



ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Maladie de Schimke

Question orale n° 971

Texte de la question

M. Daniel Fasquelle attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur les difficultés qu'endurent certaines familles françaises dont les enfants sont atteints de la maladie dite « dysplasie immuno-osseuse de Schimke ». Cette maladie touche une dizaine d'enfants en France et entraîne des retards de croissance, des insuffisances rénales, et augmente les risques d'accidents cardio-vasculaires. Les enfants atteints voient leur espérance de vie limitée à la petite enfance ou au début de l'adolescence faute de soins convenables en France. Il lui demande quelles mesures elle entend prendre pour répondre aux questions et à la détresse de ces familles.

Texte de la réponse

MALADIE DE SCHIMKE

M. le président. La parole est à M. Daniel Fasquelle, pour exposer sa question, n° 971, relative à la maladie de Schimke.

M. Daniel Fasquelle. Je suis venu ce matin accompagné de la mère de Brune, qui nous regarde depuis les tribunes de l'hémicycle. Brune est une petite fille adorable et pleine de vie. Elle est malheureusement atteinte d'une maladie appelée dysplasie immuno-osseuse de Schimke. Cette terrible maladie touche une dizaine d'enfants en France ; elle entraîne des retards de croissance et des insuffisances rénales et augmente les risques d'accidents cardio-vasculaires. L'espérance de vie des enfants qui en sont atteints est limitée à la petite enfance alors que des soins adaptés permettraient de la prolonger sensiblement.

La petite Brune n'est malheureusement pas un cas isolé : de nombreux enfants en France sont atteints de maladies rares, trop rares peut-être pour que les pouvoirs publics prennent les mesures qui s'imposent pour les accompagner et accompagner leurs parents, qui se sentent souvent très seuls. Pourtant, avec un courage qui force l'admiration, les familles se battent avec amis et bénévoles pour multiplier les actions et recueillir les fonds nécessaires au financement des soins de leur enfant à l'étranger quand il n'existe pas de solution dans notre pays.

Malgré de nombreuses démarches – j'ai écrit à plusieurs reprises à la ministre des solidarités et de la santé sur ce sujet –, le Gouvernement n'apporte aucune réponse concrète à leurs difficultés. Les familles se sentent aujourd'hui abandonnées à leur sort et doivent réunir seules des sommes parfois considérables. La seule solution pour la petite Brune, c'est de l'emmener aux États-Unis ; sa mère me disait ce matin que la somme nécessaire était de 680 000 euros. Comment voulez-vous que la famille supporte un telle dépense ? Même en multipliant les actions dans la circonscription du Touquet-Paris-Plage, ce que nous faisons, il sera extrêmement difficile de réunir ce montant.

Ma question est double : qu'attendons-nous pour nous mobiliser pour lutter, en France, contre la maladie de

Schimke et l'ensemble des maladies rares, et pour offrir les traitements, disponibles ailleurs, qui prolongeraient significativement l'espérance de vie de ces enfants ? Par ailleurs, pourquoi ne pas prendre la tête d'une initiative européenne, qui permettrait, pour peu que chaque pays accepte de prendre en charge une pathologie, d'apporter une réponse sur notre continent ? La France pourrait demander à la Commission européenne de se saisir de ce sujet qui concerne l'ensemble des Européens ; l'entrée en fonction de la nouvelle Commission, avec une nouvelle présidente et de nouveaux commissaires, serait l'occasion de donner une impulsion décisive à ce dossier.

Dans l'attente de ces solutions, pouvez-vous nous dire, ce matin, si le Gouvernement va enfin aider les parents qui veulent faire soigner leurs enfants à l'étranger lorsqu'une solution leur y est proposée ? Pouvez-vous leur dire qu'ils ne sont pas livrés à leur sort et que, dans l'attente d'une solution médicale en France ou en Europe, on les aidera financièrement à faire soigner leur enfant à l'étranger ?

M. Fabrice Brun. Bravo !

M. le président. La parole est à Mme la secrétaire d'État auprès de la ministre des solidarités et de la santé.

Mme Christelle Dubos, secrétaire d'État auprès de la ministre des solidarités et de la santé. Monsieur le député, je vous remercie pour votre question. Je comprends vos préoccupations, tant celles qui concernent la prise en charge que celles qui tiennent, bien sûr, au désarroi de ces familles.

La dysplasie immuno-osseuse de Schimke est une maladie multisystémique. L'espérance de vie est limitée à la petite enfance ou au début de l'adolescence chez la plupart des patients, en raison d'accidents vasculaires cérébraux, d'insuffisance rénale ou d'infections. Aujourd'hui, il nous faut travailler sur un parcours de soins qui soit le même pour tous, afin d'optimiser les ressources et d'améliorer les pratiques pour la personne malade. C'est l'objectif premier des réseaux des centres de référence maladies rares – CRMR –, qui visent à assurer l'équité de la prise en charge des malades quel que soit leur lieu de vie. Ils résultent d'un engagement fort du Gouvernement dans le cadre du troisième plan national maladies rares pour 2018-2022, afin de ne laisser aucun malade isolé dans son parcours de soins.

S'agissant de la prise en charge médicale et médico-sociale des enfants, tous les centres de référence – CRMR – et tous les centres de compétences – CCMR – des maladies osseuses constitutionnelles de la filière santé maladies rares, OSCAR – maladies rares de l'os, du calcium et du cartilage –, sont compétentes pour suivre ces enfants. Cette filière comprend cinq centres de référence constitutifs et vingt-huit centres de compétence répartis sur l'ensemble du territoire national, ce qui permet un accès de proximité aux soins et aux conseils pour les familles et leurs enfants. Les cinquante-cinq centres de référence et de compétences de la filière « Anomalies du développement et syndromes malformatifs » peuvent également prendre en charge les patients atteints de la maladie de Schimke et leurs familles. Ces centres, comme l'ensemble des centres de référence pour les maladies rares, ont été relabellisés pour la période 2017-2022. Trois projets de recherche français sont actuellement en cours ; même s'ils ne portent pas spécifiquement sur la maladie de Schimke, ils ont pour objectif d'améliorer la qualité et l'espérance de vie des patients.

Enfin, plusieurs associations françaises s'intéressent à ce syndrome afin de guider les familles et de leur proposer des contacts avec d'autres familles concernées. En coordination avec les centres de référence et de compétences, ces associations sont de véritables soutiens pour des familles trop souvent isolées et elles aident à répondre à leurs besoins d'accompagnement. Elles ont une place importante dans la déclinaison des actions du plan national maladies rares 3 vers les familles.

Je vous remercie encore une fois pour votre question et j'espère avoir apporté un peu de soutien et de réconfort à cette famille.

M. le président. La parole est à M. Daniel Fasquelle.

M. Daniel Fasquelle. Je vous remercie pour votre réponse, mais nous sommes déjà au courant de l'existence du réseau de soins que vous avez mentionné et du rôle de ces associations.

Il se trouve qu'aujourd'hui, la réponse disponible aux États-Unis pour la petite Brune et pour les enfants qui souffrent de la même maladie n'existe pas en France. Ses parents n'ont pas d'autre solution, pour prolonger l'espérance de vie de leur petite fille, que de l'envoyer aux États-Unis ; pour cela, il leur faut réunir la somme considérable de 680 000 euros, ce qui est impossible. Je réitère donc ma demande : qu'on soulage financièrement ces parents, qu'on leur permette de faire soigner leur enfant aux États-Unis ! Le Gouvernement s'honorerait d'aider les parents à faire soigner leur enfant à l'étranger dans l'attente d'une solution concrète, que nous espérons tous, en France ou en Europe.

M. Fabrice Brun. Très bien !

Données clés

Auteur : [M. Daniel Fasquelle](#)

Circonscription : Pas-de-Calais (4^e circonscription) - Les Républicains

Type de question : Question orale

Numéro de la question : 971

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : Solidarités et santé

Ministère attributaire : Solidarités et santé

Date(s) clé(s)

Question publiée au JO le : [4 février 2020](#)

Réponse publiée le : 12 février 2020, page 866

La question a été posée au Gouvernement en séance, parue dans le journal officiel le [4 février 2020](#)