



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 13761

Texte de la question

M. Simon Renucci attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur la nécessité de mettre en oeuvre une politique nationale de recherche ambitieuse pour les maladies rares. Alors que l'année 2004 a vu la reconnaissance des maladies rares comme priorité de santé publique, et le lancement d'un plan national de quatre ans qui a permis la mise en réseau de la recherche fondamentale, et la création de centres de référence pour une meilleure prise en charge des malades, les associations, telle l'Association française contre les myopathies (AMF), manifestent des inquiétudes pour l'avenir. On observe en effet un certain nombre de désengagements, qui laissent clairement apparaître la volonté de diluer la problématique des maladies rares dans une problématique plus globale, qui aboutira très rapidement à la disparition d'une recherche spécifique sur les maladies rares. Ce serait un recul que les associations dénoncent avec force à juste raison. Il lui demande si elle compte prendre les mesures qui s'imposent pour permettre le développement de la recherche concernant les maladies rares.

Texte de la réponse

La mise en place du plan maladies rares pour la période 2005-2008, dans le cadre de la loi du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique, a constitué une étape importante pour les patients atteints de maladies orphelines et leur famille. Ce plan bénéficie d'un financement des pouvoirs publics à hauteur de 108,5 millions d'euros dont 40 millions d'euros destinés à améliorer l'accès aux soins et 43 millions d'euros pour la recherche. Il a permis d'engager des actions fortes comme la création de plus d'une centaine de centres de référence labellisés, l'élaboration de protocoles nationaux de diagnostic et de soins, l'amélioration de l'information et de la formation des professionnels de santé et des malades grâce à la base de données sur les maladies rares, Orphanet, ou encore le financement de projets de recherche par le biais du groupement d'intérêt scientifique GIS institut des maladies rares. En ce qui concerne l'accès aux médicaments hors autorisation de mise sur le marché et aux produits de santé non remboursables, un décret organisant un dispositif spécifique et dérogatoire de prise en charge par la sécurité sociale devrait être publié dans les toutes prochaines semaines. Il s'agit là d'une avancée majeure pour l'accès aux médicaments et aux produits indispensables à l'amélioration de l'état de santé des patients souffrant de maladies rares. Ce plan, qui s'achèvera en effet à la fin de l'année 2008, est en cours d'évaluation par le Haut Conseil de santé publique afin de recenser les points forts et ceux qui appellent des améliorations. Le comité de suivi du plan doit se réunir au mois de mai prochain et un premier bilan devrait être disponible en septembre 2008. Sur la base de cette évaluation, le Gouvernement engagera, en concertation avec les associations concernées, une réflexion sur les actions futures à mener.

Données clés

Auteur : [M. Simon Renucci](#)

Circonscription : Corse-du-Sud (1^{re} circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 13761

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé, jeunesse et sports

Ministère attributaire : Santé, jeunesse et sports

Date(s) clé(e)s

Question publiée le : 25 décembre 2007, page 8156

Réponse publiée le : 25 mars 2008, page 2719