



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 17867

### Texte de la question

M. René-Paul Victoria attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur le plan national «maladies rares». Ce «plan national maladies rares 2005-2008», inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, prévoyait un soutien aux associations de patients, afin d'améliorer l'information et l'accompagnement des malades. Compte tenu du nombre important de maladies rares (près de 8 000) et d'associations de patients afférentes, un soutien ministériel était apporté globalement par l'intermédiaire des fédérations d'associations de maladies rares. Dans le cadre de leurs missions, ces fédérations peuvent déposer des demandes de subvention pour être soutenues dans la mise en place d'actions d'information, d'accompagnement des malades ou de conseil et soutien aux associations de patients regroupant un petit nombre de malades. Or, ce plan doit prendre fin en 2008 ; aussi il lui demande quelles mesures pérennes le Gouvernement envisage de mettre en place, afin de permettre à ces fédérations de poursuivre leurs actions reconnues d'utilité publique, et que les 4 millions de malades porteurs de maladies orphelines ne soient pas oubliés.

### Texte de la réponse

La mise en place du plan maladies rares pour la période 2005-2008, dans le cadre de la loi du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique, a constitué une étape importante pour les patients atteints de maladies orphelines et leur famille. Ce plan bénéficie d'un financement des pouvoirs publics à hauteur de 108,5 millions d'euros dont 40 millions d'euros destinés à améliorer l'accès aux soins et 43 millions d'euros pour la recherche. Il a permis d'engager des actions fortes comme la création de plus d'une centaine de centres de référence labellisés, l'élaboration de protocoles nationaux de diagnostic et de soins, l'amélioration de l'information et de la formation des professionnels de santé et des malades grâce à la base de données sur les maladies rares, Orphanet, ou encore le financement de projets de recherche par le biais du groupement d'intérêt scientifique GIS institut des maladies rares. En ce qui concerne l'accès aux médicaments hors autorisation de mise sur le marché et aux produits de santé non remboursables, un décret organisant un dispositif spécifique et dérogatoire de prise en charge par la sécurité sociale devrait être publié dans les toutes prochaines semaines. Il s'agit là d'une avancée majeure pour l'accès aux médicaments et aux produits indispensables à l'amélioration de l'état de santé des patients souffrant de maladies rares. Ce plan, qui s'achèvera en effet à la fin de l'année 2008, est en cours d'évaluation par le Haut Conseil de santé publique afin de recenser les points forts et ceux qui appellent des améliorations. Le comité de suivi du plan doit se réunir au mois de mai prochain et un premier bilan devrait être disponible en septembre 2008. Sur la base de cette évaluation, le Gouvernement engagera, en concertation avec les associations concernées, une réflexion sur les actions futures à mener.

### Données clés

**Auteur :** [M. René-Paul Victoria](#)

**Circonscription :** Réunion (1<sup>re</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question** : 17867

**Rubrique** : Santé

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

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

Date(s) clé(e)s

**Question publiée le** : 26 février 2008, page 1564

**Réponse publiée le** : 25 mars 2008, page 2719