



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 13ème législature

### maladies rares

Question écrite n° 24428

#### Texte de la question

M. Jean-Paul Bacquet attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur la maladie de Lesch-Nyan. Le programme de recherche sur cette maladie neurologique, qui touche 69 familles en France, n'est pas pris en compte par l'Agence nationale de la recherche (ANR). Trois projets ont été déposés par le directeur du programme de recherches auprès de l'ANR, en 2005, 2006 et 2007, mais sans résultat, et ce, malgré l'adéquation à l'axe thématique de l'appel à projet de l'ANR ciblé « maladies rares ». L'intéressé a, à nouveau, répondu en mars 2008 aux appels à projets de l'ANR sur le Génopat et sur les maladies neurologiques et maladies psychiatriques. Un autre projet sera déposé, pour la deuxième fois, après un premier refus en 2007, au niveau européen : le deuxième appel à projet transnational sur les maladies rares (E-Rare) dont l'immense avantage est de réunir les quatre experts européens de la maladie. La situation est donc préoccupante, car les multiples refus découragent les familles. Ces dernières se savent en minorité, avec seulement 72 cas recensés, et ne peuvent accepter de renoncer à la recherche. Il lui demande donc d'indiquer si elle entend favoriser la recherche sur cette maladie rare.

#### Texte de la réponse

Dans le cadre du plan national maladies rares 2005-2008, des mesures en faveur de la recherche sur les maladies rares, dont la maladie de Lesch-Nyan fait partie, ont été mises en place. Le financement de 30 MEUR pendant la durée du plan a concerné la recherche clinique et la recherche fondamentale. Un appel à projets de recherche a été lancé annuellement par le groupe d'intérêt scientifique GIS-institut des maladies rares, en lien avec l'ANR, avec le soutien du ministère chargé de la santé. Financé à hauteur de 5 MEUR en 2005, de 8 MEUR en 2006 et en 2007, cet appel d'offres a permis de soutenir une quarantaine de projets de recherche dans le domaine de la recherche fondamentale, de la recherche clinique et thérapeutique. L'ANR finance également des projets de recherche dans le cadre d'appels annuels à projets de recherche dans les domaines de la physiopathologie des maladies et des neurosciences. Le programme de recherche clinique (PHRC), mis en place par le ministère chargé de la santé, permet de financer chaque année une trentaine de projets de recherche clinique dans les maladies rares, notamment génétiques, avec un budget annuel de 5 MEUR. Cependant, pour être sélectionné, un projet de recherche doit, non seulement correspondre à l'objectif de l'appel d'offres, mais aussi répondre à des critères scientifiques précis. L'ANR met en place, ainsi que le GIS-Institut des maladies rares dans le cadre de l'appel d'offres E-Rares, des procédures scientifiques rigoureuses de sélection des projets de recherche en faisant appel à des comités scientifiques indépendants et à des experts extérieurs évaluateurs. C'est pourquoi, il n'appartient pas à mes services de se prononcer sur la qualité des propositions qui sont soumises à ces institutions. Il faut en outre remarquer que deux projets de recherche existent en France sur la maladie de Lesch-Nyan et concernent les procédures diagnostiques et les mécanismes physiopathologiques. 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 en concertation avec les associations de malades.

## Données clés

**Auteur :** [M. Jean-Paul Bacquet](#)

**Circonscription :** Puy-de-Dôme (4<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 24428

**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 :** 3 juin 2008, page 4617

**Réponse publiée le :** 5 août 2008, page 6827