



ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question écrite n° 72355

Texte de la question

M. Francis Saint-Léger attire l'attention de Mme la ministre de la santé et des sports sur la prise en charge des maladies orphelines. Il existerait dans le monde près de 8 000 maladies rares. Bien des personnes qui en sont atteintes ont souvent peu d'espoirs de traitement. Certains cas très particuliers font l'objet de peu de recherches importantes. Il désire connaître les mesures qu'elle entend mettre en oeuvre afin de remédier à cette situation.

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. En particulier 131 centres de référence ont été labellisés entre 2004 et 2007, afin de définir les bonnes pratiques de prise en charge, de promouvoir la recherche et l'information sur les maladies. La recherche a bénéficié d'un financement spécifique : 101 projets « maladies rares » ont été soutenus pour un montant de 26 Meuros dans le cadre des Programmes hospitaliers de recherche clinique (PHRC) 2005-2008. Le montant alloué en 2009 au titre du PHRC s'est élevé à 11,5 Meuros. S'ajoutaient à cela, dans le cadre du programme pluriannuel « maladies rares », 106 projets pour un montant de 26 Meuros, et le soutien du Gis-Institut des maladies rares pour 0,6 Meuros. Un soutien a été apporté aux laboratoires de génétique des CHU réalisant des analyses d'une particulière complexité pour le diagnostic des maladies rares, sous forme d'appels à projets successifs, lancés entre 2005 et 2008, pour un montant total de 16 Meuros sur quatre ans. Conformément à l'annonce du Président de la République le 10 octobre 2008, un deuxième plan a été préparé dans un cadre interministériel, outre le ministère de la santé, 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. Ce deuxième plan « maladies rares 2011-2014 », rendu public le 28 février 2011, apporte des moyens supplémentaires aux points forts du premier plan autour de trois axes : amélioration de la qualité de la prise en charge des patients, développement de la recherche et amplification des coopérations européenne internationale. Il s'attachera notamment à faire progresser la recherche en s'appuyant sur une nouvelle fondation « maladies rares », qui reposera sur la mobilisation de l'ensemble des acteurs publics, industriels et associatifs pour définir des axes stratégiques communs au sein d'une structure de concertation partagée. Enfin, en raison du nombre limité de malades pour chacune des maladies rares et de la rareté de l'expertise elle-même, la France a toujours plaidé pour une approche européenne de cette thématique. Ce deuxième plan s'attachera ainsi à amplifier cette coopération afin de partager l'expertise, les expériences et les ressources disponibles sur les maladies rares.

Données clés

Auteur : [M. Francis Saint-Léger](#)

Circonscription : Lozère (1^{re} circonscription) - Union pour un Mouvement Populaire

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 72355

Rubrique : Santé

Ministère interrogé : Santé et sports

Ministère attributaire : Travail, emploi et santé

[Date\(s\) clé\(e\)s](#)

Question publiée le : 23 février 2010, page 1906

Réponse publiée le : 1er novembre 2011, page 11645