



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 54657

Texte de la question

Mme Conchita Lacuey appelle l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur la préparation du nouveau plan devant entrer en vigueur en 2010. Bien que les acteurs concernés par ce plan en ait reconnu des résultats positifs dans certains domaines, ceux-ci préconisent tout de même que des efforts doivent être poursuivis dans d'autres secteurs, comme le dépistage et les registres dont les actions prévues n'ont pas encore été mises en oeuvre. Aussi, il conviendrait de prendre en compte de nouveaux besoins ou problématiques qui sont 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. Lors de la 4e « rencontre de la plateforme maladies rares » du 10 mars 2009, les préoccupations concernant le dépistage et les tests-diagnostic, les médicaments et 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 ont été largement évoquées. Ces préoccupations rejoignent également celles exprimées par la Fédération des maladies orphelines qui s'étonnent, par ailleurs, d'avoir été exclue des financements prévus dans le premier plan et de ne pas avoir été invité à participer à la gouvernance d'institutions spécialisées comme l'Orphanet ou le GIS-Institut maladies rares. Aussi, elle lui demande quelles mesures elle envisage de prendre afin que les quatre millions de personnes souffrant de maladies rares trouvent une réponse appropriée à leurs besoins de prise en charge.

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 inscrits dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Ce plan comportait dix axes. L'évaluation du premier plan 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. 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-service » et à la base de données Orphanet, qui est une structure de l'institut national de la santé et de la recherche médicale (INSERM), et aux associations de patients. 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 comité national de labellisation a identifié 131 centres de référence et 501 centres de compétences pour les maladies rares afin de définir les bonnes pratiques de prise en charge, de promouvoir la recherche et l'information sur les maladies. Plus de 137 millions d'euros leur ont été attribués entre 2005 et 2008. Leur liste est disponible à la fois sur le site internet du ministère chargé de la santé et sur celui d'Orphanet. La recherche a bénéficié par ailleurs d'un financement spécifique : 101 projets « maladies rares » ont été soutenus pour un montant de 26 millions d'euros dans le cadre des programmes hospitaliers de recherche clinique (PHRC) 2005-2008. Le comité national des registres - maladies rares, mis en place par arrêté ministériel en 2007 a labellisé en 2008 six registres de maladies rares qui sont financés par l'institut de veille sanitaire (InVS) et l'INSERM. Un

soutien a été apporté aux laboratoires de génétique des centres hospitaliers universitaires (CHU) réalisant des analyses d'une particulière complexité pour le diagnostic des maladies rares sous forme d'appels à projets successifs lancés entre 2005 et 2008, pour un montant total de 16 millions d'euros sur quatre ans. Le ministère chargé de la santé a saisi en 2008 la Haute autorité de santé pour réaliser l'évaluation a priori de l'extension du dépistage néonatal des erreurs innées du métabolisme en population générale. Conformément à l'annonce du président de la République le 10 octobre 2008, un deuxième plan est en cours de finalisation. Il poursuivra les actions entreprises dans le premier plan et développera d'autres aspects moins pris en compte. Sa construction s'appuie sur le bilan du premier plan et sur l'avis des différents partenaires, et 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). Depuis l'association n'a pas reformulé de demande de financement.

Données clés

Auteur : [Mme Conchita Lacuey](#)

Circonscription : Gironde (4^e circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 54657

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 7 juillet 2009, page 6886

Réponse publiée le : 1er juin 2010, page 6141