



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 19243

Texte de la question

M. Lionel Tardy attire l'attention de Mme la ministre de l'enseignement supérieur et de la recherche sur la nécessité de traiter de manière spécifique les projets de recherche concernant les maladies rares. Ces maladies, souvent appelées à juste titre orphelines, nécessitent des recherches scientifiques importantes, qui ne peuvent se faire que par le biais de la recherche publique du fait de leur absence de rentabilité commerciale. Du fait des nouveaux modes d'évaluation des projets de recherche par l'ANR, les projets concernant les maladies rares sont refusés, à moins d'entrer dans le cadre spécifique dédié aux maladies rares. Forcément, nombre de projets pourtant attendus par les familles et les scientifiques concernés sont refusés. Il lui demande ce qu'elle compte mettre en oeuvre pour que davantage de projets portant sur des maladies rares puissent être soutenus.

Texte de la réponse

Les maladies rares et les traitements orphelins constituent un enjeu majeur de santé publique : bien que touchant chacune peu de sujets, ces affections sont nombreuses (plus de 5 000), et affectent de ce fait un grand nombre de citoyens (plus de 4 millions). Les industries du médicament n'investissent pas ou peu dans cette recherche en raison de l'étroitesse des marchés. De ce fait, la recherche sur les maladies rares est une mission de service public. C'est pourquoi un plan « maladies rares » a été lancé en 2005 par le Gouvernement pour financer activement des programmes de recherche ciblés sur les maladies rares. Des actions structurantes ont été mises en place, destinées à favoriser le soin et la recherche sur les maladies rares, en particulier via le GIS maladies rares animé par l'INSERM. Orphanet (www.orpha.net) est un outil d'information et de communication avec les praticiens, les patients et les associations qui s'étend à l'Europe. OrphanXchange permet de mettre en contact des chercheurs travaillant sur de nouveaux traitements avec des chercheurs, ou des partenaires industriels, assurant le développement clinique. Le GIS a aussi mis sur pied un registre de patients volontaires pour participer à des essais cliniques sur les maladies rares. Un comité des registres des maladies rares a été créé afin de mieux connaître l'histoire naturelle de ces maladies, et des centres de référence ont été établis dans les hôpitaux pour regrouper les compétences et assurer un diagnostic et un suivi thérapeutique optimal. Ce plan « maladies rares » arrive au terme de son premier exercice de quatre ans, et nous dressons actuellement son bilan afin de le renforcer et de l'amplifier de façon appropriée pour les quatre années à venir. D'autres programmes de financement public et privé existent au niveau national : 1° Depuis 2006, les maladies rares figurent explicitement parmi les thèmes de recherche de l'appel d'offres de recherche clinique du ministère de la santé (PHRC, programme hospitalier de recherche clinique) ; 2° De même, l'Agence nationale de la recherche (ANR) lance, depuis 2006, un appel à projets de recherche sur le mécanisme des maladies rares, le programme pluriannuel de recherche sur les maladies rares. Il se poursuit cette année par le programme « du gène à la pathologie » (GENOPAT), nouveauté par rapport à la situation antérieure. Ce programme de l'ANR possède une extension européenne, E-RARE, qui permet de financer des projets de recherche multinationaux sur les maladies rares ; 3° Enfin, le rôle de l'association française contre les myopathies dans le domaine de la recherche sur les maladies rares est exceptionnel, puisque environ 70 MEUR par an, issus du Téléthon, vont vers la recherche sur les maladies rares et en particulier sur les biothérapies. La France s'est également

mobilisée, avec succès, pour obtenir que le thème « maladies rares » soit fortement représenté dans le programme de financement de la recherche européenne par la priorité santé du 7^e programme cadre de recherche et développement (PCRD). De plus, l'Agence européenne du médicament (EMA) a mis récemment en place une procédure adaptée pour l'autorisation de mise sur le marché de médicaments ciblant les maladies rares, au travers de son comité pour les médicaments orphelins. Enfin, le pôle de compétitivité Orphème, basé à Montpellier et à Marseille, regroupe des centres de recherche publics et des entreprises de biotechnologie et de pharmacie spécialisés dans les maladies rares et les médicaments orphelins. C'est donc ce faisceau de nouveaux instruments de la politique de recherche biomédicale qui va permettre de promouvoir une recherche de plus en plus efficace, en prise sur les besoins des malades et de leur famille. Il correspond à de nouveaux programmes, et la France est montrée en exemple en Europe dans sa politique de soutien aux maladies rares. Cependant, il n'est pas possible de financer la totalité des projets soumis, et le standard international en la matière consiste à effectuer une évaluation compétitive sur la base de l'excellence scientifique. S'il appartient au ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche et au ministère de la santé de déterminer les grandes lignes de priorité en matière de recherche biomédicale (le plan maladies rares ou le plan Alzheimer en sont l'illustration) et de fixer les enveloppes qui leur seront allouées, il n'est pas souhaitable d'interférer avec les choix scientifiques. L'Agence nationale de la recherche est indépendante et dotée de conseils scientifiques qui ont pour mission d'évaluer et de classer les projets qui lui sont soumis, et il n'est donc pas possible pour le pouvoir politique d'orienter les financements vers une maladie rare plutôt qu'une autre, chacune générant des souffrances et des espoirs de la part des patients, des familles et des chercheurs. En revanche, les services du ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche, en l'occurrence le département santé de la direction générale de la recherche et de l'innovation, se tiennent à la disposition des communautés de chercheurs, des patients et des familles, afin d'évoquer avec eux la stratégie en matière de programmes scientifiques, de collaborations, et de soumission de projets de recherche aux appels d'offres nationaux et européens.

Données clés

Auteur : [M. Lionel Tardy](#)

Circonscription : Haute-Savoie (2^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 19243

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Enseignement supérieur et recherche

Ministère attributaire : Enseignement supérieur et recherche

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 18 mars 2008, page 2209

Réponse publiée le : 27 mai 2008, page 4491