



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 17361

### Texte de la question

M. Michel Ménard attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur les inquiétudes exprimées par diverses associations au sujet de la fin annoncée du plan maladies rares au 31 décembre 2008. Mis en place en 2004, après que les maladies rares aient été reconnues comme priorité de santé publique, ce plan national a permis d'engager des efforts de recherche spécifiques et conséquents sur le sujet mais aussi d'améliorer la prise en charge de ces maladies dites orphelines. Il a constitué pour les malades et leurs proches une étape importante. Les associations engagées sur ce sujet, dont un grand nombre sont regroupées au sein de la Fédération des maladies orphelines, craignent aujourd'hui que ce plan national ne soit pas reconduit après 2008. 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, et ce tant sur le plan de l'effort de recherche qu'en matière de prise en charge des malades. Ce serait un recul que les associations dénoncent avec force à juste raison. Aussi, il souhaite savoir ce qu'il adviendra du Plan maladies rares après 2008 et comment la spécificité des maladies rares pourra être inscrite de façon durable dans notre système de santé et de recherche.

### 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. Michel Ménard](#)

**Circonscription :** Loire-Atlantique (5<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 17361

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Santé, jeunesse et sports

**Ministère attributaire :** Santé, jeunesse et sports

Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 19 février 2008, page 1364

**Réponse publiée le :** 25 mars 2008, page 2719