



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 16727

Texte de la question

M. Thierry Lazaro attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur la très vive inquiétude ressentie par nos concitoyens souffrant d'une ou de plusieurs des 8 000 maladies rares dites orphelines. En effet, la fin annoncée du plan maladies rares, mis en place pour la période 2005/2008, plonge ces malades et leurs familles dans un désarroi aussi profond que légitime. Le maintien du dispositif des ATU (autorisation temporaire d'utilisation), permettant aux médicaments sans AMM (autorisation de mise sur le marché) d'être accessibles aux patients atteints de maladies rares figurait au nombre des objectifs de ce plan maladies rares. Aussi, il lui demande de bien vouloir lui indiquer les mesures qui ont été prises en ce sens et les effets qui en ont résulté.

Texte de la réponse

La réglementation des médicaments orphelins au niveau européen est issue du règlement communautaire (CE) n° 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999. Celle-ci vise notamment à inciter les laboratoires pharmaceutiques à développer des médicaments pour le traitement des maladies graves et rares (c'est-à-dire celles dont la prévalence est inférieure à 5 cas pour 10 000), pour lesquelles il n'existe pas d'alternative thérapeutique ou dans le cas où le médicament présente un bénéfice significatif par rapport aux alternatives commercialisées. Cette politique a permis, entre avril 2000 et décembre 2007, la désignation de 528 médicaments orphelins (MO) et la délivrance d'une autorisation de mise sur le marché (AMM) à 47 médicaments orphelins dans des pathologies très diverses. En France, l'Agence française de sécurité sanitaire des produits de santé (AFSSAPS) a créé en 2003 une cellule médicaments orphelins, qui participe notamment au suivi de désignation des médicaments orphelins à l'Agence européenne du médicament (EMA) et à la mise en oeuvre des mesures incitatives en matière de médicaments orphelins. Le plan national « maladie rares », initié en 2005, prévoyait une série d'actions et de mesures dans le but de favoriser le développement de ces médicaments. Après trois ans d'application, des résultats concrets ont été enregistrés : les laboratoires pharmaceutiques développant des MO sont exonérés des taxes dues à l'AFSSAPS comme le prévoit l'article L. 5121-17 du code de la santé publique et environ un tiers des MO sont inscrits sur la liste des molécules innovantes et coûteuses dans le cadre de la réforme de la tarification à l'activité prévue par le décret n° 2005-1023 du 24 août 2005 relatif au contrat de bon usage des médicaments. Par ailleurs, un processus de traitement des difficultés d'approvisionnement des médicaments utilisés dans des pathologies graves, et pour lesquels il n'existe pas d'alternative thérapeutique disponible pour certains patients, a été mis en place par l'AFSSAPS. Dans ce cadre, l'établissement pharmaceutique exploitant doit informer l'AFSSAPS de tout arrêt prévisible de commercialisation de tels médicaments au moins six mois à l'avance, et de tout risque de rupture de stock d'un médicament sans alternative thérapeutique, conformément à l'article L. 5124-6 du code de la santé publique. En outre, cette disposition, renforcée par la loi n° 2007-794 du 5 mars 2007, prévoit désormais que les laboratoires apportent leur collaboration à l'AFSSAPS dans la mise en oeuvre de solutions palliatives. Dans ce contexte, l'AFSSAPS évalue les réels besoins et l'utilisation dudit médicament, identifie et met en place des solutions alternatives immédiates et incite le laboratoire à remettre sur le marché son médicament et à développer

d'éventuelles indications spécifiques. Enfin, le dispositif de mise à disposition exceptionnelle dans le cadre d'autorisations temporaires d'utilisation (ATU) nominatives ou de cohorte, conformément à l'article L. 5121-12 du code de la santé publique, de spécialités pharmaceutiques ne disposant pas d'AMM en France est maintenu et a été renforcé en 2007 afin de permettre notamment la délivrance d'ATU nominative à titre compassionnel (issue fatale à court terme inéluctable), et le recueil d'information sur les patients traités par les médicaments disponibles en ATU nominative. En 2007, 14 ATU de cohorte et 27 563 ATU nominatives (soit environ 20 000 patients traités) ont été octroyées par l'AFSSAPS.

Données clés

Auteur : [M. Thierry Lazaro](#)

Circonscription : Nord (6^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 16727

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé, jeunesse et sports

Ministère attributaire : Santé, jeunesse, sports et vie associative

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 12 février 2008, page 1130

Réponse publiée le : 20 mai 2008, page 4266