



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 60205

Texte de la question

M. Alain Cousin attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur l'élaboration du nouveau plan national maladies rares (PNMR). Mis en place pour la période 2005-2008, ce plan a constitué pour les malades et leurs proches une étape importante. Les objectifs annoncés très ambitieux ont marqué un tournant dans la prise en compte des problématiques rencontrées par les malades et leurs familles. Une évaluation de ce dernier a été remise au ministère de la santé et des sports le 7 mai 2009 par le Haut conseil de la santé publique (HCSP). Ce dernier note que l'examen du plan montre des résultats très positifs pour quelques uns de ses axes les plus importants, particulièrement au regard de l'accès aux soins et de la recherche. Cependant, certaines mesures et actions pourraient néanmoins être améliorées. En effet, la Fédération des maladies orphelines (FMO), seule structure reconnue d'utilité publique en charge des maladies rares et orphelines, soulève le fait que le comité de suivi du plan ne s'est réuni que très rarement et que les groupes de travail n'ont concerné que cinq des dix axes du plan. La création des centres de référence maladies rares, qui visent à coupler les activités de prise en charge et de recherche, constitue la mesure phare du plan. Toutefois, ces centres ne sont pas assez reconnus par les malades et les médecins libéraux semblent peu informés du dispositif. En conséquence, il lui demande quelles suites elle entend réserver aux observations de la FMO et de lui faire part des avancées qu'elle compte mettre en oeuvre dans le nouveau PNMR pour renforcer la prise en charge des maladies orphelines.

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 et comportant dix axes. L'évaluation de ce premier plan Maladies rares, publiée par le Haut Conseil de la santé publique (HCSP) le 7 mai 2009, montre des résultats très positifs pour l'accès aux soins et la recherche, mais aussi pour l'information des malades et des médecins. Cette information a été développée notamment grâce au soutien apporté par la direction générale de la santé au service de téléphonie mobile « 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'urgences ont été réalisées à destination des patients et de professionnels de santé, qui comportent les coordonnées des centres de référence et des recommandations pour les maladies susceptibles de poser des problèmes dans le cadre de l'urgence. L'évaluation de l'utilisation de ces cartes est en cours auprès des médecins et des associations de patients. Le comité national de labellisation a labellisé 131 centres de référence et 501 centres de compétence pour les maladies rares, afin de définir les bonnes pratiques de prise en charge, de promouvoir la recherche et l'information sur les maladies. Leur liste est disponible à la fois sur le site du ministère chargé de la santé et sur celui d'Orphanet. 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 et l'Institut national de la santé et de la recherche médicale. 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. Conformément à l'annonce du Président de la République, le 10 octobre 2008, un deuxième plan est en cours de rédaction. Sept axes ont été retenus, en collaboration avec les partenaires publics, institutionnels et associatifs acteurs du premier plan, notamment la Fédération des maladies orphelines. Des groupes de concertation ont été constitués pour chaque axe, qui réfléchissent actuellement à la poursuite des actions entreprises dans le premier plan et au développement de nouveaux axes. Un comité d'orientation de suivi et de labellisation est en cours de création, qui aura pour mission de donner son avis sur le deuxième plan 2010-2014 et de suivre sa réalisation.

Données clés

Auteur : [M. Alain Cousin](#)

Circonscription : Manche (3^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 60205

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Santé et sports

Date(s) clé(e)s

Question publiée le : 6 octobre 2009, page 9392

Réponse publiée le : 16 février 2010, page 1791