



ASSEMBLÉE NATIONALE

14ème législature

maladies rares

Question écrite n° 13451

Texte de la question

M. Jean-Luc Bleunven attire l'attention de Mme la ministre des affaires sociales et de la santé sur l'arrêté du ministère du travail, de l'emploi et de la santé en date du 3 mai 2011, portant inscription d'une spécialité pharmaceutique sur la liste prise en application de l'article L. 162-17-2-1 du code de la sécurité sociale et modifiant l'arrêté du 12 août 2010 portant inscription sur ladite liste, de spécialités pharmaceutiques pour les patients atteints de myopathies inflammatoires. Il est en effet interpellé sur un problème de santé majeur auquel sont confrontés les parents ayant un enfant porteur d'une maladie génétique rare ; le syndrome Smith-Magenis. Ce syndrome provoque, entre autres, des troubles du sommeil sévères puisqu'il provoque une inversion de la sécrétion de la mélatonine, « l'hormone du sommeil », générant ainsi chez les personnes atteintes des troubles du développement, un comportement parfois agressif ou destructeur, ou encore des symptômes médicaux tels que des infections ORL ou des malformations cardiaques. Après plus de dix années d'essais cliniques, il a été démontré qu'un traitement améliorerait grandement ces troubles du sommeil et ainsi la qualité de vie de ces personnes handicapées. L'administration de ce traitement, le circadin, chez les personnes atteintes du syndrome Smith-Magenis permet de réguler la sécrétion de mélatonine. Ce traitement, administré dès les trois ans de l'enfant, représente un coût annuel proche des deux mille euros pour les familles. Or l'arrêté du 3 mai 2011 ne prévoit une prise en charge qu'à hauteur de cinq cent euros par an, et ce à partir de l'âge de six ans, ce qui paraît paradoxal, dans la mesure où le syndrome est une maladie génétique. Aussi, il lui demande les mesures que le Gouvernement entend mettre en œuvre afin de rectifier cette situation préjudiciable aux familles concernées.

Texte de la réponse

Le syndrome de Smith Magenis (SMS) est une maladie génétique complexe rare caractérisée par un déficit intellectuel variable, des troubles du sommeil, des anomalies craniofaciales et squelettiques, des troubles du comportement, un retard moteur et un retard du langage. Circadin® dispose d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) dans le traitement, en monothérapie, à court terme de l'insomnie primaire caractérisée par un sommeil de mauvaise qualité, chez des patients de 55 ans ou plus. Il n'est pas remboursable par l'assurance maladie. L'article L. 162-17-2-1 du code de la sécurité sociale prévoit la possibilité, lorsqu'il n'existe pas d'alternative appropriée, d'une prise en charge, à titre dérogatoire par l'assurance maladie obligatoire, de tout produit ou prestation prescrit en dehors du périmètre des biens et services remboursables pour le traitement de maladies rares ou d'affections de longue durée et sous réserve que ceux-ci aient fait l'objet d'un avis de la Haute Autorité de santé (HAS). La procédure de prise en charge dérogatoire s'appuie sur une expertise scientifique rigoureuse menée par la HAS après consultation de l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM), visant notamment à garantir la sécurité des patients. Le médicament peut alors être pris en charge dans la limite d'une base forfaitaire annuelle par patient fixée par décision du ministre chargé de la santé, après avis de l'Union nationale des caisses d'assurance maladie. La HAS a rendu un avis favorable, le 23 juin 2010, pour une prise en charge dérogatoire du Circadin® dans le syndrome de Smith Magenis (SMS). Un arrêté d'inscription du Circadin® a été publié le 3 mai 2011. Le montant du forfait a été calculé en fonction

des prix habituellement pratiqués pour ce produit, prix non administrés, la spécialité n'étant pas remboursable. Il est rappelé par ailleurs que des prestations supplémentaires extra-légales peuvent être attribuées, sur demande et sous conditions de ressources, par les caisses d'assurance maladie au titre du fonds national d'action sanitaire et sociale (FNASS).

Données clés

Auteur : [M. Jean-Luc Bleunven](#)

Circonscription : Finistère (3^e circonscription) - Socialiste, écologiste et républicain

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 13451

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Affaires sociales et santé

Ministère attributaire : Affaires sociales et santé

Date(s) clé(s)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 17 septembre 2013

Question publiée au JO le : [11 décembre 2012](#), page 7272

Réponse publiée au JO le : [15 octobre 2013](#), page 10771