



# ASSEMBLÉE NATIONALE

12ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 40189

### Texte de la question

M. Claude Birraux attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la protection sociale sur la journée nationale de lutte contre les maladies orphelines, le 5 juin prochain. La Fédération nationale des maladies orphelines souligne que cette journée doit permettre à la fois de sensibiliser le grand public à la diversité des maladies orphelines et d'interpeller les pouvoirs publics sur les 8 000 maladies orphelines. Il lui demande de bien vouloir lui dresser un bilan de l'action conduite pour lutter contre les maladies orphelines et quelles mesures il entend prendre dans ce domaine.

### Texte de la réponse

Les maladies rares constituant une priorité de santé publique, des actions ont été entreprises depuis plusieurs années pour améliorer la prise en charge des maladies rares. La mise en place d'une banque de données multilingue, « ORPHANET », accessible à tous, a été soutenue par le ministère de la santé pour permettre d'améliorer les connaissances sur les maladies rares des professionnels de santé et des malades. Le programme hospitalier de recherche clinique a choisi parmi ces thématiques les maladies rares et un nouvel appel d'offre est prévu pour 2005. La mise en place du règlement européen des médicaments orphelins auquel la France a largement contribué, a permis la promotion et la diffusion de traitements innovants très prometteurs pour les maladies rares. Afin de poursuivre les efforts déjà entrepris, dans le cadre du projet de loi relatif à la politique de santé publique, un plan national est prévu « pour l'amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares ». Ce plan permettra d'améliorer la filière des soins en identifiant les centres hospitaliers de référence de maladies rares qui constitueront des pôles d'expertise et de recours à partir desquels la structuration de l'offre de soins pourra se mettre en place, l'objectif étant d'optimiser la prise en charge au quotidien des malades. Les mesures de soutien de la recherche en matière de maladies rares, déjà mises en place, seront poursuivies avec un soutien de la recherche fondamentale mais aussi clinique. L'amélioration de l'information et de la formation des professionnels de santé et des malades sont des axes importants du plan qui permettront une meilleure prise en compte des spécificités des maladies rares et de leurs impératifs de prise en charge. Des mesures visant à améliorer la prise en charge des médicaments et dispositifs de santé sont prévues ainsi qu'une meilleure compensation du handicap, fréquemment associé dans les maladies rares.

### Données clés

**Auteur :** [M. Claude Birraux](#)

**Circonscription :** Haute-Savoie (4<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 40189

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** santé

**Ministère attributaire :** santé

Date(s) clé(s)

**Question publiée le** : 1er juin 2004, page 3966

**Réponse publiée le** : 3 août 2004, page 6141