



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 22524

Texte de la question

M. Jean-Pierre Kucheida attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur le devenir du plan maladies rares. Mis en place en 2005 pour une période de 4 ans, il s'achèvera au 31 décembre de cette année 2008 sans qu'aucune solution de remplacement, de prolongation ou d'amélioration de ce dispositif n'ait, pour l'heure, été évoquée. La France compte plus de 4 millions de malades souffrant d'une ou de plusieurs des 8 000 maladies orphelines répertoriées. Tous sont inquiets de la disparition annoncée du plan maladies rares. Leurs inquiétudes traduisent, au-delà de leur propre souffrance, celle de tous les patients qui vivent aujourd'hui encore pendant des années sans connaître le nom de leur mal. L'errance diagnostique est l'un des enjeux majeurs dans la lutte contre les maladies orphelines. Elle a pour corollaire l'insuffisance, l'inexistence ou l'inadaptation des traitements destinés à soulager des maladies mal connues pour certaines, à peine décelées pour d'autres ou à découvrir. La mise en oeuvre du plan maladies rares est une étape importante dans la vie de ces patients. Il leur permet de sortir de l'invisibilité et de ne plus se voir opposer le désarroi et l'impuissance des médecins démunis face à des pathologies dramatiques et invalidantes. La disparition annoncée de ce plan conduirait à long terme à une catastrophe sanitaire et sociale d'autant que le nombre des maladies orphelines est probablement sous-estimé. En conséquence, il lui demande de prolonger le plan maladies rares et de lui préciser les moyens qui seront affectés à ce dispositif afin de renforcer la prise en charge des patients atteints de maladies orphelines.

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 pour leurs familles. Ce plan bénéficie d'un financement des pouvoirs publics à hauteur de 108,5 millions d'euros, dont 40 millions destinés à améliorer l'accès aux soins et 43 millions 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. Cette année 2008 est celle de l'évaluation du plan national maladies rares, évaluation que la loi a confiée au Haut Conseil de santé publique. La ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative a d'ores et déjà précisé, dans son discours devant le comité de suivi du plan national maladies rares du 14 mai 2008, que « l'effort engagé par la France dans le cadre du plan national maladies rares sera poursuivi au-delà de 2008, afin, d'abord, de consolider nos acquis ». Cette évaluation et la poursuite annoncée de ce plan conduiront nécessairement à préciser les modalités d'adaptation

du dispositif mis en place, et notamment son adaptation en réponse à la découverte de nouvelles maladies rares.

Données clés

Auteur : [M. Jean-Pierre Kucheida](#)

Circonscription : Pas-de-Calais (12^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 22524

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 : 6 mai 2008, page 3766

Réponse publiée le : 1er juillet 2008, page 5743