



ASSEMBLÉE NATIONALE

14ème législature

maladies rares

Question écrite n° 19777

Texte de la question

Mme Véronique Besse attire l'attention de Mme la ministre des affaires sociales et de la santé sur les maladies orphelines. Ces maladies sont environ 8 000 dans le monde, toutes spécifiques, et certaines touchent très peu d'individus. Grâce aux associations, quelques-unes sont aujourd'hui plus médiatisées comme la mucoviscidose qui concerne plus de 5 000 personnes en France, mais beaucoup d'autres, comme la rétinite pigmentaire qui touche pourtant près de 40 000 personnes en France et un million et demi dans le monde, restent insuffisamment connues. Au-delà de la souffrance qui en résulte, tant pour le malade que pour sa famille, ces derniers ont le sentiment d'un total abandon tant en ce qui concerne la reconnaissance que la prise en charge de la maladie. En effet, cette méconnaissance des maladies orphelines et de leur évolution aboutit souvent à un vide juridique, par exemple en ce qui concerne les aides aux frais de transports. À ce titre, il semblerait notamment que les aides pour les personnes souffrant d'un taux d'incapacité en deçà de 80 % ne permettent pas de répondre à leurs difficultés quotidiennes. En conséquence, elle lui demande de lui indiquer quelles sont les intentions du Gouvernement à ce sujet.

Texte de la réponse

Une maladie est dite « rare » lorsqu'elle touche moins d'une personne sur 2000. Plus de 7000 pathologies sont aujourd'hui dénombrées, constituant un véritable défi de santé publique. En effet, leur rareté, leur complexité et l'éparpillement de l'expertise rendent difficiles le diagnostic et la prise en charge des patients. La recherche et la mise au point de nouvelles thérapeutiques se heurtent également au faible nombre de malades. Pour faire face à ce défi très spécifique et répondre aux attentes des trois millions de malades atteints d'une maladie rare, le 2ème plan national maladies rares (2011 - 2014) a été prolongé pour deux années supplémentaires, jusqu'à la fin de l'année 2016 : ses actions portent sur l'amélioration de la prise en charge du patient, le développement de la recherche et des coopérations internationales. Les deux plans (2005-2008 et 2011-2014) ont permis des avancées importantes. Le diagnostic, la prise en charge des malades et les soins ont été améliorés, la recherche a été fortement soutenue et mieux organisée. Ces résultats assurent à la France un positionnement exemplaire international, et notamment en Europe. La France dispose de nombreux centres de référence maladies rares (CRMR). Les 133 CRMR incluent les 133 sites coordonnateurs et 247 sites constitutifs, soit 380 sites au total. Il existe par ailleurs des centres spécifiques pour certaines maladies. Un projet d'instruction pour une nouvelle labellisation des CRMR est en cours de rédaction, qui a pour objectif une remise à plat de l'organisation des différentes structures maladies rares. La reconnaissance actualisée des centres de référence pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares facilitera l'orientation des personnes malades et de leurs familles et permettra aux professionnels de proposer un véritable parcours de soins malgré les disparités géographiques pouvant exister (55% des sites coordonnateurs se trouvent en Ile-de-France). S'agissant des transports des patients vers les centres de traitement, il convient de rappeler que lorsque le trajet est inférieur à 150 kilomètres, tout transport médicalement justifié et prescrit par un médecin est pris en charge, sans démarche administrative préalable particulière, cette prise en charge étant intégrale (100% de la dépense) pour les patients reconnus atteints d'une affection de longue durée exonérante et présentant une des incapacités ou

déficiences nécessitant le recours à un transport sanitaire, ou au taux de droit commun (65% de la dépense) pour les patients qui ne sont pas reconnus atteints d'une telle affection. Lorsque ces transports concernent des trajets supérieurs à 150 kilomètres, la prise en charge doit faire l'objet d'un accord préalable de la caisse d'assurance maladie dont dépend le patient, cet accord étant réputé acquis dès lors que la caisse a gardé le silence plus de 15 jours suite à la demande. S'il n'existe qu'un seul centre en France, la prise en charge des transports vers ce centre de référence pour une hospitalisation ou une consultation doit être acceptée par l'assurance maladie quelle que soit sa distance avec le domicile du patient. S'il existe plusieurs centres de référence pour une maladie rare, la règle du centre de référence le plus proche du domicile s'applique, sauf exception médicalement justifiée.

Données clés

Auteur : [Mme Véronique Besse](#)

Circonscription : Vendée (4^e circonscription) - Non inscrit

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 19777

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Affaires sociales et santé

Ministère attributaire : Affaires sociales et santé

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [26 février 2013](#), page 2017

Réponse publiée au JO le : [7 juin 2016](#), page 4985