



# ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

maladies rares

Question écrite n° 11630

## Texte de la question

M. Jean-Michel Boucheron attire l'attention de M. le ministre de la santé, de la famille et des personnes handicapées sur les maladies rares. Aujourd'hui, 4 millions de personnes sont concernées par une maladie rare. Ces maladies ne sont pas toutes reconnues par l'administration. Les dépenses entraînées par des soins spécifiques ne sont pas prises en charge. Les malades et leurs familles se retrouvent alors dans des situations de détresse morale et financière insupportables. Il lui demande quelles mesures sont envisagées pour faciliter la reconnaissance et la prise en charge de ces maladies.

## Texte de la réponse

Les maladies rares représentent un important problème de santé publique pour lequel des actions sont en cours concernant l'accès au médicament, l'information et le soutien des personnes atteintes et de leur famille, et la recherche. La loi de financement de la sécurité sociale pour 2001 (art. 48 de la loi) a transposé la directive européenne sur les médicaments orphelins et a prévu des avantages financiers pour les industriels favorisant le développement de ces médicaments. Plusieurs médicaments orphelins ont depuis obtenu leur autorisation de mise sur le marché. Afin de favoriser l'information des professionnels et du public et le soutien des personnes atteintes, le ministère de la santé, de la famille et des personnes handicapées participe au développement de la base de données Orphanet, accessible gratuitement sur Internet et du numéro azur « maladies rares info-service ». Dans le domaine de la recherche, un groupement d'intérêt scientifique (GIS) « Institut des maladies rares » a été créé. Il a pour objectifs de coordonner les recherches existantes, de définir des axes prioritaires de recherches et de susciter l'émergence de nouveaux programmes, de favoriser l'émergence d'une politique européenne et internationale de recherche ainsi que celle d'un réseau de matériel biologique pour les maladies rares. De plus, les maladies rares sont une priorité des programmes hospitaliers de recherche clinique. En ce qui concerne la prise en charge des malades, si toutes les maladies rares ne sont pas classées, en tant que telles, dans la liste des affections de longue durée donnant droit à l'exonération du ticket modérateur (art. D. 322-1 du code de la sécurité sociale), les patients atteints peuvent bénéficier de cette prise en charge sur avis du contrôle médical placé auprès de leur caisse d'affiliation. Des mesures permettant de faciliter cette prise en charge sont actuellement à l'étude.

## Données clés

**Auteur :** [M. Jean-Michel Boucheron](#)

**Circonscription :** Ille-et-Vilaine (1<sup>re</sup> circonscription) - Socialiste

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 11630

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** santé

**Ministère attributaire :** santé

Date(s) clé(s)

**Question publiée le** : 10 février 2003, page 970

**Réponse publiée le** : 10 mars 2003, page 1881