sein des centres de référence maladies, qu'ils soient coordinateurs ou constitutifs contrairement aux associations sans salarié étudiées dans cette section (1/5 déclare une implication très forte dans un centre de référence coordinateur et 1/3 dans un centre de référence constitutif). La participation des deux catégories est faible ou assez faible dans les centres de compétences (80% des associations avec salarié, 70% des associations sans salarié).



### Participation aux filières de santé maladies rares

La majorité des associations des deux groupes étudiés participent à la gouvernance d'une filière de santé maladies rares (75% des associations avec un salarié, 90% des associations sans salarié étudiées).

Les associations avec un salarié répondantes sont toutes engagées exclusivement dans une seule filière de santé maladies rares alors que les associations sans salarié sont concernées par plusieurs filières dans la moitié des cas.

### Dynamiques européennes

La moitié des associations avec un salarié participe à l'EPAG d'un réseau européen de référence contre 36% des associations sans salarié. Aucune association dans les deux groupes ne participe à plus d'un EPAG.

Un tiers des associations avec un salarié et 91% des associations sans salarié sont membres d'une association européenne sur leur pathologie.

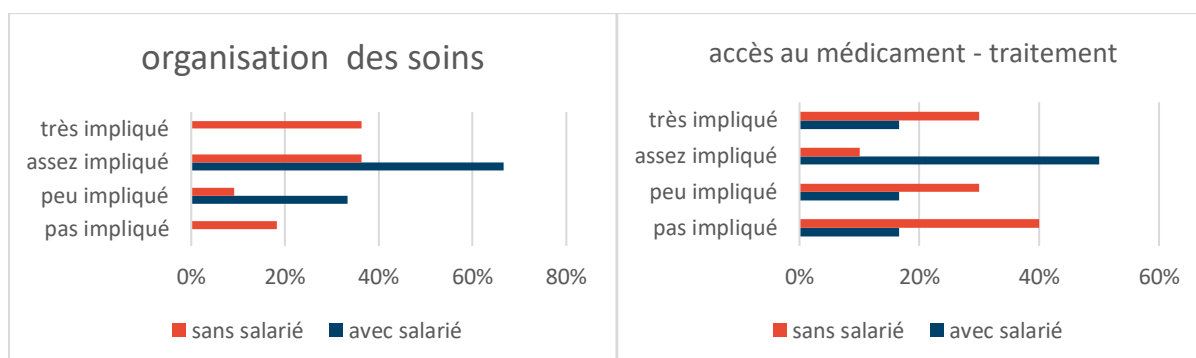
### Agrément des associations représentant les usagers du système de santé

Le tiers des associations de chaque groupe bénéficie de l'agrément d'association représentant les usagers du système de santé. Celui des associations avec un salarié est, dans tous les cas, national, celui des associations sans salarié est régional dans la moitié des cas.

Les mandats auxquels elles ont accédé grâce à leur agrément sont exclusivement des mandats au sein de commission des usagers. Les associations sans salarié ont accédé quant à elles également à des mandats au sein de commission des usagers (3/4), au sein d'un Conseil de surveillance des établissements publics de santé (2/4), auprès de l'ANSM (2/4) et auprès de la HAS (1/4).

Aucune association avec un agrément n'est restée sans mandat.

### Dossiers de représentation



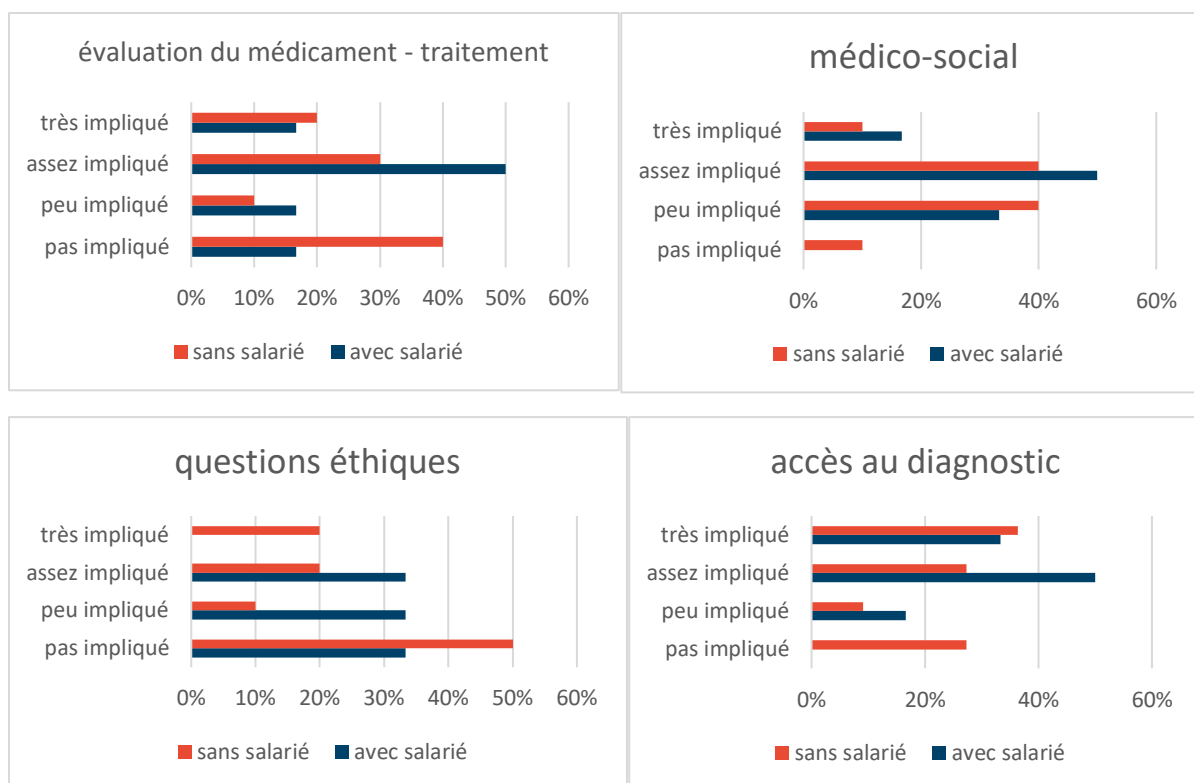


Figure 89 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104)

Les associations avec un salarié manifestent une implication « positive » (assez impliqué ou très impliqué) sur les différents items sondés en dehors des questions éthiques.

Les associations sans salarié manifestent une implication positive sur les questions de représentation liées à l'accès au diagnostic et à l'organisation des soins, une implication négative (pas impliqué ou peu impliqué) sur les questions liées aux questions éthiques et à l'accès au médicament/traitement et une implication neutre sur les questions liées à l'évaluation du médicament/traitement ou le médico-social.

Les associations sans salarié manifestent plus fréquemment une très forte implication ou une absence totale d'implication sur certains dossiers.

## Recherche

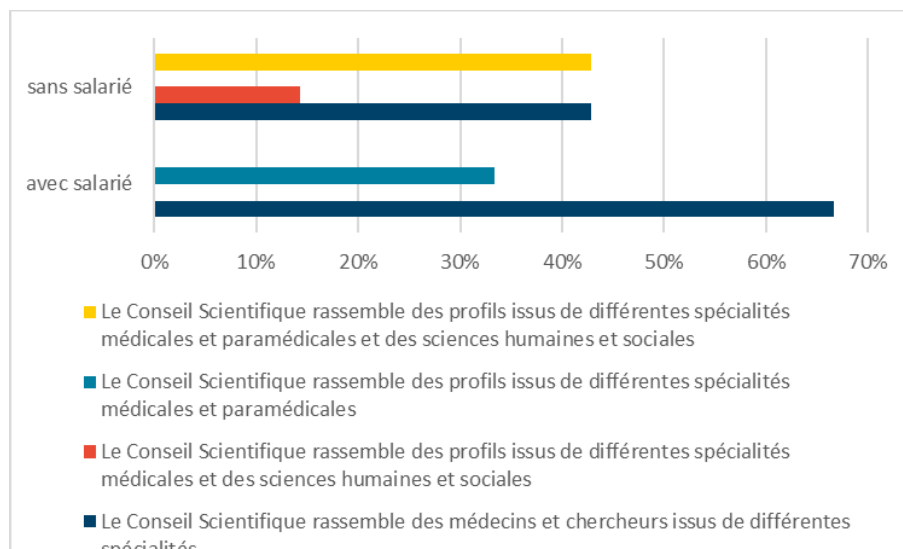


Figure 90 - Composition du conseil scientifique (question 94)

L'ensemble des associations de chaque groupe s'appuie sur un réseau de professionnels experts de la maladie. Pour 2 associations sur 3 dans chaque groupe, ce réseau est structuré sous forme de conseil scientifique.

Si les associations de chaque groupe s'appuient sur des conseils scientifiques de taille équivalente (11 à 12 personnes), les associations sans salarié rassemblent davantage de profils issus des sciences humaines et sociales (plus d'une association sur deux de ce groupe).

La pluridisciplinarité des conseils scientifiques des associations avec un salarié se manifeste davantage par le rassemblement de médecins et de chercheurs issus de différentes spécialités (2 associations sur 3).

Les conseils scientifiques des associations avec un salarié se sont réunis 1,5 fois en 2019 contre 1,9 fois pour les associations sans salarié de cette section.

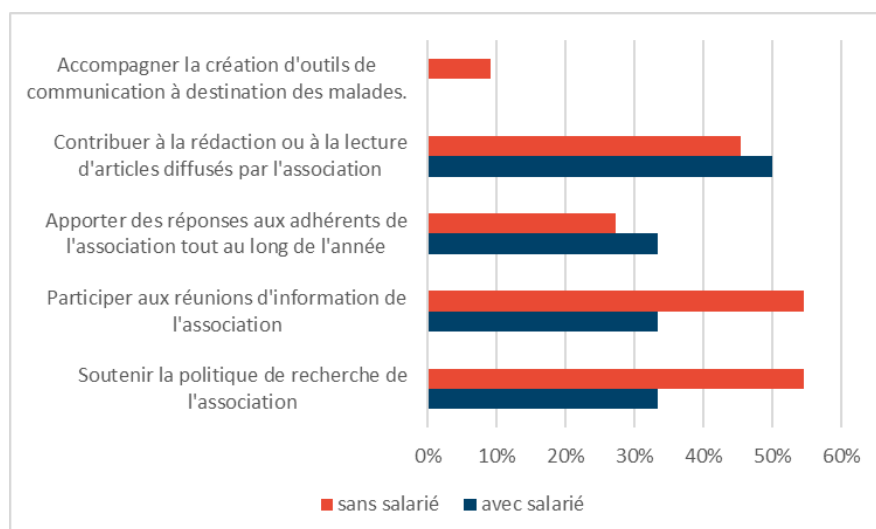


Figure 91 - Les principales missions du conseil scientifique (question 96)

La contribution à la rédaction ou la lecture d'articles diffusés par l'association est la mission principale des conseils scientifiques des associations avec un salarié avec le soutien à la politique de recherche de l'association.

La participation aux réunions d'information de l'association et le soutien à sa politique de recherche sont les missions principales des conseils scientifiques des associations sans salarié.

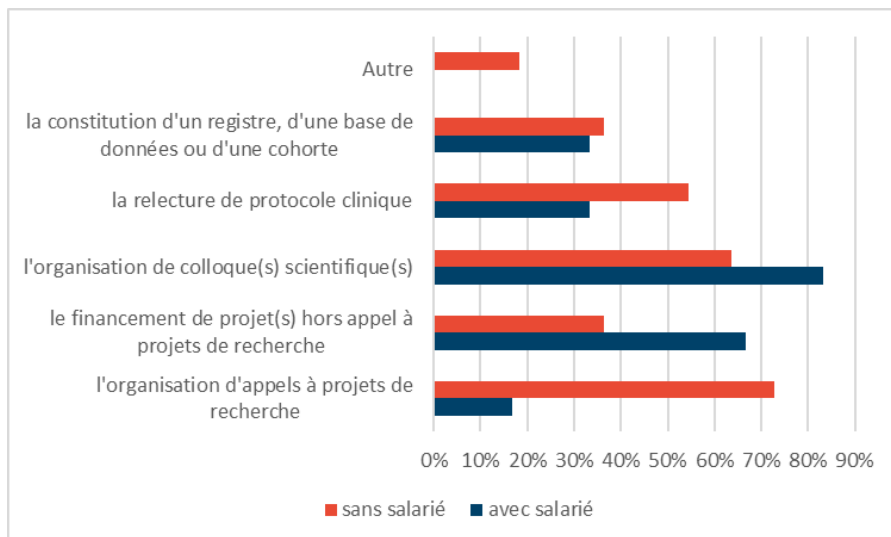


Figure 92 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99)

Le soutien financier des associations sans salarié à la recherche se manifeste le plus souvent à travers l'organisation d'appel à projets. Les associations avec un salarié soutiennent davantage la recherche hors appel à projets.

L'organisation d'un colloque scientifique est nettement la principale action dans le domaine de la recherche chez les associations avec un salarié hors soutien financier.

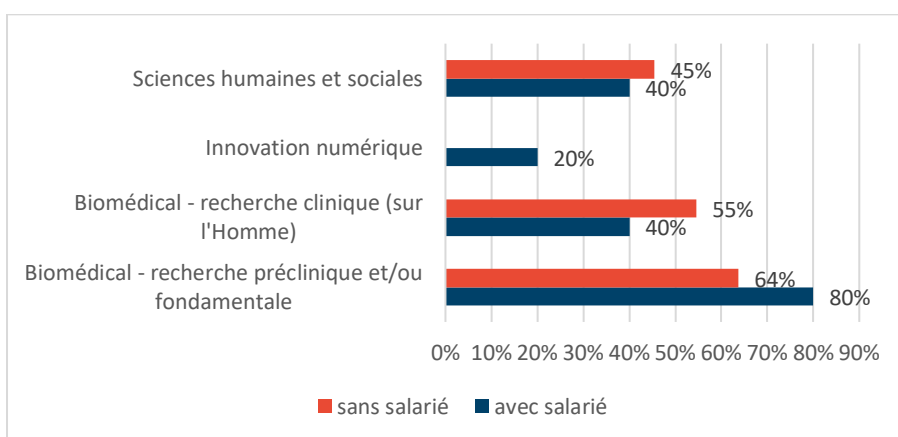


Figure 93 - Champs disciplinaires des activités de recherche dans lesquelles l'association est impliquée (question 100)

La recherche préclinique/fondamentale est le principal domaine investi par les associations des deux groupes.

Les recherches cliniques et celles sur les sciences humaines et sociales sont plus soutenues par les associations sans salarié.

Le budget moyen consacré à la recherche était de 44 760 euros chez les associations avec un salarié et 64 318 euros chez les associations sans salarié de ce groupe.

### **L'essentiel**

Cette comparaison entre les associations comptant un salarié et celles sans salarié dotées d'un budget minimum peut laisser penser à une quasi-gémellité sur de nombreux aspects : âge, nombre d'adhérents, montant des ressources...

Toutefois, cette photographie prise sur l'année 2019 sur deux petits échantillons montre aussi des équilibres qui, sans être diamétralement opposés, diffèrent dans les actions mises en œuvre (engagement plus significatif dans la recherche chez les associations sans salarié, plus de personnes accompagnées chez les associations avec un salarié) et du point de vue des modèles organisationnels (notamment celui du modèle économique moins dépendant des dons et adhésions chez les associations avec un salarié).

## Focus : membres de la gouvernance des FSMR

### Pourquoi un focus sur les associations membres de la gouvernance de FSMR ?

Les Filières de Santé Maladies Rares (FSMR) sont des actrices majeures du déploiement opérationnel 3e du Plan National Maladies Rares. Elles impliquent en leur sein sur les différents aspects de leur cahier des charges les associations de malades. Certaines d'entre elles sont invitées à prendre une part plus active dans la gouvernance des filières afin de contribuer à leur fonctionnement et de représenter leurs consœurs associatives.

L'enjeu de la participation associative au sein des FSMR étant majeur pour la mise en œuvre de notre Plan National Maladies Rares, il nous a semblé pertinent de comparer les associations impliquées dans la gouvernance des FSMR de celles qui en sont uniquement membres.

Au total, 41% des répondants déclarent que leur association est membre de la gouvernance de filières, 44% indiquent que leur association est membre d'une filière, tandis que 15% n'y sont pas impliquées.

Les associations participant à la gouvernance des filières ont été majoritairement fondées (64%) avant 2005, tandis que cela ne représente que 45% des autres associations membres des filières. L'âge globalement plus avancé de ces associations ne doit pas pour autant masquer la présence de jeunes associations participant à la gouvernance des filières, puisque 10% d'entre elles ont été fondées entre 2015 et 2019.

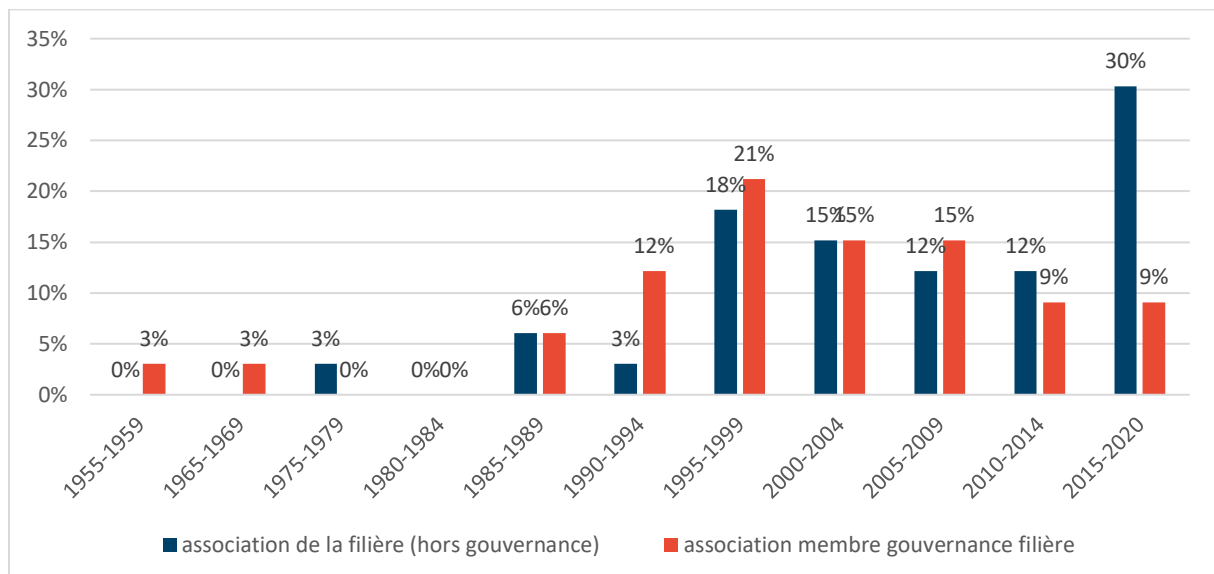


Figure 94 - Date de création des associations répondantes

### La maladie

Les associations membres des gouvernances des filières concernent des maladies qui apparaissent dans l'ensemble camp plus tard que celles couvertes par les autres membres des filières mais dont l'impact sur l'espérance de vie est plus important en cas d'apparition à la naissance ou durant l'enfance et l'adolescence (plus de 50% contre un peu plus de 30% pour

les autres associations membres des filières). La part de maladies d'origine inconnue y est un peu plus importante, tandis que les maladies génétiques y sont moins représentées.

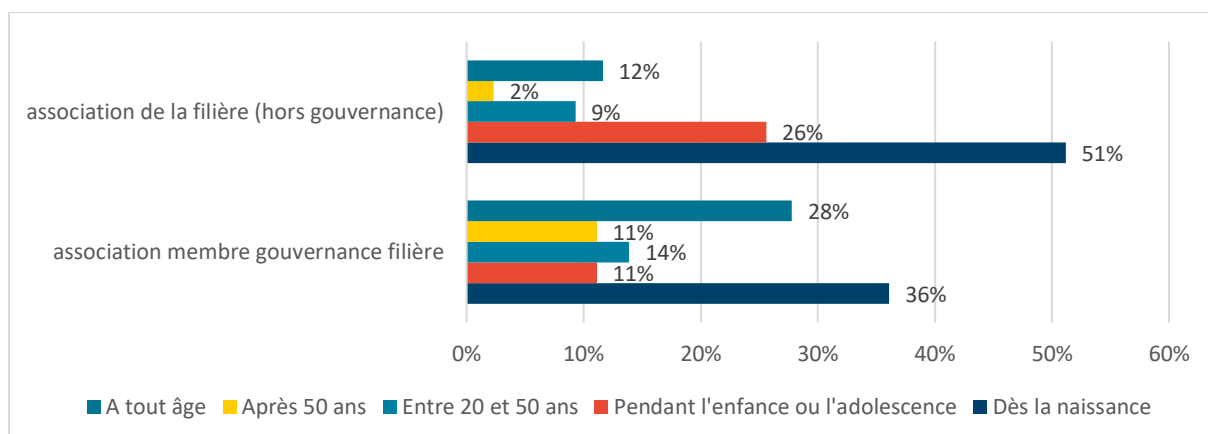


Figure 95 - Moment d'apparition le plus fréquent de la maladie (question 13)

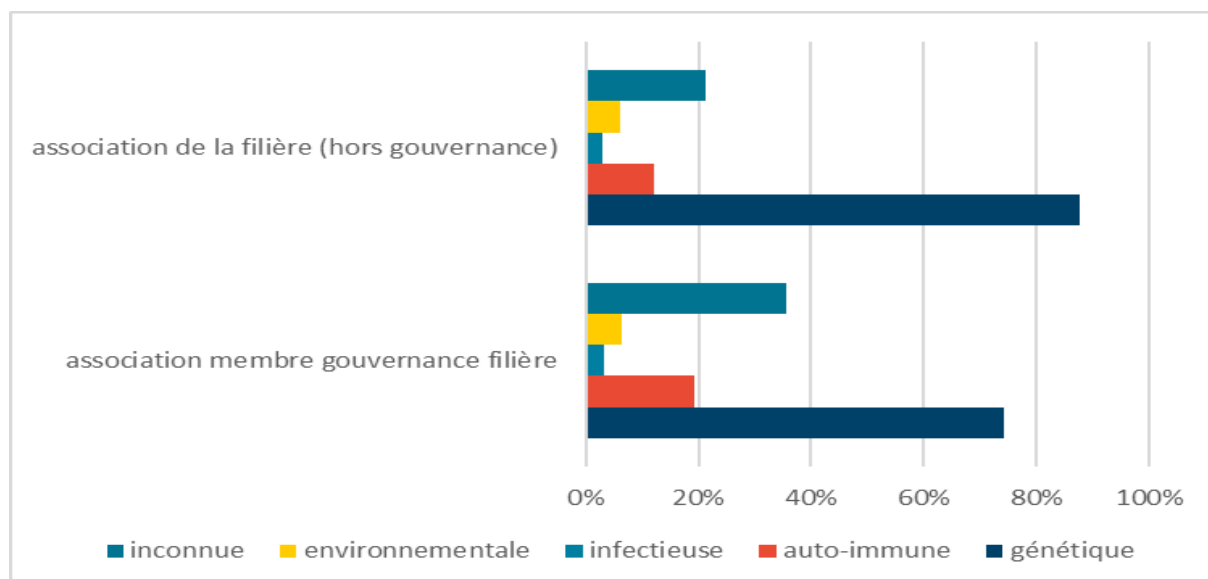


Figure 96 - Origine de la / des maladie(s) (question 15)

Ces associations concernent des maladies touchant un plus grand nombre de malades puisque 39% d'entre elles affectent entre 1001 et 10 000 malades et jusqu'à plus de 10 000 malades pour 36% d'entre elles, tandis que 60% des associations uniquement membres des FSMR couvrent des maladies touchant moins de 1000 personnes.

Concernant le diagnostic, peu de différences notables distinguent les associations membres des gouvernances des autres associations membres des filières si ce n'est que les méthodes caryotypes / cytogénétiques ou de séquençage à haut débit y sont moins courantes (13% contre 35%).

## Taille

### Des effectifs plus importants et plus stables

2 associations membres de la gouvernance des filières sur 3 comptent plus de 200 adhérents, tandis que seul un tiers des autres associations membres des filières rentrent dans cette catégorie.

Si l'on considère uniquement les adhérents malades, 74% des associations participant à la gouvernance des FSMR comptent plus de 100 malades parmi leurs adhérents, contre seulement 40% pour les autres associations membres des filières. Ces associations se caractérisent en outre par une plus grande stabilité dans leurs effectifs que les autres associations membres des filières qui voient leurs effectifs augmenter davantage.

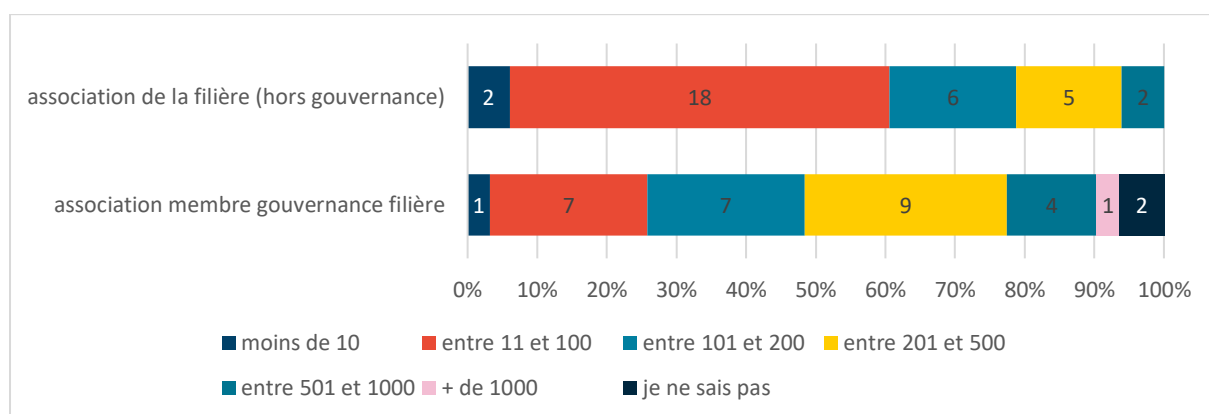


Figure 97 - Nombre de malades membres de l'association (question 28)

Les associations participant à la gouvernance des FSMR sont plus nombreuses à compter des salariés dans leurs rangs (19% contre 9% pour les autres).

Plus d'une association membre de la gouvernance des FSMR sur deux a comptabilisé plus de 2500 heures de bénévolat en 2019, contre seulement 30% parmi les autres associations membres des filières. Le nombre d'heures de bénévolat reste plus stable pour les associations participant à la gouvernance des FSMR que chez les autres associations membres des filières qui déclarent dans 50% des cas que cet indice est en augmentation.

Ces éléments ne doivent pas occulter l'existence d'associations participant à la gouvernance des filières qui sont faiblement dotées en moyens humains puisque 40% d'entre-elles déclarent moins de 10 bénévoles et 28 % ont comptabilisé moins de 500 heures de bénévolat en 2019.



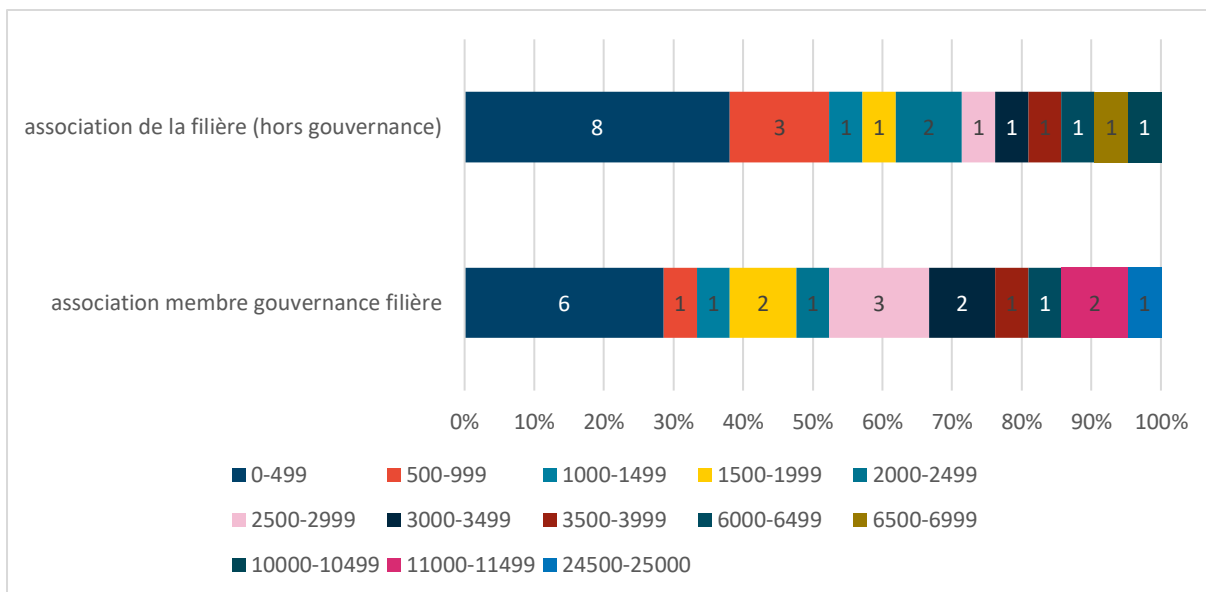


Figure 98 - Nombre d'heures de bénévolat réalisé en 2019 par l'association (question 37)

### Des ressources plus importantes

Les ressources financières des associations participant à la gouvernance des FSMR sont plus importantes que les autres puisque seules 32 % disposent de ressources financières inférieures à 20 000 euros et 22 % possèdent plus de 100 000 euros de ressources (contre respectivement 69% et 3% pour les autres associations membres des filières). Cependant, aucune différence significative n'est observable entre la répartition des provenances des ressources de ces deux catégories d'associations.

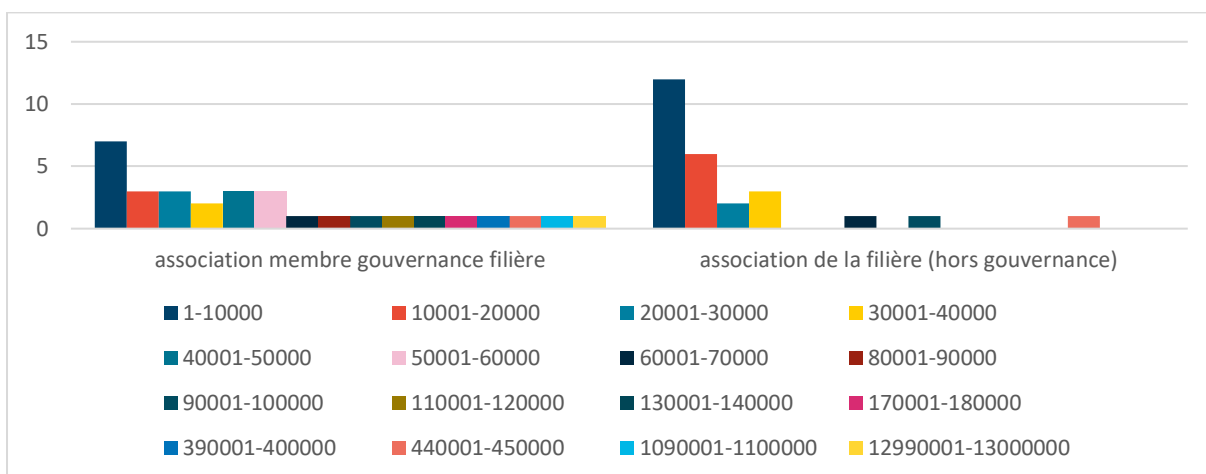


Figure 99 - Montant des ressources financières annuelles des associations en euros (hors contributions volontaires) (question 39)

La modestie des ressources ne saurait être considérée comme un obstacle interdisant la participation à la gouvernance des filières puisque quatre associations membres de la gouvernance déclarent avoir des ressources inférieures à 5000 euros dont deux indiquent n'avoir que 200 euros de ressources annuelles.

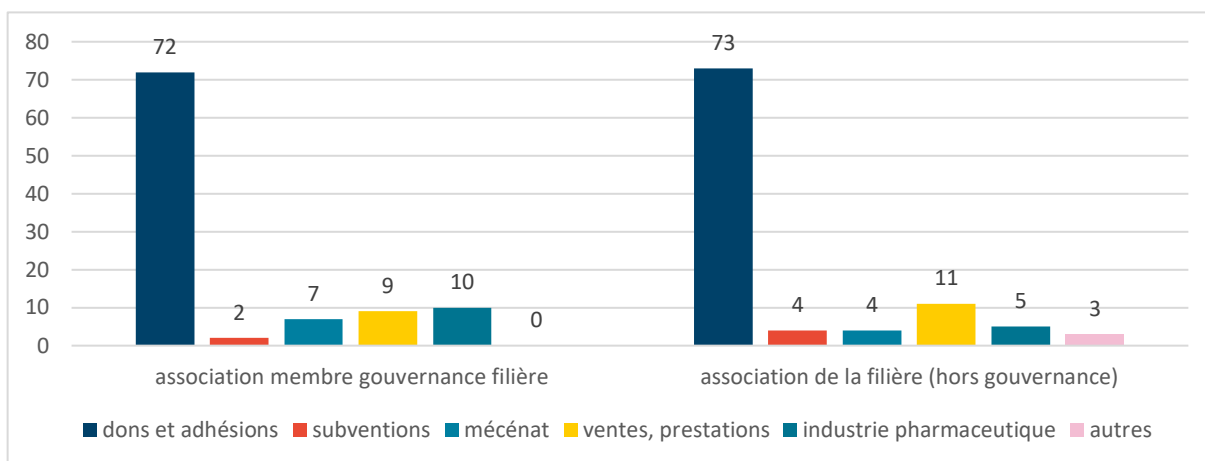


Figure 100 - Nature des ressources de l'association en % (question 41)

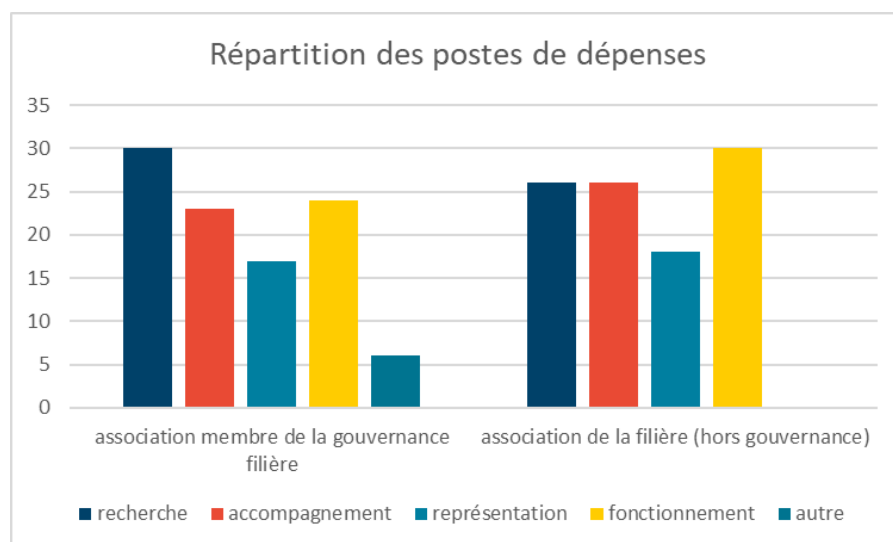


Figure 101 - Répartition des postes de dépense en % (question 48)

La provenance des ressources ne diffère pas sensiblement entre les deux groupes étudiés. La part moyenne de l'industrie pharmaceutique est plus élevée chez les associations membres de la gouvernance des filières.

La recherche est le 1<sup>er</sup> poste de dépenses des associations membres de la gouvernance des filières tandis qu'il s'agit des frais de fonctionnement chez les associations uniquement membres de ces dernières.

## Accompagnement et information

### Une plus grande visibilité sur internet

Les sites web des associations participant à la gouvernance des FSMR sont plus visités que ceux des autres associations membres des FSMR puisque 80 % ont plus de 5000 visites par an dont 23% à plus de 50 000 contre respectivement 30% et 8% pour les autres associations membres des filières.

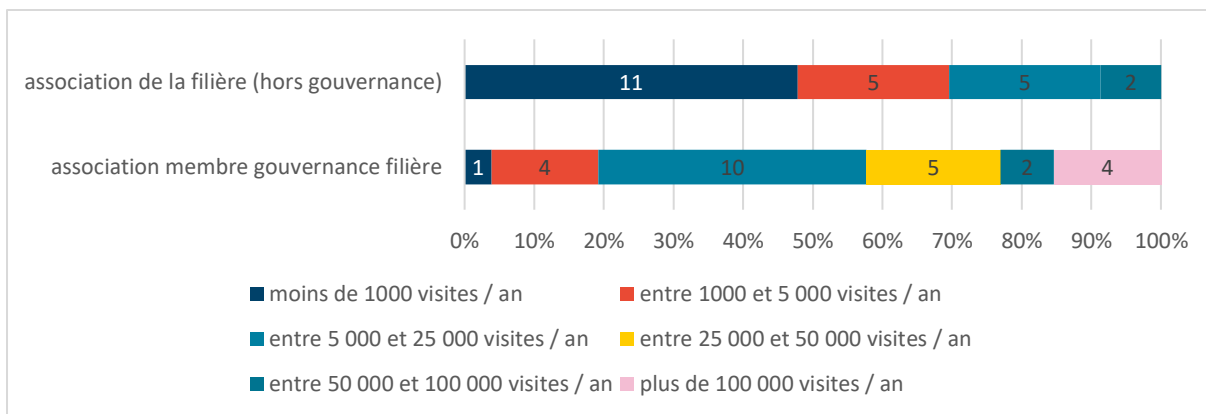


Figure 102 - Audiance annuelle des sites internet des associations (question 56)

Ces associations éditent plus fréquemment (70% contre 51%) un journal associatif que les autres associations membres des filières hors gouvernance. Le format papier y est préféré au format numérique lorsque le journal n'est pas édité dans les deux formats.

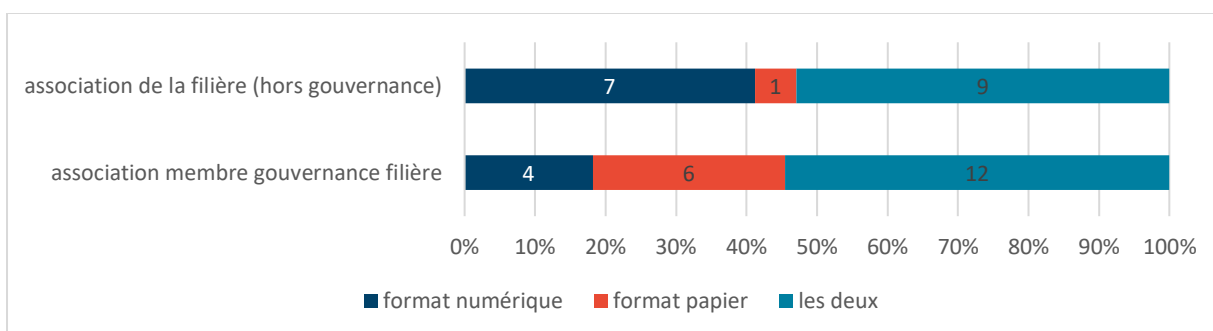


Figure 103 - Format du journal de l'association (question 64)

### Un accompagnement s'appuyant sur des équipes plus conséquentes et formées pour des actions touchant un public plus large

Un tiers de ces associations disposent d'équipes mobilisées par les actions d'accompagnement auprès des malades et des familles comptant plus de dix membres, ce qui est moitié moins fréquent dans les autres associations membres des filières qui comptent dans deux tiers des cas moins de 5 personnes. Dans l'ensemble les équipes y sont aussi davantage formées, notamment à l'écoute et à l'Education Thérapeutique du Patient. Si les moyens mis en œuvre sont plus importants au sein des associations participant à la gouvernance, les actions d'accompagnement sont sensiblement les mêmes que dans les autres associations membres des filières.

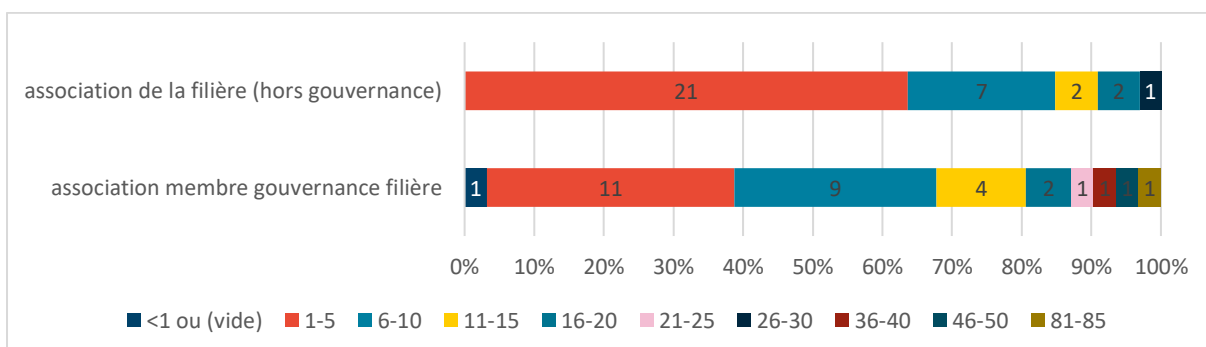


Figure 104 - Nombre de membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 72)

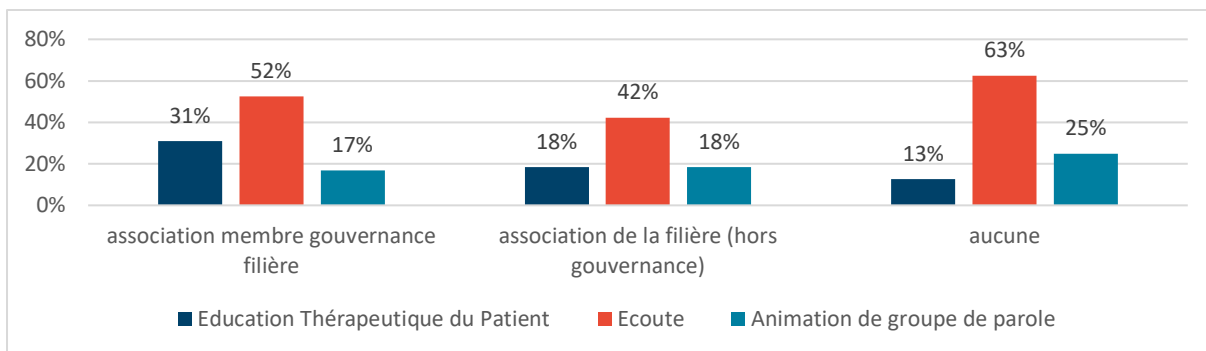


Figure 105 - Formations suivies par les membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 73)

Plus de la moitié des associations membres des gouvernances des filières déclarent avoir accompagné plus de 140 malades durant l'année 2019, tandis qu'une proportion analogue des autres associations ont accompagné moins de 40 malades sur la même période.

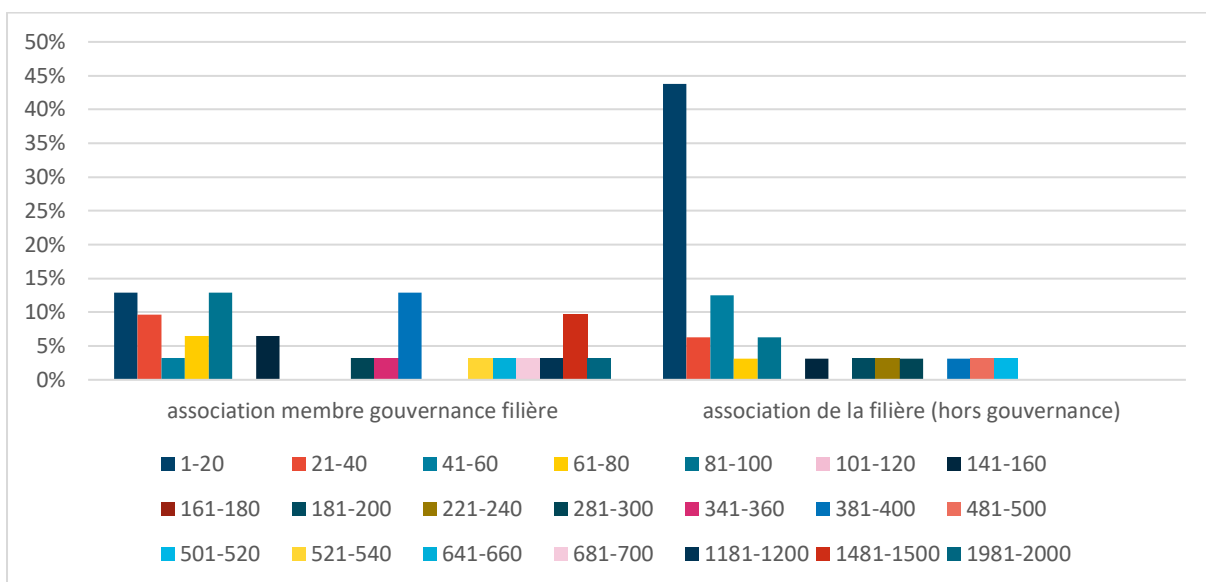


Figure 106 - Nombre de malades ayant bénéficié des accompagnements de l'association (question 74)

Les malades ne sont pas les seuls à bénéficier de ces accompagnements puisque 54% des associations membres des gouvernances ont mis en place des outils de formation à destination des professionnels de santé contre 27% des autres associations membres des filières.

### Des associations plus insérées dans leur environnement

Les maladies couvertes par les associations impliquées dans la gouvernance des filières disposent dans 96% des cas d'un Centre de Référence Maladies Rares identifié, contre 87% pour les autres associations membres des filières. Elles déclarent également être davantage concernées et impliquées dans les centres maladies rares, qu'il s'agisse de centres de référence coordinateurs, constitutifs ou de centres de compétence.

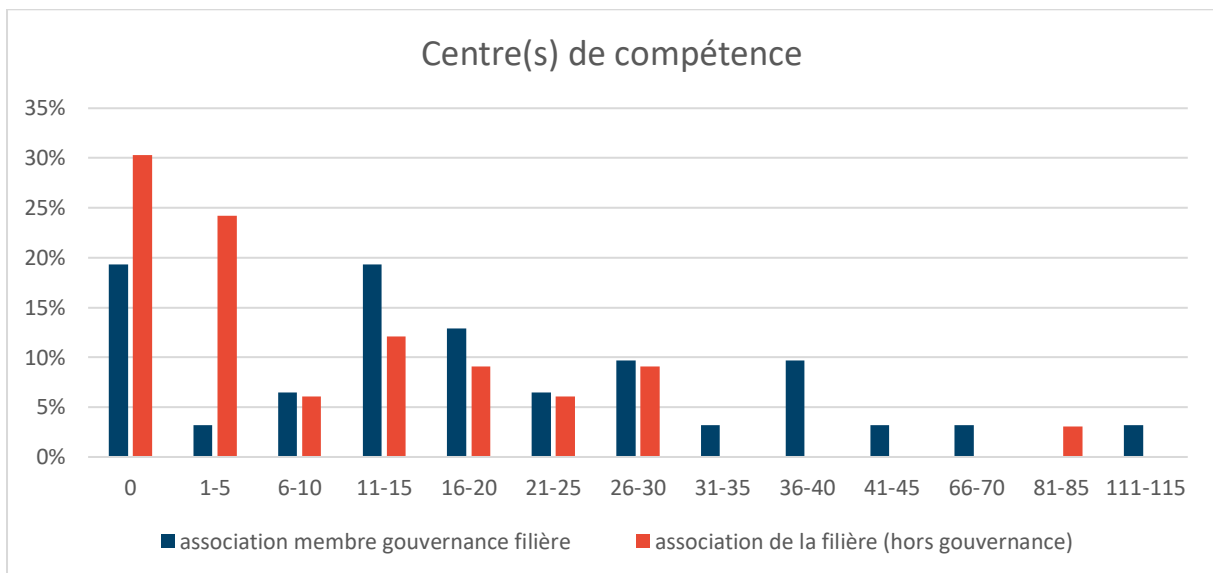
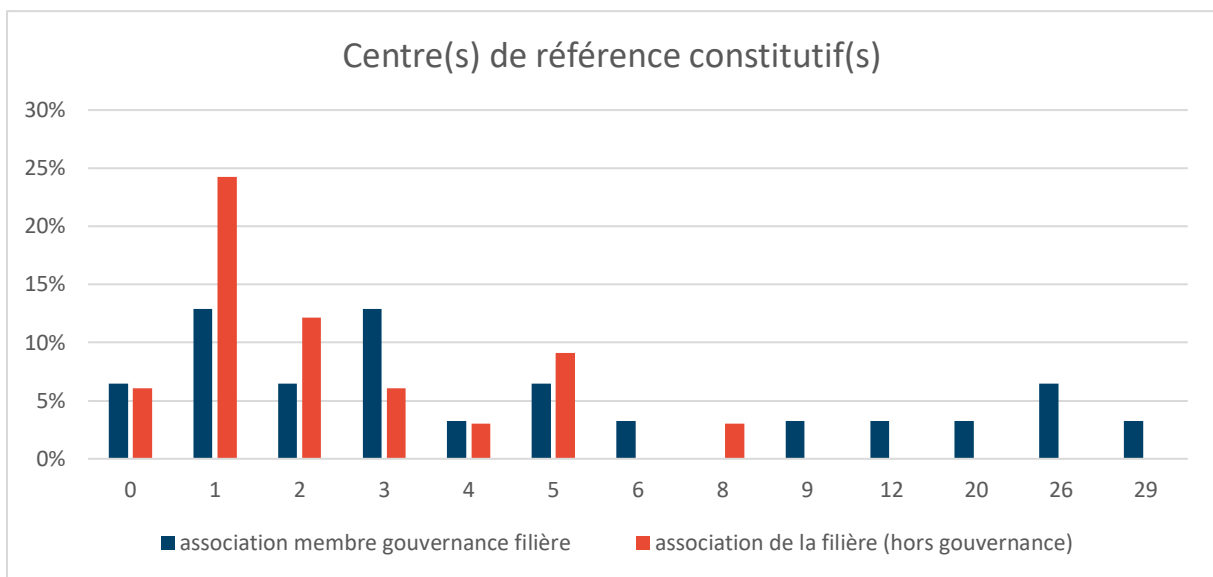
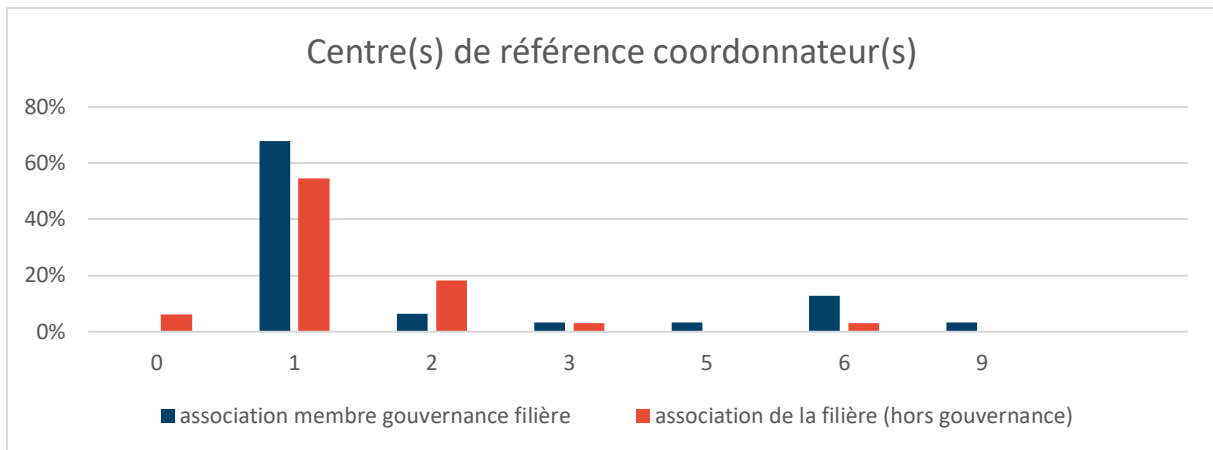


Figure 107 - Nombre de centre(s) de maladies rares concernant l'association (question 79)

Plus des trois quarts (77%) de ces associations déclarent être membre d'une association européenne ou internationale rassemblant les associations nationales s'intéressant à leur maladie, contre moins de la moitié (43%) des autres associations membres des filières.

Au total, 45% des associations impliquées dans la gouvernance des filières disposent d'un agrément des associations des représentants des usagers du système de santé, alors que cela ne concerne que 12,5% des autres associations membres des filières.

### Des conseils scientifiques plus fréquents et pluridisciplinaires

Ces associations sont plus fréquemment dotées d'un conseil scientifique (dans 70% de cas contre 54% pour les autres associations membres des filières). Les membres du conseil scientifique de ces associations sont plus nombreux (on y retrouve plus de 10 membres dans 38% des cas, contre 23,5% pour les autres associations des filières) et issus de disciplines plus variées (dans 28% des cas le conseil scientifique rassemble des profils issus de spécialités médicales, paramédicales et des sciences humaines et sociales) que dans les autres associations membres des filières (5,8%).

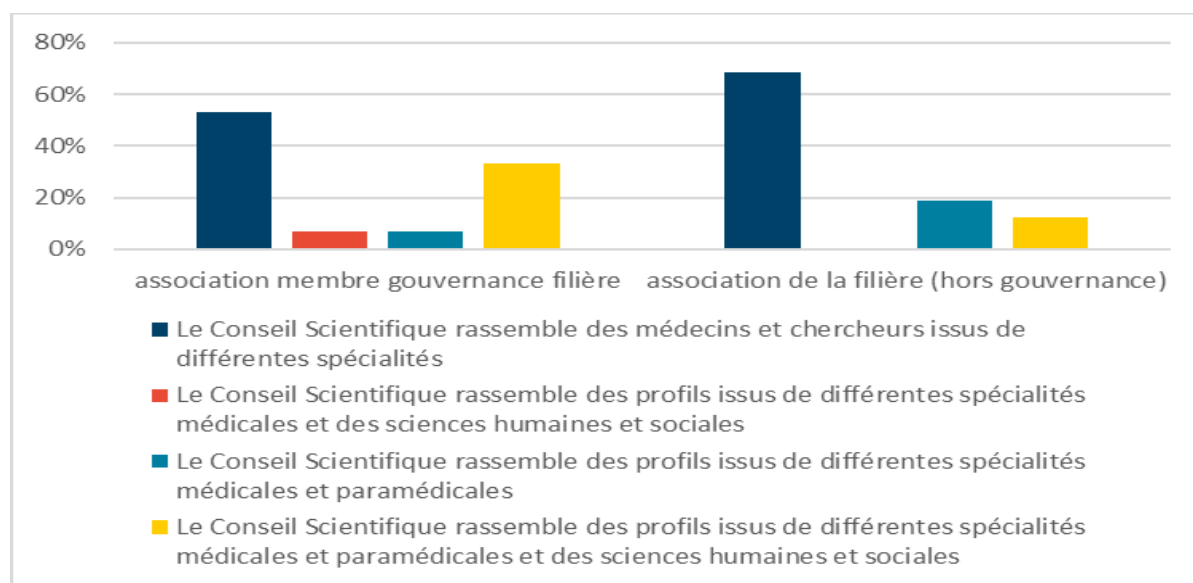


Figure 108 - Composition du conseil scientifique (question 94)

### Recherche

Les associations membres de la gouvernance des filières sont davantage impliquées dans des activités de recherche (90% des cas contre moins de 80% pour les autres associations membres des FSMR). Elles investissent notamment plus les appels à projets et la constitution de registres, bases de données ou de cohortes. Les disciplines relevant des sciences humaines et sociales, ainsi que les recherches cliniques prennent une place plus importante que chez elles que chez les autres associations des filières. Le budget alloué à la recherche est plus important dans ces associations que dans les autres associations membres des filières.

Les associations membres des filières sont toutefois plus nombreuses à s'engager dans la recherche fondamentale et dans l'organisation de colloques scientifiques.

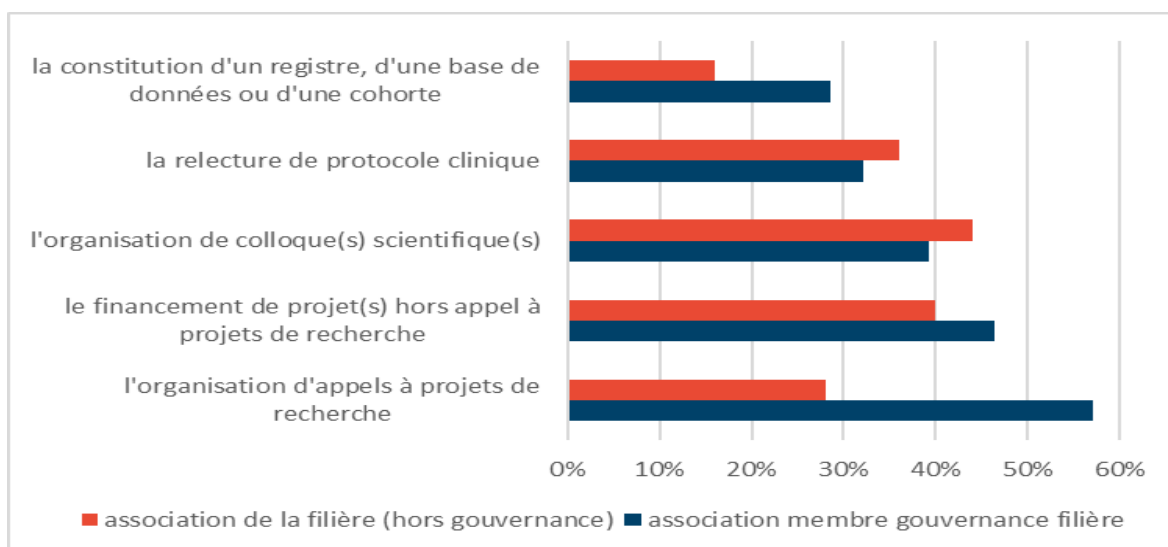


Figure 109 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99)

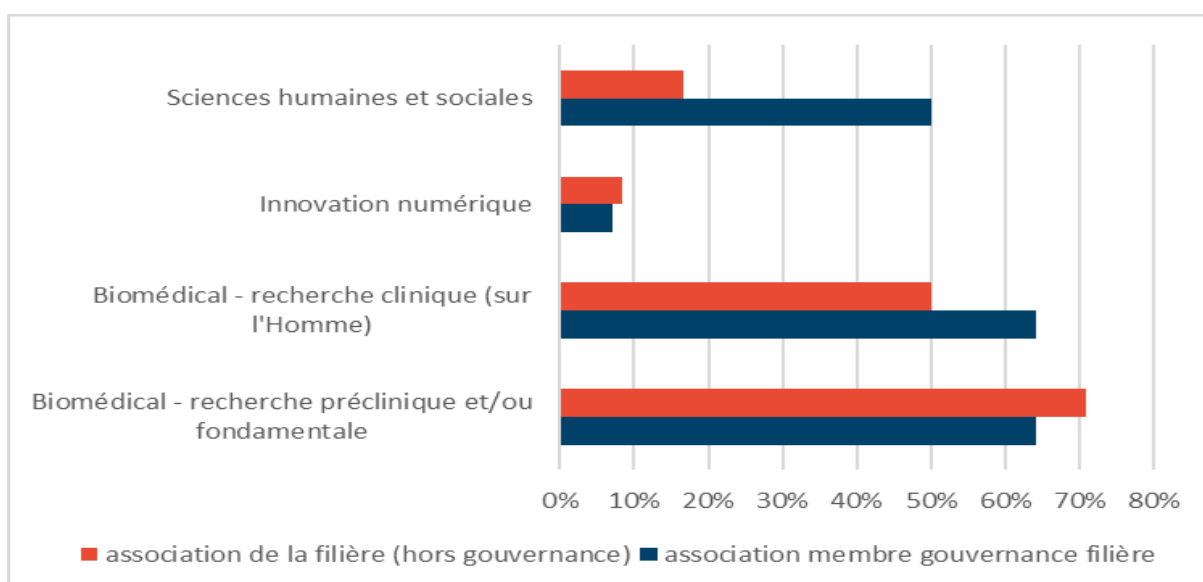


Figure 110 - Champs disciplinaires concernés par les activités de recherche (question 100)

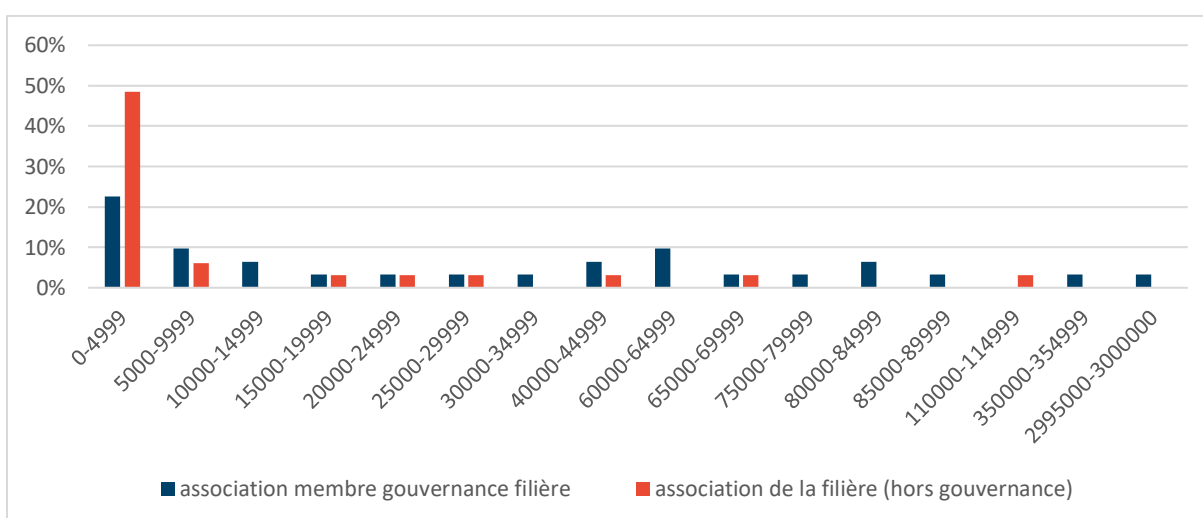
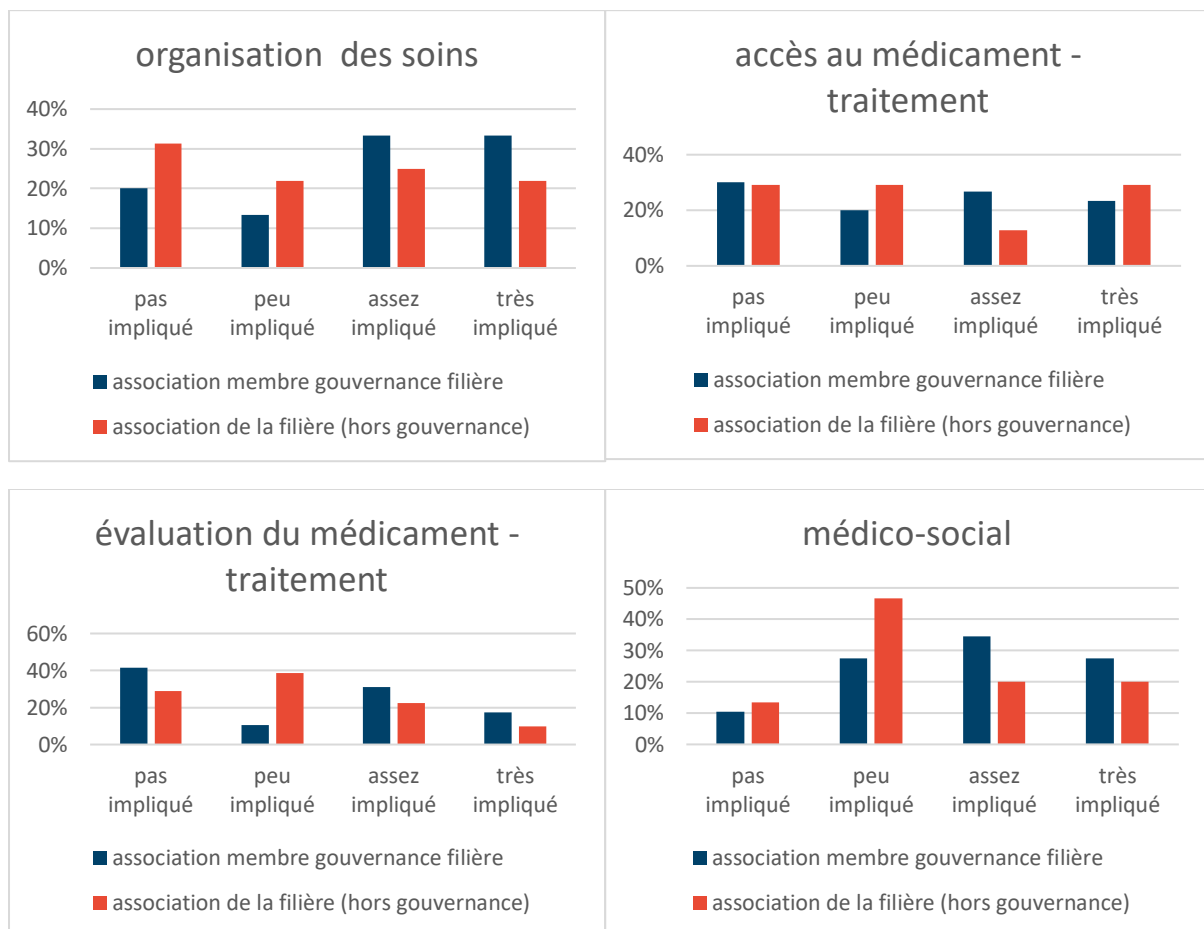


Figure 111 - budget total alloué par l'association attribué à la recherche en 2019 (en euros) (question 103)

## Des enjeux de mobilisation différenciés

Les associations participant à la gouvernance des filières se déclarent plus impliquées dans les actions de représentation et de défense des malades que les autres associations membres des filières pour l'organisation des soins et les questions médico-sociales. Ces dernières sont plus fortement mobilisées sur les questions liées à l'accès au médicament ou au traitement.

De manière globale, le niveau de mobilisation moyen est supérieur chez les associations engagées dans la gouvernance des filières pour les items interrogés avec une implication « positive » pour environ trois items en moyenne contre 2,4 pour les associations uniquement membres des filières. Toutefois le nombre d'items pour lequel les associations se déclarent très impliquées se situe aux alentours de 1,3 pour les deux groupes.





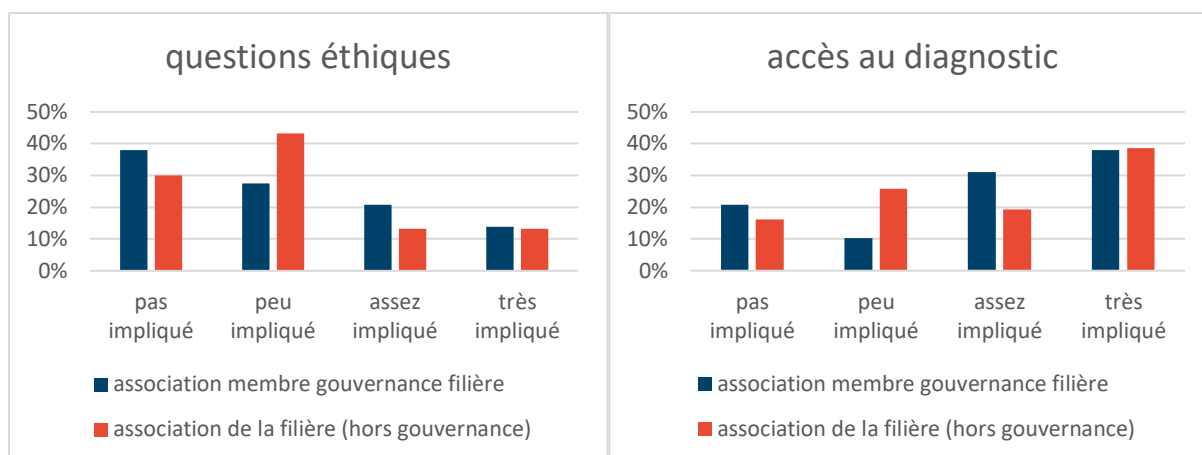


Figure 112 - Degré de mobilisation de l'association dans des actions de représentation et de défense des malades (question 104)

### L'essentiel

La mission de représentation des associations au sein des gouvernances des FSMR est principalement assumée par des organisations ayant acquis une certaine envergure (effectifs, budget, actions mises en œuvre) même si certaines structures de dimension plus modeste (40% déclarent moins de 10 bénévoles) voire beaucoup plus modestes parviennent à s'y impliquer également.

Tant ces caractéristiques organisationnelles que celles des maladies couvertes par les associations impliquées dans la gouvernance des Filières invitent à une réflexion sur la nature de ce rôle de représentation et les collaborations inter-associatives minimales qui doivent s'opérer sur le terrain.

## Synthèse

### Le tissu associatif dédié aux maladies rares

#### *Typologie des associations répondantes et fonctionnement du collectif*

Nous évaluons entre 280 et 320 le nombre d'associations de maladies rares à vocation nationale actives en France en 2019. Si notre enquête décrit une hétérogénéité de ces structures du point de vue de leur taille et des ressources dont elles disposent, elle met aussi en avant certains « fondamentaux » communs à l'immense majorité des organisations de maladies rares : la place centrale des actions d'accompagnement et de la recherche dans les priorités associatives, le modèle économique reposant essentiellement sur les dons et les adhésions, la taille des équipes bénévoles relativement réduite pour faire vivre les projets des associations.

<b>Caractéristiques moyennes des associations répondantes</b>	<b>Caractéristiques les plus fréquentes des associations répondantes</b>
S'intéresse à un groupe de 2 à 10 maladies	S'intéresse à une maladie
Touche entre 1000 et 10 000 malades en France	Touche moins de 1000 malades en France
Entre 100 et 200 adhérents	Moins de 100 adhérents
Equipe bénévole comprise entre 1 à 10 personnes	Equipe bénévole comprise entre 1 à 10 personnes
250 000€ de budget	Moins de 10 000 euros de budget
Financée par les dons et adhésions	Financée par les dons et adhésions
Consacre les ¾ de ses dépenses à la recherche et à l'accompagnement des malades	Consacre la moitié de ses dépenses à la recherche et à l'accompagnement des malades
Accompagne environ 230 malades	Accompagne moins de 100 malades
2 centres de référence coordonnateurs 5 centres de référence constitutifs 18 centres de compétences	1 centre de référence coordonnateur 1 à 3 centres de référence constitutifs Moins de 10 centres de compétences
Participe à 1 ou 2 filières de santé maladies rares (FSMR)	Participe à 1 ou 2 filières de santé maladies rares (FSMR)

Le tableau ci-dessus résume rapidement ces caractéristiques et permet de décrire deux typologies d'association selon qu'elles présentent les caractéristiques moyennes des répondants ou les caractéristiques les plus fréquemment observées. Ces deux descriptifs permettent respectivement de travailler sur des conjectures et des extrapolations pour comprendre l'impact du tissu associatif observé dans notre enquête et de comprendre la sociologie des organisations qui le composent.

Ici se dessine déjà un double enjeu pour l'Alliance maladies rares et la politique d'accompagnement qu'elle mène :

- prendre en compte les spécificités organisationnelles de ces différentes typologies d'associations afin qu'elles continuent de grandir ensemble au sein du collectif
- les associations se rapprochant de la description des caractéristiques les plus fréquentes sont pour beaucoup de jeunes associations. La création d'associations de maladies rares ayant tendance à devenir plus fréquente depuis quelques années (1 association sur 4 ayant répondu au questionnaire a été créée après 2015) nous indiquent qu'elles seront probablement plus nombreuses à l'avenir au sein du collectif. Il sera intéressant d'observer dans le temps les cycles organisationnels que rencontrent ces structures : ont-elles tendance à se rapprocher de la typologie moyenne, sont-elles limitées par les caractéristiques des maladies qu'elles couvrent et des nouvelles réalités sociologiques au sein de la population... ?

Il convient également de citer parmi les répondants une troisième catégorie d'associations qui sont les organisations disposant d'une envergure très importante et dont l'ancrage dans l'écosystème général des maladies rares est très établi. Peu nombreuses, elles servent sur différents aspects de modèles associatifs légitimes.

### ***Des effectifs plutôt dynamiques***

Même si la majorité des organisations a conservé des effectifs stables entre 2018 et 2019, il faut souligner le dynamisme réel du tissu associatif dédié aux maladies du point de vue du nombre de leurs bénévoles et surtout du nombre d'adhérents : 32% des répondants ont constaté une augmentation du nombre d'adhérents et 8% une diminution. Ces chiffres soulignent la capacité de rassemblement des associations autour de leur projet.

De manière générale, les associations de maladies rares déclarent en moyenne 2300 heures de bénévolat soit l'équivalent d'1,5 équivalent temps plein. Rapporté à l'ensemble du secteur, ce chiffre nous permet de donner une première estimation comprise entre 430 et 490 équivalents temps pleins au service des maladies rares assurés par le bénévolat. Au regard de données complémentaires issues de rapports d'associations leaders sur ce point, cette estimation, bien que déjà très significative, donne

très certainement plutôt une borne minimale de la très importante force bénévole mobilisée par les associations de malades.

### **Le modèle économique des associations de maladies rares**

Les dons et adhésions constituent de loin la première ressource financière des associations de malades (73%). Une association sur quatre est d'ailleurs exclusivement financée par ces derniers.

Les ventes et prestations constituent en moyenne la deuxième ressource financière (11%) devant les fonds provenant de l'industrie pharmaceutique (7%).

Les subventions publiques et le mécénat ne représentent respectivement que 3% et 5% des ressources associatives en moyenne.

Les associations de maladies rares sont des structures qui fonctionnent le plus souvent avec des budgets réduits :

- 4 associations sur 10 disposent de ressources inférieures à 10 000 euros
- 3 associations sur 4 disposent de ressources inférieures à 50 000 euros

### **Données concernant l'activité opérationnelle**

Malgré ces ressources limitées, elles parviennent à déployer une activité opérationnelle significative auprès des malades.

Les actions d'accompagnement des malades ont bénéficié en moyenne à 230 malades ou familles par association. Il s'agit d'un chiffre significatif lorsqu'il est mis en corrélation avec le nombre de malades touché par les pathologies que couvre une association.

<b>4 actions d'accompagnement à la loupe</b>	
<b>8/10</b> associations mettent en place une ligne d'écoute téléphonique	<b>3/4</b> associations organisent des réunions d'information sur la maladie
<b>2/3</b> associations animent des groupes d'échange à travers des forums internet ou sur les réseaux sociaux	<b>1/4</b> association impliquée dans un programme d'Education Thérapeutique du Patient

<b>Les associations de maladies rares et la recherche</b>	
<b>8/10</b> associations impliquées dans la recherche en 2019.	Toutes les associations de maladies rares sont connectées aux professionnels de santé et chercheurs experts de la maladie. Ces réseaux sont structurés <b>6 fois sur 10</b> sous la forme d'un Conseil Scientifique.
<b>1/3</b> association investit plus de 20 000 euros dans la recherche.	<b>1/3</b> association impliquée dans un projet de recherche en sciences humaines et sociales.

<b>La représentation des malades</b>	
<b>85%</b> des associations impliquées dans une Filière de Santé Maladies Rares.	<b>1/3</b> association impliquée dans un réseau européen de référence
<b>Plus d'1/2</b> association membre d'une fédération internationale consacrée à sa pathologie	<b>1/4</b> association dispose d'un agrément de représentant des usagers du système de santé.

Les trois quarts des dépenses des associations sont destinées aux actions d'accompagnement et à la recherche. Il convient néanmoins de souligner que la représentation des malades, qui si elle pèse peu dans les dépenses globales du secteur (3%), constitue un réel engagement financier pour les petites organisations.

Bien que l'exercice de conjecture soit délicat, nous estimons entre 9,2 et 13,8 millions d'euros la somme consacrée par les associations de malades à la recherche en 2019 (en dehors de la contribution exceptionnelle de l'AFM-Téléthon bien sûr).

## Conclusions

### *Comprendre les nouvelles sociologies associatives*

Une accélération de la création d'associations nationales de maladies rares est constatée sur les dernières années. Les associations fondées après 2017 représentent 21% des répondants. Il s'agit d'associations orientées sur des pathologies touchant un nombre moins important de personnes et qui s'intéressent dans deux tiers des cas à une seule maladie (contre 43% chez leurs aînées). Elles investissent davantage les réseaux sociaux dans leurs actions d'accompagnement.

Dynamiques mais logiquement moins actives encore que leurs devancières, la spécialisation très prononcée de ces nouvelles structures interrogent sur les répercussions (positives et négatives bien sûr) de cette nouvelle sociologie sur l'organisation du paysage des maladies rares. D'un point de vue strictement associatif, elle nous invite déjà à développer une réflexion sur la manière dont nous parviendrons dans le futur à construire collectivement nos contributions à l'évolution des politiques sanitaires, scientifiques, sociales... des personnes qui vivent avec une maladie rare.

### *Des opportunités pour l'Alliance*

Au-delà d'une meilleure compréhension et évaluation de ce que représente le tissu associatif dédié aux maladies rares, cet observatoire enclenche une nouvelle dynamique pour l'Alliance. L'identification de nouvelles expertises émergentes, indispensable pour nourrir les démarches de co-construction dans lesquelles nous sommes engagées, sera notamment facilitée. Ces photographies du tissu associatif que nous serons amenés à reproduire permettront également d'identifier des enjeux nouveaux en matière d'accompagnement.

### *L'observatoire de l'action associative 2020*

L'observatoire de l'action associative est un nouvel outil important pour le fonctionnement de l'Alliance maladies rares. Nous pensons qu'il sera également un élément structurant pour faciliter certaines remontées de terrain des membres au sein du collectif, complémentaire des informations déjà communiquées par ces derniers. Cette démarche sera donc reconduite en 2021 pour évaluer l'action associative en cette si particulière année 2020 qui se lira forcément en partie avec le prisme de la crise sanitaire que nous vivons et dont les répercussions se poursuivront encore en 2021. Nous espérons que les associations seront aussi nombreuses, voire davantage encore, à participer à cette démarche qui ne trouvera son plein succès que dans la régularité.

Nous remercions une nouvelle fois très chaleureusement toutes celles et ceux qui ont participé à cette première édition de l'enquête dont les résultats complets seront communiqués début 2020 à travers un rapport qui sera disponible sur le site de l'Alliance et l'organisation d'une visioconférence qui permettra d'échanger à propos de l'observatoire.

## Table des illustrations

Figure 1 Evolution de la participation au questionnaire.....	6
Figure 2 - Statut des répondants (question 7).....	7
Figure 3 - Date de création des associations répondantes (question 3).....	8
Figure 4 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12).....	8
Figure 5 - Moment d'apparition le plus fréquent de la maladie (question 13).....	9
Figure 6 – Origine de la / des maladie(s) (question 15).....	9
Figure 7 - Modalité(s) de réalisation des diagnostics (question 17).....	10
Figure 8 – Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18).....	10
Figure 9 – Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16).....	11
Figure 10 – Typologie des maladies couvertes par les associations (question 10).....	11
Figure 11 – Autres plans de santé publique concernant les associations (question 11).....	12
Figure 12 – Types des traitements spécifiques (question 21).....	12
Figure 13 - Répartition géographique des sièges sociaux (question 4).....	13
Figure 14 - Périmètre des responsables territoriaux dans les associations (question 31).....	13
Figure 15 - Nombre d'adhérents des associations (question 26).....	14
Figure 16 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27).....	14
Figure 17 - Evolution du nombre de malades adhérents par rapport à 2018 (question 29).....	15
Figure 18 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35).....	15
Figure 19 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36).....	15
Figure 20 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38).....	16
Figure 21 - Présence de salariés dans les effectifs des associations (question 32).....	16
Figure 22 - Montant des ressources financières annuelles (en euros) de l'association hors contributions volontaires (question 39).....	17
Figure 23 - Nature des ressources des associations (question 41).....	17
Figure 24 - Raison expliquant la non-valorisation des contributions volontaires dans la comptabilité des associations (question 44).....	18
Figure 25 - Postes de dépense des associations en 2019 (question 48).....	19
Figure 26 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56).....	19
Figure 27 - Disponibilité des informations en ligne (question 59).....	20
Figure 28 - Présence de l'association sur les réseaux sociaux (question 60).....	20
Figure 29 - Objectifs principaux de la présence des associations sur les réseaux sociaux (question 62).....	21
Figure 30 - Format de diffusion du journal de l'association (question 64).....	21
Figure 31 - Fréquence de diffusion du journal (question 65).....	22
Figure 32 - Missions des supports de communication (sites web, réseaux sociaux, journal) des associations (question 66).....	22
Figure 33 - Actions d'accompagnement menées auprès des malades et des familles (question 71).....	23
Figure 34 - Nombre de centre(s) de maladies rares concernant l'association (question 79).....	25
Figure 35 - Implication dans les centres de référence (question 80).....	25
Figure 36 - Mandat(s) au(x)quel(s) l'agrément a permis d'accéder (question 87).....	26
Figure 37 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104).....	27
Figure 38 - Actions entreprises par l'association dans le cadre de cette mobilisation (question 107).....	27
Figure 39 - Composition du conseil scientifique (question 94).....	28
Figure 40 - Nombre de réunions du conseil scientifiques en 2019 (question 95).....	29

Figure 41 - Principales missions du conseil scientifique (question 96).....	29
Figure 42 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99) .....	30
Figure 43 - Champs disciplinaires concernés par les activités de recherche (question 100) 30	
Figure 44 - Budget total alloué par l'association à la recherche en 2019 (en euros) (question 103).....	31
Figure 45 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12).....	32
Figure 46 - Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18).....	34
Figure 47 - Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16).....	35
Figure 48 - Nombre d'adhérents des associations (question 26).....	35
Figure 49 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27) .....	35
Figure 50 - Evolution du nombre d'adhérents par rapport à 2018 (question 27) .....	36
Figure 51 - Associations disposant de responsables territoriaux (ou toute autre dénomination : délégués, correspondants, référents,...) (question 30).....	36
Figure 52 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35).....	36
Figure 53 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36) .....	37
Figure 54 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38) ...	37
Figure 55 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38) ...	37
Figure 56 - Montant des ressources financières annuelles (en euros) de l'association hors contributions volontaires (question 39) .....	38
Figure 57 - Evolution des ressources par rapport à l'année 2018 (question 40) .....	38
Figure 58 - Evolution des ressources par rapport à l'année 2018 (question 40) .....	38
Figure 59 - Part moyenne et part du financement global (question 39).....	39
Figure 60 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56).....	39
Figure 61 - Actions d'accompagnement proposées par les associations (question 71) .....	40
Figure 62 - Nombre de membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 72).....	40
Figure 63 - Estimation du nombre de malades ayant bénéficié des accompagnements des associations en 2019 (question 74) .....	41
Figure 64 - Maladies disposant d'un Centre de Référence Maladies Rares (question 78) ....	41
Figure 65 - Nombre de centres de maladies rares concernant les associations (question 79) .....	42
Figure 66 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104) .....	43
Figure 67 - Actions entreprises par l'association dans le cadre de cette mobilisation (question 107).....	43
Figure 68 - Nombre de réunions du conseil scientifiques en 2019 (question 95).....	44
Figure 69 - Implication des associations dans des activités de recherche (appels à projets, organisation de colloques, protocoles de recherche, etc.) (question 98) .....	44
Figure 70 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99) .....	45
Figure 71 - Budget total alloué par l'association à la recherche en 2019 (question 103).....	45
Figure 72 - Date de création des associations .....	47
Figure 73 - Nombre de maladies couvertes par l'association (question 12).....	48
Figure 74 - Nombre de personnes touchées par la maladie concernant l'association (question 16).....	48
Figure 75 - Enjeux de diagnostic concernant les associations (question 18).....	49
Figure 76 - Fréquence de confrontation aux problématiques liées à l'errance diagnostique (question 19).....	49
Figure 77 - Existence de médicaments avec indication spécifique (question 20) .....	50

Figure 78 - Présence de médicaments sans indication spécifique (question 23).....	50
Figure 79 - Nombre d'adhérents des associations (question 26).....	50
Figure 80 - Associations disposant de responsables territoriaux (ou toute autre dénomination : délégués, correspondants, référents,...) (question 30).....	51
Figure 81 - Nombre de bénévoles de l'association (question 35).....	51
Figure 82 - Evolution du nombre de bénévoles par rapport à 2018 (question 36) .....	52
Figure 83 - Evolution du nombre d'heures de bénévolat par rapport à 2018 (question 38) ...	52
Figure 84 - Nature des ressources des associations (question 41).....	53
Figure 85 - Postes de dépense des associations en 2019 (question 48).....	53
Figure 86 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56).....	54
Figure 87 - Actions d'accompagnement menées auprès des malades et des familles (question 71).....	54
Figure 88 - Nombre de centres de maladies rares concernant les associations (question 79) .....	55
Figure 89 - Degré de mobilisation de l'associations dans les actions de représentation et de défense des malades en 2019 (question 104) .....	57
Figure 90 - Composition du conseil scientifique (question 94) .....	58
Figure 91 - Les principales missions du conseil scientifique (question 96).....	58
Figure 92 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99) .....	59
Figure 93 - Champs disciplinaires des activités de recherche dans lesquelles l'association est impliquée (question 100).....	59
Figure 94 - Date de création des associations répondantes.....	61
Figure 95 - Moment d'apparition le plus fréquent de la maladie (question 13).....	62
Figure 96 - Origine de la / des maladie(s) (question 15).....	62
Figure 97 - Nombre de malades membres de l'association (question 28).....	63
Figure 98 - Nombre d'heures de bénévolat réalisé en 2019 par l'association (question 37) .	64
Figure 99 - Montant des ressources financières annuelles des associations en euros (hors contributions volontaires) (question 39).....	64
Figure 100 - Nature des ressources de l'association en % (question 41).....	65
Figure 101 - Répartition des postes de dépense en % (question 48).....	65
Figure 102 - Audience annuelle des sites internet des associations (question 56).....	66
Figure 103 - Format du journal de l'association (question 64).....	66
Figure 104 - Nombre de membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 72).....	66
Figure 105 - Formations suivies par les membres de l'association impliqués dans les actions d'accompagnement (question 73).....	67
Figure 106 - Nombre de malades ayant bénéficié des accompagnements de l'association (question 74).....	67
Figure 107 - Nombre de centre(s) de maladies rares concernant l'association (question 79)	68
Figure 108 - Composition du conseil scientifique (question 94) .....	69
Figure 109 - Activités scientifiques dans lesquelles les associations ont été impliquées en 2019 (question 99) .....	70
Figure 110 - Champs disciplinaires concernés par les activités de recherche (question 100) .....	70
Figure 111 - budget total alloué par l'association attribué à la recherche en 2019 (en euros) (question 103).....	70
Figure 112 - Degré de mobilisation de l'association dans des actions de représentation et de défense des malades (question 104).....	72



## Alliance maladies rares

Collectif de plus de 230 associations de personnes concernées par les maladies rares, créé en 2000, l'Alliance maladies rares contribue à garantir aux personnes malades une meilleure qualité de vie et une participation citoyenne dans une société inclusive.

Plateforme Maladies Rares  
[alliance-maladies-rares.org](http://alliance-maladies-rares.org)

96 rue Didot 75014 Paris  
T. 01 56 53 53 40 | F. 01 56 53 53 44

Association reconnue d'utilité publique  
SIRET : 432 502 839 000 33 | APE : 9499Z

 @AllianceMR

 [linkedin.com/company/alliance-maladies-rares](https://www.linkedin.com/company/alliance-maladies-rares)

 @AllianceMaladiesRares

**Alliance  
maladies rares**  
UNIS POUR VAINCRE



L'Alliance maladies rares bénéficie du soutien déterminant de



et de

