



ASSEMBLÉE NATIONALE

17ème législature

Quatrième plan national maladies rares

Question au Gouvernement n° 238

Texte de la question

QUATRIÈME PLAN NATIONAL MALADIES RARES

Mme la présidente . La parole est à Mme Isabelle Rauch.

Mme Isabelle Rauch . J'associe à ma question Jérémie Patrier-Leitus et tous mes collègues du groupe Horizons & indépendants.

Ce week-end, les 29 et 30 novembre, la France se mobilise pour le Téléthon, un événement emblématique qui, depuis des décennies, incarne la solidarité et l'espoir pour des milliers de familles touchées par une maladie rare. Le Téléthon n'est pas seulement une collecte de fonds ; c'est une célébration de la résilience humaine, une démonstration que, face à l'adversité, l'union fait la force. Chaque don, chaque geste, chaque heure passée bénévolement pour cette cause contribue à bâtir une médecine nouvelle, à offrir des traitements innovants et à changer la vie de milliers de malades. Nous tenons à saluer tous les bénévoles engagés pour le Téléthon 2024, en ce moment comme tout au long de l'année. Merci à eux. *(Applaudissements sur les bancs du groupe HOR et sur quelques bancs des groupes EPR et Dem. – Mme Stella Dupont applaudit également.)*

Pourtant, à l'heure où nous célébrons cette mobilisation citoyenne, une question demeure : où en est le quatrième plan national maladies rares ? Annoncé en mars, il doit renforcer le développement des thérapies et de l'innovation, afin que l'accès au traitement devienne une réalité pour tous. En 2024, poser un diagnostic de maladie rare reste un enjeu majeur et, malgré d'immenses avancées, seules 5 % des maladies rares font l'objet d'un traitement spécifique. Madame la ministre de la santé et de l'accès aux soins, que compte faire le gouvernement pour qu'aucun projet de développement de thérapeutiques pour des maladies rares ou ultra-rares ne soit interrompu ou ralenti faute de modèle commercial adapté ?

Il est impératif que le gouvernement publie sans délai ce quatrième plan national maladies rares. Les familles, les chercheurs, les associations et tous les acteurs impliqués dans la lutte contre les maladies rares attendent des actions concrètes.

Chaque année, le Téléthon prouve que lorsque la société se mobilise, des barrières qui semblaient infranchissables peuvent être surmontées. Cette dynamique doit être accompagnée d'une volonté politique forte et d'engagements concrets pour transformer cette énergie collective en solutions durables pour les malades et leurs familles. *(Applaudissements sur les bancs du groupe HOR. – Mme Stella Dupont et M. Julien Dive applaudissent également.)*

Mme la présidente . La parole est à Mme la ministre de la santé et de l'accès aux soins.

Mme Geneviève Darrieussecq, *ministre de la santé et de l'accès aux soins* . Merci d'avoir parlé du Téléthon

qui, vous l'avez dit, n'est pas seulement une collecte mais un rendez-vous incontournable pour tous les Français depuis de nombreuses années. Il permet de sensibiliser nos concitoyens et de donner espoir aux malades. Je m'associe à vous pour saluer les bénévoles.

Le quatrième plan national maladies rares est en cours de finalisation. Sa publication est prévue pour le premier trimestre 2025, donc bientôt. Il a été construit avec tous les acteurs concernés – professionnels de santé, chercheurs, familles et associations de patients – et a fait l'objet d'un travail commun des ministères de la santé, de la recherche et, pour la première fois, de l'industrie – afin d'y inclure les thérapies innovantes –, ainsi que de leurs agences.

L'accès aux traitements innovants, sujet majeur, sera une priorité du plan, qui comprendra aussi un volet européen concernant les pathologies ultra-rares. Dans le cadre du PLFSS pour 2025, l'objectif national de dépenses d'assurance maladie inclut son financement à hauteur de 223 millions d'euros. Ces crédits serviront par exemple à la nouvelle labellisation des centres de référence maladies rares, dont le financement est déjà effectif depuis 2024.

Enfin, l'accès au traitement pour les maladies rares ou ultra-rares est un des quatre axes directeurs du plan. Un travail est en cours pour permettre, dans le cadre d'une prise en charge spécifique, l'accès financé par l'assurance maladie à des traitements pour maladie rare ne bénéficiant pas d'une autorisation de mise sur le marché. Enfin, nous développons la collecte des données en vie réelle, capitale pour l'accès à la thérapie.

Nous traitons donc cette question, non seulement financièrement mais aussi par une approche plus complète intégrant l'industrie et la recherche.

Mme la présidente . La parole est à Mme Isabelle Rauch.

Mme Isabelle Rauch . Merci pour votre réponse. Nous espérons que ce plan verra le jour et ne sera pas interrompu, car les malades, les familles et les chercheurs en ont besoin. *(Applaudissements sur les bancs du groupe HOR. – Mmes Céline Calvez et Stella Dupont applaudissent également.)*

Données clés

Auteur : [Mme Isabelle Rauch](#)

Circonscription : Moselle (9^e circonscription) - Horizons & Indépendants

Type de question : Question au Gouvernement

Numéro de la question : 238

Rubrique : Maladies

Ministère interrogé : Santé et accès aux soins

Ministère attributaire : Santé et accès aux soins

Date(s) clé(s)

Question publiée le : 28 novembre 2024

La question a été posée au Gouvernement en séance, parue dans le journal officiel le 28 novembre 2024