



# ASSEMBLÉE NATIONALE

## 15ème législature

### Traitement des maladies rares

Question au Gouvernement n° 4844

#### Texte de la question

#### TRAITEMENT DES MALADIES RARES

**M. le président.** La parole est à M. Philippe Berta.

**M. Philippe Berta.** Monsieur le ministre des solidarités et de la santé, un Européen sur dix-sept, soit 3 millions de Français – dont 80 % d'enfants –, sont porteurs de l'une des quelque 7 000 maladies rares, incluant les cancers pédiatriques – et ce nombre est sous-estimé : combien ne sont pas ou mal diagnostiqués ? Combien seront diagnostiqués trop tardivement pour accéder à la solution thérapeutique idoine dans les délais ?

Toutefois, les thérapies avancent : si 8 d'entre elles ont été autorisées en 2 000, 190 l'ont été en 2020 ; 2 800 essais cliniques sont en cours.

Les acteurs de ce domaine des maladies rares sont à mes yeux des pionniers. Les défis qu'ils doivent relever sont désormais les mêmes que pour les pathologies plus communes – cancer, maladies neurodégénératives. Ces défis sont ceux d'un diagnostic rapide et efficace, où la génomique doit prendre toute sa place, mais aussi d'une médecine de précision, voire d'une médecine personnalisée. Il n'est donc pas surprenant que les principales innovations médicales des dernières décennies soient issues du monde des maladies rares. Il est donc hautement prioritaire de soutenir le monde des maladies rares.

À l'échelon national, le plan de relance, les priorités assignées au Conseil stratégique des industries de santé (CSIS), le dernier projet de loi de financement de la sécurité sociale (PLFSS) démontrent la prise de conscience de la nécessité d'investir dans les biothérapies et de faciliter l'accès au marché. À l'échelon européen, je me réjouis que la France ait retenu les maladies rares dans ses priorités pour la présidence de l'Union. La conférence de haut niveau dédiée au parcours de soins et d'innovation pour les maladies rares, le 28 février, sera à cet égard un moment fort.

Beaucoup reste à faire pour que tout citoyen européen puisse accéder avec la même facilité à un diagnostic, et, lorsque cela est possible, à un traitement. La création d'une plateforme européenne permanente pourrait ainsi permettre de maintenir le niveau d'information entre partenaires sur les possibilités offertes pour telle ou telle pathologie.

La question des maladies rares doit également permettre de développer un modèle économique pour ces nouvelles biothérapies, modèle qui s'imposera comme référence pour les autres grandes pathologies. Monsieur le ministre, que pouvez-vous nous dire du futur quatrième plan sur les maladies rares, qui devra traiter ces questions pour que notre pays reste attractif ? Pourquoi ne pas lui adjoindre un grand plan européen, où la France jouerait un rôle majeur ? *(Applaudissements sur les bancs du groupe LaREM et sur quelques bancs du groupe Dem.)*

**M. le président.** La parole est à M. le ministre des solidarités et de la santé.

**M. Olivier Véran, ministre des solidarités et de la santé.** Merci pour votre question, si complète qu'elle donne tous les éléments de réponse que je pourrais vous apporter, ce qui est normal, puisque vous êtes un fin connaisseur de la question. Vous êtes fait partie de ces pionniers – que vous saluez – de la lutte contre les maladies rares : il en a fallu et il en faut encore. (M. Jean-Paul Mattei applaudit.)

L'histoire du traitement des maladies rares est assez récente dans notre pays et elle l'est encore plus en Europe. Vous avez, à juste titre, souligné que, seuls, nous sommes beaucoup moins forts que lorsqu'une coordination européenne fonctionne. C'est la raison pour laquelle nous avons fait le choix, dans le cadre de la présidence française du Conseil de l'Union européenne (PFUE), de mettre la question des maladies rares – notamment celle des cancers pédiatriques – au cœur de nos préoccupations en matière de santé publique, tant pour ce qui est de la capacité de diagnostic et de la prise en charge – le soin apporté aux malades – que du développement de traitements innovants et de notre capacité à les produire et à les fournir le plus rapidement possible aux patients.

Vous l'avez dit, une conférence de haut niveau se tiendra à l'échelle européenne, à laquelle vous participerez : elle permettra de renforcer cette coordination. Qui peut penser que, pour développer la recherche thérapeutique sur des cancers pédiatriques très rares, des équipes de recherche morcelées à travers toute l'Europe seront plus efficaces qu'un grand programme de recherche coordonné à l'échelle européenne ?

La question des moyens est également importante et nous continuerons de les mettre. Le quatrième plan national sur les maladies rares est toujours en cours, puisqu'en raison du retard lié au covid, nous avons décidé de le prolonger d'un an : nous sommes déterminés, évidemment, à renforcer encore la politique menée en la matière.

Vous l'avez dit, la recherche a fait des bonds de géant : le nombre de traitements désormais autorisés, en comparaison d'il y a quelques années, suffit à en attester. Les nouvelles pistes thérapeutiques sont nombreuses. Thérapie génique – dont l'ARN messenger –, anticorps monoclonaux : autant de noms qui semblent parfois encore un peu barbares aux oreilles des Français, mais qui sont peut-être amenés à entrer dans notre quotidien, qui seront peut-être la clé pour éradiquer des maladies dont beaucoup de nos concitoyens sont victimes et peuvent mourir, à commencer par les enfants. *(Applaudissements sur quelques bancs des groupes LaREM et Dem.)*

## Données clés

**Auteur :** [M. Philippe Berta](#)

**Circonscription :** Gard (6<sup>e</sup> circonscription) - Mouvement Démocrate (MoDem) et Démocrates apparentés

**Type de question :** Question au Gouvernement

**Numéro de la question :** 4844

**Rubrique :** Maladies

**Ministère interrogé :** Solidarités et santé

**Ministère attributaire :** Solidarités et santé

## Date(s) clé(s)

**Question publiée au JO le :** [23 février 2022](#)

La question a été posée au Gouvernement en séance, parue dans le journal officiel le [23 février 2022](#)