



16ème législature

Question N° : 1222	De M. Ian Boucard (Les Républicains - Territoire de Belfort)	Question écrite
Ministère interrogé > Santé et prévention		Ministère attributaire > Santé et prévention
Rubrique >maladies	Tête d'analyse >Maladie de Charcot	Analyse > Maladie de Charcot.
Question publiée au JO le : 13/09/2022 Réponse publiée au JO le : 17/01/2023 page : 462		

Texte de la question

M. Ian Boucard attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention concernant l'état d'avancement de la recherche médicale sur la sclérose latérale amyotrophique (SLA), également appelée maladie de Charcot. En effet, la SLA, ou « maladie de Charcot », est une pathologie neuromusculaire progressive et fatale caractérisée par la mort progressive des neurones moteurs, neurones qui commandent entre autres la marche, la parole, la déglutition et la respiration. Aujourd'hui, 500 000 personnes dans le monde vivent avec cette maladie, dont près de 6 000 en France. Les résultats ont démontré que dans le pays, 4 personnes meurent chaque jour de cette maladie avec 3 nouveaux diagnostics par jour, ce qui en fait la maladie rare la moins rare. Cette maladie, considérée comme l'une des plus cruelles par l'Organisation mondiale de la santé, est aujourd'hui encore trop méconnue et ce malgré l'existence de la journée mondiale de la maladie de Charcot qui a lieu chaque année le 21 juin. Malgré l'association d'un traitement neuroprotecteur et d'une prise en charge multidisciplinaire, permettant ainsi de ralentir la progression des symptômes, force est cependant de constater qu'il n'existe à ce jour aucun traitement curatif de cette maladie. Il est donc extrêmement important de faire avancer le plus rapidement possible la recherche d'un traitement contre cette maladie, afin de prolonger significativement l'espérance de vie des personnes qui en sont atteintes, voire de les guérir. C'est pourquoi il lui demande quelles mesures le Gouvernement entend prendre afin de favoriser la recherche sur la maladie de Charcot et de garantir l'accès aux soins aux malades.

Texte de la réponse

La sclérose latérale amyotrophique (SLA) ou maladie de Charcot est une maladie neurodégénérative considérée comme rare (incidence = 1,5-2,5/100 000 habitants, de l'ordre de 2 500 nouveaux cas par an en France). La prise en charge thérapeutique est essentiellement symptomatique, ciblée sur le maintien de l'autonomie et la compensation de la dépendance, la prévention des complications et la compensation des déficiences vitales respiratoires et nutritionnelles. Elle est aussi en grande partie supportive et palliative. Consciente de cette problématique, la France a mis en place un dispositif de prise en charge de la SLA depuis 2002. Les 3 plans nationaux maladies rares (PNMR) successifs, associant les ministères de la santé et de la prévention et de la recherche, continuent de soutenir l'effort spécifique porté sur cette pathologie. Le PNMR 3 réaffirme la nécessité d'une prise en charge de la SLA par des centres experts, investis dans la recherche, et organise la coordination des centres experts au sein des filières de santé maladies rares par un guichet unique pour un accès rapide aux traitements. Cette dynamique crée un cercle vertueux pour accompagner le plus rapidement le développement et l'accès aux thérapeutiques. Cette dynamique est nécessaire dans le cadre de la SLA car aujourd'hui, les thérapeutiques ne peuvent être que palliatives. Une nouvelle campagne de labellisation des centres de référence (CRMR) et des centres de ressources et de compétences (CRCMR) sur la SLA est en cours pour la période 2023-2028, avec pour les équipes retenues,

une forte exigence au niveau de leur investissement dans la prise en charge, dans l'enseignement-formation et dans la recherche sur la sclérose amyotrophique. Depuis 2014, le ministère de la santé et de la prévention a labellisé la filière de santé maladie rare FILSLAN (Sclérose Latérale Amyotrophique et maladies du neurone moteur). Cette filière de santé maladies rares pour la SLA ou maladie de Charcot regroupe divers types d'acteurs : ceux appartenant à l'univers sanitaire (centres labellisés et disciplines partenaires, services hospitaliers non labellisés, soins de suite et de réadaptation, laboratoires diagnostiques, réseaux de soins...), à celui du secteur médico-social (en lien avec les services sociaux hospitaliers, la Caisse nationale de solidarité pour l'autonomie, les maisons départementales pour les personnes handicapées et les Conseils départementaux), avec un lien très fort avec le monde associatif (tant au niveau national qu'europpéen) et celui de la recherche (Institut national de la santé et de la recherche médicale, le centre national de la recherche scientifique, les Universités mais aussi des sociétés savantes telles que la Société Française de neurologie ou de Pneumologie de Langue Française). Cette organisation est décrite sur le site de la filière : www.portail-sla.fr. Plusieurs associations de patients contribuent à la vie active de la filière FILSLAN. L'association ARSLA (Association pour la Recherche sur la Sclérose Latérale Amyotrophique et autres maladies rares du Motoneurone) travaille de façon très étroite sur les questions de recherche avec la filière de santé FILSLAN. Le site de la filière FILSLAN a une page dédiée à la recherche : <https://portail-sla.fr/recherche/> La filière FILSLAN a pour mission de structurer la coordination des centres experts en favorisant les actions pour faciliter le parcours de soins des usagers. Elle impulse et coordonne les actions de recherche entre équipes cliniques et acteurs de la recherche fondamentale. Tous les centres labellisés travaillent étroitement avec les 38 laboratoires de recherche institutionnels et sont associés aux actions de la filière. Elle impulse aussi la recherche sur la SLA, notamment grâce à la collecte des données cliniques stockées à la Banque nationale de données maladies rares (BNDMR). La création de cette banque est une volonté issue du plan national maladies rares 2. Sa mise en place et son déploiement sur l'ensemble des sites de prise en charge permettent aux cliniciens et aux chercheurs l'accès à des données de santé de façon plus aisée et transparente. Un rapport d'activité des filières de santé maladies rares est publié chaque année. Ce rapport est disponible sur le site du ministère de la santé et de la prévention : https://solidarites-sante.gouv.fr/IMG/pdf/filiere_sante_maladies_rares_-_rapport_activite_2020.pdf. Les projets de recherche de la filière FILSLAN sont abordés à l'axe 10 « Renforcer le rôle des filières de santé maladies rares dans les enjeux du soin et de la recherche » ainsi que dans les actions complémentaires listées. Au cours de l'année 2021, le réseau a également répondu à la campagne de labellisation de l'infrastructure F-CRIN (French Clinical Research Infrastructure Network). Obtenu en janvier 2022, le label F-CRIN, par son gage d'excellence, va permettre à la filière FilSLAN de porter des projets de recherche clinique d'envergure internationale et de diffuser des publications scientifiques. Toutefois, l'espoir d'améliorer le confort des patients atteints de SLA peut être rendu concret, comme le montre le médicament AMX0035 développé par le laboratoire AMYLYX, et qui est aujourd'hui à l'étude pour être autorisé sur le territoire français en accès précoce. Le plan France médecine génomique 2025 (PFMG 2025) doit aussi permettre des avancées dans la connaissance de la SLA et ouvrir la voie à de meilleures prises en charge de cette pathologie et de sa recherche en développant une médecine de précision avec des thérapies ciblées.