



# ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 6582

### Texte de la question

Mme Martine Billard attire l'attention de M. le ministre de la santé, de la famille et des personnes handicapées au sujet de la prise en charge des maladies dites orphelines par le système de santé publique. En France, de nombreuses personnes souffrent de maladies dites orphelines, parce qu'elles sont rares, incurables et, très souvent, à caractère génétique. On les appelle aussi orphelines parce qu'aucun traitement efficace n'est proposé pour soulager les malades. Les associations, locales comme nationales, sont rares et ne regroupent que les personnes atteintes de telle ou telle maladie. Rares aussi sont les statistiques et les études approfondies sur ce sujet. Par exemple, la maladie d'Albers-Schonberg ou ostéopétrose (maladie de l'os de pierre) est génétique et transmissible par les femmes. Elle nécessite des traitements lourds et réguliers et des opérations fréquentes (radiologies chez un rhumatologue, visites deux fois par mois chez le généraliste pour traitement des conséquences annexes de la maladie comme les problèmes de tension, de cardiologie, de circulation sanguine, ORL et ophtalmologistes) qui grèvent lourdement le budget de personnes à revenus modestes. Ce ne sont pas les médicaments génériques qui aideront à soulager ces maladies orphelines. Elle lui demande quel statut compte-t-il donner aux maladies orphelines dans son action gouvernementale, ainsi qu'aux personnes en souffrant. Peut-on envisager un statut de droit de travailleur handicapé renouvelable automatiquement ? Comment peut-il intervenir pour simplifier les démarches administratives très complexes des malades ? Par ailleurs, il serait également souhaitable qu'une plus grande transparence soit faite, en dehors des déclarations de leurs promoteurs, sur les comptes des opérations médiatiques de charité en faveur de la lutte contre les maladies génétiques auxquelles s'associent régulièrement les entreprises de l'audiovisuel public. En effet, beaucoup de malades n'ont pas le sentiment d'en profiter matériellement, et ceux souffrant des maladies les plus rares ont le sentiment qu'une hiérarchie de fait s'établit dans l'attention portée aux différentes maladies orphelines. Ne peut-on pas confier à un ou une député(e) un rapport d'information sur ce douloureux sujet, et en tirer les conséquences par un projet de loi adéquat ? Les maladies orphelines ne doivent pas être un sujet tabou en France ; elles doivent être connues du grand public et faire l'objet d'efforts particulier tant dans le soutien aux malades que dans le domaine de la recherche. Elle lui demande, en outre, d'exposer l'ensemble des mesures qu'il compte entreprendre à l'égard des personnes souffrant de maladies orphelines.

### Texte de la réponse

Les malades 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 chargé de la santé 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 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. Par ailleurs, en ce qui concerne la nécessaire transparence de l'utilisation des ressources collectées par les organismes faisant appel à la générosité du public, l'inspection générale des affaires sociales est chargée du contrôle du compte d'emploi de ces organismes. Ce contrôle est décidé en tant que de besoin pour les associations oeuvrant dans le domaine des maladies rares comme pour les autres.

## Données clés

**Auteur :** [Mme Martine Billard](#)

**Circonscription :** Paris (1<sup>re</sup> circonscription) - Députés n'appartenant à aucun groupe

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 6582

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** santé

**Ministère attributaire :** santé

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 11 novembre 2002, page 4158

**Réponse publiée le :** 10 février 2003, page 1092