



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 22533

Texte de la question

M. Dominique Perben attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur les attentes des personnes souffrant de sclérodermie. La sclérodermie est une maladie orpheline qui touche environ 5 000 personnes en France. Aujourd'hui aucun traitement ne permet de guérir cette maladie ; les traitements existants visent seulement à soulager les symptômes. Les personnes souffrant de sclérodermie, ainsi que leurs familles, placent tous leurs espoirs dans la recherche médicale pour une meilleure connaissance de cette maladie et une meilleure prise en charge des malades. Par conséquent, il aimerait savoir quels moyens sont susceptibles d'être mis en oeuvre pour promouvoir la recherche dans ce domaine.

Texte de la réponse

La sclérodermie est une maladie rare affectant environ 5 000 personnes adultes ou enfants. À ce titre, cette pathologie est concernée par le plan national « maladies rares 2005-2008 », inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004 qui s'est donné pour objectif d'améliorer la formation, l'information des professionnels de santé, des malades et du grand public, de développer les connaissances sur les pathologies rares, notamment sur le plan épidémiologique, de soutenir la recherche médicale, en particulier, dans le domaine de l'innovation thérapeutique. Afin d'améliorer la qualité et l'accessibilité du diagnostic et de la prise en charge des maladies rares, 132 centres de référence hospitalo-universitaires ont été « labellisés » afin de couvrir l'ensemble du champ des maladies rares. Deux centres de référence ont été labellisés dans le domaine de la sclérodermie. Il entre dans les missions de ces centres d'animer des projets de recherche clinique et thérapeutique, de définir les recommandations de bonnes pratiques et d'organiser la filière de prise en charge, en lien avec les professionnels de santé de proximité et les associations de patients. Un effort particulier a été fait par les pouvoirs publics afin de promouvoir la recherche médicale sur les maladies rares. Un appel à projets de recherche a été lancé par le GIS-Institut des maladies rares, en lien avec l'Agence nationale pour la recherche (ANR) et avec le soutien du ministère chargé de la santé. Financé par les pouvoirs publics à hauteur de 5 millions d'euros en 2005 et plus de 8,5 millions d'euros en 2006 et 2007, cet appel d'offres a permis de soutenir des projets de recherche dans le domaine de la recherche fondamentale, de la recherche clinique et thérapeutique. Le programme hospitalier de recherche clinique (PHRC), mis en place par le ministère chargé de la santé, a permis, en 2005, 2006 et 2007 de soutenir des projets de recherche clinique sur les maladies rares avec un budget de plus de 5 millions d'euros par an. Dans le domaine de la recherche sur la sclérodermie, 24 projets de recherche sont actuellement en cours et concernent la génétique, la physiopathologie et la clinique de l'affection, la thérapeutique, notamment, plusieurs projets de biothérapies et d'autogreffes ainsi que d'évaluation de l'impact de la rééducation fonctionnelle. De nombreux médicaments orphelins ont obtenu une autorisation de mise sur le marché ou sont actuellement en cours de désignation ou d'expérimentation. La sclérodermie est une maladie prise en charge à 100 % au titre des affections de longue durée. En lien avec les centres de référence, les maisons départementales des personnes handicapées élaborent, en concertation avec chaque malade et son entourage, un plan de compensation personnalisé afin de mettre en place les aides adaptées à chaque situation dès que l'état de santé du patient le nécessite.

Données clés

Auteur : [M. Dominique Perben](#)

Circonscription : Rhône (4^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 22533

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 3767

Réponse publiée le : 9 septembre 2008, page 7855