



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

## maladies rares

Question écrite n° 20579

### Texte de la question

M. Serge Blisko attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur la nécessaire prise en charge des maladies orphelines. Le plan « Maladies rares », mis en place en 2005, va s'achever à la fin de l'année 2008. Sans pour autant avoir résolu toutes les difficultés rencontrées par les personnes atteintes de maladies orphelines, ce plan avait le mérite de les reconnaître et de proposer des débuts de solutions. L'arrivée à échéance de cet outil d'action suscite l'inquiétude des patients concernés et de leurs proches qui redoutent le désintéressement progressif des pouvoirs publics vis à vis de leur situation. 4 millions de Français sont concernés par les maladies orphelines. Celles-ci génèrent non seulement des souffrances physiques et psychologiques mais aussi des phénomènes d'exclusion sociale du fait du manque d'information dont elles font l'objet et leur prise en compte aléatoire par les systèmes d'assurance maladie. Par conséquent, il lui demande quels prolongements elle entend donner au plan « maladies rares » et, plus généralement, quelles mesures elle prévoit en faveur de l'accueil, de l'amélioration des soins prodigués aux malades et de la diffusion de l'information concernant leurs pathologies.

### 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. Serge Blisko](#)

**Circonscription :** Paris (10<sup>e</sup> circonscription) - Socialiste, radical, citoyen et divers gauche

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question** : 20579

**Rubrique** : Santé

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

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

Date(s) clé(e)s

**Question publiée le** : 8 avril 2008, page 2989

**Réponse publiée le** : 3 juin 2008, page 4735