

**Compte-rendu de la réunion du comité de pilotage de la filière MCGRE
10 novembre 2021-17h30-19h30
Visioconférence**

Personnes présentes

Animateur MCGRE	Frédéric Galactéros (FG)
Coordinatrice de Centre de Référence	Maryse Etienne-Julan (MEJ)
Représentant(e)s pédiatrique ETP	Mariane de Montalembert (MDM)
Représentant(e)s des biologistes hospitaliers	Catherine Badens (CB)
Représentant(e)s CC pédiatrique IDF	Marie Belloy (MB)
Représentant(e)s GT Coordination multidisciplinaire	Sylvain Lejeune (SL)
Représentant(e)s des associations	Corinne Liégeois (CL)
Représentant(e)s GT Coordination multidisciplinaire	Louis Affo (LA)
Représentante CR adulte province	Giovanna Cannas (GC)
Représentant(e)s des associations	Aurèlie Zarka (AZ)
Représentant(e)s des associations	Maryannick Iepetit (ML)
Représentant(e)s des associations	Lucienne Lucien (LL)
Représentant(e)s IDE	Emmanuella Leveillè (EL)
Représentant(e)s biologistes hospitaliers	Philippe Joly (PJ)
Représentant(e)s CC pédiatrique IDF	Cécile Guillaumat (CG)
Représentant(e)s CC pédiatrique IDF	Marie-Pierre Castex (MPC)
Représentant(e)s CC adulte IDF	Stéphanie NGO (SN)
Représentant(e)s CC pédiatrique Grenoble	Corinne Armari Alla (CAA)
Représentant(e)s CR pédiatrique IDF	Corinne Pondarré (CP)
Cheffe de Projet	Mylène Tewtel (MT)
Chargée de Mission Scientifique	Catherine Pouzat (CP)
Chargée de Mission Scientifique	Justine Fauvel (JF)
Secrétaire	Sonia Udino (SU)

Excusés : Pablo Bartolucci ; Isabelle Thuret ; Jean-Benoit Arlet ; Narcisse Elenga ; Gylna Loko ; Caroline Makowski ; Oussama Charara ; France Pirenne ; Marie-Pierre Lehougre ; Patricia Aguilar Martinez ; Justine Gellen ; Stéphanie Eyssette-Guerreau ; Suzanne Verhlaç.

Note : La présentation en PJ

1. Créer un Observatoire des Traitements

- MT : Présentation des objectifs de l'action 4.2 du PNMR3 et du fichier Excel pour le recensement des traitements médicamenteux hors Autorisation de Mise sur le Marché (AMM). Ce fichier est un lieu d'information, de partage, d'analyse et d'alerte pour les traitements médicamenteux hors AMM au sein de la Filière MCGRE.
Dans un premier temps, la filière doit développer un plan pour effectuer ce recensement, le disséminer et effectuer une veille. Dans un deuxième temps, la Filière doit bâtir à partir du recensement et de l'analyse une stratégie partagée et spécifique à la filière pour le portage et repositionnement des médicaments hors AMM, et éventuellement appuyer la mise en place de registres. Différentes initiatives filières sont présentées.

Budget :

- 25,000 euros en 2020 devrait être engagé d'ici la fin de l'année.
- 25,000 euros prévu pour 2021.

1.1 Différents traitements médicamenteux hors AMM ont été cités par les membres du COFIL :

- MDM :
 - *L-glutamine*
 - *Voxelotor*
 - FG : va bientôt être évalué/HAS
 - *Crizanlizumab* : S'il y a une AMM sans tarif de remboursement et pas d'inscription sur la nomenclature des produits APHP, serait-ce un moyen d'essayer de pousser ce traitement vers une AMM ?
- FG : Oui bien sûr, mais l'APHP ce n'est pas le seul établissement français, il y a des établissements qui ont donné un feu vert partiel. Il faudrait examiner où ces traitements pourraient être testés par les experts et dans quelle condition. Ceci est aussi applicable au *Luspatercept*.
- MEJ : Tout à fait d'accord avec le Pr De Montalembert pour les trois molécules que l'on pourrait suivre dans le cadre de l'observatoire des traitements en particulier pour le *crizanlizumab* qui pose problème pour la prolongation des traitements.
- MDM
 - Pour la Thalassémie : *Luspatercept*, mais pas d'accès en pédiatrie.
 - *L'Effortil*.
 - FG : L'Étiléfrine d'une façon générale.
 - *L'Érythropoïétine* parfois utilisée, que j'essaie d'éviter, pour les anémies hémolytiques peu régénératives et dans les DHTRs.
 - FG : Les *inhibiteurs du complément*, les *immunosuppresseurs* dans certaines indications comme le DHTR.

- L'Éculizumab pour les DHTR.
 - FG : C'est un inhibiteur du complément
- FG : L'Oxygène à domicile, *Spéciafoldine (acide folique)*, pas d'AMM spécifique. Il faut lister l'ensemble de ces approches thérapeutiques qui ne se limitent pas totalement au médicament.
- CB : Y-aurait-il pas une association de chélateurs hors AMM pour la Thalassémie, *Défériprone, Desferrioxamine*. Il y a des patients qui sont sous cette combinaison de traitement hors AMM. Cela pourrait être déjà documenté dans la vraie vie. L'*Hydroxyurée* dans la Thalassémie.
- MB : L'Érythropoïétine pour les maladies de membrane en particulier pour la maladie de Minkowski-Chauffard. Ce traitement est dans les PNDS mais c'est un traitement hors AMM.
 - FG : Cela fera partie de l'argumentaire. Il faudra travailler sur toutes ces pistes.

1.2 L'outil Fichier Excel ou la base de données :

- FG : Pour l'outil de travail, l'utilisation de la base de données vous semble mieux que le fichier Excel ?
- MDM : C'est bien d'être dans les plis de ce que l'on demande pour la suite des activités suggérées. J'y suis très favorable et la base est homogène.
- MT : Le budget de 25,000 euros en 2020 pourrait servir à établir la base de données mais en amont il faudrait constituer un comité pour l'observatoire des traitements, l'établissement de la base de données, la réglementation etc.
- FG : Je suis favorable à la base de données Thériaque pour l'ensemble des pathologies de la filière, cela ne se limite pas à la drépanocytose.
- MDM : Pour les membres présents au zoom COPIL nous serions d'accord de faire partie de ce comité. L'idée est porteuse ainsi que l'organisation de recensement et la dissémination de l'information.
- FG : Nous sommes en COPIL, et nous ne sommes peut-être pas représentatifs d'autres ressources éventuelles. Nous partirons de cette base et nous avertirons l'ensemble des interlocuteurs de la démarche et s'il y a des gens que cela intéresse particulièrement, nous ne refuserons pas leur aide. Nous disséminerons ces informations d'une manière informelle puis plus formellement. Cela ne devrait pas être très compliqué pour la filière MCGRE par rapport aux autres filières pour lesquelles très peu de médicaments sont validés pour l'AMM.
- SL : Quand on prescrit un médicament en statut ATU, comme pour le Voxelotor, il y a un certain nombre de données à récupérer et il y a une déclaration qui se fait et une obligation

d'évaluation du traitement. Est-ce qu'il y a un lien entre ce fichier Excel et ce que l'on fait avec les ATU ?

- FG : Il y aura un lien, si on prend l'exemple du Voxelotor : Ou il y a une AMM et alors le dispositif ATU est obsolète, ou pas d'AMM, et ceci n'est pas exclu vu l'évolution sur les autres médicaments, alors nous verrons comment cela fonctionne s'il y a des systèmes de sélection.
- CL : Qu'attendez-vous des associations pour la formalisation du recensement ? De connaître les personnes qui prennent ces différents médicaments ?
- FG : Cela pourrait rendre service, mais cela n'a pas la vocation de registre pour le moment. Mais on pourrait sélectionner certaines approches thérapeutiques pour les étudier sous un angle plus exhaustif et là l'aide des associations serait utile.
- CB : Est-ce que cela concernerait les dispositifs en développement ? Cela pourrait être de la veille pour les dispositifs qui sont encore en cours de validation. Est-ce que l'indication est strictement hors AMM ou cela pourrait être des dispositifs et médicaments encore en développement ?
- FG : C'est là où l'on peut différencier l'approche Excel par rapport à l'approche base de données de médicaments qui sont déjà validés en quelque sorte. Pourra-t-on y ajouter des molécules nouvelles avec des indications nouvelles non encore validées ? Ceci reste à préciser.

Éléments d'action :

- Constituer un comité de lancement de l'observatoire des traitements, avec des membres du COPIL, qui pourra s'élargir par la suite.
- Faire circuler le fichier Excel au comité pour compléter et valider la liste des traitements médicamenteux hors AMM.
- Organiser une réunion avec les prestataires thériaque pour envisager la création éventuelle d'une base de données (BDD). Échanger sur différentes options et sur la possibilité d'ajout éventuel dans cette BDD de molécules nouvelles (en voie de développement) avec des indications non encore validées.
- Définir les procédures et la règlementation de la base de données de l'observatoire des traitements MCGRE si cette option est adoptée.

2. Changement de Responsables dans les CRM-CCMR

- MT : En prévision de la prochaine réunion du Comité de suivi de labellisation, chargé notamment d'examiner les dossiers de changement de Responsable des Centres, la Filière MCGRE coordonne la soumission des changements de Responsables de ces Centres. Un travail assidu a été fait dans ce sens. Il a été avéré que pour la plupart des centres lorsqu'un

départ du responsable était effectué pour des raisons diverses (Départ à la retraite, mutation, etc.), un remplacement officieux de Responsable de Centre était mis en place. Le statut de ces changements avec les mises à jour depuis le COPIL est dans la présentation en annexe.

- MDM : Pour le Centre de Necker, il y aura un changement dans deux ans et ceci même en cours de labellisation.
- FG : Ce n'est pas un problème car le tableau de changement de Responsables de Centres peut être validé par le COPIL deux fois par an si nécessaire et les changements peuvent être faits au fil de l'eau.

Éléments d'action :

- Informer le COPIL sur la situation des changements de Responsables des Centres.
- Effectuer la validation 2 fois par an si nécessaire.

3. Budget MCGRE 2021

- MT : Pas encore d'information pour le budget 2022.

Points importants pour le budget 2021 :

Les dotations F22 et F23 sont des dotations fléchées par la DGOS. Des sommes de l'année 2020 n'ont pas été reconduites par l'APHP HM :

- Impasse 2020 : Le montant de « 50,000 » euros n'a pas été reconduit. A vérifier.
- Formation 2020 : Le montant de « 50,000 » euros n'a pas été reconduit. A vérifier.

Des financements sont en attente pour 2021 (à confirmer) : 50,000 euros pour l'impasse, 25,000 euros pour l'observatoire des traitements et 30,000 euros pour la BNDMR.

Les sommes pour la catégorie balance sont entre guillemets en raison du fléchage par la direction financière parfois différent de celui de la gestion de projet en cohérence avec les directives DGOS. Ceci devrait être résolu à la fin de cette année par une réunion MCGRE et Direction Financière.

L'aide au financement pour le registre « Thalassémie » acté pour l'année 2020 a été alloué sur le budget 2021 de la filière MCGRE.

Pour le PNDS, AAP 2020 (budget fléché) 7,500 euros (50% du financement) ont été versés en 2020 pour le PNDS « Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent ». Ce PNDS devrait être livré au plus tard fin septembre 2022. Après la publication des PNDS, le restant des 50% devrait être versé.

- EL : Au nom des infirmières coordinatrices qui participent de plus en plus à la recherche, et font de plus en plus de déplacements, je demande un budget alloué aux infirmières pour des frais de fonctionnement. Les infirmières participent activement au parcours de soins des

malades. Elles accompagnent les malades, elles participent à la recherche, elles se déplacent aux congrès.

- FG : Est-ce la vocation de la filière de financer ces activités ou celle des établissements ? Au niveau du budget fléché pas de disposition financière. On pourrait peut-être se rapprocher vers d'autres dispositions financières, mais il faudrait chiffrer cette possibilité à l'avance et cela pourrait concerner beaucoup de personnes sur l'ensemble du territoire. Il faudrait aussi évaluer la part de travail effectué par le groupe d'infirmières pour la filière MCGRE et la part faite pour d'autres filières de santé maladies rares. La filière MCGRE étant bien moins riche que d'autres filières, il ne serait pas approprié de financer des services pour d'autres maladies que celles dont on a la charge.
- CB : 22 :000 euros sont alloués sur le budget 2021 de la filière MCGRE pour la subvention 2020 du registre « Thalassémie ».

Éléments d'Action :

- Formaliser la demande du soutien de fonctionnement aux infirmières (Nombre d'infirmières, représentation au niveau des différents Centres MCGRE, budget, travail effectué pour les activités MCGRE, etc.)
- Examiner les différentes demandes et les sommes mobilisables avant la fin de l'année. s
- Les demandes seront à valider durant le COPIL.
- Effectuer une réunion au courant décembre 2021 avec la Direction Financière pour :
 - La cohérence de fléchage
 - La demande avec justification pour la reconduction des sommes non dépensées.

4. Registre Thalassémie « NaThalY

- MT : Demande par Dr Catherine Badens d'un renouvellement de la contribution financière pour le registre Thalassémie pour l'année 2021.
- CB : Pourrait-on ajouter au budget 2021 les 22,000 euros de la subvention 2021. ?
- FG : Il a été décidé durant le COPIL 2020 que le renouvellement du registre se ferait dans la mesure des moyens de la filière, il y a d'autres registres et d'autres demandes.
- MT : Il faudrait justifier la contribution de la filière à un registre par une interopérabilité avec BaMaRa/BNDMR et une solution pérenne. Cela a été fait avec des registres d'autres filières et notamment pour le registre MUCO.
- CB : Pour les Thalassémies il y a très peu de nouveaux patients (20 environ par an) et très peu de données en commun entre la BNDMR et le registre Thalassémie. Le registre Thalassémie est un registre clinique qui recueille des données cliniques spécifiques sur l'évolution de la thalassémie, aucune donnée en commun, en dehors du nom, du prénom et de la date de la

naissance et du diagnostic des mutations avec la BNDMR. Pour qu'une interopérabilité soit intéressante, soit il faut qu'il y ait beaucoup de patients, soit beaucoup de données ou les deux dans l'idéal. Cela doit être rentable pour le transfert des données.

- FG : Nous proposons de faire une réunion tripartite filière, registre et DGOS et nous en tirerons les conclusions. Ce registre et les registres constituent des activités importantes pour la Filière. Si nous pouvons le faire nous le ferons. La DGOS y mettra une condition d'interopérabilité avec BaMaRa pour le set de données minimal.
- MEJ : Y-a-t-il d'autres sources de financement pour le registre ? Est-ce que les Filières peuvent prétendre à d'autres AAP.
- FG : Non, la Filière ne peut prétendre qu'aux AAPs de la DGOS dans lesquels la ligne registre n'existe pas.
- CB : Le COPIL du registre a effectué une recherche active pour des sources de financement. Il y a certains partenaires privés en fonction de leurs besoins. Les financements sont aléatoires et pas réguliers. L'INSERM n'accorde plus de subvention aux registres maladies rares.
- FG : LA DGOS peut allouer un certain nombre de sommes de façon ponctuelle exceptionnelle, il faut argumenter cette demande. Il est question dans le PNMR3 de développer des registres.
- CB : Le budget du registre est d'environ 65,000 euros, cela concerne l'ARC/data manager, et 20% de temps médical pour valider les données, déplacements pour monitoring sur site et hébergement et maintenance de la base des données.

Éléments d'action :

- Planifier une réunion Filière, Registre, DGOS, et BNDMR pour examiner les différentes possibilités pour la contribution au financement du registre. LA DGOS peut allouer un certain nombre de sommes de façon ponctuelle exceptionnelle, il faut argumenter cette demande. Étant donné qu'il est question dans le PNMR3 de développer des registres.

5. Soutien BaMaRa et Projet Impasse Diagnostique

- MT : Un projet Pilote dans les CCMR/CRMR de la région IDF (4 centres) et Rhône Alpes (3 centres) débute le 15 novembre 2021. Les remontées permettront d'actualiser les documents du kit de saisie dans BaMaRa.
La seconde phase sera d'étendre le soutien à d'autres Centres (dans les limites du budget) et de diffuser des procédures et règles de saisie et de codage dans les autres centres pour des pratiques homogènes.

En parallèle et suite à l'avis favorable de l'AAP errance/impasse diagnostique, la Filière mettra en place des activités/procédures pour identifier les patients avec "diagnostic indéterminé" et déterminer par la suite le niveau d'errance/impasse dans les centres.

- JF : Point de situation sur le statut des conventions et le déploiement de BaMaRa dans les centres.
 - o Un ARC interviendra en Ile de France dans 4 centres du 15/11/21-28-02-22
 - o Un ARC mutualisé avec la filière MHEMO dans 3 centres de la région Rhône Alpes.
 - o Un projet de convention avec la PEMR Pays de Loire pour 2 centres.
 - o Planification de la saisie, sollicitation des centres à l'aide d'une lettre les informant de l'activité de soutien de la filière et pour évaluer les besoins précis en termes de saisie BaMaRa.

- CP : Présentation du kit de saisie dans BaMaRa.
 - o Fiche de saisie à destination des centres listant les principaux diagnostics de la Filière. La première version d'un guide de codage : les conseils sont les bienvenus plus particulièrement des médecins qui ont des notions de codage dans BaMaRa et qui travaillent avec leurs ARCs. Il faut effectuer une harmonisation au niveau filière pour le type d'activité à déclarer, incluant l'imagerie ou les activités transfusionnelles.
 - o Le kit sera complété par des fiches plus ou moins simplifiées avec les maladies les plus fréquentes et plus complètes en lien avec le document du GT diagnostique et des fiches particulières comme pour le déficit en G6PD, et les errances impasses.
 - o Pour les maladies qui ne sont pas citées sur le site de la filière, il faudra y donner une attention particulière dans le dossier de labellisation l'an prochain.
 - o Un guide pour les codes de signes cliniques « Human Phenotype ontology (HPO).
 - o Un fichier questions réponses complémentaires aux questions spécifiques MCGRE.
 - o Formation à la demande pour BaMaRa et pour le codage des maladies.

- MB : Y-a-t-il une interopérabilité entre la BNDMR et Orbis et d'autres DPI ?

- CP : Une fiche Orbis est déployée au sein de l'APHP et migre vers BaMaRA mais des problèmes sont rencontrés pour la compatibilité entre Orbis et BaMaRa.

- MEJ : A la Guadeloupe le DPI est installé essentiellement pour les services d'hospitalisation très peu utilisée pour les consultations. La fiche collemara existe dans le DPI easily mais n'est pas encore fonctionnelle. La saisie effectuée est autonome (directement dans BaMaRa).

- GC : Nous utilisons collemara depuis 2018 et récemment rencontrons des soucis pour la transmission de certains messages administratifs entre la fiche MR et BaMaRa.

- EL : Je suis inondée de problèmes rencontrés par les infirmières coordonnatrices pour la rentrée de données ETP. Le guide de codage sera bienvenu. Il y a une demande d'harmonisation des pratiques.

Éléments d'action :

- Formation d'ici début décembre d'un comité ad hoc pour la revue et la validation du guide de codage et des directives filière pour la saisie dans BaMaRa/DPI. Toutes les remontées du test pilote alimenteront cette homogénéisation pour des guides de bonnes pratiques de la Filière MCGRE pour la saisie dans BaMaRa/impasse.
- Consultation avec le GT Diagnostique pour la soumission des codes ORPHA à ORPHANET.
- Développer un projet pour mettre en œuvre la lettre d'engagement de la filière pour l'impasse/errance.

6. Point Groupes de Travail (GT)

- MT : Certains sont plus actifs que d'autres. Il faut redynamiser tous les Groupes de Travail.

GT Parcours de soins :

- MEJ : Une série de propositions pour les patients pour pouvoir rendre visible et mieux gérer la douleur. Des pistes pour les relations avec les professionnels de santé libéraux. Travailler avec la filière à des fiches de parcours soins pour chaque sous-groupe de maladies rares.

GT Centres de Compétences et de Proximité

Le GT a développé une communication à destination des CCMR qui a été diffusée aux CCMR et CRMR de la filière pour promouvoir/soutenir la saisie dans BaMaRa, en vue aussi de la labellisation.

GT Transition Enfant-Adulte

Dépliant transition en cours de finalisation pour faciliter la transition de parcours de soins de l'Adolescent d'une équipe multidisciplinaire pédiatrique vers une équipe multidisciplinaire adulte.

GT Formation/Enseignement

Des fiches information patients ont été développées par le GT et vont être délivrées aux médecins des Centres par l'intermédiaire des Responsables et à l'Association Vigivafisme avec un mot d'accompagnement pour informer de la démarche. Un outil d'évaluation pourrait être mis en place.

GT Diagnostique :

- PJ : Pour le GT avant la fin de l'année se répartir les fiches orphanet à créer et amorcer les soumissions à orphanet. Grand travail d'écriture pour la création des fiches orphanet pour les codes à créer.
- FG : Très actif avec Catherine comme Référente.

GT ETP :

- CL : Les associations ont participé et le compte rendu est avec le Pr Mariane de Montalembert.

GT Coordination Multidisciplinaire :

- SL et LA : 3 ateliers ont été conduits cette année 2021 et un atelier sur le priapisme est prévu en début de l'année prochaine 2022.

Pour les autres GT nous appelons aux référents de nous contacter pour redynamiser les GT avec le soutien de la filière.

- FG : Des changements de Référents sont possibles comme pour l'imagerie médicale.

Éléments d'Action :

- Redynamiser les Groupes de Travail, et identifier les Référents et membres de chaque groupe.
- Mettre en place le plus rapidement possible le GT base de données pour soutenir plus particulièrement le projet MCGRE de soutien BaMaRa/Impasse errance.
- Effectuer des réunions avec la Filière pour la planification et identifier les perspectives de soutien de la Filière. Le but est de connaître les perspectives collectives et que les membres se relaient lors de difficultés

7. Point RCP- Outil SARA ONCOAURA

- MT : La convention de l'outil SARA est pour fin décembre 2021. Trois RCP utilisent l'outil SARA.
- JF : Problèmes rencontrés : Souvent le médecin coordonnateur doit rentrer toutes les données. Travail exhaustif. Outil web conférence pas satisfaisant.
- CP : Doit-on convertir cet outil car lourd pour les médecins coordonnateurs, par contre si nous effectuons un changement d'outil nous risquons de ne pas être satisfait. Pourrait-on tester Share confrère un autre outil sur certaines RCP ?
- PJ : SARA marche bien, pas de souci. Il y a des difficultés rencontrées seulement pour l'outil Visio (pas de fonction chat, souvent des bugs etc.). J'utilise la salle Webex du Dr Philippe Connes. A part ce problème technique, rien de particulier, l'outil est chronophage mais il fonctionne bien, les gens ont bien pris le pli. Pour les comptes rendus de RCP l'outil SARA marche bien.

Éléments d'Action :

- Constituer un comité ad hoc en urgence, composé de médecins coordonnateurs de RCP qui utilisent SARA pour statuer sur la conservation de l'outil SARA ou l'adoption d'un autre outil utilisé par d'autres filières Share confrère ou Rofim.
- Impliquer dans ce comité les médecins coordonnateurs de RCP qui n'utilisent pas SARA dans une perspective d'homogénéisation d'utilisation de l'outil des RCP et d'utilisation d'outil sécurisé.
- Si la convention SARA n'est pas reconduite, il faut anticiper rapidement car il risque d'avoir un temps d'adaptation pour le passage vers un autre outil qui perturberait les RCPs SARA en cours.

8. Labellisation

- MT : L'AAP pour la labellisation des filières est prévu pour 2023 pas d'information calendaire ou procédural.

La publication de l'AAP pour la labellisation des CRMR et CCMR est prévu pour Mai 2022 avec la soumission des dossiers pour mi-octobre.

Les critères de Labellisation sont les mêmes que ceux de 2016 avec un accent sur la publication et les projets de recherche.

Un travail doit être fait en amont par la Filière avec les CRMR/CCMR.

- FG : Nous allons anticiper, et demander à tous nos interlocuteurs de la Filière d'investiguer autour de quels autres partenaires pourrait se constituer un centre de compétence car c'est à ce niveau que le maillage territorial est le plus critique et les changements de statut centre de compétence vers centre de référence. Il y a un dossier qui tiendra compte de la fileactive mais aussi des spécificités des publications et des projets de recherche dans lesquels les centres en question sont maitres d'œuvres.

Cela ne s'improvise pas, il faut réfléchir, discuter, avec une notion de territoire mais aussi de thématique et de recherche. Il faut aligner différentes dimensions pour constituer le dossier. Il est important de vérifier que tous ceux qui peuvent devenir centres de compétences le deviennent dans la mesure du possible et cela a une importance globale pour le financement de la Filière. On a intérêt à développer et à pousser au montage de demandes de dossiers constitutif pour une part du budget le moins petit possible.

Nous allons commencer à préparer des pré-dossiers pour vous aider à réfléchir sur vos stratégies régionales.

- MB : Je voudrais rappeler que les centres de compétence ou dit périphérique voient passer beaucoup de médecins qui vont qui viennent et qui ne sont pas vraiment stables, ce qui est un désavantage. C'est difficile de devenir un CCMR quand il n'y a pas de médecin fixe concernant la pathologie et pas de soutien financier pour les activités et la saisie dans la BNDMR.

- FG : La saisie dans BaMaRa pour les CCMR est à défendre rigoureusement auprès de la DGOS.
- CB : Il est problématique d'appliquer des critères identiques pour toutes les maladies rares.
- FG : Il faut défendre rigoureusement ces aspects différentiels.

Éléments d'Action :

- Développer une stratégie pour la labellisation des CCMR/CRMR de la Filière.
- Développer des pré-dossiers.
- Effectuer des réunions.

9. Demande Associatives pour être membres de la Filière

- FG : Il est demandé au COPIL de valider ces demandes. S'il n'y a pas de problème technique et les dossiers seront validés par la Filière.
- COPIL : Pas d'opposition.
- CL : Je souhaiterai que Mylène se présente par rapport à mes collègues représentant les associations. Pour les associations GT groupe associatif.
Pour le travail MDPH, point que tous les patients demandent et les associations, car nous les accompagnons avec les médecins. Il est important d'établir ce pont et de retravailler le point MDPH et tout ce qui est assurance pour les personnes avec maladies chroniques.
- MT : Cela, je pense, a été prévu comme thématique pour la journée des associations.
- CL : Oui il faut qu'on discute de cela, et que vous en tant que chef de projet vous continuez et que l'on puisse avoir des liens avec des personnes qui travaillent directement au service du MDPH pour discuter et faire le lien et avec les médecins et avec les associations.
- MLP : Nous souhaitons aussi de porter notre combat pour les urgences, la prise en charge de patients drépanocytaires aux urgences, et nous avons interpellé les députés et les différents sénateurs et malheureusement il y a eu des amendements qui ont été refusé. Nous continuons notre combat pour une prise en charge plus juste pour tous les patients qui se rendent aux urgences pour la disparition du forfait aux urgences.
- FG : La filière a déjà soutenu ces interventions à plusieurs reprises et il faut continuer.
- CL : La Fédération SOS Globi a fait une tribune dans le monde, c'est déjà un point très important pour que l'on puisse parler de la drépanocytose.

- MLP : Effectivement la Fédération SOS Globi a co-rédigé avec le Pr Galactéros une tribune apparue dans le monde au mois du 27 novembre 2021 et qui interpelle sur la prise en charge de patients et la reconnaissance su dépistage néonatal. Nous faisons appel à la généralisation du dépistage néonatal pour la drépanocytose.

Éléments d'Action :

- La Filière continuera de s'investir dans les dossiers MDPH et les autres demandes d'interventions associatives.