



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 13819

### Texte de la question

M. Richard Mallié attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur une maladie orpheline, la cystinurie-lysinurie. Cette maladie rare concerne environ 8 000 personnes en France. Caractérisée par une surproduction démesurée d'un acide aminé, la cystine se cristallise dans les reins. Cette maladie peut mener à une insuffisance rénale grave, nécessitant une mise sous dialyse. Malheureusement, à ce jour, il n'y a aucune recherche réelle dans le traitement de cette maladie. S'il existe pourtant de nombreuses pistes thérapeutiques, celles-ci n'ont toutefois jamais pu être étudiées, faute de financement. Le meilleur moyen pour les patients de retarder la progression de la maladie consiste donc aujourd'hui en un traitement préventif organisé autour de deux éléments : une importante diurèse, et l'alcalisation des urines. Le coût des analyses nécessaires, comme celui du traitement préventif permettant l'alcalisation des urines est toutefois lourd pour les patients. En effet, il s'avère que cette analyse, qui coûte 59 euros, n'est absolument pas prise en charge par la sécurité sociale et ceci malgré le vote, dans le cadre de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2007, de l'article 56 qui prévoyait une prise en charge financière de ces actes. Cette situation est d'autant plus surprenante que les bilans sanguins sont entièrement remboursés. En conséquence, il souhaite connaître la position du Gouvernement à ce sujet afin de ne plus pénaliser de nombreux malades.

### Texte de la réponse

La situation des personnes atteintes de maladies rares et plus précisément de cystinurie-lysinurie est une préoccupation du Gouvernement. Attentive aux difficultés qu'elles peuvent rencontrer, la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative a souhaité améliorer les conditions de prise en charge des traitements et l'accompagnement spécifique de cette pathologie. Au titre des maladies métaboliques héréditaires, la cystinurie-lysinurie fait partie de la liste des trente affections de longue durée mentionnées à l'article D. 322-1 du code de la sécurité ouvrant droit à l'exonération du ticket modérateur pour les soins liés au traitement de cette pathologie, en raison du traitement prolongé et de la thérapeutique particulièrement coûteuse. En outre, la prise en charge de cystinurie-lysinurie devrait bénéficier de la mise en oeuvre de deux plans pluriannuels de santé publique. Ainsi, le plan « Amélioration de la qualité de vie des personnes atteintes de maladies chroniques » (2007-2011), présenté par le ministre de la santé et des solidarités en avril 2007, s'adresse à l'ensemble des malades souffrant de maladies chroniques. S'agissant d'une maladie chronique, la cystinurie-lysinurie pourra ainsi bénéficier de toutes les mesures prévues dans ce plan concernant la recherche, la coordination et la prise en charge des malades et l'insertion sociale. Le coût total du plan représente 726,7 millions d'euros pour la période 2007-2011. Par ailleurs, un « plan national spécifique aux maladies rares » (2005-2008) prévoit une série de mesures concrètes et structurantes pour l'organisation du système de soins qui devraient aussi permettre de répondre aux attentes des malades et de leur entourage. S'agissant de l'article 56 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2007, il faut signaler que le décret d'application en date du 3 mars 2008 a précisé les modalités de mise en oeuvre de ce dispositif de prise en charge à titre dérogatoire, au profit des personnes en affection de longue durée ou atteintes de maladies rares. En application du décret, des arrêtés ministériels s'appuyant sur un avis ou une recommandation de la Haute Autorité de santé

(HAS) relatifs à une catégorie de malades, après consultation de l'AFSSAPS, peuvent permettre la prise en charge dérogatoire pour ces patients des spécialités pharmaceutiques, des produits ou des prestations prescrits en dehors du périmètre des biens et services remboursables. Les bandelettes urinaires ou le papier pH qui permettent de mesurer l'efficacité du traitement préventif d'alcalinisation des urines ne font pas partie à ce jour du périmètre de remboursement de l'assurance maladie, mais ils seraient susceptibles d'être pris en charge dans le cadre du nouveau dispositif dérogatoire, sous réserve de l'avis de la HAS.

## Données clés

**Auteur :** [M. Richard Mallié](#)

**Circonscription :** Bouches-du-Rhône (10<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 13819

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Santé, jeunesse et sports

**Ministère attributaire :** Santé, jeunesse, sports et vie associative

## Date(s) clé(s)

**Date de signalement :** Question signalée au Gouvernement le 22 avril 2008

**Question publiée le :** 25 décembre 2007, page 8158

**Réponse publiée le :** 29 avril 2008, page 3680