



16ème législature

Question N° : 8442	De M. Florian Chauche (La France insoumise - Nouvelle Union Populaire écologique et sociale - 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 : 30/05/2023 Réponse publiée au JO le : 18/07/2023 page : 6857		

Texte de la question

M. Florian Chauche attire l'attention de M. le ministre de la santé et de la prévention sur la maladie de Charcot, maladie neurodégénérative grave qui affecte les neurones responsables du mouvement musculaire. Elle entraîne progressivement une faiblesse musculaire, une paralysie et une détérioration des fonctions motrices, avec des conséquences considérables sur la qualité de vie et la longévité des personnes atteintes. C'est une maladie rare qui touche en moyenne 6 000 patients et 5 nouveaux individus par jour sont diagnostiqués. M. le député souhaite connaître les actions entreprises par le Gouvernement pour soutenir la recherche scientifique et médicale dans ce domaine ainsi que pour l'accompagnement des personnes atteintes de la maladie de Charcot. Par ailleurs, il souhaite être informé des initiatives en cours visant à sensibiliser la population, à améliorer l'accès aux soins, aux thérapies et aux aides spécifiques. M. le député remercie M. le ministre de bien vouloir lui indiquer si le Gouvernement prévoit d'allouer des ressources supplémentaires pour la recherche et le développement de traitements ainsi que pour la prise en charge des patients. En effet, l'Association pour la recherche sur la sclérose latérale amyotrophique (SLA) repose à 95 % sur des dons de particuliers et particulières alors qu'elle est reconnue d'utilité publique. Enfin, il lui demande s'il est possible d'envisager d'accélérer les délais d'autorisation de l'usage compassionnel des traitements autorisés à l'étranger, comme la loi européenne l'autorise, et de mettre en place des moyens financiers supplémentaires pour mener les recherches nécessaires dans le but de trouver un traitement efficace contre la maladie de Charcot et ainsi d'améliorer les conditions de vie des patients.

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. Allant de pair avec une dynamique associative présente depuis les années 90, la France a mis en place un dispositif de suivi de la SLA par des experts reconnus depuis 2002. Le déploiement ensuite de 3 plans nationaux maladies rares (PNMR) successifs, associant les ministères de la santé et de la prévention et de la recherche, continue de soutenir l'effort spécifique à apporter à 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 de la filière de santé maladies rares FILSLAN 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. Concernant la prise en charge, les CRMR peuvent accueillir des patients, et les CRC assurent le suivi des patients 24/24h et 7J sur 7. En outre, les crédits formation alloués chaque année permettent de mettre en place des actions complémentaires à celles prévues dans chaque axe du PNMR3 (formation à destination des patients-experts et/ou des jeunes médecins, éthique en santé, les situations d'urgence...). L'évolution de la maladie étant progressive, elle nécessite une prise en charge thérapeutique symptomatique, ciblée sur le maintien de l'autonomie et la compensation de la dépendance, de prévention des complications et de compensation des déficiences vitales respiratoires et nutritionnelles. Le plan national maladies rares 3 (PNMR3) soutient et favorise l'éducation thérapeutique du patient (ETP), qui a pour but de développer les compétences d'auto-soins et psychosociales du patient. Il existe 5 programmes ETP dédiés à la SLA. Depuis 2014, le ministère de la santé et de la prévention a labellisé la filière de santé maladies rares 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...), ceux 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. La filière FILSLAN 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. 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/> En outre, 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. L'article 78 de la loi de financement de la sécurité sociale (LFSS) pour 2021 a posé les bases d'une refonte totale de l'actuel système dérogatoire d'accès et de prise en charge des médicaments faisant l'objet d'autorisations temporaires d'utilisation et de recommandations temporaires d'utilisation tout en garantissant la pérennisation des accès pour les patients. Cette réforme permet de simplifier et d'harmoniser les procédures, de garantir un accès et une prise en charge immédiats des patients tout en assurant la soutenabilité financière du dispositif. L'accès précoce est réservé à certaines spécialités dont l'efficacité et la sécurité sont fortement présumées dans une indication thérapeutique précise visant une maladie grave, rare ou invalidante, sans traitement approprié et pour laquelle elles sont présumées innovantes, sous condition d'un engagement du laboratoire de déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché dans un délai déterminé de deux ans. En parallèle de cette nouvelle procédure pour les thérapies innovantes, 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. En outre, le prochain plan national maladies rares 4, en phase de pré-construction, répondra aux attentes des acteurs concernant les problématiques de la maladie SLA. Sujet d'importance majeure car vecteur d'une illustration connue par le grand public, la SLA est considérée comme une des maladies référence dans la réflexion des axes du PNMR4.



Ambitions déjà partagées par le PNMR3, un groupe de travail propre à l'impasse et l'errance diagnostiques permettra de réfléchir sur ces deux thématiques, en miroir de ce qui a pu marcher ou ce qui sera à améliorer pour le prochain plan. Dans le cas de la SLA, l'espérance de vie des patients après diagnostic étant malheureusement réduite, l'enjeu est de pouvoir les accompagner dans la progressivité de leurs maladies tout en leur assurant la meilleure qualité de vie possible. A ce titre, des réflexions sont menées pour renforcer les liens entre la ville et l'hôpital une fois que les patients ont fait leurs soins à l'hôpital. Pour les traitements innovants, le PNMR4 a pour ambition de favoriser les dialogues entre les différentes parties prenantes de l'écosystème maladies rares et les industriels.