



# ASSEMBLÉE NATIONALE

15ème législature

Les maladies rares : une désertification au cœur de « l'excellence française ».

Question écrite n° 3299

## Texte de la question

M. Robin Reda attire l'attention de Mme la ministre des solidarités et de la santé sur les centres de prise en charge des maladies rares. Les maladies rares sont un enjeu majeur de santé publique. En France, derrière les 8 000 maladies rares identifiées à ce jour, ce sont plus de 3 millions de personnes qui sont touchées, soit 4,5 % de la population. Elles concernent dans la moitié des cas des enfants de moins de 5 ans et sont responsables de 10 % des décès des enfants entre un et 5 ans. Le précédent gouvernement évoquait à ce sujet « l'excellence française » et qualifiait « d'exemplaire » les Centres de référence maladies rares (CRMR) responsables de la prise en charge des personnes malades. Les professionnels de santé en revanche, constatent un désarroi massif des familles cherchant désespérément un centre de référence. Les familles victimes de ces maladies ne peuvent plus rester plus longtemps dans l'attente d'indications concernant un centre de référence. À la souffrance de la maladie s'ajoute la souffrance du manque de prise en charge. Il souhaiterait connaître les intentions du Gouvernement à ce sujet et souhaite que celui-ci prenne la mesure de la situation avec lucidité afin d'y remédier au plus vite.

## Texte de la réponse

À l'occasion de la journée internationale des maladies rares, la ministre des solidarités et de la santé et la ministre de l'enseignement supérieur, de la recherche et de l'innovation portent l'ambition d'un troisième plan national 2018-2022. Les maladies rares (environ 7 000) concernent plus de 3 millions de nos concitoyens et environ 25 millions de personnes en Europe. Depuis 2004, deux plans nationaux successifs ont permis, entre autres actions, la création de 23 filières de santé maladies rares qui s'appuient désormais sur 387 centres de référence et 1 800 centres de compétence pour un suivi global (sanitaire, social et médico-social) des personnes malades, au plus proche de leur domicile. Cette organisation inédite est un atout reconnu au niveau international, qui conforte le leadership français dans le domaine des maladies rares. La concertation large menée depuis plusieurs mois avec l'ensemble des professionnels et les associations de patients a permis de définir les priorités d'un troisième plan : - assurer à chaque patient un diagnostic plus rapide et réduire l'errance diagnostique, - renforcer la structuration des bases de données pour accroître le potentiel de recherche, - accroître le rôle des filières pour coordonner les actions des multiples acteurs concernés et accompagner certaines étapes-clés, comme l'annonce du diagnostic, - assurer un parcours plus lisible pour les personnes malades et leur entourage, - encourager l'innovation et la rendre accessible, - mettre en place de nouveaux dépistages néonataux, - conforter le rôle moteur de la France dans la dynamique européenne. Ces priorités devront être déclinées en mesures opérationnelles permettant les évolutions nécessaires au bénéfice des patients et de leur entourage.

## Données clés

**Auteur :** [M. Robin Reda](#)

**Circonscription :** Essonne (7<sup>e</sup> circonscription) - Les Républicains

**Type de question :** Question écrite

**Numéro de la question** : 3299

**Rubrique** : Maladies

**Ministère interrogé** : [Solidarités et santé](#)

**Ministère attributaire** : [Solidarités et santé](#)

Date(s) clé(e)s

**Question publiée au JO le** : [28 novembre 2017](#), page 5835

**Réponse publiée au JO le** : [17 avril 2018](#), page 3306