

Compte-rendu de la réunion du comité de pilotage de la filière MCGRE

2 février 2021 - 17h30-19h30

Visioconférence

Personnes présentes :

Animateur MCGRE	Frédéric Galactéros (FG)
Coordinatrice de Centre de Référence	Maryse Etienne-Julan (MEJ)
Représentant(e)s CR pédiatrique IDF	Corinne Pondarré (CP)
Représentant(e)s CR adulte IDF	Jean-Benoit Arlet (JBA)
Représentant(e)s CR adulte province	Giovanna Cannas (GC)
Représentant(e)s CR pédiatrique province	Isabelle Thuret (IT)
Représentant(e)s CR pour les DOM	Narcisse Elenga (NE), Gylna Loko (GL)
Représentant(e)s CC pédiatrique IDF	Marie Belloy (MB)
Représentant(e)s CC adulte IDF	Louis Affo (LA), Stéphanie Ngo (SN)
Représentant(e)s CC adulte province	Caroline Makowski (CM), Justine Gellen-Dautremer (JGD)
Représentant(e)s CC pédiatrique province	
Représentant(e)s des associations	Maryannick Lepetit (ML), Lucienne Lucien (LL)
Représentant(e)s imagerie médicale	
Représentant(e)s EFS	
Représentant(e)s biologistes hospitaliers	Catherine Badens (CB)
Représentant(e)s Recherche	Pablo Bartolucci (PB)
Représentant(e)s CGRF et Formation/enseignement	Patricia Aguilar-Martinez (PAM)
Représentant(e)s IDE	Emmanuella Leveillé (EL)
Représentant(e)s des psychologues	
Représentant(e)s ETP adulte	
Représentant(e)s ETP pédiatrique	
Représentant(e)s GT Coordination multidisciplinaire	Louis Affo (LA)
Equipe projet MCGRE	Sonia Pavan (SP)

Excusés :

Corinne Armari-Alla (CAA), Malika Benkerrou (MB), Stéphanie Eyssette-Guerreau (SEG), Oussama Charara (OC), Cécile Guillaumat (CG), Suzanne Verlhac (SV), Philippe Joly (PJ), Aurélie Zarka (AZ), Corinne Liegeois (CL), France Pirenne (FP), Marie-Pierre Lehougre (MPL), Elena Fois (EF), Sylvain Le Jeune (SLJ), Mariane De Montalembert (Mdm)

~~~~~

## 1- Budget prévisionnel 2021

Les financements MIG pour 2021 ne sont pas encore connus, ils sont présentés sur la base des financements reçus en 2020.

Financements connus :

- BNDMR 30 000 €/an (+ les 60 000 € non dépensés les 2 années précédentes),
- errance/impasse : financement 50 000 € reçu en décembre 2020 (suite à l'acceptation de la lettre d'engagement). La même somme devrait être reçue en 2021.
- PNDS : budget 2020 consommé entièrement. 2021 : budget pour 1ère tranche de 50% PNDS drépanocytose enfant et adolescent (7500 €).
- RCP : reste du versement fait en 2019 pour acquérir et mettre en place l'outil de RCP.
- Formation/information : enveloppe 50 000 € en 2020, reportée en grande partie car de nombreuses formations ont été retardées. Nouveau versement de 50 000 € prévu cette année. Le plan de formation prévu en 2020 est maintenu pour 2021 (voir dépenses prévisionnelles).
- Mise en place de l'Observatoire des traitements : 25 000 € alloués, mais peut-être pas fléché (ajout à la MIG).
- Reliquat : montant approximatif de 100 000 €. Nous n'avons pas encore la notification du report de tous les reliquats demandé fin 2020.

Dépenses prévisionnelles : voir tableau.

- Dépenses de base : salaires, fonctionnement.
- Un budget prévu pour les journées annuelles, scientifique, des infirmières, à rectifier en cours d'année selon la situation sanitaire.
- Ateliers de coordination pluridisciplinaire : 4 prévus cette année, budget pour vidéos.
- Formations médecins outre-mer (enveloppe formation) : présentiel annulé, mais prestataire sera pris pour une partie de l'organisation. Cette action de formations prévoyait aussi des stages de médecins d'outre-mer en métropole. Les dépenses prévisionnelles incluent ce qui était prévu en 2020 (formation patients experts, fiches d'information patients). Une communication sera faite au membres de la filière pour recueillir leurs besoins en formations et utiliser l'enveloppe 2021.

JBA : travail de rédaction et d'édition pour de l'information sur les maladies devrait être remis en route. Faire appel à un prestataire pour que ça avance vraiment. Revoir le devis de 2018, et demander d'autres devis. Sujet possible : hétérozygotes AS. FG : la DGOS et la DGS avaient demandé de façon assez insistante à avoir un chapitre pour les hétérozygotes AS dans le PNDS. Important d'avoir une information unique au niveau national. FG : CNCND demande un document permettant d'informer sans alarmer les parents d'enfants hétérozygotes. Travail avec eux sera possible. IT : un document pour les parents d'AS serait effectivement très utile. Il faut un document pour les adultes et un document pour les parents d'enfants. PAM : le GT n'avait pas considéré ce sujet comme une priorité quand les thématiques avaient été choisies, mais les choses ont un peu changé. CP : document pour les parents sera édité par le CNCND. Une commission nationale s'en charge, impliquant la HAS, la filière. Pour l'aide aux centres, les budgets BNDMR, errance/impasse et une partie du reliquat pourront être cumulés. Pour rappel, le projet errance/impasse consiste d'une part à renseigner dans BaMaRa les patients en errance ou en impasse (dossier initial + suivi si au cours du temps son cas est réévalué) et d'autre part à mettre en place une veille scientifique et réglementaire permettant à tous de suivre les évolutions en matière de diagnostic. Le budget alloué est prévu pour la saisie dans BaMaRa.

- Autres groupes de travail : un budget pour le GT transition, à préciser car pas de réunion récente du groupe. MEJ : le GT parcours de soins aura peut-être des demandes cette année, prévoir 10 000 €. Associations : flyer à faire (suite du projet vidéo qui est bientôt terminé). ETP : un certain nombre de projets prévus dans le groupe.
- Soutien financier au registre thalassémies : demande de 2020 va passer sur 2021 car convention en cours. Une demande pour 2021 faite par CB : 22k€.

- Siclopédie : pas de dépense prévue pour l'instant. Il faudra que le groupe réfléchisse à la suite à donner et si un financement est à prévoir. Pour l'instant l'usage de Siclopédie web a été discuté pour les patients sévères se déplaçant d'une région à l'autre, les grossesses compliquées, les allo-immunisations. Le sujet Siclopédie sera détaillé lors du prochain COPIL. Pour rappel, les dépenses 2020 pour Siclopédie ont été expliquées lors du COPIL du 6 octobre. Proposition du COPIL d'indiquer toutes les dépenses prévisionnelles souhaitées, et des priorisations seront faites en cours d'année selon les dépenses réellement effectuées. Ajouter le total des dépenses pour chaque budget.

LL : associations se sont organisées en collectif. Souhait de faire une action collective d'information pour la journée mondiale de la drépanocytose, à prendre en compte dans le budget 2021. SP : faire une proposition de projet à la filière. Mais pas certain que ce type de journée entre dans le cadre des missions de formation demandées par la DGOS (à vérifier).

CM : projet de collecte d'AS symptomatiques -> A proposer aux journées de la filière.

La filière ne reçoit jamais d'argent des labos qui ont des stands lors des journées, c'est l'association de service. JBA repose la question de leur présence aux journées filière, qui empêche d'aborder certains sujets.

Journées filière à distance sont appréciées pour certains aspects pratiques. Il serait bien de les conserver en partie même si la situation revient à la normale.

## **2- Point BaMaRa/Piramig**

Un rappel du fonctionnement des reports automatiques des indicateurs de BaMaRa dans Piramig est fait pour les campagnes 2020, 2021 et 2022. Tous les CRM de la filière ont été informés de ces détails par mail. Dans tous les cas, il est conseillé de commencer la saisie dans BaMaRa ou dans la fiche MR du DPI dès la mise à disposition de l'un ou l'autre outil.

Quelques commentaires et retours d'expérience :

- Certains centres ont eu BaMaRa mais ne l'ont pas utilisé car ils attendaient la fiche MR du DPI (ex. CP)
- IT mentionne qu'elle a essayé de faire le minimum dans BaMaRa pour avoir les files actives, en attendant de pouvoir utiliser la fiche MR du DPI. Sinon c'est un travail énorme, impossible et sans intérêt
- GC : remplit tous les passages pour tous les patients adultes dans la fiche MR
- PB : estime que pour un centre comme Mondor la saisie représente un poste à temps plein
- MEJ : secrétaires saisissent identité du patient, et les médecins saisissent le diagnostic et l'activité. Saisie de l'activité est très rapide.
- Remarque générale sur le manque de comptes rendus par les sociétés qui ont eu l'appel d'offres pour la mise en place des fiches MR dans les DPI : ils sont très en retard, n'ont pas eu de pression pour avancer et pénalisent maintenant les centres.

Questionnaire pour état des lieux de la saisie des données cliniques dans la filière : en cours de finalisation. L'enquête sera bientôt lancée. Les résultats seront aussi utilisés pour mettre en place l'aide aux centres pour la saisie dans BaMaRa.

## **3- Point PNMR3 – DGOS et missions des filières**

Rappel sur l'appel à manifestation d'intérêt sélectif pour la mise en place de bases de données MR à des fins de recherche, dont la deadline est fin avril.

Observatoire des traitements à mettre en place en 2021 dans la filière. Une description rapide des attentes de la DGOS est faite, et le schéma proposé par FAI2R (une des filières pilotes) est présenté. Un groupe de travail dédié devra sans doute être mis en place.

25 000 € alloués cette année pour démarrer le projet. FG envisage la possibilité de recruter une personne avec un background pharma pour proposer un draft sur lequel la filière pourra ensuite travailler.

#### **4- Points des représentants associatifs + associations signataires de la charte**

Proposition d'élaboration d'une fiche assureur : la filière fera un retour rapidement.

Loi passage aux urgences : souhait de faire une fiche. ML va envoyer la demande. Associations SOS Globi ont fait des courriers de recours à l'ARS. Réfléchir à une action filière.

Vaccination COVID : patients drépanocytaires considérés comme prioritaires mais pas ultraprioritaires. GC signale que dans les centres de vaccination, la drépanocytose figure sur la liste des personnes avec facteurs de risque qui peuvent être vaccinées.

Bilan des associations signataires de la charte. Quelques associations supplémentaires ont signé : AADC, Drepan'Ose Internationale, SICKeLink by SOS Globi Paris, SOS Globi Grand Est, REMH. Pas de remarque particulière des personnes présentes. Nous validons toutes ces associations comme membres de la filière.

#### **5- Point site MCGRE : aménagement de l'Espace membre à accès restreint**

Espace COPIL, GTs (selon les besoins des groupes), associations, etc. Une démo est faite pour montrer ce que cela donnerait avec une page d'un groupe de travail.

~~~~~

➤ Tous les points prévus à l'ordre du jour ont été traités.

➤ **Dates des prochaines réunions :**

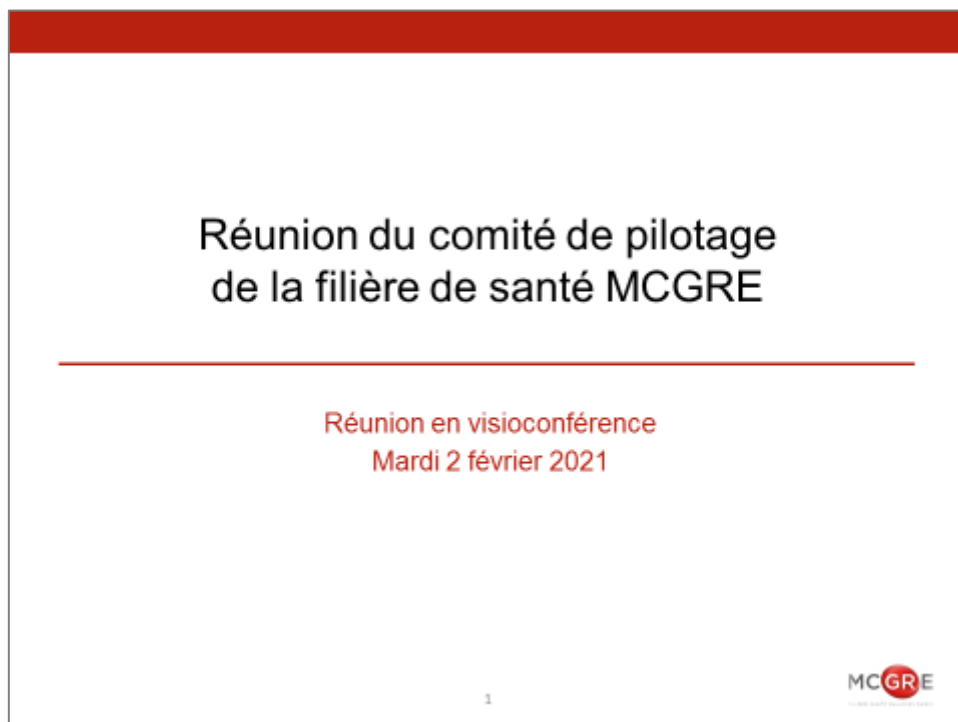
- 6 avril 2021, 17h30

- 1^{er} juin 2021, 17h30

- 3 août 2021, 17h30

~~~~~

#### **Annexe : support ppt utilisé lors de la réunion**



## Budget 2021

| Budget 2021                  |                                                                    |
|------------------------------|--------------------------------------------------------------------|
| MIG filière (socle + PV)     | 434 979 (montant réel non connu)                                   |
| BDD/BNDMR                    | 90 000 (supposé)                                                   |
| Errance/Impasse              | 100 000 (connu)                                                    |
| PNDS                         | 7 500 (connu)                                                      |
| RCP                          | 14 325 (connu)                                                     |
| Formation/information        | 92 250 (connu)                                                     |
| Observatoire des traitements | 25 000 (connu)                                                     |
| Reliquat                     | 100 000 (non validé; dépend du report effectif accordé par l'APHP) |
| <b>Total</b>                 | <b>864 064</b>                                                     |

} Budgets fléchés

## Dépenses prévisionnelles 2021

| Descriptif                                                                                                                                                                                                                                                                                  | Montant         | Budget                    |
|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-----------------|---------------------------|
| Salaires                                                                                                                                                                                                                                                                                    | 297 157         | Mig Filière               |
| Frais de gestion (21% de la Mig)                                                                                                                                                                                                                                                            | 91 346          | Mig Filière               |
| Fournitures de bureau, petit matériel informatique, supports de communication filière, impressions                                                                                                                                                                                          | 7 000           | Mig Filière               |
| Site web (maintenance, évolutions)                                                                                                                                                                                                                                                          | 3000            | Mig Filière               |
| Journées annuelles (10 000),<br>Journée des associations (10 000),<br>Congrès (dont interfilière), autres journées interfilière (5000)                                                                                                                                                      | 25 000          | (Mig filière)<br>Reliquat |
| Journée scientifique thématique 5 000,<br>Journée annuelle des IDE 5000,<br>Ateliers coordination multidisciplinaire 10 000<br>Formations médecins outre-mer 20 000<br>Formation patients experts 20 000<br>Fiches d'information patients (GT formation) 10 000<br>Autres formations 22 000 | 92 250          | Formation                 |
| BNDMR : aide à la saisie dans BaMaRa                                                                                                                                                                                                                                                        | 90 000 + 20 000 | BNDMR + reliquat          |
| Projets GT (transition 5000, associations 2500, ETP 10 000)                                                                                                                                                                                                                                 | 17 500          | Mig Filière               |
| BNDMR : errance/impasse                                                                                                                                                                                                                                                                     | 100 000         | Errance/impasse           |
| Observatoire des traitements                                                                                                                                                                                                                                                                | 25 000          | Mig Filière               |
| PNDS                                                                                                                                                                                                                                                                                        | 7 500           | PNDS                      |
| RCP                                                                                                                                                                                                                                                                                         | 10 000          | RCP                       |
| New Globinoscope                                                                                                                                                                                                                                                                            | 7 000           | Reliquat (report 2020)    |
| Soutien financier registre national Thalassémies                                                                                                                                                                                                                                            | 22 000          | Reliquat (report 2020)    |

## Saisie des données cliniques dans BaMaRa/fiche MR

- Campagne 2020 (données 2019) : début des reports automatiques dans PIRAMIG, suite aux premières migrations (HCL et AP-HP)
- Campagne PIRAMIG 2021 (données 2020) : renseignement à partir de BaMaRa, rectification manuelle possible mais prise en compte date de déploiement si écart entre BaMaRa et le déclaré
- Campagne PIRAMIG 2022 (données 2021) :
  - Centres ayant au moins un mode de saisie déployé au 1<sup>er</sup> janvier 2021 (BaMaRa ou fiche MR du DPI) : BaMaRa sera la seule source possible
  - Centres n'ayant pas de mode de saisie déployé au 1<sup>er</sup> janvier 2021 : données déclaratives possibles mais prise en compte de la date de déploiement
  - Il est donc conseillé dans tous les cas de commencer la saisie sans trop tarder dès mise à disposition de BaMaRa ou de la fiche MR dans le DPI

## Etat des lieux saisie des données cliniques dans la filière

- Enquête en cours de finalisation. Sera mise en ligne prochainement
- Réponse attendue de tous les centres
- Objectif principal : mis en place d'un plan d'aide aux centres pour la saisie
- Autres objectifs : savoir qui saisit dans quoi, quelles sont les difficultés, les moyens réels

## Action 3.2 -Accompagner la collection de données clinico-biologiques, de cohortes et de registres pour leur constitution, leur utilisation et leur valorisation

Action 3.2 : développement de bases de données (BDD) respectant les principes FAIR pour accélérer la recherche sur les maladies rares (MR) et favoriser le diagnostic et le développement de nouveaux traitements

• **Appel à manifestation d'intérêt (AMI) sélectif ouvert :**

Projets attendus : projets de recherche innovants et ambitieux, sur la base de la mise en place de BDD FAIR pour les MR.

- Consortia attendus regroupant cliniciens et/ou biologistes médicaux travaillant en lien étroit avec un/des CRMR, FSMR et ERN, et une ou plusieurs équipes de recherche
- BDD hébergée par France Cohortes (conforme RGPD + référentiels SNDS)
- Financement : 1,4 M € maximum/projet sur 6 ans maximum (total 16 M € -> environ 12 projets)
- Date limite de dépôt des dossiers: 22 avril 2021

## Axe 4 : promouvoir l'accès aux traitements dans les MR

Mise en place par chaque filière d'un **Observatoire des traitements** (avant fin 2020...)

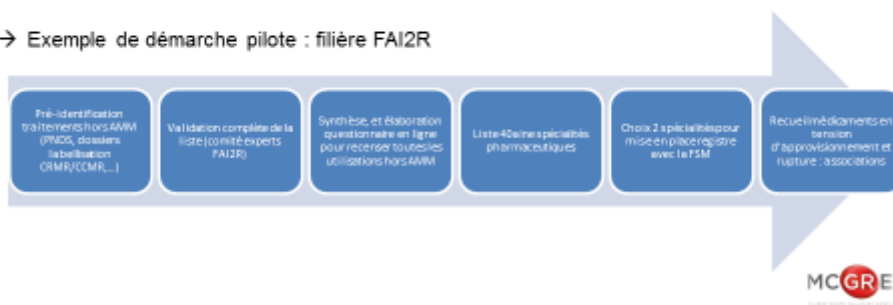
- Objectif 1 : favoriser un accès rapide aux innovations thérapeutiques
- Objectif 2 : renforcer la connaissance en vie réelle des médicaments orphelins
- Objectif 3 : disposer d'un état prospectif des développements de nouvelles thérapeutiques en cours ou attendus et disposer d'un état des lieux des thérapeutiques proposées (inclut le repérage des médicaments avec risque de rupture)
- Objectif 4 : adapter le dispositif des RTU aux spécificités des maladies rares (rôle attendu des FSMR pour l'accès compassionnel -> dossiers de demande à l'ANSM)
  
- Note d'information ministérielle en attente de validation
- Inclusion prescripteurs, associations, chercheurs dans l'Observatoire
- Organisation libre de chaque FSMR dans le cadre des missions demandées

## Axe 4 : promouvoir l'accès aux traitements dans les MR

Pilote avec quelques filières, en vue de la mise en place de registres par pathologie, confiée à la fédération des spécialités médicales (FSM) :

→ 2 registres par filière, pour des traitements hors AMM insuffisamment étayés pour prétendre à un encadrement par l'ANSM (RTU/ futur accès compassionnel porté par la LFSS pour 2021).

→ Exemple de démarche pilote : filière FAI2R



8

## Associations signataires de la charte des associations

### Associations membres de la filière :

- APIPD
- AFLT (thalassémie)
- ASAD 972
- Association des familles du Loiret
- Drepa 31
- Drepaguyane
- Drépavie
- Espoir Hope Elikia
- Femmes en devenir
- FMDT SOS Globi
- Mayotte Drepaction
- SOS Globi 64
- SOS Globi 94
- SOS Globi Auvergne
- SOS Globi Nouvelle Aquitaine
- SOS Globi Occitanie
- SOS Globi PACA

### Associations à valider :

- AADC (dysérythropoïèses congénitales)
- Drepan'Ose Internationale
- SICKeLink by SOS Globi Paris
- SOS Globi Grand Est
- REMH

9



## Aménagement de l'Espace Membre – Site MCGRE

---

-> Choix de plusieurs pages à l'intérieur de l'Espace Membres, avec accès différentiels :

- Espaces groupes de travail :
  - ETP : catalogue des outils, contacts, etc.
  - Centres de compétence
  - Autres GT...
- Espace associations : comptes rendus de réunions, présentations journées, etc.
- Espace professionnels de santé
- Espace COPIL/Bureau