



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 44137

Texte de la question

M. Michel Hunault attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur les maladies rares. Un récent rapport révèle qu'elles concerneraient 3 à 4 % des naissances et 6 % de la population. Pour encourager les industriels du médicament à développer des produits pour ces maladies, un statut de médicament orphelin a été créé en 2000. Il lui demande si elle peut faire le bilan de ce statut et de leur efficacité.

Texte de la réponse

Les médicaments orphelins sont des spécialités pharmaceutiques indiquées dans le traitement des maladies dites orphelines, c'est-à-dire des maladies rares pour lesquelles il n'existe pas de réponse thérapeutique. Une maladie est considérée comme rare lorsqu'elle touche un nombre restreint de personnes, le seuil défini au niveau communautaire pour qualifier une maladie de rare étant de moins d'une personne touchée sur 2 000. On dénombre environ 7 000 maladies rares, et de nouvelles sont définies régulièrement. Sont ainsi concernées 3 à 4 millions de personnes en France, et 36 millions au sein de l'Union européenne. La réglementation des médicaments orphelins au niveau européen est issue du règlement communautaire (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999. Celle-ci vise à inciter, notamment par des mesures fiscales, les laboratoires pharmaceutiques à développer des médicaments pour le traitement des maladies graves et rares pour lesquelles il n'existe pas d'alternative thérapeutique ou dans le cas où le médicament présente un bénéfice significatif par rapport aux alternatives commercialisées. Cette politique a permis, entre avril 2000 et mars 2009, la désignation de 609 médicaments orphelins et la délivrance d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) à 57 médicaments orphelins dans des pathologies très diverses. En outre, la Commission européenne a adopté le 11 novembre 2008 une communication intitulée « Les maladies rares : un défi pour l'Europe » et une proposition de recommandation du conseil relative à une action européenne dans le domaine des maladies rares, qui définissent une stratégie communautaire globale destinée à aider les États membres en matière de diagnostic, de traitement et de soins. Au niveau national, l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (AFSSAPS) a créé en 2003 une cellule médicaments orphelins, qui participe notamment au suivi de désignation des médicaments orphelins à l'Agence européenne du médicament (EMA) et à la mise en oeuvre des mesures incitatives en matière de médicaments orphelins. Le plan national maladie rares (http://www.sante.gouv.fr/htm/actu/maladie_rare/plan.pdf), initié en 2005, prévoyait une série d'actions et de mesures dans le but de favoriser le développement de ces médicaments, en particulier son axe n° 7 : « Poursuivre l'effort en faveur des médicaments orphelins ». Après trois ans d'application, des résultats concrets ont été enregistrés. Ainsi, la mise à disposition précoce des médicaments orphelins en France avant leur autorisation a été permise dans 75 % des cas par le biais des autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives ou de cohorte, conformément à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique, offrant la possibilité aux malades concernés de disposer des spécialités pharmaceutiques en moyenne 38 mois avant l'octroi de l'AMM. Par ailleurs, le plan maladies rares prévu pour une durée de trois ans est arrivé à échéance en 2008, et fait l'objet d'une évaluation par le Haut Conseil de la santé publique. Le rapport final d'évaluation a été remis à la ministre de la santé et des sports le 7 mai 2009. Enfin, la mise en oeuvre d'un nouveau plan maladies rares, prévoyant un volet visant à poursuivre la politique menée en matière de médicaments orphelins, a été annoncée le 10 octobre 2008 par le Président de la République, avec un démarrage prévu en 2010 au plus

tard.

Données clés

Auteur : [M. Michel Hunault](#)

Circonscription : Loire-Atlantique (6^e circonscription) - Nouveau Centre

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 44137

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 10 mars 2009, page 2256

Réponse publiée le : 19 janvier 2010, page 640