



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

France Télévisions

Question écrite n° 95604

## Texte de la question

M. Michel Hunault interroge M. le ministre du travail, de l'emploi et de la santé sur la position du Gouvernement après l'édition du téléthon 2010. Il s'agit là d'une initiative qui contribue indéniablement à la recherche des maladies rares et qui mobilise des millions de Français. Au-delà, il lui demande s'il peut, comme cela devrait être son rôle, préciser pour 2011 les budgets consacrés à la recherche et aux programmes pluriannuels susceptibles d'assurer le financement des structures indispensables telles que le généthon, l'Institut de myologie, l'Institut des cellules souches pour le traitement et l'étude des maladies monogénétiques, l'Institut des maladies rares et Genosafe. Il y a un réel danger de voir tout cet édifice menacé si les recettes du téléthon diminuent. Il est donc un impératif de l'État de consacrer des crédits à la recherche et au traitement des maladies rares. Il lui demande de préciser les intentions du Gouvernement à ce sujet.

## Texte de la réponse

L'édition 2010 du téléthon a permis de récolter 84 Meuros et la présidente de l'Association française contre les myopathies (AFM) a salué ce « beau chiffre » qui permet de soutenir plus de 1000 chercheurs, 350 programmes de recherche, 3 laboratoires majeurs, la plate-forme « maladies rares » ainsi que de nombreux essais thérapeutiques. Après le succès du premier plan « maladies rares » (2005-2008) qui a permis, en quatre ans, de créer 131 centres de références maladies rares (CRMR) regroupant des équipes hospitalo-universitaires hautement spécialisées, labellisées et financées à hauteur de 40 Meuros et 501 centres de compétences (CC), le ministère de la santé, en partenariat avec le ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche, a considérablement amélioré l'accès aux soins et la prise en charge des patients, et a placé la France en position de leader européen en matière de recherche sur les maladies rares. Orphanet, portail d'information sur les maladies rares, leader européen de l'information et de la nomenclature, a maintenant une stature internationale largement reconnue, comme le montre le soutien de la Communauté européenne. Le Président de la République a lancé, en concertation avec les associations de patients, un nouveau plan national interministériel 2011-2014 sur les maladies rares, doté de 180 Meuros, avec pour principaux objectifs de renforcer la qualité de la prise en charge des patients, développer la recherche sur les maladies rares, et amplifier la coopération européenne et internationale afin de partager l'expertise, les expériences et les ressources disponibles sur les 7 000 maladies rares recensées. En matière de recherche, il vise plus particulièrement à créer une structure nationale d'impulsion de la recherche, en interface avec l'ensemble des acteurs publics et privés, à promouvoir les outils permettant d'augmenter les connaissances sur les maladies rares et inscrire dans les programmes de l'Agence nationale de la recherche (ANR) un montant minimum dédié à la recherche sur les maladies rares, développer des essais thérapeutiques et favoriser la recherche clinique et thérapeutique transnationale. À cet effet, une fondation « maladies rares », évolution du groupement d'intérêt scientifique « GIS Institut maladies rares » sera abritée au sein d'une fondation de coopération scientifique « Santé ». Elle aura pour objectif principal de structurer et d'harmoniser les différentes actions engagées dans le domaine de la recherche sur les maladies rares et de mobiliser l'ensemble des acteurs (public, industriels, associations). Elle s'adossera plus particulièrement à l'ITMO « génétique génomique et bioinformatique » dont les maladies rares sont dans son

champ de recherche. De plus, la volonté du Président a été de placer la recherche biomédicale au coeur des investissements d'avenir en lançant un ensemble de programmes et d'appels d'offres dont la communauté des chercheurs en maladies rares bénéficie. Tel a été le cas pour : le financement de la cohorte RADICO sur les maladies rares, cohorte financée à hauteur de plus de 10 Meuros (instruments de référence de la recherche en santé publique et base de données essentielles dans ce domaine) ; le financement de l'IHU Imagine « Institut des maladies génétiques » pôle d'excellence au sein de l'hôpital et de l'université centré sur les maladies rares, leurs structures génétiques et leurs conséquences sur la vie des patients, à hauteur de 64 Meuros ; le financement du projet « PGT : consortium préindustriels des vecteurs de thérapie génique » à hauteur de 20 Meuros, projet qui offre une opportunité unique en France et en Europe de renforcer le positionnement international du Genethon et de son nouveau centre Genethon BioProd dédié à la production de vecteurs de thérapie génique pour les essais cliniques de phase I et II pour les maladies rares, accélérant les espoirs de mise en place des premiers traitements de thérapie génique et leurs mises à disposition pour les malades. Par ailleurs, ce plan inscrit dans ses objectifs : une réorganisation du périmètre des centres de référence et des centres de compétence au sein de filières et la création d'une fédération nationale des centres de référence ; une amélioration des dispositifs de prise en charge financière et de remboursement dans le respect de l'équité géographique, en s'attachant à analyser et à améliorer la situation des médicaments ou dispositifs non remboursables dans le cadre des maladies rares ; une promotion de la recherche en sciences sociales et humaines sur les maladies rares, par la création de réseaux de diffusion de l'expertise d'éducation thérapeutique et de formation continue ; la reconnaissance d'une véritable dimension européenne des maladies rares. Il est à noter enfin que l'ANR est le partenaire français du projet européen « E-Rare » qui soutient les appels d'offres transnationaux en ce domaine. Pour les deux derniers appels d'offres (2007 et 2009), sa participation s'est élevée à 3,5 Meuros. Ainsi, l'action publique, conjointement à l'immense élan de solidarité nationale que constitue le téléthon et les nombreuses associations de patients fortement impliqués dans cette lutte, vise à renforcer et soutenir l'ensemble des actions en faveur de la recherche sur les maladies rares, et à contribuer à leurs meilleures prises en compte, comme pour l'ensemble des maladies chroniques.

## Données clés

**Auteur :** [M. Michel Hunault](#)

**Circonscription :** Loire-Atlantique (6<sup>e</sup> circonscription) - Nouveau Centre

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 95604

**Rubrique :** Audiovisuel et communication

**Ministère interrogé :** Travail, emploi et santé

**Ministère attributaire :** Enseignement supérieur et recherche

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 14 décembre 2010, page 13484

**Réponse publiée le :** 13 décembre 2011, page 13083