

ASSEMBLÉE NATIONALE

28 septembre 2018

RÉPERTOIRE MALADIES RARES OU ORPHELINES - (N° 833)

Rejeté

AMENDEMENT

N° AS1

présenté par
M. Vatin, rapporteur

ARTICLE PREMIER

Avant l'alinéa 1, insérer les deux alinéas suivants :

« I. – Une maladie rare est une maladie chronique ou potentiellement mortelle dont la prévalence est inférieure à un cas pour 2000 personnes et qui nécessite un effort particulier pour développer un traitement.

« Une maladie orpheline est une maladie rare ne bénéficiant pas de traitement efficace. »

EXPOSÉ SOMMAIRE

Le présent amendement précise la définition des termes de maladie rare et maladie orpheline, en reprenant la définition prévue par le programme d'action communautaire relatif aux maladies rares, y compris celles d'origine génétique, pour la période 1999-2003 (Décision n° 1295/1999/CE du Parlement européen et du Conseil du 29 avril 1999 portant adoption d'un programme d'action communautaire relatif aux maladies rares, dans le cadre de l'action dans le domaine de la santé publique 1999-2003). Sur le plan de la prévalence, ce programme définissait une maladie rare comme une maladie ne touchant pas plus de cinq personnes sur 10 000. Le règlement (CE) n° 141/2000 du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins dispose qu'un médicament obtient la désignation de « médicament orphelin » s'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur 10 000 dans la Communauté au moment où la demande est introduite.

Cette définition a été notamment reprise pour l'élaboration de la base Orphanet sur les maladies rares, essentielle à l'amélioration de la visibilité des maladies rares dans les systèmes d'information de santé et de recherche.