



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 34627

Texte de la question

M. Philippe Tourtelier attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur l'inquiétude persistante et justifiée de nombreuses personnes et d'associations de malades concernant le plan maladies rares qui s'achève dans quelques semaines, le 31 décembre. Les incertitudes demeurent, bien que la fin annoncée de ce plan « 2005-2008 » était forcément prévisible. À sa question écrite n° 19629 du 25 mars 2008, qui signalait cette échéance et l'importance d'un nouveau plan, elle a répondu le 29 avril 2008 : « Ce plan, qui s'achèvera en effet à la fin de l'année 2008, est en cours d'évaluation par le Haut conseil de santé publique afin de recenser les points forts et ceux qui appellent des améliorations. Le comité de suivi du plan doit se réunir au mois de mai prochain et un premier bilan devrait être disponible en septembre 2008 ». Cette réponse laissait espérer une poursuite de ce plan dès 2009, son amélioration et des moyens plus adaptés. Il déplore que cet engagement n'ait pas été tenu, car le bilan annoncé est toujours attendu ! Elle promet, aujourd'hui, qu'un rapport définitif du Haut conseil de la santé publique sera disponible fin février 2009 ; faut-il la croire cette fois ? La confiance de milliers de familles frappées douloureusement par ces affections (les maladies rares ou orphelines affectent environ 4 millions de personnes en France) est entamée. Certes, elle promet que « 2009 ne sera pas une année blanche, mais une année de transition et de consolidation avec des financements maintenus » : tant mieux. Le premier plan maladies rares a en effet permis de réelles avancées, et chacun peut se réjouir que, le 10 octobre dernier, le Président de la République se soit engagé à en faire élaborer un nouveau l'an prochain..., pour une entrée en vigueur au plus tard en 2010. Cette annonce positive n'empêche pas que de nombreux malades expriment leurs craintes, et que les associations dédiées aux maladies rares s'inquiètent sur « l'avenir du financement de la prise en charge de ces affections et de celui du développement de médicaments dits « orphelins », ces traitements spécifiques des maladies dites rares, lorsqu'elles touchent moins d'une personne sur 2 000. Environ 7 000 des ces maladies sont répertoriées, dont 80 % sont d'origine génétique. Si la majorité des associations se félicitent de l'annonce d'un futur plan national et de la promesse de pérennisation des financements prévus, elles attendent une définition rapide du calendrier et de la méthode travail pour définir les nouveaux axes de ce plan, plusieurs mois ayant déjà été perdus. Elles s'inquiètent, en particulier, pour le financement des centres de référence labellisés "maladies rares", et pour l'accès aux médicaments orphelins. De graves menaces pèseraient sur la poursuite de l'accès à ces médicaments, en raison de discours alarmistes sur leur coût pour la société, accusent des représentants de malades. Selon les associations, alors que la France s'honore d'être le pays à l'origine de l'adoption du règlement européen de décembre 1999, action débutée sous la présidence française de l'Union européenne en 1996, alors que la France a mis en place un système de prise en charge précoce des innovations thérapeutiques au bénéfice des malades les plus sévèrement touchés, il serait inconcevable que les 49 médicaments orphelins mis sur le marché depuis 2000 ainsi que ceux qui le seront prochainement, ne soient pas accessibles à tous les malades qui en ont besoin. La présidence française de l'Union européenne offre à notre pays une occasion unique d'impulser une véritable politique européenne des maladies rares. Il espère que tous les efforts seront déployés par notre pays en vue de faire adopter, par le conseil des ministres de la santé du 16 décembre, des recommandations issues de la concertation avec les acteurs associatifs et publics des maladies rares. Par ailleurs, selon la présidente de l'Association française contre les myopathies, les deux-tiers du budget scientifique de l'association étaient dédiés au développement clinique, mais "ces fonds sont très

insuffisants et l'accent majeur du nouveau plan serait à mettre sur ce domaine", estime-t-elle. Enfin, l'accompagnement social des malades et des familles et une meilleure information sur le dispositif spécifique des maladies rares dans l'offre de soins est à consolider. Il la remercie d'accélérer l'action du Gouvernement, en particulier avec des moyens garantis, dans le cadre d'une poursuite du plan maladies rares.

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. Philippe Tourtelier](#)

Circonscription : Ille-et-Vilaine (2^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 34627

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 : 4 novembre 2008, page 9492

Réponse publiée le : 2 décembre 2008, page 10522