



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 33988

Texte de la question

M. Patrick Roy attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur la lutte contre les maladies rares et l'intégration de combat dans les objectifs de la présidence française de l'Union européenne. Le plan maladies rares a été institué en France en 2005. Créé pour une période de 4 ans, son exercice doit expirer au 31 décembre 2008. Ce plan a soulevé un vif espoir parmi les malades. Il a instauré les jalons de la reconnaissance des maladies rares. Il s'est fixé entre autres objectifs l'amélioration du diagnostic et la promotion de la recherche. Actuellement, le ministère de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative dresse le bilan du plan maladies rares. Il a été annoncé que « l'effort en faveur de la lutte contre les maladies rares sera reconduit » ; reste à savoir sous quelle forme, question qui trouvera une réponse dans les conclusions qui seront rendues au mois de septembre sur le bilan d'exercice de ce premier plan. Les associations de malades sont particulièrement inquiètes du devenir du plan maladies rares dont elles redoutent l'appauvrissement. Parallèlement, elles ont assisté à la 1ère journée européenne des maladies rares qui s'est déroulée le 29 février dernier. Elles ont relevé l'engagement de la Présidence de la République sur « la poursuite de l'effort fait par la France dans le cadre du plan national maladies rares mais également le rôle que la France pourrait jouer dans la lutte contre les maladies rares dans le cadre de la présidence française de l'Union européenne ». Cette dernière s'est initiée le 1er juillet dernier. Pour l'heure, il n'a été relevé aucune initiative spécifique à la lutte contre les maladies rares. En conséquence, il lui demande de lui préciser dans quelle mesure la lutte contre les maladies rares pourra figurer au nombre des priorités de la présidence française de l'Union européenne.

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 : [M. Patrick Roy](#)

Circonscription : Nord (19^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 33988

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 : 28 octobre 2008, page 9188

Réponse publiée le : 2 décembre 2008, page 10522