

	TOTAL prescriptions validées en RCP- FMG	TOTAL dossiers complets	TOTAL dossiers clos
Angiodèmes bradykiniques héréditaires	5	5	2
Anomalies du développement, syndromes malformatifs et syndromes dysmorphiques sans déficience intellectuelle	12988	11682	9661
Anomalies sévères de la différenciation sexuelle d'origine gonadique et hypothalamo-hypophysaire	259	203	134
Aplasies et hypoplasies médullaires	83	73	63
Ataxies héréditaires du sujet jeune	716	660	476
Calcifications cérébrales	44	38	34
Cardiomopathies familiales	284	247	216
Déficience intellectuelle	13183	11954	10019
Déficits hypophysaires combinés (au moins 2 déficits antéhypophysaires) d'apparition néonatale ou plus tardive	89	70	55
Déficits immunitaires héréditaires	401	339	301
Diabète néonatal	8	6	6
Diabètes rares du sujet jeune et diabètes lipotrophiques	40	35	29
Dysfonction de l'axe thyréotrope	25	22	17
Dyslipidémies primaires	5	3	1
Dysraphismes	119	103	98
Dystonies ou mouvements anormaux rares du sujet jeune	529	500	367
Dystrophies rétinienches héréditaires	1991	1749	1532
Entéropathies congénitales du jeune enfant	80	73	55
Epilepsies pharmacorésistantes à début précoce	1174	1044	910
Formes syndromiques de maladies rares à expression bucco-dentaire	46	41	38
Génodermatoses	386	353	295
Hypersécrétions hormonales hypophysaires	64	54	46
Hypotonies néonatales périphériques suspectes de maladie neuromusculaire	186	168	117
Infertilités masculines rares	35	25	23
Insuffisance ovarienne primitive	165	144	131
Leucodystrophies	373	345	337
Lymphœdèmes primaires	30	26	21
Maladie de Rendu-Osler	28	24	16
Maladies auto-inflammatoires et auto-immunes monogéniques	367	327	262
Maladies cérébrovasculaires rares	46	40	20
Maladies constitutionnelles du globule rouge	81	69	60
Maladies des artères de moyen calibre	52	44	35
Maladies héréditaires du métabolisme	274	253	232
Maladies mitochondrielles	420	379	305
Maladies neurodégénératives du sujet jeune	222	209	173
Maladies osseuses constitutionnelles	1466	1349	1179
Maladies respiratoires rares	147	122	85
Malformations artérioveineuses superficielles et du SNC à potentiel agressif	14	14	8
Malformations cardiaques congénitales complexes, formes syndromiques sporadiques	208	186	167
Malformations cérébrales	1721	1573	1366
Malformations et maladies congénitales et très précoces du cervelet et du tronc cérébral	208	200	163
Malformations oculaires	530	407	328
Myopathies	646	579	430
Néoplasmes myéloprolifératifs familiaux et thrombocytose héréditaire	6	5	4
Néphropathies chroniques	868	754	628
Neurodégénérescence par accumulation intracérébrale de fer	27	26	24
Neuropathies optiques génétiques	66	51	43
Neuropathies périphériques héréditaires avant l'âge de 50 ans	344	308	202
Neutropénies chroniques sévères	49	45	39
Obésités monogéniques rares non syndromiques	28	25	18
Pancréatite chroniques d'origine génétique	6	6	6
Paraparésies spastiques héréditaires du sujet jeune	526	485	365
Pathologies de l'hémostase	28	25	24
Pathologies rares du métabolisme phospho-calcique	165	152	129
Pathologies sévères du foie à révélation pédiatrique	118	101	75
Sclérose latérale amyotrophique	40	37	16
Surdités précoces	1775	1582	1319
Syndrome de Cushing par hyperplasie nodulaire bilatérale des surrénales et insuffisance surrénale primaire	39	35	30
Syndrome de Marfan et pathologies apparentées, formes familiales d'anévrisme de l'aorte thoracique	178	151	104
Syndromes avec hyperlaxité articulaire majeure, sans déficit intellectuel	82	73	47
Syndromes hyperéosinophiliques corticorésistantes et/ou clonaux inexpliqués	1	1	0
Troubles du rythme héritaires	90	73	68
Troubles du spectre autistique ou troubles précoces et sévères du neuro-développement – sans déficience intellectuelle, de formes monogéniques	1972	1690	1244
Troubles psychiatriques majeurs	422	316	272
Cancers avancés en échec thérapeutique	3393	2989	2861
Cancers de primitif inconnu	464	382	367
Cancers et leucémies pédiatriques au diagnostic	1052	911	879
Cancers et leucémies pédiatriques en échec de traitement	1186	1103	1070
Cancers rares	2757	2441	2317
Leucémies aiguës réfractaires ou en rechute chez l'adulte	707	679	670
Lymphomes B diffus à grandes cellules en rechute ou réfractaires	21	20	18
Lymphomes de diagnostic incertain	35	28	27
Patients adultes atteints de leucémie aiguë au diagnostic, éligibles à un traitement actif	1149	1099	1062
Cancers avec antécédents familiaux particulièrement sévères	332	266	194
Cancers avec phénotypes tumoraux extrêmes et sans antécédents familiaux	322	282	226
Leucémies aiguës (LA) de l'adulte avec histoire familiale	6	5	2