



**Xavier Bertrand**

Ministre de la Santé et des Solidarités

***Discours***

***Sous réserve du prononcé***

---

**Colloque**

**" la lutte contre les maladies rares : l'espoir"**

***Salle Victor Hugo  
Assemblée Nationale***

Jeudi 11 mai 2006 – 9 h

**CONTACT PRESSE : Gwladys Huré : Tél. 01 40 56 40 14**

**[www.sante.gouv.fr](http://www.sante.gouv.fr)**

Madame le Ministre, Chère Marie-Anne Monchamp,  
Monsieur le Président, Cher Marc Laffineur,  
Mesdames et Messieurs les Députés,  
Mesdames et Messieurs,

Je m'étais engagé à suivre l'avancement des Plans de santé publique : je remercie donc le député Marc Laffineur, à l'initiative de ce colloque, de me permettre de tracer devant vous un bilan du Plan Maladies rares. Et je veux surtout le féliciter pour son engagement pour l'amélioration de la prise en charge et de la recherche sur les maladies orphelines.

Avec les maladies rares, il faut apprendre à reconnaître et à traiter l'exception, à partager l'information et l'expérience, à organiser des réseaux appuyés sur des centres de référence. Ces maladies, parfois à l'origine de douleurs chroniques, peuvent être responsables de handicap et mettre en jeu le pronostic vital dans plus de la moitié des cas. J'ai présenté le 3 mars 2006 un plan d'amélioration de la prise en charge de la douleur dont l'un des axes concerne les douleurs chroniques et la douleur de la personne handicapée.

**I- Les premiers résultats du « Plan national Maladies rares 2005-2008 », lancé le 20 novembre 2004, sont encourageants :**

- en matière d'**information des professionnels de santé, des malades et du grand public** grâce au travail remarquable engagé par Orphanet. Cette base de données, véritable « portail des maladies rares », est essentielle et permet d'éviter « l'errance diagnostique » qui caractérise encore trop souvent les maladies rares. En lui accordant 300 000 euros par an, la Direction générale de la santé a pu doubler son financement en 2005.
- Mais ils sont également encourageants en matière d'organisation des soins, avec la **labellisation de 67 premiers centres de référence de Maladies rares**, structures d'expertise et de recours pour une ou un groupe de maladies rares qui permettent désormais aux malades de mieux s'orienter dans le dispositif de soins, et disposer rapidement d'un diagnostic.

**Notre objectif est d'atteindre au moins 100 centres de référence labellisés avant la fin de l'année 2006.**

Je peux d'ores et déjà vous indiquer que pour l'appel à projets de l'année 2006, 75 candidatures ont déjà été présélectionnées et sont actuellement en cours d'expertise. La priorité sera donnée aux thématiques non couvertes par les appels à projets 2004 et 2005.

- Enfin, nous progressons en matière de réponse aux **besoins spécifiques d'accompagnement des personnes atteintes de maladies rares**, en organisant, notamment au travers des maisons départementales du handicap, des liens avec les centres de référence pour adapter au mieux les dispositifs de compensation aux handicaps liés à ces maladies.

## **II- Mais nous devons maintenant amplifier notre action afin d'améliorer la prise en charge des patients atteints de maladies rares.**

Je souhaite simplifier les démarches administratives pour les malades avec un seul et unique principe pour l'atteindre : l'équité dans la prise en charge de leurs soins quels que soient la maladie rare et le lieu de cette prise en charge.

➤ Concernant la **reconnaissance de la spécificité des maladies rares dans le dispositif de prise en charge en ALD** et dans le prolongement de l'avis rendu par la Haute Autorité de Santé le 24 novembre dernier, j'ai demandé au directeur général de la CNAMTS et au directeur de la Sécurité Sociale de mettre en œuvre rapidement les dispositions législatives et réglementaires nécessaires qui doivent permettre :

- de supprimer la règle imposant le réexamen systématique au bout de deux ans des ALD 31 et 32 pour les maladies rares. Il est possible en effet de fixer ce délai dans le protocole de soins signé par le médecin traitant, le patient et le médecin conseil, comme le prévoit la loi portant réforme de l'assurance maladie du 13 août 2004 ;
- de permettre la prise en charge par l'assurance maladie de prestations considérées comme nécessaires au titre de la maladie rare concernée, mais qui ne sont pas incluses dans le périmètre des biens et services remboursables, comme c'est le cas des crèmes écran total utilisées chez les « enfants de la lune » ;
- d'instituer un comité de coordination inter-régimes *ad hoc* rattaché à l'assurance maladie. Ce comité serait chargé d'homogénéiser la prise en charge en ALD sur l'ensemble du territoire, en lien avec des experts des centres de référence ;
- enfin et conformément à ce qui est prévu dans le cadre du plan, j'ai également demandé à la CNAMTS de simplifier les procédures de prise en charge des frais de transports pour les malades suivis dans les centres de référence.

➤ **Nous devons aussi renforcer l'information pour les malades et leur famille :**

C'est pourquoi nous développons, en partenariat avec les associations de malades, des outils d'information comme les cartes d'urgence et de soins pour les malades ayant des pathologies posant des problèmes de prise en charge, comme c'est le cas de la drépanocytose, la mucoviscidose, l'ostéogénèse imparfaite, l'hémophilie ou encore les maladies neuromusculaires.

➤ La mise en œuvre de la filière de soins doit être finalisée par la mise en place des correspondants régionaux des centres de référence afin de répondre aux besoins de proximité des personnes atteintes de maladies rares et de leurs familles. L'année 2007 permettra de désigner les « centres de compétences », identifiés par les centres de référence et qualifiés par les Agences Régionales de l'Hospitalisation sur la base d'un cahier des charges qui sera établi au niveau national. Une circulaire sera établie au cours du deuxième semestre 2006 sur ce sujet.

- **Si les connaissances sur l'origine de ces maladies ont significativement progressé, notamment par l'identification des gènes qui permet déjà de diagnostiquer formellement plus de 800 maladies, des progrès restent encore à faire en matière de recherche.**

La recherche sur les maladies rares figure parmi les thématiques du programme hospitalier de recherche clinique (PHRC) depuis 4 ans. Elle est devenue une priorité de ce programme depuis 2005 jusqu'à 2008. Le ministère de la Santé et des Solidarités a retenu 38 projets de recherche ces deux dernières années pour un montant de 10,5 millions d'euros.

Le ministère contribue également à financer le « GIS Maladies Rares » avec en particulier l'Association de lutte contre les myopathies (AFM), qui finance pour sa part – et je l'en remercie – de nombreux programmes de recherche, notamment à travers le Généthon que j'ai visité en janvier. En 2005, ce groupement a été l'opérateur de l'Agence nationale de la Recherche, en association avec l'AFM, pour sélectionner les projets scientifiques « maladies rares ». Cette agence leur a accordé 10 millions d'euros pour les années 2005 et 2006.

Je me réjouis que les deux financements pour la recherche clinique et pour la recherche fondamentale aient pu être supérieurs en 2005 à ce qu'était initialement prévu dans le « Plan Maladies rares ».

Comme vous le savez, les recherches menées à partir de cellules souches sont porteuses de très grands espoirs. Elles constituent une « nouvelle frontière » pour la recherche médicale et pour l'action des pouvoirs publics en matière de santé. La loi de Bioéthique d'août 2004 permet aux chercheurs français de travailler sur ces cellules. Le décret attendu par toute la communauté scientifique sur la recherche sur l'embryon a été publié le 7 février, ce qui permet d'ouvrir de nouvelles perspectives en matière de lutte contre les maladies rares, dans le respect des exigences éthiques.

- **Il nous faut aussi poursuivre notre effort, déjà considérable, en faveur des médicaments orphelins.**

La France garantit à ses patients l'accès à tous les médicaments orphelins dans les mêmes conditions que l'ensemble des autres médicaments, ce qui n'est pas le cas de tous les pays européens.

Les produits, qui ne sont pas encore inscrits sur les listes de médicaments remboursables avant l'AMM, bénéficient de systèmes spécifiques comme les autorisations temporaires d'utilisation (ATU).

Il reste cependant quelques cas où l'ensemble des procédures en place ne permet pas la prise en charge et où celle-ci relève d'initiatives locales ou de fonds de solidarité. C'est pour ces patients que je veux proposer des réponses appropriées : d'une part, dans le cadre des affections de longue durée, nous mettons en place avec l'HAS, des procédures « exceptionnelles » ou dérogatoires qui compléteront les dispositifs existants, afin de prendre en charge tous les produits de santé indispensables au traitement, et quel que soit leur statut. Il est d'autre part des périodes dans le déroulement des procédures où le médicament peut « échapper » à la prise en charge, par exemple entre la délivrance de l'AMM et l'inscription au

remboursement, période où les AMM ne peuvent plus être attribuées. Mes services examinent la possibilité de compléter les réglementations sur ce point. Ces dispositifs seront mis en place avant la fin de l'année 2006.

En outre, l'Europe et la France ont mis en place des incitations au développement et à la mise sur le marché des médicaments orphelins. Ils sont exonérés en France de nombreuses taxes<sup>1</sup>. L'Europe pour sa part accorde une exclusivité commerciale de 10 ans pour ces produits. Nous souhaitons intensifier cette collaboration européenne.

- **Enfin, nous devons renforcer le développement des partenariats entre les différents acteurs de la lutte contre les maladies rares tant sur le plan national qu'europpéen.**

Favoriser les partenariats entre les hôpitaux, l'Etat, l'INSERM et les associations de patients est un gage de réussite dans notre combat contre les maladies rares - comme le fait efficacement la « Plate-forme des Maladies rares » à l'hôpital Broussais. C'est en mutualisant nos efforts, c'est en développant les complémentarités sur le territoire français ou à l'échelle européenne que nous arriverons à améliorer la prise en charge de ces malades. Cela est vrai tant pour le diagnostic que pour la recherche de maladies qui touchent un très faible nombre de patients – parfois une petite dizaine.

**Je me réjouis que l'Assistance Publique - Hôpitaux de Paris ait pu proposer une solution pérenne afin de maintenir à Broussais la « Plate-forme des Maladies rares »** qui constitue un modèle de partenariat associatif et de recherche.

**Par ailleurs, je veux rappeler l'engagement de la France au niveau européen dans ce domaine.** La recherche sur les maladies rares est un domaine où l'action européenne en matière de santé est un atout évident. En effet, le passage à l'homme des thérapeutiques innovantes géniques et cellulaires nécessite un effort concerté et solidaire à l'échelle de l'Europe entière. Cela nous permettra de mener des études à une échelle suffisante, de bénéficier de centres et de professionnels de santé spécialisés en nombre suffisant pour réaliser de réelles avancées. Et les moyens financiers mobilisés permettront de faire avancer plus vite la recherche, et de rendre les thérapies plus facilement accessibles aux patients.

La France est l'un des pays les plus avancés dans la lutte contre les maladies rares. C'est pourquoi notre pays a été choisi pour assurer la présidence à Bruxelles en 2006 du groupe sur l'identification des centres de référence européens. Ce réseau d'expertise européen permettra d'améliorer l'accès au diagnostic et aux soins et de renforcer les collaborations en matière de recherche.

Mais nous avons décidé d'aller plus loin, en proposant un projet d'intérêt général européen, valorisant les centres d'excellence et les réseaux, notamment le Généthon. Le pilotage de ce programme pourrait être confié au « Groupe à haut niveau sur les services de santé et les soins médicaux » mis en place par la

---

<sup>1</sup> Exonération totale de la taxe sur les dépenses de promotion des médicaments, de celle sur les ventes de médicaments, de celle sur les ventes directes et de celle sur la distribution de médicaments et exonération partielle de la taxe assise sur le chiffre d'affaires des entreprises pharmaceutiques à compter de 2006.

Commission européenne en 2004. Il s'agit de développer en commun des actions de coopération de recherche entre l'ensemble des Etats membres qui repose sur une base de volontariat inter-gouvernemental. **Le Président de la République a décidé de porter avec force et conviction ce projet d'Alliance européenne contre les maladies rares qui devrait prochainement voir le jour.** Cela représente un espoir unique de voir se réaliser des avancées considérables pour les patients atteints de ces maladies. Cela montre combien les bienfaits de l'Europe peuvent être immédiats pour tous nos concitoyens.

&&&

Je suis convaincu que, grâce à nos efforts et en particulier, à ceux des sociétés savantes, grâce à la mobilisation des institutions et celle des associations de patients, nous parviendrons ensemble à combattre la souffrance de ces malades, à leur offrir demain un véritable espoir thérapeutique.