



# ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

## Moyens mobilisés pour combattre la sclérose latérale amyotrophique (SLA)

Question écrite n° 6131

### Texte de la question

M. Bruno Studer interroge M. le ministre de la santé et de la prévention sur les moyens mobilisés pour combattre la sclérose latérale amyotrophique (SLA). Cette affection, aussi connue sous le nom de maladie de Charcot, est l'une des 7000 maladies dites rares aujourd'hui recensées. La recherche médicale est déterminante pour améliorer la compréhension de ces maladies rares et développer de nouveaux traitements qui bénéficient aux quelque 3 millions de Français qui en souffrent. Lancé en juillet 2018 et doté d'une enveloppe de 780 millions d'euros de financement spécifique, le 3e plan national maladies rares (PNMR) 2018-2022 a permis des avancées scientifiques majeures. Cette dynamique, qui repose sur la mobilisation de nombreux professionnels de santé, des chercheurs, des laboratoires et des associations de personnes malades a été essentielle pour stimuler la recherche sur ces maladies en France. Concernant la sclérose latérale amyotrophique en particulier, les plans précédents ont permis de réaliser des percées significatives dans la compréhension de la maladie. Ainsi, grâce aux progrès de la recherche, la biologie sous-jacente est mieux comprise, notamment son caractère neurodégénératif. Il est impératif de conforter ces découvertes en continuant à investir dans la recherche sur la SLA et d'autres maladies rares afin d'améliorer la prise en charge des patients. Aussi, il souhaiterait savoir quels leviers d'actions sont envisagés dans le cadre du quatrième plan national maladies rares et plus généralement quels sont les objectifs et les mesures proposées pour améliorer la prise en charge des patients atteints de la SLA.

### Texte de la réponse

La sclérose latérale amyotrophique (SLA) (ou maladie de Charcot) est une maladie neurodégénérative considérée comme rare (incidence = 1,5-2,5/100 000 habitants, de l'ordre de 2 500 nouveaux cas par an en France). La prise en charge thérapeutique est essentiellement symptomatique, ciblée sur le maintien de l'autonomie et la compensation de la dépendance, la prévention des complications et la compensation des déficiences vitales respiratoires et nutritionnelles. Elle est aussi en grande partie supportive et palliative. Depuis 2014, le ministère de la santé et de la prévention a labellisé la filière de santé maladies rares FILSLAN (Sclérose Latérale Amyotrophique et maladies du neurone moteur). Cette filière de santé maladies rares pour la SLA ou maladie de Charcot regroupe divers types d'acteurs : ceux appartenant à l'univers sanitaire (centres labellisés et disciplines partenaires, services hospitaliers non labellisés, soins de suite et de réadaptation, laboratoires diagnostiques, réseaux de soins...), ceux du secteur médico-social (en lien avec les services sociaux hospitaliers, la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie, les maisons départementales pour les personnes handicapées et les Conseils départementaux), avec un lien très fort avec le monde associatif (tant au niveau national qu'européen) et celui de la recherche (Institut national de la santé et de la recherche médicale, le centre national de la recherche scientifique, les Universités mais aussi des sociétés savantes telles que la Société Française de neurologie ou de pneumologie de Langue Française). Cette organisation est décrite sur le site de la filière : [www.portail-sla.fr](http://www.portail-sla.fr). Le plan national maladies rares (PNMR 3) a confirmé la nécessité d'une prise en charge de la SLA par des centres experts étant investis dans la recherche. La coordination des centres experts au sein de la filière de santé maladies rares est réalisée par FILSLAN qui a mis en place un guichet unique pour

un accès rapide aux traitements. Entre 2011 et 2021, le ministère de la santé et de la prévention a soutenu 6 projets de recherche SLA sélectionnés à la suite d'appels à projets pour un montant de 4 786 305 M€. Parmi ces projets, deux ont pu aboutir et ont déjà fait l'objet de publications. Dans le cadre de la SLA, cette dynamique dans la recherche est nécessaire car aujourd'hui, les thérapeutiques ne peuvent être que palliatives. Une nouvelle campagne de labellisation des centres de référence (CRMR) et des centres de ressources et de compétences (CRCMR) sur la SLA est en cours pour la période 2023-2028, avec pour les équipes retenues, une forte exigence au niveau de leur investissement dans la prise en charge, dans l'enseignement-formation et dans la recherche sur la sclérose amyotrophique. La filière FILSLAN impulse et coordonne les actions de recherche entre équipes cliniques et acteurs de la recherche fondamentale. Tous les centres labellisés travaillent étroitement avec les 38 laboratoires de recherche institutionnels et sont associés aux actions de la filière. Elle impulse aussi la Recherche sur la SLA, notamment grâce à la collecte des données cliniques stockées à la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR). Sa mise en place et son déploiement sur l'ensemble des sites de prise en charge permettent aux cliniciens et aux chercheurs l'accès à des données de santé de façon plus aisée et transparente. Au cours de l'année 2021, le réseau FILSLAN a également répondu à la campagne de labellisation de l'infrastructure F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network). Obtenu en janvier 2022, le label F-CRIN, par son gage d'excellence, va permettre à la filière FILSLAN de porter des projets de recherche clinique d'envergure internationale et de diffuser des publications scientifiques. Le plan France médecine génomique 2025 (PFMG 2025) doit aussi permettre des avancées dans la connaissance de la SLA et ouvrir la voie à de meilleures prises en charge de cette pathologie et de sa recherche en développant une médecine de précision avec des thérapies ciblées. La prolongation du Plan National Maladies Rares 3 (PNMR3) en 2023 a permis d'engager les travaux d'un nouveau plan PNMR4. Ce 4ème plan maladies rares est attendu par beaucoup : associations de patients, professionnels de la santé et de la recherche. Les travaux d'évaluation du PNMR3 réalisés conjointement par le Haut conseil de la santé publique (HCSP) et le Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur vont permettre d'éclairer les décisions des groupes de travail du PNMR4 pour définir les prochains grands axes de la politique de santé des maladies rares. Le pilotage de la construction des mesures du futur plan maladies rares sera supervisé par deux personnes qualifiées pour le soin et la recherche qui seront annoncées prochainement. Cette construction sera structurée autour de quatre groupes de travail préfigurateurs des actions du PNMR4. Cette organisation avait été celle déployée lors de la construction du PNMR3 en 2016. Les groupes de travail (GT), en lien avec les axes déjà primordiaux pour le PNMR3 devraient être : GT Parcours de vie et soin / des territoires vers l'Europe : le lien ville-hôpital, l'information et la formation, la dissémination d'une politique maladies rares au sein des pays de l'UE ; GT Diagnostic : l'observatoire du diagnostic des maladies rares, la médecine génomique et articulation avec le plan France médecine génomique (PFMG), le dépistage néonatal, la fœtopathologie, les laboratoires de biologie médicale en lien avec les cliniciens pour les validations fonctionnelles GT Innovations et traitements : l'observatoire des traitements maladies rares, la collecte des données en vie réelle pour les accès précoces et compassionnels, l'accompagnement de l'accès au marché de l'innovation pour les maladies rares, lien avec l'agence de l'innovation en santé et l'alliance France Bioproduction ; GT Données de santé maladies rares et biobanques : continuation du pilotage par la donnée et soutien au recueil de données avec l'interopérabilité des systèmes d'information, la fiche maladies rares dans le dossier patient informatisé, le partage des données de santé avec l'Europe en lien avec l'action conjointe intégration des réseaux européens de référence dans les systèmes de santé, la mise en place du lien avec les biobanques des établissements de santé. Sujet d'importance majeure car vecteur d'une illustration connue par le grand public, la SLA est considérée comme une des maladies référence dans la réflexion des axes du PNMR4. Ambitions déjà partagées par le PNMR3, un groupe de travail propre à l'impasse et l'errance diagnostiques permettra de réfléchir sur ces deux thématiques, en miroir de ce qui a pu marcher ou ce qui sera à améliorer pour le prochain plan. Dans le cas de la SLA, l'espérance de vie des patients après diagnostic étant malheureusement réduite, l'enjeu est de pouvoir les accompagner dans la progressivité de leurs maladies tout en leur assurant la meilleure qualité de vie possible. A ce titre, des réflexions sont menées pour renforcer les liens entre la ville et l'hôpital une fois que les patients ont fait leurs soins à l'hôpital. Pour les traitements innovants, le PNMR4 a pour ambition de favoriser les dialogues entre les différentes parties prenantes de l'écosystème maladies rares et les industriels.

## Données clés

**Auteur :** [M. Bruno Studer](#)

**Circonscription :** Bas-Rhin (3<sup>e</sup> circonscription) - Renaissance

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 6131

**Rubrique :** Maladies

**Ministère interrogé :** Santé et prévention

**Ministère attributaire :** Santé et prévention

Date(s) clé(s)

**Date de signalement :** Question signalée au Gouvernement le 10 juillet 2023

**Question publiée au JO le :** [7 mars 2023](#), page 2121

**Réponse publiée au JO le :** [18 juillet 2023](#), page 6840