



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 33409

Texte de la question

Mme Annick Le Loch attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur le soutien qu'envisage d'apporter le Gouvernement aux actions jusqu'alors menées dans le cadre du « plan maladies rares » dont la fin est programmée pour le 31 décembre prochain. Mises en place pour la période 2005-2008 suite à la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, les mesures du « plan maladies rares » ont permis aux quatre millions de malades souffrant de maladies orphelines de briser le huis clos de leur invisibilité et de retrouver espoir. Ce plan en dix axes traitant à la fois de la formation des professionnels de santé, de leur information et de celle du grand public, de l'accès au dépistage et au diagnostic, de l'amélioration de la qualité des soins, de la recherche fondamentale et thérapeutique, et enfin des partenariats internationaux et européens, a permis des avancées notables qu'il convient de ne pas annihiler aujourd'hui. Le 14 mai 2008, lors du 3e comité de suivi du plan, il a été annoncé que les centres de référence et de compétences, la recherche, l'information autour des maladies rares, bénéficieront après 2008 « du soutien le plus ferme des services du ministère de la santé et de l'ensemble du Gouvernement » et « qu'il était souhaitable que les crédits destinés à la recherche et aux soins entourant les maladies rares demeurent sanctuarisés ». Les efforts fournis en vue d'une reconnaissance de la spécificité de ces maladies doivent en effet être soutenus, car un désengagement serait gravement préjudiciable aux malades et à leurs proches. Dans cette optique, une mission d'évaluation du « plan maladies rares » a été confiée au haut conseil de la santé publique dont les conclusions, attendues à l'automne 2008, devaient permettre de décider d'un éventuel nouveau plan et de ses modalités d'application. Afin de relayer l'inquiétude des malades et de leurs familles, elle souhaiterait connaître les teneurs de ces conclusions et savoir si elles ont permis l'élaboration d'un plan d'amélioration permettant de poursuivre et de renforcer la prise en charge des maladies orphelines, de créer des passerelles avec les MDPH, d'intensifier l'engagement financier de l'État dans la recherche et d'améliorer l'accès aux prestations sociales existantes pour les malades et leurs proches.

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). Les dispositions issues de l'article 56 de la loi de financement 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 référence 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 médicosociaux des maladies chroniques.

Données clés

Auteur : [Mme Annick Le Loch](#)

Circonscription : Finistère (7^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 33409

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 : 21 octobre 2008, page 8975

Réponse publiée le : 2 décembre 2008, page 10522