



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 37408

### Texte de la question

Mme Martine Aurillac attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur les maladies rares. Le plan maladies rares, mis en place en 2005, s'achèvera le 31 décembre prochain. Grâce à ce dispositif de grande envergure, 132 centres ont ouverts, 75 programmes de recherche sur les maladies orphelines ont été lancés et une banque de données sur les maladies rares, Orphanet, a été mise en place. Ce plan aura ainsi permis à plus de trois millions de patients souffrant d'une des 6 000 maladies orphelines connues - chiffre sans cesse en évolution - de briser le silence et, pour certains d'entre eux, d'entrevoir l'espoir d'un véritable effort de recherche, d'une réelle formation des professionnels à leur prise en charge et à leur suivi, d'une aide concrète et d'une vraie reconnaissance pour les familles qui vivent ce drame au quotidien, l'espoir enfin de pouvoir bénéficier dans un proche avenir de traitements efficaces. Aussi elle lui demande quels crédits elle entend affecter à cette cause afin que ces efforts soient poursuivis pour répondre à l'attente des nombreux malades concernés, comme l'a rappelé le Président de la République, lors d'un symposium à Paris sur l'Europe et les maladies rares, en octobre dernier.

### 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 et des sports 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 médico-sociaux des maladies chroniques.

## Données clés

**Auteur :** [Mme Martine Aurillac](#)

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

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 37408

**Rubrique :** Santé

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

**Ministère attributaire :** Santé et sports

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 9 décembre 2008, page 10633

**Réponse publiée le :** 27 janvier 2009, page 896