



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Moyens de la recherche contre les maladies rares

Question écrite n° 21032

### Texte de la question

M. Pierre Morel-À-L'Huissier appelle l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la question des maladies rares. Celles-ci sont souvent orphelines et le développement de remèdes nécessite une recherche aussi coûteuse en temps qu'en argent. Les maladies rares, dans leur énorme diversité, comme la mucoviscidose ou les MICI, touchent des centaines de milliers de personnes sur le territoire. La recherche contre celles-ci est active mais manque de moyens. De plus, malgré les trois plans nationaux maladie rares (PNMR), la prise en charge et la connaissance de ses maladies sont faibles et l'errance diagnostique encore trop importante face à la gravité des maladies et l'ampleur du problème. Il l'interroge sur les mesures prévues par le Gouvernement à ce sujet.

### Texte de la réponse

La France, depuis le début des années 2000, bénéficie déjà d'une avance importante dans la reconnaissance des maladies rares comme priorité de santé publique par rapport aux autres pays européens. Le Plan National Maladies Rares 3 (PNMR3), lancé en juillet 2018, s'étend jusqu'en 2022. Il est doté de 780 millions d'euros de financement spécifique pour les maladies rares. Ce plan permet d'assurer aux centres de référence, une stabilité avec des financements supplémentaires dédiés avec d'une part, une enveloppe annuelle de 120 millions d'euros pour la coordination de l'activité des centres de référence maladies rares et, d'autre part, une enveloppe annuelle de soutien aux actions du plan de 27 millions d'euros, versée dans le cadre d'appel à projets. Il n'y a donc pas de coupes budgétaires et ce modèle d'accompagnement financier est unique en Europe. Les missions d'intérêt général relatives aux financements des centres maladies rares ont été entièrement revues en 2017 tant au niveau de l'éligibilité que de la modélisation des enveloppes. Les enveloppes sont, par ailleurs, restées stables depuis 2016. Elles font l'objet d'un suivi annuel grâce à l'outil Piramig puis une évaluation de l'utilisation des crédits est effectuée par le comité de suivi de la labellisation mis en place dans le cadre du PNMR3. Plusieurs groupes de travail sont également constitués depuis juillet 2018 pour assurer ce suivi et veiller à la bonne utilisation de ces crédits : des groupes de suivi des appels à projets et un groupe spécifique sur les crédits fléchés vers les centres. Un modèle de financement a été mis en place pour les missions d'intérêt général concernant les centres labellisés maladies rares. Ainsi, leur sont allouées une part fixe qui permet une vision pluriannuelle et garantit le fonctionnement minimal des centres et une part variable qui est attribuée en fonction de l'activité déclarée pour l'année n-1. La part fixe est de 120 000 euros pour les sites coordonnateurs et 100 000 euros pour les sites constitutifs. Pour les sites coordonnateurs et constitutifs mucoviscidose et sclérose latérale amyotrophique, les financements sont respectivement de 220 000 euros et 200 000 euros. L'enveloppe constituée par la part variable est répartie selon une pondération, affectée à plusieurs indicateurs : le nombre de patients dans la file active, le nombre de points SIGAPS (Système d'Interrogation, de Gestion et d'Analyse des Publications Scientifiques) et la tenue ou non des réunions de concertation pluridisciplinaires. En complément de ces éléments d'information, il existe depuis 2019 un financement complémentaire pour des plateformes d'expertise maladies rares (2 millions d'euros), permettant de mutualiser certaines fonctions et de redonner des marges de manœuvre aux centres de référence maladies

rares. Ces plateformes contribueront à améliorer le parcours du patient et à faciliter, entre autres, sa prise en charge médico-sociale. Les 10 premières plateformes d'expertise maladies rares, maillant l'ensemble du territoire national ainsi que l'outre-mer, seront mises en place au premier semestre 2020. 10 autres sont prévues 18 mois plus tard. Ces financements complémentaires sont importants pour répondre aux besoins des patients en terme d'amélioration de la qualité de vie. Ces plateformes d'expertise maladies rares seront aussi le creuset pour favoriser une dynamique d'écoute et de dialogue entre les centres de référence maladies rares et les directions hospitalières.

## Données clés

**Auteur :** [M. Pierre Morel-À-L'Huissier](#)

**Circonscription :** Lozère (1<sup>re</sup> circonscription) - UDI et Indépendants

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 21032

**Rubrique :** Maladies

**Ministère interrogé :** [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire :** [Solidarités et santé](#)

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [2 juillet 2019](#), page 6026

**Réponse publiée au JO le :** [28 juillet 2020](#), page 5124