# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 91987

### Texte de la question

M. Jacques Lamblin appelle l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur a situation des malades atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA), encore appelée maladie de Charcot. En effet, bien qu'identifiée depuis plus de 150 ans et touchant à ce jour plus de 8 000 personnes en France, cette pathologie ne bénéficie d'aucun traitement efficace pour guérir la dégénérescence des neurones et de la moelle épinière qu'elle provoque. Actuellement, un seul médicament a été mis au point pour ralentir quelque peu l'évolution de la paralysie, mais son principe actif ne permet pas d'enrayer l'issue fatale de la maladie due à l'atrophie du diaphragme qui compromet les fonctions respiratoires dans les deux à trois ans suivant le diagnostic. Classée au rang des maladies orphelines, la SLA bénéficie de faibles moyens dédiés à la recherche et issus, pour l'essentiel, des dons de particuliers ou d'associations de malades. Or les besoins sont réels : outre les milliers de malades souffrant de la maladie de Charcot, quatre nouveaux cas sont diagnostiqués chaque jour et l'on déplore deux décès quotidiens. Aussi, il lui demande quelles mesures elle compte prendre pour mettre fin au sentiment d'abandon qu'éprouvent les patients et leurs familles face à la SLA, et notamment si elle envisage de doter la recherche sur les causes et les traitements de cette pathologie en moyens matériels et financiers.

### Texte de la réponse

La sclérose latérale amyotrophique (SLA) ou maladie de Charcot est une maladie dégénérative du système nerveux due à une perte progressive des neurones moteurs, de cause actuellement inconnue, entraînant des troubles moteurs constamment progressifs. Avec environ 6 000 personnes atteintes en France, sa prévalence la classe dans les maladies rares. Dans le cadre du premier « plan national maladies rares 2005-2008, et afin d'améliorer l'information des professionnels de santé, des malades et du grand public, le ministère chargé de la santé a soutenu le développement de la base de données « Orphanet » et de la téléphonie de santé « maladies rares info service », chargées de dispenser des informations sur les maladies rares, les traitements, les lieux de prise en charge, les recherche en cours. Dans le cadre de ce premier plan, un effort particulier avait déjà été fait afin de promouvoir la recherche avec le financement du « Gis institut des maladies rares » et la mise en place d'appels d'offre pour des projets de recherche clinique (PHRC). Actuellement on dénombre 10 projets de recherche en cours en France sur la SLA. Une carte personnelle de soins et d'information pour les patients atteints de SLA a été élaborée en 2007 par la Direction générale de la santé en collaboration avec les professionnels de santé et les associations de patients, afin d'améliorer les soins, notamment, en situation d'urgence. Elle est proposée à tous les malades, depuis le mois d'août 2007, par l'intermédiaire des professionnels de santé spécialistes de la SLA, et peut être visualisée sur le site internet du ministère de la santé. Une quinzaine de centres de référence pour les maladies neuromusculaires rares ont été labellisés, dont trois se consacrent spécifiquement à la sclérose latérale amyotrophique, afin de définir les bonnes pratiques de prise en charge, de promouvoir la recherche et l'information sur la maladie. Leurs coordonnées sont disponibles sur le site d'Orphanet. Sous l'égide de la Haute autorité de santé et en lien avec les associations de patients et les centres de référence, une recommandation professionnelle pour la « prise en charge des personnes atteintes de sclérose latérale amyotrophique » a été établie en 2006 afin d'améliorer la qualité des soins et leur

prise en charge financière. La SLA fait partie des affections de longue durée donnant droit à exonération du ticket modérateur. Le deuxième plan maladies rares 2011-2014, rendu public le 28 février 2011, apporte des moyens supplémentaires aux points forts du premier plan autour de trois axes : amélioration de la qualité de la prise en charge des patients, développement de la recherche et amplification des coopérations européenne et internationale. Il s'attachera notamment à faire progresser la recherche en s'appuyant sur une nouvelle fondation « maladies rares », qui reposera sur la mobilisation de l'ensemble des acteurs publics, industriels et associatifs pour définir des axes stratégiques communs au sein d'une structure de concertation partagée. Enfin, en raison du nombre limité de malades pour chacune des maladies rares et de la rareté de l'expertise elle-même, la France a toujours plaidé pour une approche européenne de cette thématique. Ce deuxième plan s'attachera ainsi à amplifier cette coopération afin de partager l'expertise, les expériences et les ressources disponibles sur les maladies rares.

## Données clés

**Auteur :** M. Jacques Lamblin
**Circonscription :** Meurthe-et-Moselle (4e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire
**Type de question :** Question écrite
**Numéro de la question :** 91987
**Rubrique :** Santé
**Ministère interrogé :** Santé et sports
**Ministère attributaire :** Travail, emploi et santé

## Date(s) clée(s)

**Question publiée le :** 26 octobre 2010, page 11579
**Réponse publiée le :** 18 octobre 2011, page 11177