



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 35341

Texte de la question

M. Yves Nicolin attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur la nécessité de poursuivre le plan national maladies rares engagé en 2004 pour une durée de cinq ans. En effet, depuis cette date et grâce à la mise en place de ce plan sans précédent, des avancées significatives ont eu lieu dans le domaine de la génétique permettant ainsi de mettre fin à l'errance de diagnostic pour de nombreuses maladies mais également dans le domaine du traitement de la douleur. Néanmoins, plus 8 000 maladies orphelines sont recensées à ce jour et plus de 4 000 000 de nos concitoyens souffrent au quotidien de l'attente d'un diagnostic puis d'un traitement. Une mobilisation exemplaire s'est faite autour de ce plan : 132 centres de références ont été créés, des protocoles nationaux de soins et de diagnostic ont été élaborés, l'information et la formation des professionnels de santé et des malades ont été améliorées, la collaboration avec la Haute autorité de santé pour l'évolution des centres de références maladies rares a été renforcée et un comité de suivi du plan national maladies rares a été mis en place. Tous ces efforts ne doivent pas être vains et leur poursuite permettrait d'éviter de lourdes dépenses à la sécurité sociale et à l'institution judiciaire en laissant des malades en errance de diagnostic subir de très nombreux examens médicaux par manque d'information, ou de longues procédures judiciaires tout aussi coûteuses par méconnaissance de symptômes de certaines maladies rares, orphelines et/ou génétiques. Considérant l'espoir d'amélioration de la vie quotidienne de milliers de familles, ce plan doit être poursuivi. Aussi, il lui demande quelle suite elle entend donner à la poursuite du plan maladies rares qui s'achève en 2008.

Texte de la réponse

Le rapport d'évaluation du plan Maladies rares 2005/2008 demandé au Haut Conseil de la santé publique sera disponible fin février 2009. À partir de ce rapport et en collaboration avec les associations regroupant les patients atteints de maladies rares, la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative souhaite que les mesures nouvelles identifiées soient inscrites dans un nouveau plan qui débutera au plus tard en 2010, ainsi que l'a annoncé le Président de la République le 10 octobre 2008. Pour autant, l'année 2009 ne sera pas une année blanche, mais une année de transition et de consolidation au cours de laquelle les financements seront maintenus. C'est également au cours de cette année 2009 que seront évalués les centres de références. La ministre s'est engagée le 13 mai 2008, à l'occasion de la réunion du comité de suivi de ce plan, à ce que l'effort engagé dans le cadre du plan Maladies rares soit poursuivi. Ses acquis seront pérennisés, qu'il s'agisse du financement des centres de références, du financement de la recherche ou du financement d'Orphanet. Plus précisément, les 132 centres de références seront financés en 2009 à hauteur de 40 millions d'euros. Le thème « maladies rares » du plan hospitalier de recherche clinique sera financé à hauteur de 2,5 millions d'euros. Les 475 centres de compétences, s'articulant avec les centres de références en réseaux de soins, poursuivront leur activité. Trente médicaments orphelins ont d'ores et déjà reçu une autorisation de mise sur le marché (AMM) et leur financement est assuré dans le cadre de la tarification à l'activité (T2A). Les dispositions issues de l'article 56 de la loi de financement de la sécurité sociale pour 2007 sont maintenues : elles permettent ainsi une prise en charge dérogatoire par l'assurance maladie de toute spécialité, tout produit

ou toute prestation prescrits en dehors du périmètre des biens et services remboursables (c'est-à-dire normalement non pris en charge), pour le traitement de maladies rares. Cette prise en charge, dans un cadre juridique désormais stabilisé, est ainsi possible pour les produits en dehors de leurs indications validées par l'AMM et remboursables par l'assurance maladie ainsi que pour les produits non habituellement remboursables, mais dont l'usage peut s'avérer indispensable pour certaines pathologies, comme par exemple la crème solaire pour les patients atteints de Xeroderma pigmentosum. Il s'agit d'une amélioration significative de la prise en charge. De même, les protocoles de diagnostic et de soins sont un acquis et les centres de référence en collaboration avec la Haute Autorité de santé poursuivront leurs travaux dans ce domaine. À ce jour, 17 protocoles de ce type ont été validés et 20 sont en cours d'élaboration. Les patients atteints de maladies rares peuvent également bénéficier des dispositions du plan « Qualité de vie des patients atteints de maladie chronique ». Ce plan prend notamment en compte les aspects médicosociaux des maladies chroniques.

Données clés

Auteur : [M. Yves Nicolin](#)

Circonscription : Loire (5^e circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 35341

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 : 11 novembre 2008, page 9710

Réponse publiée le : 2 décembre 2008, page 10522