

**ASSEMBLÉE NATIONALE**

8 octobre 2018

## RÉPERTOIRE MALADIES RARES OU ORPHELINES - (N° 833)

Commission	
Gouvernement	

Tombé

**AMENDEMENT**

N° 2

présenté par

M. Vatin

-----

**ARTICLE PREMIER**

Avant l'alinéa 1, insérer les trois alinéas suivants :

« I A. – Après l'article L. 114-3-1 du code de l'action sociale et des familles, il est inséré un article L. 114-3-2 ainsi rédigé :

« *Art. L. 114-3-2.* – Une maladie rare est une maladie chronique ou potentiellement mortelle dont la prévalence est inférieure à un cas pour 2000 personnes et qui nécessite un effort particulier pour développer un traitement.

« Une maladie orpheline est une maladie rare ne bénéficiant pas de traitement efficace. »

**EXPOSÉ SOMMAIRE**

Afin de pouvoir donner à ses notions des conséquences juridiques, le présent amendement précise la définition des termes de maladie rare et maladie orpheline.

Il reprend la définition prévue par le programme d'action communautaire relatif aux maladies rares, y compris celles d'origine génétique, pour la période 1999-2003 (Décision n° 1295/1999/CE du Parlement européen et du Conseil du 29 avril 1999 portant adoption d'un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares, dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique 1999-2003). Sur le plan de la prévalence, ce programme définissait une maladie rare comme une maladie ne touchant pas plus de cinq personnes sur 10 000. Le règlement (CE) n° 141/2000 du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins dispose qu'un médicament obtient la désignation de « médicament orphelin » s'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur 10 000 dans la Communauté au moment où la demande est introduite.

Cette définition a été notamment reprise pour l'élaboration de la base Orphanet sur les maladies rares, essentielle à l'amélioration de la visibilité des maladies rares dans les systèmes d'information de santé et de recherche.

À l'occasion de l'examen de la présente proposition de loi par la commission des Affaires sociales, un certain nombre d'observations se sont concentrées sur le fait que le répertoire proposé se fondait sur les pathologies rares et orphelines auxquelles la personne était confrontée, et ses conséquences dans sa vie quotidienne, et non les handicaps et leurs conséquences fonctionnelles pour cette personne.

Par ailleurs, cet amendement codifie les dispositions au sein du chapitre du code de l'action sociale consacré aux personnes handicapées, afin de prendre en compte ces observations exprimées lors de l'examen par la commission des Affaires sociales et d'élargir le champ de la proposition de loi à l'ensemble des handicaps pouvant justifier une adaptation ou une dérogation à une norme générale, au vu des conséquences qu'elle pourrait avoir pour les personnes concernées.