



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 13ème législature

### maladies rares

Question écrite n° 21126

#### Texte de la question

M. Michel Diefenbacher appelle l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur le devenir du « plan maladies rares » qui arrive à son terme le 31 décembre 2008. Couvrant la période 2005-2008, ce plan a constitué, pour les 4 millions de malades souffrant d'une ou plusieurs des 8 000 maladies orphelines répertoriées, un immense espoir et une étape décisive du fait de la très forte mobilisation qu'il a suscitée : reconnaissance des spécificités de ces maladies, prise en charge plus adaptée, recherche développée, diagnostics plus précis... L'arrivée à échéance de ce plan préoccupe les personnes atteintes de maladies orphelines qui s'interrogent sur les mesures à venir. En conséquence, il lui demande dans quelle mesure et sous quelle forme elle envisage de poursuivre l'effort entrepris sur 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, 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. Michel Diefenbacher](#)

**Circonscription :** Lot-et-Garonne (2<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 21126

**Rubrique :** Santé

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

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

Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 15 avril 2008, page 3201

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