



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 28139

### Texte de la question

M. Jean-Pierre Dupont appelle l'attention de M. le secrétaire d'État chargé des relations avec le Parlement sur la proposition de loi adoptée le 7 juin dernier par le Parlement des enfants. Ce texte, adopté très largement, vise à garantir pour les personnes atteintes de maladies rares l'accès aux soins, le financement de la recherche médicale et la prise en charge des équipements et des soins spécifiques. En France, ce sont près de 4 millions de malades souffrant d'une ou plusieurs des 8 000 maladies orphelines répertoriées qui attendent un signe fort du Gouvernement, d'autant plus que le « plan maladies rares », qui a constitué pour les malades un immense espoir et une étape décisive du fait de la très forte mobilisation qu'il a suscitée, arrive à son terme le 31 décembre 2008. En conséquence, il lui demande s'il envisage de reprendre cette proposition de loi et de l'inscrire à l'ordre du jour du Parlement, afin de poursuivre l'effort entrepris sur les maladies rares et dans quel délai.

### Texte de la réponse

Le 7 juin 2008 le Parlement des enfants a adopté une proposition de loi visant à garantir, pour les personnes atteintes de maladies rares, l'accès aux soins, le financement de la recherche médicale et la prise en charge des équipements et des soins spécifiques. Cette problématique est très largement prise en compte par la France au niveau national et dans ses initiatives au niveau européen. La France a ainsi été à l'origine du règlement européen (CE) n° 141/2 000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins. Depuis la publication du règlement, 523 produits ont été désignés comme « orphelins » par la Commission européenne et 46 ont bénéficié d'une autorisation de mise sur le marché. Elle a également été à l'origine du règlement (CE) n° 1971/2006 du Parlement européen et du Conseil du 12 décembre 2006 relatif aux médicaments à usage pédiatrique. S'agissant de l'article 1er de la proposition de loi, il convient de signaler au Parlement des enfants que la loi n° 2007-294 du 5 mars 2007 relative à la préparation du système de santé à des menaces sanitaires de grande ampleur a modifié l'article L. 5124-6 du code de la santé publique. L'article précise que la cessation de commercialisation ne peut intervenir avant la fin du délai nécessaire pour mettre en place les solutions alternatives pour couvrir ce besoin et que, lorsque le médicament est utilisé dans une ou des pathologies graves dans lesquelles elle ne disposerait pas d'alternatives disponibles sur le marché français, l'entreprise apporte à l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé sa collaboration à la mise en place de solutions alternatives permettant de couvrir ce besoin et des mesures d'accompagnement nécessaire. Les dispositions législatives ont donc d'ores et déjà été modifiées en 2007. Elles prennent en compte le souci exprimé par le Parlement des enfants à l'article 1er de sa proposition de loi. Afin de rester fidèle aux objectifs du Parlement des enfants et pour renforcer l'engagement solennel de l'État dans ce domaine, une rédaction alternative pourrait être retenue. Elle pourrait souligner que : « l'État affirme sa volonté de contribuer avec les laboratoires à maintenir l'accès des malades aux médicaments utilisés dans le traitement des pathologies rares. ». Il paraît en revanche délicat de renvoyer systématiquement la production à la responsabilité de l'État, au risque du désengagement des laboratoires pharmaceutiques de leurs responsabilités. L'article 2 réaffirme solennellement un engagement constant des Gouvernements successifs en

faveur du développement des médicaments destinés à traiter les pathologies orphelines. Son vote solennel ne pourrait donc que consacrer cet effort. Dans le cadre du plan national maladies rares 2005-2008, inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, des mesures de soutien de la recherche en faveur des maladies rares ont été mises en place à hauteur de 30 millions d'euros et ont concerné la recherche clinique et la recherche fondamentale. Un appel à projets de recherche a été lancé annuellement 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 à hauteur de 5 millions d'euros en 2005, de 8 millions d'euros en 2006 et 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 sur les maladies rares, notamment génétiques, avec un budget annuel de 5 millions d'euros. Dans son discours de clôture du comité de suivi du plan maladies rares du 13 mai 2008, la ministre chargée de la santé a indiqué que « l'effort engagé par la France dans le cadre du plan national maladies rares sera poursuivi au-delà de 2008 pour consolider les acquis du premier plan » et que les crédits sur les maladies rares (recherche et soins) continueraient d'être « sanctuarisés », non seulement « par principe mais aussi parce que la recherche sur les maladies rares sert la recherche sur les maladies fréquentes ». Dans le cadre du comité de suivi du plan, un groupe de travail a réuni des représentants des fédérations d'associations de patients, de l'Association française contre les myopathies, des chercheurs, des professionnels de santé, des représentants de l'INSERM, de l'Agence nationale de la recherche, des industries pharmaceutiques, des ministères chargé de la santé, de la recherche et de l'industrie. Ce groupe de travail a fait le bilan des recherches menées dans le cadre du plan et a élaboré des préconisations pour la recherche sur les maladies rares qui serviront de base de réflexion pour les orientations futures de la recherche au-delà du plan actuel. Les dispositions législatives mentionnées ci-dessus répondent donc aux préoccupations de l'article 2 proposé par le Parlement des enfants. Le vote de cet article ne peut qu'en réaffirmer la portée. En ce qui concerne l'article 3, il convient de souligner que, décidé dans le cadre du plan national maladies rares 2005-2008, le dispositif issu de l'article 56 de la LFSS pour 2007 met en oeuvre l'objectif du Parlement des enfants et constitue un progrès dans la prise en charge des produits de santé (médicaments et dispositifs médicaux) pour les personnes atteintes de maladies rares ou d'une affection de longue durée (ALD). La nouvelle loi permet ainsi une prise en charge dérogatoire par la sécurité sociale, lorsqu'il n'existe pas d'alternative appropriée, de toute spécialité, tout produit ou toute prestation prescrits en dehors du périmètre des biens et services remboursables (c'est-à-dire normalement non pris en charge), pour le traitement de maladies rares et d'affections de longue durée, dès lors que les produits de santé concernés sont indispensables à l'amélioration de l'état de santé du patient ou évitent sa dégradation et sous réserve qu'ils figurent dans un avis ou une recommandation de la Haute Autorité de santé, après consultation de l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé. La prise en charge par l'assurance maladie, dans un cadre juridique désormais stabilisé, est ainsi rendue possible, pour les produits en dehors de leurs indications validées par l'AMM et remboursables par l'assurance maladie. Ainsi, pour des produits anciens dont le brevet est tombé dans le domaine public, certaines indications « hors AMM » concernant un faible nombre de patients peuvent s'avérer pertinentes ; leur utilisation peut être prise en charge même en l'absence d'études spécifiques pour attester de leur sécurité et de leur efficacité dans des indications hors AMM mais uniquement sur la base de leur usage dans ces indications, établi par une longue pratique de prescriptions, afin d'assurer la sécurité des patients. Pour les produits non habituellement remboursables, mais dont l'usage peut cependant s'avérer indispensable pour certaines pathologies (ex : crème solaire pour les « enfants de la Lune » xeroderma pigmentosum). Les spécialités pharmaceutiques, les produits ou prestations concernés éligibles doivent s'intégrer dans un processus de soins de santé et de traitement médical attachés directement aux malades. La prise en charge des produits ne relevant pas d'une logique de soins et de traitement, comme par exemple les produits relatifs à l'aménagement de l'habitat ou du véhicule, est assurée par ailleurs dans le cadre de la politique du handicap et ne relève donc pas de l'assurance maladie. Un décret d'application a été publié au JO du 5 mars 2008. Les services ministériels concernés en lien avec la Haute Autorité de santé (HAS) travaillent à rendre le dispositif opérationnel, afin de publier les premiers arrêtés de prise en charge de ces différentes catégories de produits qui seront signés par les ministres chargés de la santé et de la sécurité sociale. Les dispositions législatives mentionnées ci-dessus répondent donc aux préoccupations de l'article 3 proposé par le

Parlement des enfants et viennent confirmer les objectifs de l'article 1er. En revanche, la rédaction proposée poserait des difficultés de coordination entre les financements relevant de l'assurance maladie et de la politique du handicap. Il est donc proposé de ne pas la retenir, l'objectif poursuivi par le Parlement des enfants étant déjà assuré. L'article 4 vient quant à lui renforcer les engagements déjà énoncés dans le cadre de l'explication des objectifs des articles 1er et 2. Il est évident que les collaborations internationales sont nécessaires pour des pathologies qui touchent peu de patients, afin de partager l'expertise et de développer la recherche. L'origine du règlement européen montre bien que les choses sont déjà en bonne voie en ce domaine et que l'engagement solennel de l'article 4 ne pourrait les renforcer. Le Gouvernement est pleinement mobilisé sur la problématique des maladies rares. Même s'il est toujours souhaitable d'aller plus loin sur ce sujet douloureux, il n'en reste pas moins qu'il est complexe et, étant donné les enjeux qu'il recouvre, il apparaît souhaitable de mener une évaluation précise des nombreuses initiatives en cours avant d'engager toute nouvelle réforme.

## Données clés

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

**Circonscription :** Corrèze (3<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 28139

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Relations avec le Parlement

**Ministère attributaire :** Santé, jeunesse, sports et vie associative

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 22 juillet 2008, page 6314

**Réponse publiée le :** 9 décembre 2008, page 10731