



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

## Recherche et prise en charge des maladies rares

Question écrite n° 6606

### Texte de la question

Mme Bérangère Couillard interroge Mme la ministre des solidarités et de la santé sur la prise en charge des maladies rares en France. En France ces maladies rares touchent plus de 3 millions de personnes, soit 4,5 % de la population. La prise en charge de ces maladies est donc un véritable enjeu de santé publique, d'autant plus lorsque l'on sait que ces maladies touchent dans la moitié des cas des enfants de moins de 5 ans. En 2004 a été mis en place le plan stratégique pour améliorer la prise en charge des personnes atteintes de maladie rares 1 (PNMR), puis un PNMR 2 a suivi. En 2016, Marisol Touraine, ministre des affaires sociales et de la santé, a décidé de prolonger les 2 premiers plans nationaux par le PNMR 3. Cependant il est important que les efforts concernant la recherche et la prise en charge de ces maladies rares puissent continuer avec le soutien de l'État. Ainsi elle l'interroge sur l'application concrète du PNMR 3 et des suites possibles à celui-ci.

### Texte de la réponse

A l'occasion de la journée internationale des maladies rares, la ministre des solidarités et de la santé et la ministre de l'enseignement supérieur, de la recherche et de l'innovation portent l'ambition d'un troisième plan national 2018-2022. Les maladies rares (environ 7 000) concernent plus de 3 millions de nos concitoyens et environ 25 millions de personnes en Europe. Depuis 2004, deux plans nationaux successifs ont permis, entre autres actions, la création de 23 filières de santé maladies rares qui s'appuient désormais sur 387 centres de référence et 1 800 centres de compétence pour un suivi global (sanitaire, social et médico-social) des personnes malades, au plus proche de leur domicile. Cette organisation inédite est un atout reconnu au niveau international, qui conforte le leadership français dans le domaine des maladies rares. La concertation large menée depuis plusieurs mois avec l'ensemble des professionnels et les associations de patients a permis de définir les priorités d'un troisième plan : - assurer à chaque patient un diagnostic plus rapide et réduire l'errance diagnostique, - renforcer la structuration des bases de données pour accroître le potentiel de recherche, - accroître le rôle des filières pour coordonner les actions des multiples acteurs concernés et accompagner certaines étapes-clés, comme l'annonce du diagnostic, - assurer un parcours plus lisible pour les personnes malades et leur entourage, - encourager l'innovation et la rendre accessible, - mettre en place de nouveaux dépistages néonataux, - conforter le rôle moteur de la France dans la dynamique européenne. Ces priorités devront être déclinées en mesures opérationnelles permettant les évolutions nécessaires au bénéfice des patients et de leur entourage.

### Données clés

**Auteur :** [Mme Bérangère Couillard](#)

**Circonscription :** Gironde (7<sup>e</sup> circonscription) - La République en Marche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 6606

**Rubrique :** Maladies

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

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

Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [20 mars 2018](#), page 2270

**Réponse publiée au JO le :** [17 avril 2018](#), page 3306