



Les maladies rares sont-elles encore une priorité en France ?

Tel était le thème abordé le 15 Juin 2010, à la maison de la Recherche à Paris, par Mr Philippe Lamoureux, Directeur général du LEEM « les entreprises du médicament ».

Les entreprises du médicament soutiennent, au sein du LEEM, depuis plus de 10 ans le combat contre les maladies rares. Le LEEM participe aussi à l'élaboration du second plan national pour les maladies rares.

Ainsi depuis 10 ans, 60 médicaments désignés « orphelins » ont été autorisés en procédure européenne, accord de mise sur le marché validé par l'EMA (European Medicines Agency - Agence Européenne des Médicaments) basée à Londres.

Programme du séminaire :

Le plan National Maladies Rares n° 2 : par le Professeur Gil Tchernia, Président du comité d'élaboration du 2^{ème} plan national maladies rares (2010-2014).

Le Pr. Tchernia indique qu'il y a 7.000 maladies rares dont 80 % sont d'origine génétique et concerne 3 millions de malades en France.

Il précise que les associations de malades ont précédé les pouvoirs publics pour ces maladies rares.

Le premier plan 2004-2008 a créé les 131 centres de référence.

Quelques critiques : hétérogénéité des centres, données insuffisantes, biologie insuffisamment prise en compte, suivi du plan non rigoureux, **insuffisance d'un appui local aux malades et inégalité géographique.**

Pas d'annonce officielle du 2^{ème} plan, mais il rappelle que le Président Nicolas Sarkozy s'est officiellement engagé près de Madame Laurence Tiennot-Herment, Présidente de l'AFM (Association française contre les Myopathies organisatrice du Téléthon).

Ce plan 2010-2014 concerne 7 axes, 81 actions dont 51 évaluées financièrement, 34 réunions avec 177 participants.

Axe 1 : Recueil de données, connaissance des maladies rares et de leurs conséquences médico-socio-économiques

Axe 2 : Prise en charge financière et remboursement

Axe 3 : Formation et information

Axe 4 : Diagnostic, soins et prise en charge médicale et sociale

Axe 5 : Médicaments spécifiques

Axe 6 : Recherche

Axe 7 : Coopération européenne et internationale

Non annoncé officiellement, *je ne peux donner les détails*, mais le but de ce plan est de simplifier au quotidien la vie des malades, celle des docteurs des centres de référence et de compétence, d'articuler expertise nationale et actions régionales, et faire une place plus importante à la biologie.

Le 16 Février a eu lieu la première réunion du comité de pilotage, 4 cabinets ministériels se sont réunis les 26 Mars et 4 Avril, le cabinet Santé et Finances le 25 Mai.

Il reste une réunion interministérielle avant l'annonce officielle de ce plan.

Dès que j'en ai connaissance je vous adresse un message.

14 rue Panneton 44470 CARQUEFOU - Tél. : 02 40 50 85 30

Courriel amws@orange.fr site www.amws-cinca.eu

L'AMWS-CINCA est référencée à AAS (Annuaire des Associations de Santé), EURORDIS Rare Diseases Europe, et ORPHANET

Déclarée le 21 Juin 2006 à la Préfecture de Nantes, parution au journal officiel du 15 Juillet 2006

Modification des statuts en date du 13 Septembre 2008 parution au J.O. du 6 Décembre 2008

Thèmes ensuite abordés :

- Rôle des industries de santé dans l'amélioration de la prise en charge des maladies rares.
- Epidémiologie : un enjeu prioritaire pour les axes de recherches et l'évaluation des besoins.
- Autorisation de Mise sur le Marché et amélioration du service médical rendu.
- Le prix et les barrières d'entrée.

Sur tous ces vastes sujets je retiens que :

- les labos regrettent l'absence du public pour les développements cliniques,
- qu'un médicament est développé sur une période de 7 ans avec des essais cliniques rigoureux et difficiles par l'absence de documentation sur ces maladies peu connues,
- qu'il est nécessaire d'avoir un service médical rendu pour les nouveaux produits,
- que les malades sont experts de leurs maladies, qu'ils doivent avoir un égal accès à l'innovation thérapeutique.

Des débats contradictoires entre les responsables des labos, le Président du Comité Economique des Produits de Santé (CEPS) et le Médecin conseil de la CNAMTS (caisse nationale d'assurance maladie des travailleurs salariés), **ont parfois été très animés. Malheureusement la parole n'a pas été donnée aux associations présentes**

Monsieur Yann Le Cam, directeur d'Eurordis, qui était intervenant à la table ronde sur l'AMM, a vivement réagi aux paroles du Président du CEPS et a bien défendu les associations de malades.

Je retiendrai aussi l'intervention du **Professeur Gilles Bouvenot Président de la commission transparence à la Haute Autorité de Santé** qui a rappelé :

Pour l'autorisation d'AMM, la commission est indépendante, le caractère onéreux de tel ou tel médicament n'entre pas en ligne pour apprécier le service médical rendu.

La commission en tant que telle, ne doit pas s'occuper du prix mais être sévère quant à l'évaluation du produit au niveau exigence méthodologique et scientifique et de qualité de vie pour les malades.

Bien que se sachant filmé et enregistré pour la presse médicale présente dans la salle adjacente, le Professeur Bouvenot n'a pas mâché ses mots quant à l'indépendance de la commission qu'il préside.



A l'issue du séminaire, je me suis entretenu avec :

1 - le Docteur Aïda Jolivet, médecin conseil de la CNAMTS qui a dit, entre autres, lors de son intervention, **que tous les malades doivent être soignés.**

Je lui ai fait part de mon parcours du combattant pour obtenir le kineret, **normalement, cela ne devrait plus arriver avec le nouveau plan, m'a-t-elle répondu !**

2 -Monsieur Claude Bougé, Directeur général adjoint du Leem au sujet de la collecte des Dasri (déchets d'activités de soins à risques infectieux) :

En effet, la loi de finance 2009 a prévu que les officines de pharmacies collectent ces Dasri à compter du 1/1/2010 et, à la page 19 du rapport du LEEM, il est indiqué qu'une filière efficiente et économique pour la récupération des Dasri a été proposée.

A ce jour rien n'est en place : question quand cette filière verra-t-elle jour ?

Monsieur Bougé m'a répondu que cette étude existe bien, que la filière est difficile à mettre en place et que cela coûte cher, **mais cette filière va bien voir le jour.**

Donc, deux dossiers à ne pas perdre de vue : si vous avez des infos à ce sujet n'hésitez pas à me les transmettre.

Carquefou le 27 Juin 2010

Paul