



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 18350

### Texte de la question

M. Richard Mallié attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur le plan national « maladies rares ». Doté d'un budget de dix millions d'euros, ce plan prévoit de soutenir financièrement différents organismes et a permis la mise en réseau dans toute la France de centres de référence, alliant recherche fondamentale et création, pour une meilleure prise en charge des malades. Le traitement des maladies rares, qui concerne près de 4 millions de nos concitoyens sans oublier leurs familles, pour 8 000 pathologies répertoriées, constitue un enjeu majeur de santé publique. Ce plan a constitué pour les malades et leurs proches une étape importante. Inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, il doit s'achever à la fin de 2008. Aussi, il souhaite savoir ce qu'il va advenir de ce plan après 2008, et comment les spécificités des maladies rares pourront être inscrites de façon durable dans notre système de santé et de recherche.

### 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 leurs familles. 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, le décret n° 2008-211 du 3 mars 2008 organisant un dispositif spécifique et dérogatoire de prise en charge par la sécurité sociale a été publié au Journal officiel du 5 mars 2008. 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 prochainement 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. 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 :** 18350

**Rubrique :** Santé

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

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

Date(s) clé(e)s

**Question publiée le** : 4 mars 2008, page 1770

**Réponse publiée le** : 24 juin 2008, page 5453