



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Possibilité de remboursement des médicaments rares

Question écrite n° 15634

Texte de la question

M. Patrice Anato interroge Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la possibilité de rembourser les médicaments utilisés dans d'autres indications que celles autorisées dans le cas particulier des maladies rares. Parmi les maladies les plus connues, on retrouve la mucoviscidose, la drépanocytose, la myopathie de Duchenne ou la maladie de Crohn, or, ce sont plus de 8 000 maladies rares qui sont recensées. Pour la plupart des maladies rares, et notamment les maladies génétiques, il n'existe pas à ce jour de traitement curatif. Cependant même en l'absence de traitement curatif, il est toujours possible de proposer aux malades, une prise en charge thérapeutique afin d'améliorer l'espérance et les conditions de vies. Dans certains de ces cas, des médicaments utilisés pour d'autres indications peuvent être prévus pour le patient atteint d'une maladie rare si le médecin constate que le médicament apporte un confort et un soulagement au malade. En conséquence de quoi, il lui demande quelle est la position du Gouvernement à ce sujet.

Texte de la réponse

Concernant les maladies rares, la France est le premier pays en Europe à avoir élaboré et mis en œuvre un plan national. Dès 1995, la mission des médicaments orphelins a été créée. En 2003, le 1er plan national maladies rares a été mis en œuvre, pour améliorer la prise en charge des personnes souffrant de maladies rares. Aujourd'hui, le 3ème plan en cours pour 2018-2022 vise à partager l'innovation, un diagnostic et un traitement pour chacun. Ainsi, la France est déterminée à poursuivre les efforts engagés et à mener une politique volontariste et solidaire, avec la forte mobilisation de l'ensemble des partenaires. Sur la question très précise de l'accès aux médicaments hors indication autorisée, plusieurs dispositifs dérogatoires ont été mis en place pour l'encadrer et permettre une prise en charge associée telles que les autorisations temporaires d'utilisation nominatives qui permettent à un patient d'être éligible à un traitement à titre exceptionnel sous certaines conditions ou encore les recommandations temporaires d'utilisation qui permettent l'utilisation d'un médicament en dehors des indications prévues par son autorisation de mise sur le marché et dans le cadre d'un protocole dédié. Ainsi, les pouvoirs publics agissent à différents niveaux afin d'améliorer la qualité et la sécurité de la prise en charge de tous les patients, tout en prévoyant des actions spécifiques pour les patients souffrant de maladies rares.

Données clés

Auteur : [M. Patrice Anato](#)

Circonscription : Seine-Saint-Denis (3^e circonscription) - La République en Marche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 15634

Rubrique : Assurance maladie maternité

Ministère interrogé : [Solidarités et santé](#)

Ministère attributaire : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(s)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 20 mai 2019

Question publiée au JO le : [1er janvier 2019](#), page 12350

Réponse publiée au JO le : [4 février 2020](#), page 882