



# ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 9870

### Texte de la question

M. Jean-Paul Dupré attire l'attention de M. le ministre de la santé, de la famille et des personnes handicapées sur la nécessité de promouvoir une véritable prise en compte des problématiques induites par les pathologies rares. On évalue à quatre millions le nombre de Français affectés par des maladies rares, dites « orphelines ». Or, en la matière, notre système de soins présente un certain nombre de dysfonctionnements : difficulté d'accès aux soins, dépistage souvent tardif, prise en charge financière inadaptée ... Une situation qui, conjuguée à la souffrance engendrée par la maladie, plonge dans le désarroi des millions de patients, mais aussi bien souvent les familles. Ce désarroi est d'autant plus grand que dans le domaine de la recherche ces pathologies sont, la plupart du temps, complètement ignorées. Il paraît donc indispensable de faire évoluer rapidement notre législation pour prendre en compte les problématiques induites par les pathologies rares et de consentir un réel effort pour faire avancer la recherche dans ce domaine. Il lui demande quelles sont les intentions du Gouvernement en la matière.

### 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 (article 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 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 (article 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-Paul Dupré](#)

**Circonscription :** Aude (3<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 9870

**Rubrique** : Santé

**Ministère interrogé** : santé

**Ministère attributaire** : santé

Date(s) clé(s)

**Question publiée le** : 30 décembre 2002, page 5233

**Réponse publiée le** : 24 février 2003, page 1463