



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 8823

Texte de la question

M. François Sauvadet appelle l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur le problème de la dystonie. Plusieurs associations regroupent les personnes atteintes de maladies dites « orphelines », car peu répandues. La dystonie est une de ces maladies et ne peut être soulagée que par l'injection de toxines botuliques dans les muscles incriminés. Or ces toxines ne sont pas remboursées par la sécurité sociale. La seule solution consiste donc dans des hospitalisations dites « de jour », qui sont prises en charge par la sécurité sociale mais s'avèrent plus coûteuses et moins confortables pour le malade. En conséquence, il lui demande les mesures qu'elle entend prendre afin d'accentuer les recherches sur la dystonie et plus largement l'ensemble des maladies orphelines.

Texte de la réponse

La dystonie est un symptôme se caractérisant par la survenue de mouvements anormaux liés à des contractions prolongées et involontaires du corps et entraînant une torsion ou une distorsion du corps ou d'une partie du corps. La dystonie désigne, d'autre part, un groupe de maladies hétérogènes, soit héréditaires, soit secondaires à des pathologies cérébrales identifiées (métabolique, médicamenteux, infectieux, vasculaire, tumoral...). Les atteintes sont soit focales (cervicale, laryngée, blépharospasme, crampe de l'écrivain), soit généralisées (dystrophie généralisée) et de pronostic différent selon leur sensibilité au traitement et leur évolutivité. On estime que plus de 40 000 personnes seraient atteintes de dystonie sous diverses formes. La prise en charge de ces pathologies nécessite, donc, un diagnostic précis, des soins et un suivi adaptés, réalisés par le médecin traitant en lien avec les médecins neurologues. Parmi ces maladies, la dystonie idiopathique familiale et certaines formes de dystonie focales sont des maladies rares qui nécessitent une prise en charge spécifique. Le plan national « maladies rares 2005-2008 », inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004 et annoncé par le ministre de la santé et des solidarités le 20 novembre 2004, s'est donné pour objectif d'améliorer la formation, l'information des professionnels de santé, des malades et du grand public, de développer les connaissances sur les pathologies rares, notamment sur le plan épidémiologique, de soutenir la recherche médicale, en particulier, dans le domaine de l'innovation thérapeutique. Plusieurs centres de référence ont été labellisés dans le domaine des pathologies neurologiques rares, à Paris, à Angers et à Fort-de-France, avec la mission d'animer des projets de recherche clinique et thérapeutique, de définir les recommandations de bonnes pratiques et d'organiser la filière de prise en charge. Un appel à projets de recherche a été lancé par le GIS-Institut des maladies rares, en lien avec l'Agence nationale pour la recherche (ANR) et avec le soutien du ministère de la santé et des solidarités, financé par les pouvoirs publics à hauteur de 5 millions d'euros en 2005 et plus de 8,5 millions d'euros en 2006. Le programme hospitalier de recherche clinique (PHRC), mis en place par le ministère de la santé, a permis, en 2005 et 2006 de soutenir des projets de recherche clinique sur les maladies rares avec un budget de 5 millions d'euros par an. Dans le domaine de la recherche sur la dystonie, onze projets de recherche sont actuellement en cours et concernent la génétique, l'identification, la physiopathologie et la clinique de l'affection, la thérapeutique. En lien avec les centres de référence, les maisons départementales des personnes handicapées élaborent, en concertation avec chaque

malade et son entourage, un plan de compensation personnalisé afin de mettre en place les aides adaptées à chaque situation.

Données clés

Auteur : [M. François Sauvadet](#)

Circonscription : Côte-d'Or (4^e circonscription) - Nouveau Centre

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 8823

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé, jeunesse et sports

Ministère attributaire : Santé, jeunesse et sports

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 30 octobre 2007, page 6673

Réponse publiée le : 11 décembre 2007, page 7877