



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 70345

## Texte de la question

M. François Vannson appelle l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur la politique du Gouvernement relative aux maladies orphelines. En effet, une politique concertée sur les maladies rares est seule de nature à permettre une gestion contrôlée des dépenses en conformité avec les principes d'équité et de partage des risques, incarnée par le modèle français de sécurité sociale. Après la fin du premier plan maladies rares en 2008, un nouveau plan est prévu pour 2010. La préparation de ce prochain plan suppose une évaluation de l'application du dernier plan. Or il apparaît que la totalité des réalisations prévues par ce premier plan n'a pu être mise en oeuvre dans les délais impartis. Différents constats peuvent être dressés. Tout d'abord, on peut observer un défaut de pilotage dans la mesure où le comité de suivi du plan ne s'est réuni que trois fois en cinq ans et les groupes de travail n'ont abordé que cinq des dix axes du plan. Ensuite, la vie quotidienne de bien des malades n'a pas changé ; l'errance diagnostique, la prise en charge sociale, l'accès aux médicaments et aux produits de santé demeurent problématiques. Cela s'explique notamment par le fait que le travail d'information à destination de tous les acteurs concernés (malades, médecins, administrations de santé, maisons départementales des personnes handicapées, monde de l'éducation, monde du travail...) n'a pas été fait et met en échec le bénéfice des actions mises en oeuvre, notamment en matière de qualité de prise en charge médico-sociale, de la douleur et du suivi psychologique. De plus, le fléchage des dépenses et des actions fait défaut. À ce titre, il serait souhaitable d'obtenir une visibilité claire quant à l'affectation des financements prévus et des actions réalisées. Enfin, on peut s'étonner que la Fédération des maladies orphelines, seule structure reconnue d'intérêt public en France en charge des maladies rares et orphelines, ait été systématiquement exclue des financements prévus dans le cadre du premier plan et plus généralement qu'elle ne soit pas appelée à participer à la gouvernance d'institutions spécialisées d'elle qu'Orphanet et le GIS institut maladies rares. C'est pourquoi il lui demande de bien vouloir lui apporter des précisions sur les mesures contenues dans le futur plan national maladies rares et de lui préciser comment elle entend remédier aux carences précitées du premier plan.

## Texte de la réponse

Les maladies rares constituent une priorité de santé publique qui a fait l'objet du premier plan national maladies rares 2005-2008, inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Ce plan comportait dix axes, dont l'évaluation, publiée par le Haut Conseil de la santé publique le 7 mai 2009 montrait des résultats très positifs pour les plus importants : accès aux soins, recherche, information des malades et des médecins. Conformément à l'annonce du président de la République le 10 octobre 2008, un deuxième plan est en cours de finalisation, piloté par le professeur Gil Tchernia. Ce plan interministériel concerne également le ministère du travail, des relations sociales, de la famille, de la solidarité et de la ville pour les aspects médicosociaux, le ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche et le ministère de l'industrie. Il a été élaboré en concertation avec l'ensemble des parties prenantes : professionnels de santé, chercheurs, associations de patients, industrie pharmaceutique, assurance maladie, Haute Autorité de santé. La Fédération des maladies orphelines (FMO) notamment, a participé aux travaux préparatoires du deuxième plan. La FMO avait bénéficié

d'un financement en 2004 ; sa demande faite en 2005 n'avait pu être prise en compte car elle ne répondait pas au cahier des charges établi par l'Institut national de prévention et d'éducation pour la santé (INPES). L'association n'a pas reformulé de demande de financement depuis. Le deuxième plan, dont la version définitive devrait être disponible fin avril 2010, prévoit d'ores et déjà de renforcer : le diagnostic, les soins et la prise en charge médicale et sociale des malades ; le recueil de données ; la recherche ; les médicaments spécifiques ; la prise en charge financière ; la formation, l'information et le soutien aux actions associatives ; la coopération européenne et internationale. Il est notamment prévu de faciliter les démarches pour le remboursement des médicaments et des prestations ; développer la formation et l'information sur ces maladies encore mal connues ; aider la recherche universitaire et développer le partenariat public-privé avec pour ambition de stimuler l'industrie française à la recherche et au développement de médicaments adaptés aux maladies rares. Le plan s'inscrit dans le dispositif européen et international de prise en charge des maladies rares. Comme pour tous les plans de santé publique établis récemment, le budget alloué à la mise en oeuvre de ce plan sera ventilé en fonction des différentes actions proposées dans les sept axes retenus. La mise en oeuvre et le suivi budgétaire de ce plan seront confiés à un comité d'orientation de suivi et de labellisation.

## Données clés

**Auteur :** [M. François Vannson](#)

**Circonscription :** Vosges (3<sup>e</sup> circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question :** 70345

**Rubrique :** Santé

**Ministère interrogé :** Santé et sports

**Ministère attributaire :** Santé et sports

## Date(s) clé(s)

**Question publiée le :** 2 février 2010, page 1030

**Réponse publiée le :** 25 mai 2010, page 5888