



ASSEMBLÉE NATIONALE

16ème législature

Faire de la recherche contre la maladie de Charcot une grande cause nationale

Question écrite n° 3364

Texte de la question

Mme Soumya Bourouaha interroge M. le ministre de la santé et de la prévention sur la possibilité d'inscrire la recherche contre la maladie de Charcot comme « grande cause nationale » afin de lui donner davantage de moyens pour identifier les causes et renforcer les études pour un traitement curatif. La sclérose latérale amyotrophique (SLA), ou maladie de Charcot, se déclare en moyenne entre 50 et 70 ans en France et évolue très rapidement chez les personnes atteintes. La paralysie des muscles est totale entre les 3 et 5 ans qui suivent le diagnostic et entraîne le décès des patients. Chaque année, environ 1 000 patients atteints de SLA sont diagnostiqués en France et on compte actuellement environ 7 000 patients. Cette maladie est incurable et les chercheurs ignorent pourquoi celle-ci se déclenche chez certains patients. Le seul facteur identifié concerne ce que les médecins appellent « les cas familiaux », c'est-à-dire que 10 % des cas de SLA sont liés à des mutations génétiques héréditaires. Certes, la recherche progresse quant à l'identification des causes et les études sont nombreuses pour tenter de trouver un traitement efficace pour guérir de cette maladie, mais il est possible d'accélérer ce processus. Parce qu'il faut continuer de soutenir la recherche et amplifier les moyens qui lui sont donnés, elle lui propose de faire de la maladie de Charcot « une grande cause nationale » pour l'année 2023 afin de mieux connaître cette maladie et découvrir, enfin, un traitement curatif ; elle lui demande ses intentions à ce sujet.

Texte de la réponse

La sclérose latérale amyotrophique est une maladie neurodégénérative considérée comme rare (incidence d'1,5 à 2,5 pour 100 000 habitants, de l'ordre de 2 500 nouveaux cas par an en France). La prise en charge thérapeutique est essentiellement symptomatique, ciblée sur le maintien de l'autonomie et la compensation de la dépendance, de prévention des complications et de compensation des déficiences vitales respiratoires et nutritionnelles. Elle est aussi en grande partie supportive et palliative. Consciente de cette problématique, la France a mis en place un dispositif de prise en charge de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) dès 2002. Les plans nationaux maladies rares (PNMR) successifs soutiennent l'effort spécifique porté sur cette pathologie. Une nouvelle campagne de labellisation des sites de référence et des centres de ressources et de compétences sur la SLA est en cours pour la période 2023-2029 avec, pour les équipes retenues, une forte exigence au niveau de leur investissement dans la prise en charge, dans l'enseignement-formation et dans la recherche sur la sclérose amyotrophique. Depuis 2014, la filière de santé maladie rare FILSLAN (sclérose latérale amyotrophique et maladies du neurone moteur) a été mise en place. Elle a pour but de structurer la coordination des centres en favorisant les actions de coordination et d'animation, mais aussi de faciliter le parcours de soins des usagers. Elle impulse et coordonne les actions de recherche entre équipes cliniques et acteurs de la recherche fondamentale. Tous les centres labellisés travaillent étroitement avec les 38 laboratoires de recherche institutionnels et sont associés aux actions de la filière. La filière FILSLAN a un rôle primordial pour faciliter l'orientation, le repérage ainsi que l'accompagnement des personnes atteintes de SLA dans le système de prise en charge thérapeutique et médico-sociale. Elle impulse aussi la recherche sur la SLA, notamment grâce à la collecte des données cliniques stockées à la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR). La

création de cette banque est une volonté issue du plan national maladies rares 2. Sa mise en place et son déploiement sur l'ensemble des sites de prise en charge permettent aux chercheurs l'accès à des données de santé en lien avec les prélèvements de tissus humains de façon beaucoup plus aisée et fiable. Ces actions de collecte de données et de tissus améliorent l'efficacité des actions de recherche menées sur la SLA. Tous les ans, la filière FILSLAN reçoit une enveloppe budgétaire du ministère de la santé et de la prévention pour assumer les différentes missions présentes dans le PNMR3. Cela lui permet de mettre en place diverses actions, comme la création d'une page spécifique sur le site internet (<https://portail-sla.fr/bndmr-bamara/>) pour centraliser toutes les informations et les rendre plus accessibles à tous les publics, l'organisation des journées nationales annuelles des centres ou encore de répondre à des appels à projets ou campagnes de labélisation comme celle de l'infrastructure FCRIN (French Clinical Research Infrastructure Network) en 2021. En outre, les crédits de formation alloués chaque année permettent de mettre en place des actions complémentaires à celles prévues dans chaque axe du PNMR3 (formation à destination des patients-experts et/ou des jeunes médecins, éthique en santé, les situations d'urgence...). L'évolution de la maladie étant progressive, elle nécessite une prise en charge thérapeutique symptomatique, ciblée sur le maintien de l'autonomie et la compensation de la dépendance, de prévention des complications et de compensation des déficiences vitales respiratoires et nutritionnelles. Le plan national maladies rares 3 (PNMR3) soutient et favorise l'éducation thérapeutique du patient (ETP), qui a pour but de développer les compétences d'auto-soins et psychosociales du patient. Il existe 5 programmes ETP dédiés à la SLA. L'association ARSLA (Association pour la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique et autres maladies rares du motoneurone) travaille de façon très étroite sur les questions de recherche avec la filière de santé FILSLAN et représente les associations de patients au sein du comité opérationnel de suivi du plan national maladies rares 3 et dans le groupe de travail urgence coordonné par le directeur général de l'offre de soins. <https://www.arsla.org/> Le PNMR, associant les ministères de la santé et de la prévention et de la recherche, réaffirme la nécessité d'une prise en charge de la SLA par des centres experts, investis dans la recherche, et organise la coordination des centres experts au sein des filières de santé maladies rares par un guichet unique pour un accès rapide aux traitements. Cette dynamique crée un cercle vertueux pour accompagner le plus rapidement le développement et l'accès aux thérapeutiques. En 2023, une nouvelle labellisation des centres de référence maladies rares est en cours et permettra de renforcer le maillage territorial indispensable pour accompagner les personnes malades dans le cadre du soin et permet aussi de renforcer la recherche clinique avec une granularité fine. Le plan français médecine génomique 2025 (PFMG 2025) doit aussi permettre des avancées dans la connaissance de la SLA et ouvrir la voie à de meilleures prises en charge de cette pathologie et de sa recherche en développant une médecine de précision.

Données clés

Auteur : [Mme Soumya Bourouaha](#)

Circonscription : Seine-Saint-Denis (4^e circonscription) - Gauche démocrate et républicaine - NUPES

Type de question : Question écrite

Numéro de la question : 3364

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : Santé et prévention

Ministère attributaire : Santé et prévention

Date(s) clé(s)

Date de signalement : Question signalée au Gouvernement le 27 février 2023

Question publiée au JO le : [22 novembre 2022](#), page 5521

Réponse publiée au JO le : [18 avril 2023](#), page 3694