



# ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

maladies rares

Question écrite n° 21169

## Texte de la question

Mme Martine Lignières-Cassou souhaite attirer l'attention de M. le ministre de la santé, de la famille et des personnes handicapées sur la mastocytose systémique, maladie invalidante par les graves crises d'anaphylaxie qu'elle provoque. Qualifiée parfois de maladie rare, la mastocytose systémique menace pourtant près de 10 % de la population selon une étude réalisée aux Etats-Unis par le département d'Etat à la santé qui démontre également la responsabilité de l'amiante dans l'infection. En France, le ministère de la santé promet au déremboursement des médicaments indispensables à la prévention de cette maladie lourde de conséquence pour les bébés et les plus jeunes, ne prévoit pas l'enseignement de la mastocytose systémique au corps médical et les urgentistes ne reçoivent aucune formation spécifique. Cette situation est particulièrement préoccupante puisque, faute d'être prévenu, le corps médical n'est pas à même de détecter puis prendre en charge un patient atteint d'anaphylaxie. Les conséquences peuvent être mortelles. En conséquence, elle lui demande de prendre les dispositions pour mettre en oeuvre une formation spécifique à la mastocytose à l'intention de l'ensemble du corps médical, en particulier des urgentistes, et de maintenir le remboursement des médicaments existants contre cette maladie.

## Texte de la réponse

Les « mastocytoses systémiques » constituent un groupe de maladies rares, caractérisées par une prolifération et une accumulation de mastocytes dans les différents tissus, atteignant, tous types confondus, quelques centaines de personnes en France. L'amiante n'est pas connue comme facteur favorisant l'apparition de ces maladies. Ces pathologies se différencient des « mastocytoses bénignes » (ou urticaire pigmentaire) rencontrées chez l'enfant, se manifestant par une atteinte cutanée et guérissant, généralement spontanément, à l'âge adulte, qui ne sont pas des maladies rares compte tenu de leur prévalence. Les maladies rares et, notamment les mastocytoses systémiques, constituent une priorité de santé publique et font l'objet d'un plan national, inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, annoncé par le ministre de la santé le 20 novembre 2004. Le plan, dont le financement total est de 100 millions d'euros, prévoit d'améliorer la qualité et l'accessibilité du diagnostic et de la prise en charge des maladies rares, d'optimiser la formation, l'information des professionnels de santé, des malades et du grand public, de développer les connaissances sur ces pathologies, notamment sur le plan épidémiologique et de soutenir la recherche médicale. Pour les patients atteints de maladies rares, notamment de mastocytose systémique, des « protocoles de soins » sont en cours d'élaboration, sous l'égide de la haute autorité de santé avec la collaboration de professionnels de santé et d'associations de patients impliqués et permettront de prendre en charge l'ensemble des soins jugés indispensable au traitement. Ce dispositif sera complété par la mise en place de procédures exceptionnelles ou dérogatoires pour les situations particulières de certaines maladies rares. Des mesures sont prévues pour améliorer la formation initiale et continue des professionnels de santé afin de leur permettre de mieux prendre en charge les malades, notamment en situation d'urgence. La base de données « Orphanet » sur les maladies rares, soutenue par le ministère de la santé, permet d'accéder à des informations sur les maladies rares ; une rubrique spécifique consacrée aux recommandations de prise en charge pour des maladies rares pouvant se

compliquer en situation d'urgence est en cours d'élaboration, sous l'égide de la direction générale de la santé et en collaboration avec les professionnels de santé impliqués dans les maladies rares et dans le domaine des urgences.

## Données clés

**Auteur :** [Mme Martine Lignières-Cassou](#)

**Circonscription :** Pyrénées-Atlantiques (1<sup>re</sup> circonscription) - Socialiste

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 21169

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** santé

**Ministère attributaire :** santé et solidarités

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 30 juin 2003, page 5102

**Réponse publiée le :** 5 décembre 2006, page 12787