

Liste des besoins médicaux non rencontrés 2023	Indicateur de priorité
Glioblastome nouvellement diagnostiqué	11,40
Sclérose Latérale Amyotrophique	11,34
Maladie aigue du greffon contre l'hôte	11,25
Glioblastome récurrent	10,58
Déficit en sphingomyélinase acide	10,54
Leucodystrophie métachromatique	10,40
Céroïde-lipofuscinose neuronale de type 2 (CLN2)	10,40
Amylose à chaîne légère (AL)	10,14
Myopathie de Duchenne	10,02
Cancer de l'estomac ou de la jonction gastro-œsophagienne HER2-positif, localement avancé, après progression malgré trastuzumab	9,96
Cholestase due à une atrésie biliaire (BA)	9,93
Débridement sélectif et précoce des brûlures profondes chez les enfants	9,86
Carcinome épidermoïde avancé du canal anal, localement avancé ou métastatique, après progression	9,84
Maladie lymphoproliférative prétraitée post-transplantation positive au virus d'Epstein barr (EBV-PTLD)	9,50
Traitement de ≥3 ligne du cancer du sein métastatique HER2-positif (HER2+ mBC) après échec du trastuzumab emtansin (T-DM1)	9,37
Liposarcome différencié avancé	9,35
Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP)	9,28
Cancer du sein avancé (stade IV) HR-positif HER2-négatif avec mutation PIK3CA	9,2
Maladie chronique du greffon contre l'hôte	9,2
Adénocarcinome localement avancé non résécable ou métastatique de l'estomac ou de la jonction gastro-œsophagienne exprimant des marqueurs biologiques pouvant être ciblés	9,15
Carcinome rénal papillaire non résécable, localement avancé ou métastasé MET-déterminé	9,09
Alfa-Mannosidose	9,06
Neurofibromatose type 1 (NF1)	8,94
Lymphome folliculaire (LF) récurrent ou réfractaire (R/R) ayant reçu au moins deux traitements systémiques antérieurs (3L+)	8,83
Paralysie supranucléaire progressive (PSP)	8,8
Cancer Bronchique à Petites Cellules (SCLC)	8,8
Maladie de Huntington	8,78
Maladie du spectre de la neuromyéélite optique (NMOSD)	8,75
Lymphome diffus à grandes cellules B non GCB	8,74
Sclérodermie systémique et maladie pulmonaire interstitielle (fibrose pulmonaire)	8,6
Ostéogenèse imparfaite	8,52
Pneumonie chez des patients intubés et ventilés mécaniquement	8,51
β-thalassémie dépendante des transfusions	8,5
Syndrome d'Alagille (ALGS) avec prurit et/ou cholestase	8,48
Cancer urothélial métastasé de la vessie (1L)	8,37
Cancer du poumon non à petites cellules	8,32
Receveurs de transplantation atteints d'infections à cytomégalovirus (CMV) réfractaires ou résistantes	8,28
Syndrome d'hypercroissance associé à une mutation de PIK3CA (PROS)	8,23
Cancer colorectal métastasé	8,03
Carcinome épidermoïde cutané avancé	8,0
Mastocytose systémique agressive (ASM)	8,0
C3-Glomerulopathie (C3G)	7,83
drépanocytose	7,8
Syndrome carcinoïde insuffisamment contrôlé	7,77
Glomérulosclérose segmentaire et focale	7,73
Déficit en lipase acide lysosomale	7,62
Syndrome de Cushing endogène	7,6

Cancer du sein métastatique (mBC) avec faible expression du récepteur HER2 (HER2-low), après échec d'au moins 1 ligne de chimiothérapie antérieure	7,58
Lupus néphrétique	7,52
Psoriasis pustuleux généralisé (psoriasis pustulosa generalisata)	7,52
Carcinome cellulaire rénal avancé (RCC) L2	7,33
Infections au virus respiratoire syncytial (RSV) chez les enfants	7,28
Myosite sporadique à inclusions (sIBM)	7,22
Myélofibrose	7,18
Syndrome d'hyperchylomicronémie familiale	7,12
Vascularite associée aux auto-anticorps cytoplasmiques anti-neutrophiles (ANCA)	6,98
Purpura thrombotique thrombocytopénique	6,87
Alzheimer	6,78
tumeur à cellules géantes des tissus mous	6,57
Néphropathie à IgA	6,48
Virus respiratoire syncytial	6,45
Œsophagite à éosinophiles	6,43
Traitement d'urgence d'une overdose suspectée ou connue aux opioïdes	6,18
Cholangite biliaire primitive (CBP) avec cholestase insuffisamment contrôlée ou intolérante à l'acide ursodésoxycholique (UDCA)	6,10