

## 15ème législature

<b>Question N° :</b> <b>7786</b>	De <b>Mme Marie-Christine Verdier-Jouclas</b> ( La République en Marche - Tarn )	<b>Question écrite</b>
<b>Ministère interrogé</b> > Solidarités et santé		<b>Ministère attributaire</b> > Solidarités et santé
<b>Rubrique</b> >maladies	<b>Tête d'analyse</b> >Centres de compétences pour les maladies rares	<b>Analyse</b> > Centres de compétences pour les maladies rares.
Question publiée au JO le : <b>24/04/2018</b> Réponse publiée au JO le : <b>26/11/2019</b> page : <b>10341</b> Date de signalement : <b>22/10/2019</b>		

### Texte de la question

Mme Marie-Christine Verdier-Jouclas interroge Mme la ministre des solidarités et de la santé sur les centres de référence labellisés et centres de compétences désignés pour la prise en charge d'une maladie rare ou d'un groupe de maladies rares. L'Institut Lejeune, maintenant rattaché à l'Hôpital Paris Saint-Joseph, est mondialement connu pour ses recherches et les soins apportés aux personnes ayant une déficience d'origine génétique. L'Institut Lejeune apporte un véritable soutien aux patients et aux parents, par exemple d'un enfant porteur d'une trisomie 21, par le biais de ses consultations approfondies permettant d'établir un bilan complet pour le bien être actuel et le développement futur de ces derniers. Ceci étant, ni l'Institut Lejeune ni l'Hôpital Saint-Joseph ne sont considérés comme des centres de compétence labellisés au titre du plan maladie rares. Il apparaîtrait que pour l'Institut Lejeune, une erreur matérielle pourtant régularisée dans les délais prévus par la procédure, avait conduit le ministère de la santé à écarter sa candidature alors-même qu'il remplit bien toutes les conditions requises. Elle souhaite donc connaître les raisons pour lesquelles ces structures ne sont pas labellisées et par quel moyen le ministère des solidarités et de la santé pourrait intervenir afin que cette reconnaissance puisse être établie.

### Texte de la réponse

L'Institut Lejeune-Hôpital Saint Joseph avait soumis un dossier dans le cadre de l'appel à candidatures pour la labellisation des centres de référence sur les maladies rares 2017-2022. Cependant, après expertise collégiale et indépendante, le jury constitué pour instruire les dossiers reçus n'a pas retenu cette candidature (comme ce fut le cas de 128 autres) et les préconisations portées par le jury ont été respectées par la ministre des solidarités et de la santé. Il est toutefois important de souligner que la prise en charge des personnes atteintes de trisomie 21 n'est nullement remise en cause. En effet, Orphanet, le portail des maladies rares et des médicaments orphelins répertorie 101 centres de référence labellisés susceptibles de prendre en charge cette maladie. Ces centres sont rattachés majoritairement à 3 filières : AnDDi-Rares, DéfiScience et NeuroSphinx. Ils permettent d'avoir un maillage territorial plus fin et de couvrir ainsi l'ensemble du territoire national comme le veut la loi du 24 juillet 2019 relative à l'organisation et à la transformation du système de santé. Un des centres coordonnateurs de la filière AnDDi-Rares est également porteur d'un nouveau Protocole national de diagnostic et de soins (PNDS) : « Prise en charge médicale et paramédicale des enfants et adultes atteints de Trisomie 21 ». La rédaction de ce PNDS réunit plus de quarante experts de centres de référence sur les maladies rares attachés aux filières de santé : AnDDi-Rares, DéfiScience, SENSGENE, NeuroSphinx, G2M, MARIH, Fimarad, Brain-Team et FAI2R. Le ministère des solidarités et de la santé soutient financièrement ce projet. Les enfants et adultes porteurs de trisomie 21 peuvent



aussi se rapprocher d'associations comme « Trisomie 21 France » ou la « Fédération des Associations pour l'insertion sociale des personnes porteuses d'une trisomie 21 ». Ces associations organisent régulièrement des colloques avec les filières de santé maladies rares.