



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 19629

Texte de la question

M. Philippe Tourtelier attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur l'inquiétude de nombreuses personnes et d'associations de malades concernant la fin du plan maladies rares. Pour 4 millions de malades en France, souffrant d'une ou plusieurs des 8 000 maladies orphelines répertoriées à ce jour, la mise en place de ce plan pour la période 2005-2008 était une étape importante. Perfectible, il était novateur et a permis à des millions de personnes de sortir de l'invisibilité et d'avancer sur le chemin de l'espoir. Ce plan arrive cependant à terme au 31 décembre prochain, et les interrogations sont grandes pour des milliers de familles frappées douloureusement par ces maladies. La fin annoncée du plan fait courir à nombre de malades des risques considérables alors que certaines dispositions n'ont pas encore été lancées. Selon la Fédération des maladies orphelines (FMO), pour les patients, c'est toujours le même parcours du combattant : des pathologies difficiles à diagnostiquer, une prise en charge compliquée. L'information et la formation des médecins restent insuffisantes, et il y a encore beaucoup d'errance diagnostique. Les professionnels de santé doivent réellement être formés au dépistage. La FMO souligne l'importance de la poursuite de l'engagement financier spécifique de l'État dans la recherche sur les maladies orphelines. D'autre part, la FMO souhaite la fin de l'arbitraire dans les décisions de prise en charge des soins, ainsi qu'une amélioration de l'accès aux prestations sociales existantes pour les malades et leurs proches. Interrogée à l'occasion de la journée européenne des maladies orphelines, la présidente de la FMO a regretté un accès plus difficile aux médicaments et à certains remboursements. L'accès s'est durci pour le remboursement de médicaments hors autorisation de mise sur le marché (AMM) spécifique pour une maladie. L'industrie pharmaceutique ne serait pas intéressée pour demander ces AMM qui lui coûtent cher, même si des molécules peuvent être scientifiquement très efficaces. Cette situation devrait être examinée rapidement. La mise en oeuvre d'un plan d'amélioration pour poursuivre et renforcer la prise en charge de ces maladies est également urgente, sans attendre le mois de septembre prochain, date annoncée de l'évaluation du plan en cours. Il souhaite enfin savoir si, d'ores et déjà, elle peut s'engager dans la mise en place de moyens financiers conséquents, dans l'éventualité d'un nouveau plan.

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, 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 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. Philippe Tourtelier](#)

Circonscription : Ille-et-Vilaine (2^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 19629

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé, jeunesse, sports et vie associative

Ministère attributaire : Santé, jeunesse, sports et vie associative

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 25 mars 2008, page 2537

Réponse publiée le : 29 avril 2008, page 3687