



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 13ème législature

### maladies rares

Question écrite n° 19234

#### Texte de la question

M. Bernard Depierre attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse et des sports sur les inquiétudes des personnes touchées par les maladies orphelines, face au risque de désengagement de l'État après la fin du plan qui avait été mis en place de 2005 à 2008. Si ce dernier a parfois été perfectible, il n'en demeure pas moins qu'il constituait une avancée significative, permettant à près de 4 millions de malades, souffrant de l'une des 8 000 maladies orphelines, de reprendre espoir dans la lutte contre leur mal. Aujourd'hui, certains doutes pèsent quant à la poursuite de ce dispositif. Or, son abandon pourrait faire courir à nombre de malades des risques dramatiques en les condamnant à l'oubli. C'est pourquoi, il lui demande s'il peut être envisagé de poursuivre et d'améliorer la prise en charge des maladies orphelines.

#### 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, le décret n° 2008-211 du 3 mars 2008 organisant un dispositif spécifique et dérogatoire de prise en charge par la sécurité sociale a été publié au Journal officiel du 5 mars 2008. 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. Bernard Depierre](#)

**Circonscription :** Côte-d'Or (1<sup>re</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 19234

**Rubrique :** Santé

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

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

Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 18 mars 2008, page 2229

**Réponse publiée le :** 29 avril 2008, page 3687