



# ASSEMBLÉE NATIONALE

11ème législature

maladies rares

Question écrite n° 20136

## Texte de la question

Mme Sylvie Andrieux attire l'attention de M. le secrétaire d'Etat à la santé sur la question des « médicaments orphelins ». Il existe six mille maladies « rares » recensées par l'Organisation mondiale de la santé. Les laboratoires pharmaceutiques n'investissent pas dans la recherche sur ces maladies, car, les patients étant peu nombreux, la mise au point d'un médicament ne serait pas rentable. Comment dans notre pays peut-on laisser des gens mourir car la recherche sur la maladie dont ils sont atteints ne représente pas d'intérêt commercial ? Elle lui demande quelles sont les mesures qu'il compte prendre à ce sujet.

## Texte de la réponse

En France, la question de la mise à disposition de médicaments destinés à traiter des maladies rares, a fait l'objet d'une réflexion dès 1994, et la volonté de promouvoir une politique ambitieuse en faveur des personnes atteintes de maladies rares et des médicaments orphelins s'est notamment concrétisée par la création dès 1995 d'une mission des médicaments orphelins placée auprès du ministre de l'emploi et de la solidarité. Cette préoccupation a trouvé un écho à l'échelon européen, et une législation spécifique destinée à inciter l'industrie pharmaceutique à la recherche, au développement et à la commercialisation de médicaments orphelins est en cours d'élaboration. En ce sens, un projet de règlement européen relatif aux médicaments orphelins, transmis récemment au Parlement et au Conseil des ministres définit la notion de médicament orphelin ainsi que celle de maladie rare, précise les critères à retenir pour obtenir le statut de « médicament orphelin » en Europe, et met en place des mesures d'encouragement avec des incitations réglementaires et financières à la recherche, au développement, à la mise sur le marché et à la distribution des « médicaments orphelins ». Notamment, un protocole d'assistance au développement pour les firmes, une diminution des redevances, ainsi qu'une exclusivité commerciale de dix ans pour ces produits, ont été prévus. En complément des dispositions de ce projet de règlement, des mesures sont à l'étude au niveau français pour encourager le développement de ce type de médicament. En 1998 l'Agence du médicament a par exemple lancé un appel d'offres visant à promouvoir des recherches cliniques, notamment sur le thème des médicaments orphelins et indications orphelines. Des projets de recherche en pharmacologie clinique et en thérapeutique seront ainsi partiellement ou intégralement financés par des subventions de l'Agence du médicament. Dans le même sens, l'Agence du médicament reçoit dès à présent les industriels désireux de conseils techniques et réglementaires sur ce sujet. De plus, il convient de rappeler que la France s'est dotée dès 1994 d'une législation qui permet, par l'octroi d'une autorisation temporaire d'utilisation (ATU), la mise à disposition temporaire à titre exceptionnel et à des fins thérapeutiques, de médicaments ne possédant pas d'autorisation de mise sur le marché en France et destinés à traiter des maladies rares ou graves en l'absence de traitement approprié. La délivrance de ces autorisations d'utilisation est complémentaire de la procédure de mise sur le marché et du futur statut européen de médicament orphelin. En effet, des ATU nominatives peuvent être octroyées pour des patients ne pouvant être inclus dans des essais cliniques en cours ultérieurement, lorsque le niveau de connaissance le permet, une ATU de cohorte autorise le traitement d'un plus grand nombre de patients, en attendant l'autorisation de mise sur le marché dudit médicament. Ainsi, en France, il est possible de favoriser l'accès aux médicaments potentiellement

innovants, préalablement à leur mise sur le marché.

## Données clés

**Auteur** : [Mme Sylvie Andrieux](#)

**Circonscription** : Bouches-du-Rhône (7<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste

**Type de question** : Question écrite

**Numéro de la question** : 20136

**Rubrique** : Santé

**Ministère interrogé** : santé

**Ministère attributaire** : santé et action sociale

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le** : 12 octobre 1998, page 5523

**Réponse publiée le** : 8 mars 1999, page 1452