



ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

maladies rares

Question écrite n° 11214

Texte de la question

M. François Dosé attire l'attention de M. le ministre de la santé, de la famille et des personnes handicapées sur la situation des personnes atteintes d'une maladie rare : 4 millions de personnes seraient concernées en France. La plupart d'entre elles ne disposent pas de traitement thérapeutique approprié parce que l'industrie pharmaceutique s'en désintéresse, du fait du petit nombre de cas, certains diagnostics sont erronés ou tardifs et les dépenses entraînées par les soins spécifiques ne sont pas toujours prises en charge. Ainsi, les malades et leur famille se trouvent parfois dans des situations financières difficiles. Début 2002, le Gouvernement a créé un institut pour la recherche des maladies rares dont l'objectif essentiel est de coordonner, d'impulser et de développer les recherches sur les maladies rares. Il lui demande donc de lui faire connaître l'évolution de l'activité de cet institut ainsi que les mesures qu'il compte prendre pour que le traitement de ces maladies soit mieux pris en charge.

Texte de la réponse

Les maladies rares étant une priorité de santé publique, les autorités responsables de la santé ont pris conscience depuis longtemps de la nécessité de promouvoir les thérapeutiques destinées à soigner les maladies rares avec la création dès 1995 d'une mission des médicaments orphelins. Le règlement européen relatif aux médicaments orphelins, adopté le 16 décembre 1999 par le Parlement européen et le Conseil des ministres, opérationnel depuis le 27 avril 2000, a permis que 127 médicaments soient désignés « médicaments orphelins » par le Comité des médicaments orphelins ; sept spécialités ont reçu en 2001 l'autorisation de mise sur le marché. Au niveau national, la loi de financement de la sécurité sociale pour 2001 a transposé la directive européenne sur les médicaments orphelins et a prévu des avantages financiers pour les industriels favorisant le développement de ces médicaments. En ce qui concerne la prise en charge des thérapeutiques, si toutes les maladies ne sont pas classées, en tant que telles, sur la liste des affections donnant droit à l'exonération du ticket modérateur, les patients peuvent bénéficier de cette prise en charge sur avis du contrôle médical placé auprès de leur caisse d'affiliation. Des mesures permettant de faciliter cette prise en charge sont actuellement à l'étude. En 2000, l'institut des maladies rares associant l'Etat (ministères de la santé, de la recherche, de l'industrie), des organismes de recherche (CNRS, INSERM), des associations de malades (AFM, Alliance maladies rares), la CNAMTS (caisse primaire d'assurance maladies des travailleurs salariés) a fait un appel d'offres destiné à financer des réseaux de recherche sur les maladies rares, trente-deux réseaux ont été sélectionnés et font l'objet d'un soutien financier. Les appels d'offres se poursuivent actuellement pour encourager des projets de recherche au sein de réseaux pluridisciplinaires, fondés sur la création de cohortes de patients permettant de mieux décrire les maladies, d'approcher leur physiopathologie et leur traitement.

Données clés

Auteur : [M. François Dosé](#)

Circonscription : Meuse (1^{re} circonscription) - Socialiste

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 11214

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : santé

Ministère attributaire : santé

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 3 février 2003, page 680

Réponse publiée le : 31 mars 2003, page 2555