



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 49781

Texte de la question

M. Jean-Claude Viollet attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports à la fois sur le bilan du premier plan national maladies rares 2005-2008 et sur la préparation du nouveau plan, qui devrait entrer en vigueur en 2010. En effet, les acteurs concernés, qui se sont fortement mobilisés pour sa réussite, conviennent généralement que le plan qui vient de s'achever a permis d'avancer dans la prise en compte des problématiques rencontrées par les malades et leurs familles, avec des progrès significatifs dans de nombreux domaines, dont l'organisation des soins, l'information ou la recherche. Pour autant, ces mêmes acteurs considèrent que les efforts doivent être poursuivis pour que des progrès soient également réalisés dans d'autres domaines, tels le dépistage et les registres, pour lesquels les actions prévues n'ont été que partiellement mises en oeuvre, et que puissent être pris en compte les nouveaux besoins ou les problématiques apparus après la conception de ce plan, qu'ils soient liés à l'organisation des soins, aux politiques européennes ou au développement des connaissances scientifiques. Ces questions ont été largement évoquées lors de la 4e « rencontre de la plateforme maladies rares » du 10 mars 2009, au cours de laquelle ont été relevés pas moins de neuf thèmes prioritaires : le dépistage et les tests diagnostiques, les médicaments et la coordination de l'évaluation au niveau européen, les systèmes d'information, la recherche, le pilotage du plan, la coordination avec le secteur du handicap, le statut et la pérennisation des dispositifs spécifiques aux maladies rares, le soutien aux associations de malades et la prise en charge financière des soins. Ces préoccupations rejoignent, pour l'essentiel, celles exprimées par la Fédération des maladies orphelines dans sa contribution au bilan du plan national maladies rares en date du 21 janvier 2009, celle-ci s'étonnant, au-delà, d'avoir été exclue des financements prévus dans le cadre du premier plan, et de ne pas avoir été appelée à participer à la gouvernance d'institutions spécialisées telle qu'Orphanet ou le GIS Institut maladies rares. Aussi, il lui demande de quelle façon elle entend répondre à ces remarques et propositions à travers le nouveau plan national maladies rares, afin que les quatre millions de personnes atteintes des 8 000 maladies orphelines répertoriées, et leurs familles trouvent là une réponse appropriée à leurs besoins de prise en charge et d'accompagnement spécifiques, ainsi que de bonnes raisons d'espérer.

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 Viollet](#)

Circonscription : Charente (1^{re} circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 49781

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 19 mai 2009, page 4808

Réponse publiée le : 25 août 2009, page 8298