



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 32148

### Texte de la question

Mme Valérie Fourneyron attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur les inquiétudes que suscite l'arrivée à son terme du plan maladies rares au 31 décembre 2008. Mises en place pour la période 2005-2008, les dispositions de ce plan ont marqué une étape importante pour les malades et leurs proches. Les quatre millions de malades souffrant de maladies orphelines ont pu reprendre espoir en voyant la spécificité de leur situation reconnue par les autorités publiques. De nouveaux efforts doivent être portés en ce sens et le Gouvernement s'y est engagé lors du comité de suivi du plan national maladies rares du 14 mai 2008 : « l'effort engagé par la France dans le cadre du plan national maladies rares sera poursuivi au-delà de 2008, afin de consolider nos acquis ». Aussi lui demande-t-elle de bien vouloir préciser concrètement les intentions du Gouvernement concernant ce dispositif.

### Texte de la réponse

Le rapport d'évaluation du plan maladies rares 2005/2008 demandé au Haut Conseil de la santé publique sera disponible fin février 2009. À partir de ce rapport et en collaboration avec les associations regroupant les patients atteints de maladies rares, la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative souhaite que les mesures nouvelles identifiées soient inscrites dans un nouveau plan qui débutera au plus tard en 2010, ainsi que l'a annoncé le Président de la République le 10 octobre 2008. Pour autant, l'année 2009 ne sera pas une année blanche, mais une année de transition et de consolidation au cours de laquelle les financements seront maintenus. C'est également au cours de cette année 2009 que seront évalués les centres de références. La ministre s'est engagée le 13 mai 2008, à l'occasion de la réunion du comité de suivi de ce plan, à ce que l'effort engagé dans le cadre du plan maladies rares soit poursuivi. Ses acquis seront pérennisés, qu'il s'agisse du financement des centres de références, du financement de la recherche ou du financement d'Orphanet. Plus précisément, les 132 centres de références seront financés en 2009 à hauteur de 40 millions d'euros. Le thème « maladies rares » du plan hospitalier de recherche clinique sera financé à hauteur de 2,5 millions d'euros. Les 475 centres de compétences, s'articulant avec les centres de références en réseaux de soins, poursuivront leur activité. Trente médicaments orphelins ont d'ores et déjà reçu une autorisation de mise sur le marché (AMM) et leur financement est assuré dans le cadre de la tarification à l'activité (T2A). En ce qui concerne Orphanet, les moyens de remédier aux problèmes rencontrés pour poursuivre un travail de qualité ont été évoqués au cours d'une réunion à la direction générale de la santé. Il s'agit principalement de la nécessité de diversifier les ressources, de sécuriser les emplois et de clarifier la gouvernance. La direction générale de la santé a rappelé son engagement à poursuivre le soutien financier qu'elle apporte à ce programme précieux dans le domaine des maladies rares. Dans l'attente d'une décision commune sur l'évolution d'Orphanet, plusieurs pistes ayant été évoquées, il a été convenu que la DGS renouvellerait son soutien financier à Orphanet à hauteur de 300 000 euros pour l'année 2009. Les dispositions issues de l'article 56 de la loi de finances de la sécurité sociale pour 2007 sont maintenues : elles permettent ainsi une prise en charge dérogatoire par l'assurance maladie 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. Cette prise en charge, dans un cadre juridique désormais stabilisé, est ainsi possible pour les produits en dehors de leurs indications validées par l'AMM et remboursables par l'assurance maladie ainsi que pour les produits non habituellement remboursables, mais dont l'usage peut s'avérer indispensable pour certaines pathologies, comme par exemple la crème solaire pour les patients atteints de xeroderma pigmentosum. Il s'agit d'une amélioration significative de la prise en charge. De même, les protocoles de diagnostic et de soins sont un acquis et les centres de références en collaboration avec la Haute Autorité de santé poursuivront leurs travaux dans ce domaine. À ce jour 17 protocoles de ce type ont été validés et 20 sont en cours d'élaboration. Les patients atteints de maladies rares peuvent également bénéficier des dispositions du plan « Qualité de vie des patients atteints de maladie chronique ». Ce plan prend notamment en compte les aspects médico-sociaux des maladies chroniques. En ce qui concerne la présidence française de l'Union européenne, le thème des maladies rares constitue un axe important de la priorité : « L'Europe de la santé au service des patients ». Ainsi, les 13-14 octobre une conférence s'est tenue à l'Institut Pasteur de Paris au cours de laquelle les maladies rares ont été abordées (« Améliorer l'accès à un diagnostic et à des soins de qualité l'exemple des maladies rares »). En outre, deux manifestations ayant spécifiquement trait aux maladies rares sont programmées dans le cadre de la présidence française de l'Union européenne. Les 16 et 17 octobre 2008 s'est tenu à l'Assemblée nationale un colloque intitulé « Médicaments orphelins : partenariats au-delà des frontières » et le 18 novembre à Paris, au ministère de la santé, se tiendra un séminaire européen : « Les politiques et plans nationaux sur les maladies rares ».

## Données clés

**Auteur :** [Mme Valérie Fourneyron](#)

**Circonscription :** Seine-Maritime (1<sup>re</sup> circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 32148

**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 :** 7 octobre 2008, page 8541

**Réponse publiée le :** 11 novembre 2008, page 9803