

## QUESTIONNAIRE D'ORIENTATION DE VML POUR LA PÉRIODE 2020-2025

Avant de débuter, quelques informations vous concernant. Vous êtes :

(Mettre une X dans la case correspondante à votre situation)

Parent d'un enfant malade

Conjoint d'un adulte malade

Parent d'un enfant/adulte malade  
décédé

Conjoint d'un adulte malade  
décédé

Parent d'un adulte malade

Autre cercle familial

Adulte malade

Sympathisant/bénévole/Aidant  
(non familial)

**! CONSEIL AVANT DE REMPLIR LE DOCUMENT : PARCOUREZ-LE AU PRÉALABLE ET PRENEZ VOTRE TEMPS !**

La mission de VML s'articule historiquement et juridiquement autour de trois axes :

- **LE SOUTIEN** : aider, soulager et accompagner les malades et leur famille
- **LA RECHERCHE** : Faire progresser la recherche pour comprendre et guérir
- **LA SENSIBILISATION** : des professionnels de la santé (médicaux et médico-sociaux), du grand public et des Pouvoirs Publics

**1-Selon vous, ces 3 axes constituent-ils toujours les enjeux principaux de la mission de VML ?**

(Mettre une X dans la case de votre choix)

OUI

NON

Si **NON**

**11** – Quelle(s) autre(s) orientation(s) serai(en)t à prendre ?

**12** - Est-ce que l'un des 3 axes historiques ne se justifierait plus ? Lequel ?

**2-Le dernier projet associatif (2014-2019) s'appuyait sur la recherche d'équilibre entre les 3 axes. Quelles seraient les priorités d'action et d'investissement pour chacun sur les 5 ans à venir ?**

*1-top priorité*

*2-priorité égale à celle d'aujourd'hui*

*3-priorité secondaire*

Soutien

Recherche

Sensibilisation

(Si nouvelle orientation proposée en **11**-)

La poursuite de ce questionnaire devra s'effectuer en cohérence avec vos réponses aux questions 1 et 2.

L'objectif premier de cette consultation est de dégager les grandes orientations, les nouvelles attentes auxquelles VML devraient répondre. Certaines interrogations sont donc volontairement limitées dans leur portée, leur demande de précision ou de détail. Le travail de réflexion sur la déclinaison en actions concrètes, sur de possibles transformations des modes d'action actuelle de l'association débutera après l'analyse des résultats de ce questionnaire. A partir de courant septembre, d'autres formes de consultation vous seront proposées.

Si, néanmoins vous jugez important de reporter dès à présent des suggestions en dehors du cadre de ce questionnaire, vous pouvez les joindre sur papier libre.

#### A - RECHERCHE SCIENTIFIQUE ET MEDICALE

Cadre :

*-Pour plusieurs pathologies, le nombre de projets de recherche aux portes de l'essai clinique sur l'être humain ne cesse de se multiplier.*

*-Certaines maladies lysosomales souffrent toujours d'un déficit majeur en recherche fondamentale (compréhension des mécanismes de la maladie), bloquant de fait toute possibilité de progrès thérapeutique.*

**A1** – Le financement de la recherche s'effectue prioritairement (et majoritairement) par lancement annuel d'un appel d'offres à projets. Seriez-vous favorable au maintien de cette politique ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

>Si **NON**

**A12** – Pensez-vous alors que VML doit réfléchir à d'autres modes de soutien et d'intervention plus efficaces ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

**A2**- En matière de financement de la recherche, l'association sélectionne les projets selon des critères de pertinence de l'objectif poursuivi, de validation de la méthodologie employée, des compétences reconnues de l'équipe porteuse du projet et d'adéquation du budget aux besoins exprimés. Le champ de consultation s'étend de la recherche fondamentale à la validation en préclinique de potentiels traitements. Cette grille d'évaluation doit-elle être maintenue ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

>Si **NON**

**A21** - Sur quel(s) critère(s) l'association devrait s'appuyer pour sélectionner des projets de recherche ?  
*(Exemples: maladie sans traitement, type d'atteintes, degré de sévérité de la maladie, nombre d'adhérents par maladie, recherche fondamentale, tests précliniques, type de thérapie (moléculaire, génique ...), nationalité des équipes de recherche...)*

Zone de texte

**A3** – Dans le respect de l'une de ses trois valeurs clés, la solidarité, VML refuse, hors opération d'appel aux dons dédiés, l'enregistrement de chaque don de particulier dans un compte de fonds dédiés à la recherche par pathologie (ou groupe de pathologies). Pensez-vous que cette politique doit-être modifiée ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

>Si **OUI**

**A31** - Seriez-vous d'accord pour le développement de campagnes d'appel de fonds par maladie (ou groupe de maladies) ?

OUI

NON

**A32** - Un don enregistré en fonds dédiés à la recherche sur une maladie (ou groupe de maladies), ne peut être utilisé en partie à une autre fin (sans l'accord écrit du donateur). Sur quel budget de VML faudra-t-il financer les frais de gestion du don dédié (enregistrement, reçu fiscal, communication au donateur, archivage) ?

Autres frais d'action scientifique et médical (participation aux congrès, réalisation de livrets, diffusion d'informations, participation aux études externes...)

Action de soutien et d'accompagnement individuel (aide financière, assistance sociale, accompagnement aux CMD...)

Action de soutien et d'accompagnement collectif (manifestations de rencontre)

Action de sensibilisation (outils de communication)

Autres (précisez) :

OUI

NON

**A4** - Si l'association disposait des moyens financiers suffisants (*au moins 5 millions €*), serait-il de son rôle de devenir promoteur (organisateur et/ou financeur) d'essais cliniques ?

>Si **OUI**

**A41** - Quelle serait dans ce cas le niveau de priorité de cette action ?

Notez de 1 à 10, avec : de 1 = toutes les autres actions de l'association sont prioritaires à 10 = top priorité avec si besoin abandon d'autres actions.

**A42** - VML devrait-elle alors :

OUI

NON

>veiller à pouvoir percevoir une part des futurs bénéfices sur les traitements commercialisés ?

>continuer à soutenir la recherche de façon désintéressée (sans esprit lucratif) ?

## B - ERRANCE ET FULGURANCE DIAGNOSTIQUE

Cadre :

*-Même si l'errance diagnostique s'est beaucoup réduite en France, de trop nombreux parents souffrent de parcours de détection trop longs et douloureux.*

*-Paradoxalement, la meilleure reconnaissance des maladies lysosomales par les professionnels de santé peut déclencher des diagnostics particulièrement rapides, c'est-à-dire des annonces à des parents très loin de suspecter même une maladie.*

OUI

NON

**B1** - L'engagement pour poursuivre les actions en faveur d'une réduction de l'errance diagnostique relève-t-il toujours des missions de l'association ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

**B2** - L'annonce du diagnostic génère naturellement des besoins d'accompagnement des parents pour s'adapter progressivement à la maladie, de conseils pour partager avec l'environnement familial et professionnel, de rencontres avec d'autres parents et d'informations sur les démarches administratives. Ces besoins doivent-ils être mieux pris en compte par l'association ?

**C - RECONNAISSANCE ET PROTECTION DES AIDANTS (PARENTS)**

Cadre :

*-Réussir à allier suivi de son enfant et vie professionnelle est une épreuve que beaucoup ne peuvent poursuivre longtemps, la faute souvent à un monde professionnel qui manque de bienveillance.*

*-Le retour à l'emploi d'un parent aidant est d'autant plus difficile que la durée sans activité professionnelle a été longue et que ce rôle d'aidant n'est pas reconnu (administrativement).*

**C1** - Quel niveau de priorité VML doit porter aux actions en faveur de la défense des aidants ?

*Notez de 1 à 10, avec de 1 = toutes les autres actions de l'association sont prioritaires à 10 = top priorité avec si besoin abandon d'autres actions.*

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

**C2** - D'autres associations ont investi la problématique de la reconnaissance du statut d'aidant, est-ce que VML doit allouer des ressources pour mener des actions de revendication communes ?

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

**C3** - Le soutien de VML pourrait-il s'étendre à un service d'aide au retour à l'emploi (exemple : aide à la réalisation de CV, entretien de bilan de compétences, financement de formation...) ?

**D – ACCES AUX CENTRES D'ACCUEIL SPECIALISES ET REPIT AUX AIDANTS**

Cadre :

*-L'offre d'accès à des centres d'accueil spécialisés (IME, établissements d'accueil temporaire...) reste fortement limitée et très souvent inadaptée aux spécificités des maladies évolutives et graves. Pour pallier à cette situation, VML recense les établissements ayant une expérience de prise en charge des maladies lysosomales et propose des formations aux équipes d'accueil.*

OUI	NON
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>
<input type="checkbox"/>	<input type="checkbox"/>

**D1** - L'accompagnement de VML pour une meilleure prise en charge doit-il se voir développé de nouvelles initiatives ?

**D2** - Faut-il faire de l'accès aux centres d'accueil une priorité des prochaines années pour VML ?

**D3** - Dans le soutien aux parents et aidants, l'offre de périodes de répit est-elle à proposer par VML ?

>Si OUI

**D31** - Pour quel besoin de répit ?

1 jour   
  1 week-end   
  1 semaine   
  autre (précisez)

**D32** - La meilleure réponse serait :

Le répit en hébergement extérieur

Le répit à domicile (une équipe prend le relais au domicile du malade)

Autre(s) proposition(s) (précisez)

## E - INTEGRATION SOCIALE DES MALADES

Cadre :

*-Grâce à la meilleure prise en charge médicale, à l'accessibilité à des traitements innovants, l'âge moyen des patients pour certaines maladies ne cesse de croître. Pour beaucoup d'entre eux néanmoins, la particularité de la maladie et des handicaps empêchent toute vie sociale et tout accueil en centre spécialisé.*

*-Les établissements d'accueil imposent un certain mode d'existence qui limite les possibilités de vivre une vie agréable sur la base de l'égalité avec les autres. Les personnes handicapées, y compris celles nécessitant beaucoup de soins, n'ont aucun choix de vie en société, encore moins celui du centre de résidence et des personnes avec lesquelles vivre.*

*-La démarche « Une réponse accompagnée pour tous » (RAP), généralisée depuis début 2018, semble très loin de répondre à la promesse d'offrir des solutions d'intégration aux malades, des plus jeunes aux plus âgés.*

OUI

NON

**E1** - Pensez-vous que la question de l'intégration sociale des personnes souffrant d'une maladie lysosomale doit être (mieux) abordée par l'association ?

## F - REPRESENTATIVITE DES MALADES

Cadre :

*-La mise en œuvre des plans maladies rares (I, II et III) a permis de structurer la prise en charge des maladies rares. Ils ont également œuvré à mieux reconnaître la place et l'expertise des malades, que ce soit dans les institutions hospitalières, le développement des filières de santé ou encore dans l'évaluation même des nouveaux traitements médicaux.*

*-La lutte contre les maladies rares ne peut être qu'internationale. Entre associations de patients et filières européennes, les possibilités d'échanges et de travail en collaboration ne cessent de s'accroître et ouvrent de nouvelles perspectives d'actions.*

OUI

NON

**F1** - VML est une association de malades et de parents d'enfant(s) malade(s). Selon vous, VML porte-t-elle bien votre voix ?

>Si **OUI**

**F12** - Pour défendre votre intérêt de malade, de parent d'enfant(s) malade(s), de proche de malade(s), la voix de VML doit s'efforcer de prévaloir sur :

Les laboratoires pharmaceutiques privés

Votre centre de référence

Les autorités de santé

Votre médecin traitant

>Si **NON**

**F13** - Est-il du rôle de votre association de :

Participer à l'amélioration de la politique de prise en charge des maladies rares ?

Participer à l'évaluation (et réévaluation) des traitements ?

Agir pour faire évoluer la réglementation sur le développement des traitements dans les maladies rares ?

OUI	NON

OUI	NON

**F2** - VML dispose de l'agrément national pour la représentation des usagers du système de santé dans les instances hospitalières ou de santé public. Cette disposition vise à permettre aux associations de défendre les droits et porter la parole de l'ensemble des usagers du système de santé. Pensez-vous toujours que l'obtention de cet agrément répond aux missions de VML ?

>Si **OUI**

**F31**- Seriez-vous prêt à postuler (à titre bénévole) dans des instances régionales et/ou nationales ?

OUI	NON

**F3** - La participation aux travaux des filières (françaises et européennes), aux réunions européennes organisées par (ou avec) d'autres associations, ne peut se faire sans l'engagement des adhérents de VML.

**F31** - Cette participation doit être une préoccupation de l'association ?

**F32** - Si oui, faut-il réfléchir à une politique plus favorable, plus incitative à la participation de ses membres ?

OUI	NON

## G - ASSOCIATION ET MOBILISATION

Cadre :

*-Le principe d'une association est de réunir les volontés et les énergies de personnes mues par un même objectif, une même ambition. C'est tout le sens que revêt une adhésion à VML.*

*-Le bénévolat est une valeur toujours plus partagée en France et qu'elle que soit la classe d'âge.*

*-Les compétences des adhérents de VML sont multiples (sociales, commerciales, juridiques, médicales, paramédicales...), mais leur mobilisation toujours plus difficile.*

**G1** - VML appartient à ses adhérents, qu'elle que soit leur lien avec une maladie lysosomale. Chaque membre de l'association est de fait acteur de son projet d'action et responsable de ses résultats. Les efforts de VML pour permettre à chaque nouvel adhérent d'appréhender cette réalité doivent-ils être au centre de sa politique de mobilisation ?

OUI	NON

**G2** - Pour parvenir aux objectifs que fixera le prochain projet associatif, faut-il faire de l'engagement des adhérents une priorité ?

OUI	NON

>Si OUI

**G21**- Pensez-vous que VML donne aux adhérents la capacité à être des acteurs dans la réalisation de ses missions (rôle de représentants, formes de représentation, formation, information, reconnaissance...)?

OUI

NON

**G22** - Pensez-vous que les offres de participation aux opérations de collecte de dons soient suffisamment larges pour susciter des implications bénévoles ?

OUI

NON

**G3**- Le bénévolat peut commencer par l'animation depuis son ordinateur d'actions de collectes sur Internet. Quel serait le degré de priorité d'une politique d'incitation à cette forme d'engagement pour VML ?

Notez de 1 à 10, avec de 1 = aucun intérêt à 10 = top priorité

## H – RARES, MAIS PAS SEULS !

Cadre :

*-La multiplicité des outils de communication sur le net décuple les moyens de collecte et de traitement d'information, d'échanges et de partages d'expériences depuis chez soi.*

*-Les initiatives de VML de rencontres basée sur la proposition de programmes d'informations (scientifiques, médicales, sociales) peinent de plus en plus à trouver un public.*

**H1** - Combattre le sentiment d'isolement que génère l'irruption d'une maladie rare et grave doit-il rester au cœur de la raison d'être de VML ?

OUI

NON

**H2** - La recherche de la convivialité, de moment d'échanges informels autour d'activités ludiques est-il à privilégier dans les objectifs d'une réunion d'adhérents ?

## I – INFORMATION SCIENTIFIQUE ET MEDICALE

Cadre :

*-Les moyens d'accès à l'information sur internet ne cesse de s'élargir. La vitesse de diffusion des informations est toujours plus élevée. Pour autant, la quantité des données disponibles sur les maladies lysosomales, dans le domaine de la recherche, ne se conjugue pas avec qualité.*

*-Mouvement de fonds, le besoin de disposer immédiatement d'une information et/ou d'une réponse personnalisée, adaptée et rapide ne fait que s'accroître dans la population.*

**I1** - Pensez-vous que la diffusion rapide d'informations (objectives, recoupées et validées) de nature scientifique et médicale doit toujours être une priorité d'action pour VML ?

OUI

NON

**I2** - Dans son registre de représentant de personnes concernées par une maladie lysosomale, est-il important d'attendre de VML de:

**I21** - traiter de façon exhaustive et immédiate toute diffusion d'information de nature scientifique ou médicale ?

OUI

NON

**I22** - conserver son aptitude à être un informateur de référence pour la qualité (objectivité, neutralité, pertinence, exactitude) de ses diffusions ?

OUI

NON

**I3** - Pour faciliter les échanges au sein d'une même maladie, ou groupe de maladies, pour collecter et rediffuser de l'information, la fonction de « référent pathologie » a été créée. Pensez-vous que d'autres initiatives doivent être recherchées pour améliorer la collecte et le partage d'informations ?

**MERCI POUR VOTRE PARTICIPATION**