



# ASSEMBLÉE NATIONALE

13ème législature

maladies rares

Question orale n° 386

## Texte de la question

Mme Claude Greff attire l'attention de Mme la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative sur le plan national maladies rares. 2008 sonne la fin du plan national maladies rares. La mise en place programmée pour la période 2005-2008 a été pour les malades et leurs proches une avancée essentielle dans la prise en compte de leur souffrance et de leur particularité. Ce plan a permis à des millions de personnes de sortir de l'anonymat médical et de trouver des structures adaptées à leur maladie. L'évaluation du plan par le Haut conseil de santé publique est très attendue par les malades, leurs familles, le corps médical et par la représentation nationale. Le comité de suivi du plan doit, en effet, présenter un premier bilan en septembre 2008. Le rapport du comité de suivi, ainsi que les recommandations qui en découleront, seront à l'évidence des pistes de réflexion à suivre dans l'optique d'un « plan post 2008 ». Les ajustements techniques issus du rapport définitif fin 2008 seront importants et apporteront certainement une meilleure lisibilité pour les patients et une plus grande efficacité dans la mise en pratique. Pour autant, elle est encouragée très fortement à ne pas perdre de vue que la reconduction du plan est à ses yeux une nécessité impérieuse, tant il a été créé d'espoirs et de résultats plus qu'encourageants. Elle lui demande si elle peut la rassurer sur le devenir de ce plan après 2008.

## Texte de la réponse

### AVENIR DU PLAN NATIONAL MALADIES RARES

M. le président. La parole est à Mme Claude Greff, pour exposer sa question, n° 386, relative à l'avenir du plan national maladies rares.

Mme Claude Greff. Ma question s'adresse à Mme le ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative. Elle porte sur le plan national des maladies rares. Celles-ci touchent peu de personnes, mais ont des conséquences sur la vie de bon nombre de nos concitoyens. Il est temps de faire un bilan.

En effet, 2008 sonne la fin du plan national des maladies rares. La mise en place programmée pour la période 2005-2008 a été pour les malades et leurs proches, qui sont nombreux, une avancée essentielle dans la prise en compte de leur souffrance et de leur particularité.

Ce plan a permis à des millions de personnes de sortir de l'anonymat médical et de trouver des structures adaptées à leur maladie. L'évaluation du plan par le Haut conseil de santé publique est très attendue par les malades, leurs familles, le corps médical et, bien évidemment, par la représentation nationale.

Le comité de suivi du plan devait présenter un premier bilan en septembre 2008. Son rapport ainsi que les recommandations qui en découleront seront, à l'évidence, des pistes de réflexion à suivre dans l'optique d'un " plan post 2008 ". Les ajustements techniques, issus du rapport définitif fin 2008, seront importants ; ils apporteront une plus grande lisibilité pour les patients et une plus grande efficacité dans la mise en pratique.

En qualité de présidente du groupe d'études relatif au cancer et aux causes sanitaires nationales, je voulais me faire la porte-parole de tous les malades et de tous les professionnels de santé auprès de Mme la ministre. Je voudrais lui demander de nous rassurer sur le devenir de ce plan après 2008 car, à nos yeux, sa reconduction est une nécessité impérieuse tant il a créé d'espoirs et produit de résultats plus qu'encourageants. Il a aussi été à la hauteur des sollicitations des malades qui ressentent souvent un certain isolement et un manque de

communication. Les patients, les familles et les parlementaires ont besoin de savoir ce qu'il adviendra de ce plan après 2008.

M. le président. La parole est à M. Bernard Laporte, secrétaire d'État chargé des sports, de la jeunesse et de la vie associative.

M. Bernard Laporte, *secrétaire d'État chargé des sports, de la jeunesse et de la vie associative*. Madame la députée, vous interrogez Roselyne Bachelot-Narquin sur le plan maladies rares. Il s'agit d'un enjeu très important de santé publique puisque l'on dénombre plus de 7 000 maladies rares et qu'il n'est de semaine sans qu'une nouvelle soit répertoriée. Ces maladies touchent entre trois et quatre millions de personnes en France. Ainsi que vous le soulignez, les acquis du plan maladies rares sont majeurs. À ce jour, 131 centres de référence, regroupant des équipes hospitalo-universitaires hautement spécialisées, ont été labellisés. Ces centres prennent généralement en charge un groupe de maladies rares. Afin de permettre un accueil de proximité, 475 centres de compétences, s'articulant avec les centres de références en réseaux de soins, ont été labellisés.

Depuis 2007, la loi permet une prise en charge dérogatoire par la sécurité sociale, lorsqu'il n'existe pas d'alternative appropriée, de toute spécialité, tout produit ou toute prestation prescrits en dehors du périmètre des biens et services remboursables, pour le traitement de maladies rares.

Le site Orphanet répertorie l'ensemble des maladies rares et des médicaments orphelins connus. Il constitue un précieux outil d'information.

En ce qui concerne la recherche, un appel à projets est lancé annuellement par le groupement d'intérêt scientifique " Institut des maladies rares ", en lien avec l'Agence nationale pour la recherche, avec le soutien du ministère chargé de la santé. Financé à hauteur de cinq millions d'euros en 2005, de huit millions d'euros en 2006 et 2007, il a permis de soutenir une quarantaine de projets dans les domaines de la recherche fondamentale, clinique et thérapeutique.

Le programme de recherche clinique, mis en place par le ministère chargé de la santé, permet de financer chaque année une trentaine de projets sur les maladies rares, notamment génétiques, avec un budget annuel de cinq millions d'euros. De plus, les personnes atteintes de maladies rares peuvent bénéficier des dispositions du plan pour l'amélioration de la qualité de vie des patients atteints de maladie chronique.

La qualité de ce plan a incité la plupart des pays de l'Union européenne à adopter des programmes similaires, donnant ainsi à la France une position de leader dans ce domaine. Pendant la présidence française de l'Union européenne, les maladies rares occupent une place importante dans le cadre du thème prioritaire " l'Europe de la santé au service des patients ". Deux colloques y seront spécifiquement consacrés.

À de nombreuses reprises, Roselyne Bachelot-Narquin a déclaré qu'elle tenait à ce que le texte de la consultation européenne sur les maladies rares soit inscrit à l'ordre du jour du comité *ad hoc* de décembre. Elle est également intervenue sur ce thème à deux reprises devant le Parlement européen : les 15 juillet et 25 septembre 2008.

Ainsi que vous le soulignez, madame la députée, Roselyne Bachelot-Narquin attend que le Haut conseil de la santé publique lui remette son rapport d'évaluation, afin d'identifier d'éventuelles autres mesures susceptibles de faire l'objet d'un nouveau plan maladies rares. Les difficultés rencontrées par le Haut conseil au cours de ce travail important l'ont conduit à reporter la date de remise de son rapport à la fin du mois de février 2009.

Quoi qu'il en soit, les acquis du plan maladies rares seront pérennisés qu'il s'agisse du financement des centres de références - 40 millions d'euros -, du financement de la recherche - 2,5 millions d'euros -, ou du financement d'Orphanet - 300 000 euros.

Madame la députée, les malades et leur famille doivent être rassurés. Ainsi que la ministre de la santé, de la jeunesse, des sports et de la vie associative s'y est engagée le 13 mai 2009, à l'occasion de la réunion du comité de suivi de ce plan, l'effort engagé dans le cadre du plan maladies rares sera poursuivi au-delà de 2008.

M. le président. La parole est à Mme Claude Greff.

Mme Claude Greff. Je remercie M. Bernard Laporte d'avoir répondu aussi précisément à cette question ô combien importante. En effet, il faut souligner que la France produit un effort remarquable en matière de recherche et de suivi des maladies dites rares parce que chacune ne touche que peu de personnes mais qui, au fil des découvertes de nouvelles pathologies, finissent par concerner beaucoup de monde.

Il était donc important d'assurer les patients, les familles et les parlementaires concernés de la pérennité de ce plan. C'est le message que je vais transmettre. Tout en sachant que ce plan est évidemment dépendant du rapport attendu, je voudrais féliciter Mme la ministre de l'attention toute particulière qu'elle porte à ces maladies

et la santé en général, et l'assurer de mon soutien en qualité de présidente du groupe d'études et surtout de porte-parole des patients et des milieux médicaux.

### Données clés

**Auteur :** [Mme Claude Greff](#)

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

**Type de question :** Question orale

**Numéro de la question :** 386

**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 :** 7 octobre 2008, page 8467

**Réponse publiée le :** 8 octobre 2008, page 5316

La question a été posée au Gouvernement en séance, parue dans le journal officiel le 7 octobre 2008