

## Lutte contre les maladies rares : l'appel de cent sénateurs



Cent sénateurs appellent Agnès Buzyn, la ministre de la Santé, à faire la lumière sur l'utilisation des crédits dans la lutte contre les maladies rares et donner aux patients, ainsi qu'aux médecins, les moyens matériels de continuer à se battre. - Crédits photo : VINCENT BOISOT/Le Figaro

---

TRIBUNE - Ces élus appellent la ministre de la Santé à veiller à ce que le budget alloué à la recherche et à la prise en charge des maladies rares, qui touchent 3 millions de Français, soit maintenu.

Certaines sont bien connues, comme la maladie des «os de verre», pour laquelle le squelette est si délicat qu'il peut se fracturer au moindre choc, ou encore **la maladie des «enfants de la lune»** (<http://sante.lefigaro.fr/actualite/2012/04/10/17942-premier-bain-soleil-pour-enfants-lune>), dont la peau ne peut supporter le moindre rayon de soleil. D'autres sont moins médiatisées mais tout aussi singulières: le syndrome d'Ondine, maladie neurologique empêchant le cerveau de commander la fonction respiratoire, ou encore l'amyotrophie spinale, se caractérisant par une «atrophie» de certains muscles du fait de la dégénérescence des cellules nerveuses. À celles-ci s'ajoutent les maladies dites auto-immunes, qui voient le système immunitaire d'une personne s'attaquer à son propre organisme. C'est le cas du **lupus** (<http://sante.lefigaro.fr/article/le-lupus-une-maladie-mysterieuse-qui-touche-surtout-les-femmes/>), caractérisé par des inflammations cutanées, ou encore de la cryoglobulinémie, entraînant de graves troubles de la circulation sanguine.

Toutes ces maladies ont un point commun: elles sont dites «rares», ce qui correspond à une définition médicale précise, à savoir qu'elles atteignent une personne sur 2000. On en recense 7000 dans le monde, pour la plupart graves, évolutives et invalidantes. En

France, 3 millions de personnes sont ainsi concernées. Mais ces maladies ont aussi une autre particularité: elles touchent le plus souvent les enfants.

---

## **68 % des centres n'ont toujours pas perçu leur dotation budgétaire, que cela soit en totalité ou en partie**

---

Or les centres qui luttent chaque jour contre ces maladies rares - c'est-à-dire les 363 centres de référence labellisés sur tout le territoire, qui coordonnent la prise en charge des patients et conduisent les recherches sur ces maladies - sont aujourd'hui en danger. Les crédits publics qui leur sont dédiés, au lieu de leur parvenir directement, transitent désormais par les directions financières des hôpitaux, qui ne les font pas suivre ou leur imposent des frais de structure particulièrement élevés. Nous parlons ici de sommes considérables: 89 millions d'euros par an sont dédiés à ces centres. D'après l'enquête réalisée par les responsables des filières maladies rares il y a quelques semaines, 68 % des centres n'ont toujours pas perçu leur dotation budgétaire, que cela soit en totalité ou en partie.

Nous nous joignons donc aux médecins et aux patients concernés pour dénoncer cette situation inacceptable. Car cela affecte directement des enfants, des parents et des adultes qui vivent déjà - pour connaître ne serait-ce que le nom de la maladie dont ils sont atteints - un véritable parcours du combattant. Ces maladies sont en effet si particulières que leur diagnostic exact prend en moyenne quatre ans. Quatre longues années d'attente, d'errance, d'angoisse permanente pour les parents, de souffrance pour les enfants et les patients adultes qui se retrouvent bien seuls face à l'incertitude.

---

**Nous ne pouvons accepter un recul de l'expertise de nos spécialistes, pas plus que celui de l'accès aux soins et de la qualité du suivi des patients, dont la fragilité nous oblige**

---

Ce délai a déjà été sensiblement réduit grâce aux actions engagées par les pouvoirs publics depuis plusieurs décennies, notamment avec la mise en place des centres de référence. Ce fut Simone Veil, alors ministre des Affaires sociales, qui la première s'engagea dans ce combat, avant que ne se succèdent deux plans nationaux à partir de 2005. **Le troisième plan, finalement lancé ce mercredi par le gouvernement** (<http://sante.lefigaro.fr/article/le-gouvernement-lance-un-nouveau-plan-ambitieux-contre-les-maladies-rares/>), semble aller dans le bon sens, mais encore faut-il que les budgets parviennent à leurs destinataires.

Notre pays est devenu pionnier dans la lutte contre les maladies rares. Nous ne pouvons accepter un recul de l'expertise de nos spécialistes, pas plus que celui de l'accès aux soins et de la qualité du suivi des patients, dont la fragilité nous oblige. Rien ne saurait justifier la confiscation de ces crédits publics: ni le déficit des groupes hospitaliers qu'il faut combler ni de quelconques difficultés administratives. Il appartient à Mme Agnès Buzyn d'agir rapidement pour faire la lumière sur l'utilisation de ces crédits et donner aux patients, ainsi qu'aux médecins, les moyens matériels de continuer à se battre. Les annonces doivent être suivies d'actions. **La récente mise au point par une équipe française de l'hôpital Necker d'un traitement contre le syndrome de Cloves** (<http://www.lefigaro.fr/sciences/2018/06/13/01008-20180613ARTFIG00362-le-spectaculaire-succes-francais-contre-une-maladie-genetique-deformante.php>) ne fait qu'affermir notre résolution.

### **Les signataires de la tribune:**

Evelyne RENAUD-GARABEDIAN, Sénateur des Français établis hors de France

Cosignataires: Jean-Pierre BANSARD, Sénateur des Français établis hors de France ; Viviane ARTIGALAS, Sénatrice des Hautes-Pyrénées ; Serge BABARY, Sénateur d'Indre-et-Loire ; Philippe BAS, Sénateur de la Manche ; Arnaud BAZIN, Sénateur du Val-d'Oise ; Anne-Marie BERTRAND, Sénateur des Bouches-du-Rhône ; Bernard BONNE, Sénateur de la Loire ; Pascale BORIES, Sénatrice du Gard ; Gilbert BOUCHET, Sénateur de la Drôme ; Céline BOULAY-ESPERONNIER, Sénatrice de Paris ; François-Noël BUFFET, Sénateur du Rhône ; Olivier CADIC, Sénateur des Français établis hors de France ; François CALVET, Sénateur des Pyrénées-Orientales ; Christian CAMBON, Sénateur du Val-de-Marne ; Agnès CANAYER, Sénateur de Seine-Maritime ; Jean-Noël CARDOUX, Sénateur du Loiret ; Patrick CHAIZE, Sénateur de l'Ain ; Pierre CHARON, Sénateur de Paris ; Marie-Christine CHAUVIN, Sénateur du Jura ; Marta de CIDRAC, Sénatrice des Yvelines ; Philippe DALLIER, Sénateur de Seine-Saint-Denis ; René DANESI, Sénateur du Haut-Rhin ; Mathieu DARNAUD, Sénateur de l'Ardèche ; Marc-Philippe DAUBRESSE, Sénateur du Nord ; Yves DAUDIGNY, Sénateur de l'Aisne ; Nathalie DELATTRE, Sénatrice de la Gironde ; Catherine DEROCHE, Sénatrice du Maine-et-Loire ; Yves DETRAIGNE, Sénateur de la Marne ;

Philippe DOMINATI, Sénateur de Paris ; Catherine DUMAS, Sénateur de Paris ; Laurent DUPLOMB, Sénateur de la Haute-Loire ; Dominique ESTROSI-SASSONE, Sénateur des Alpes-Maritimes ; Jacqueline EUSTACHE-BRINIOT, Sénatrice du Val-d'Oise ; Françoise FERAT, Sénateur de la Marne ; Alain FOUICHE, Sénateur de la Vienne ; Bernard FOURNIER, Sénateur de la Loire ; Joëlle GARRIAUD-MAYLAM, Sénateur des Français établis hors de France ; Jacques GENEST, Sénateur de l'Ardèche ; Bruno GILLES, Sénateur des Bouches-du-Rhône ; Colette GIUDICELLI, Sénateur des Alpes-Maritimes ; Éric GOLD, Sénateur du Puy-de-Dôme ; Jean-Pierre GRAND, Sénateur de l'Hérault ; Daniel GREMILLET, Sénateur des Vosges ; François GROSDIDIER, Sénateur de la Moselle ; Pascale GRUNY, Sénateur de l'Aisne ; Joël GUERRIAU, Sénateur de la Loire-Atlantique ; Olivier HENNO, Sénateur du Nord ; Alain HOUPERT, Sénateur de la Côte-d'Or ; Jean-Raymond HUGONET, Sénateur de l'Essonne ; Corinne IMBERT, Sénatrice de la Charente-Maritime ; Jean-Marie JANSSENS, Sénateur du Loir-et-Cher ; Sophie JOISSAINS, Sénateur des Bouches-du-Rhône ; Muriel JOURDA, Sénateur du Morbihan ; Claudine KAUFMANN, Sénatrice du Var ; Guy-Dominique KENNEL, Sénateur du Bas-Rhin ; Joël LABBE, Sénateur du Morbihan ; Françoise LABORDE, Sénatrice de la Haute-Garonne ; Elisabeth LAMURE, Sénateur du Rhône ; Christine LANFRANCHI-DORGAL, Sénatrice du Var ; Robert LAUFOAULU, Sénateur des Iles Wallis et Futuna ; Daniel LAURENT, Sénateur de la Charente-Maritime ; Ronan LE GLEUT, Sénateur des Français établis hors de France ; Antoine LEFEVRE, Sénateur de l'Aisne ; Jean-Pierre LELEUX, Sénateur des Alpes-Maritimes ; Henri LEROY, Sénateur des Alpes-Maritimes ; Brigitte LHERBIER, Sénatrice du Nord ; Anne-Catherine LOISIER, Sénatrice de la Côte-d'Or ; Jean-François LONGEOT, Sénateur du Doubs ; Gérard LONGUET, Sénateur de la Meuse ; Vivette LOPEZ, Sénateur du Gard ; Pierre LOUAULT, Sénateur d'Indre-et-Loire ; Michel MAGRAS, Sénateur de Saint-Barthélemy ; Hervé MARSEILLE, Sénateur des Hauts-de-Seine ; Jean-François MAYET, Sénateur de l'Indre ; Marie MERCIER, Sénateur de Saône-et-Loire ; Sébastien MEURANT, Sénateur du Val-d'Oise ; Brigitte MICOULEAU, Sénatrice de la Haute-Garonne ; Alain MILON, Sénateur du Vaucluse ; Jean-Pierre MOGA, Sénateur du Lot-et-Garonne ; Patricia MORHET-RICHAUD, Sénatrice des Hautes-Alpes ; Cyril PELLEVAL, Sénateur de la Haute-Savoie ; Philippe PEMEZEC, Sénateur des Hauts-de-Seine ; Cédric PERRIN, Sénateur du Territoire de Belfort ; Jackie PIERRE, Sénateur des Vosges ; François PILLET, Sénateur du Cher ; Gérard POADJA, Sénateur de la Nouvelle-Calédonie ; Rémy POINTEREAU, Sénateur du Cher ; Sophie PRIMAS, Sénateur des Yvelines ; Christophe PRIOU, Sénateur de la Loire-Atlantique ; Catherine PROCACCIA, Sénateur du Val-de-Marne ; Sonia de la PROVÔTE, Sénatrice du Calvados ; Isabelle RAIMOND-PAVERO, Sénateur d'Indre-et-Loire ; Michel RAISON, Sénateur de la Haute-Saône ; Jean-François RAPIN, Sénateur du Pas-de-Calais ; Charles REVET ; Sénateur de la Seine-Maritime ; René-Paul SAVARY, Sénateur de la Marne ; Michel SAVIN, Sénateur de l'Isère ; Jean-Pierre VIAL, Sénateur de la Savoie ; Michèle VULLIEN, Sénatrice du Rhône ; Dany WATTEBLED, Sénateur du Nord.