

ASSEMBLÉE NATIONALE

29 novembre 2025

METTRE EN PLACE UN PROGRAMME DE SOUTIEN À L'INNOVATION
THÉRAPEUTIQUE CONTRE LES CANCERS, LES MALADIES RARES ET LES MALADIES
ORPHELINES DE L'ENFANT - (N° 1909)

Rejeté

N° AS23

AMENDEMENT

présenté par

Mme Loir, M. Ménagé, M. Bentz, Mme Bamana, M. Bernhardt, Mme Delannoy, Mme Dogor-
Such, M. Dussausaye, M. Florquin, M. Frappé, M. Lioret, Mme Mélin, M. Muller, Mme Ranc et
M. Emmanuel Taché

ARTICLE 2

À la fin de la seconde phrase de l'alinéa 1, supprimer les mots :

« , à l'exception des médicaments orphelins désignés comme tels en application des dispositions du règlement (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil, du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins ».

EXPOSÉ SOMMAIRE

Cet amendement supprime l'exclusion des médicaments orphelins de l'assiette de la contribution.

Aujourd'hui, un « médicament orphelin » ne signifie absolument pas « médicament pédiatrique ». Il s'agit d'un statut strictement administratif, défini par le règlement (CE) n° 141/2000, accordé lorsqu'un laboratoire démontre que la maladie est rare ou qu'il n'existe pas de traitement satisfaisant. Ce label ouvre déjà d'importantes incitations européennes, exclusivité commerciale, accompagnement réglementaire, facilités de développement, mais il ne reflète en rien les besoins réels de la pédiatrie.

C'est précisément pour cette raison qu'un écart existe entre le statut orphelin et les pathologies pédiatriques les plus graves. Les données publiées par l'Agence européenne du médicament le montrent clairement : certaines leucémies aiguës lymphoblastiques de l'enfant (LAL), pourtant parmi les cancers pédiatriques les plus sévères, ne bénéficient pas d'un statut orphelin dès lors que l'indication porte sur des formes plus fréquentes ou sur des traitements combinés. De nombreux médicaments utilisés pour ces LAL, recensés dans le registre des désignations orphelines de l'EMA, n'ont donc pas obtenu cette qualification, alors même qu'ils sont essentiels en oncologie pédiatrique. À l'inverse, des médicaments destinés exclusivement à des maladies rares de l'adulte

peuvent être labellisés « orphelins » et seraient, dans la rédaction actuelle, totalement exonérés de la contribution.

Autrement dit, l'exclusion proposée repose sur un critère purement administratif, sans lien direct avec l'objet de la loi, et conduit à écarter de la contribution des médicaments parfois très rentables, tout en maintenant dans l'assiette des traitements réellement utilisés chez les enfants mais dépourvus de ce statut. Cette incohérence affaiblit la portée du dispositif, réduit son rendement potentiel et crée une inégalité injustifiée entre laboratoires.

Supprimer cette exception permet de rétablir une assiette plus juste, plus cohérente et plus efficace, garantissant que la contribution soutienne réellement la recherche et l'innovation thérapeutique au bénéfice des enfants atteints de cancers et de maladies graves.