



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 48284

Texte de la question

M. Jean-Claude Leroy attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur l'élaboration du nouveau plan de lutte contre les maladies rares. Le premier plan national maladies rares, mis en place pour la période 2005-2008, a en effet donné de l'espoir aux quatre millions de personnes atteintes en France d'une des huit mille maladies orphelines. De nouveaux chantiers en matière de recherche ont été ouverts et des progrès importants ont été réalisés dans le domaine de la compréhension des maladies génétiques. Cependant, les personnes touchées par ces maladies rencontrent encore de nombreuses difficultés et des insuffisances demeurent, comme l'ont souligné les associations ainsi que le rapport d'évaluation du Haut Conseil de la santé publique sur le plan maladies rares. Sont notamment déplorés l'errance diagnostique, des difficultés de prise en charge des soins, l'accès restreint aux médicaments et aux produits de santé. Les associations regrettent également le manque de concertation et d'information, préjudiciable pour la réussite du plan, que ce soit pour les malades, les médecins ou les administrations de santé. Il serait donc souhaitable que le nouveau plan, prévu pour 2010, prenne en compte un défaut de pilotage, la nécessité de s'attacher à la vie quotidienne des malades, une information défailante, ainsi qu'un manque de fléchage des dépenses et des actions et l'exclusion de la Fédération des maladies orphelines des financements prévus dans le premier plan. Aussi, il lui demande si elle entend apporter les ajustements nécessaires dans le cadre de la mise en place du nouveau plan national de lutte contre les maladies rares.

Texte de la réponse

Les maladies rares constituent une priorité de santé publique qui a fait l'objet du plan national maladies rares 2005-2008 inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Ce plan comportait dix axes. L'information des patients et des professionnels de santé a été développée, notamment grâce au soutien apporté par la direction générale de la santé (DGS) au service de téléphonie « maladies rares info-services » et à la base de données Orphanet, qui est une structure de l'Institut national de la santé et de la recherche médicale (INSERM). Vingt-cinq cartes de soins et d'urgence ont été réalisées à destination des patients et des professionnels de santé, qui comportent des recommandations pour des maladies susceptibles de poser des problèmes dans le cadre de l'urgence. Le thème des maladies rares a été introduit spécifiquement dans la formation initiale des étudiants en médecine. Les maladies rares ont été inscrites en tant que priorité dans le plan de formation des personnels des hôpitaux en 2006, 2007 et 2008. Le Comité national de labellisation, présidé par le professeur Marc Brodin, a labellisé cent trente-deux centres de référence pour les maladies rares, afin de définir les bonnes pratiques de prise en charge, de promouvoir la recherche et l'information sur ces maladies. Leur liste est disponible à la fois sur le site Internet du ministère chargé de la santé et sur celui d'Orphanet. Cinq cent un centres de compétences ont été désignés fin 2008 pour compléter la structuration du réseau de prise en charge des patients. L'évaluation du premier plan relatif aux maladies rares publiée par le Haut Conseil de la santé publique (HCSP) le 7 mai 2009 montre des résultats très positifs pour quelques-uns des axes les plus importants : accès aux soins, recherche, information des malades et des médecins. Comme l'a annoncé le Président de la République le 10 octobre 2008, un deuxième plan devrait

prendre effet en 2010. Il devra poursuivre les actions entreprises dans le premier plan et développer d'autres aspects moins pris en compte. Sa construction s'appuiera sur le bilan du premier plan et sur l'avis des différents partenaires, notamment la Fédération des maladies orphelines. Celle-ci avait bénéficié d'un financement en 2004 ; sa demande faite en 2005 n'avait pu être prise en compte car elle ne répondait pas au cahier des charges établi par l'Institut national de prévention et d'éducation pour la santé (INPES). L'association n'a pas reformulé de demande de financement depuis.

Données clés

Auteur : [M. Jean-Claude Leroy](#)

Circonscription : Pas-de-Calais (3^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 48284

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 5 mai 2009, page 4169

Réponse publiée le : 25 août 2009, page 8298