

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

31 mars 2023
17h00 - 19h00
Visioconférence

~~~~~

|                                                      |                                                                                                        |
|------------------------------------------------------|--------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Personnes présentes :</b>                         |                                                                                                        |
| Animateur MCGRE                                      | Frédéric GALACTEROS (FG)                                                                               |
| Représentant(e)s GT Coordination multidisciplinaire  | Louis AFFO (LA)                                                                                        |
| Représentant(e)s CR constitutifs adulte IDF          | Jean-Benoît ARLET (JBA)                                                                                |
| Représentant(e)s CC pédiatrique province             | Corinne ARMARI ALLA (CAA)                                                                              |
| Représentant(e)s biologistes hospitaliers            | Catherine BADENS (CB)                                                                                  |
| Représentant(e)s CC pédiatrique IDF                  | Marie BELLOY (MaB)                                                                                     |
| Représentant(e)s CR constitutifs adulte province     | Giovanna CANNAS (GC) ;                                                                                 |
| Représentant(e)s CR constitutifs adulte province     | Benjamin CARPENTIER (BC)                                                                               |
| Responsable CR coordonnateur outre-mer               | Maryse ETIENNE-JULAN (MEJ)                                                                             |
| Représentant(e)s des associations                    | Christina GODART (CG)<br>Lucienne LUCIEN (LL)                                                          |
| Représentant(e)s CR constitutifs pour les DOM        | Gylna LOKO (GL)                                                                                        |
| Représentant(e)s CC adulte province                  | Caroline MAKOWSKI (CM)                                                                                 |
| Représentant(e)s ETP pédiatrique                     | Mariane de MONTALEMBERT (MdM)                                                                          |
| Représentant(e)s CC adulte IDF                       | Stéphanie NGO (SN)                                                                                     |
| Représentant(e)s CR constitutif pédiatrique IDF      | Corinne PONDARRE (CP)                                                                                  |
| Représentant(e)s CR Constitutif pédiatrique province | Isabelle THURET                                                                                        |
| Equipe projet MCGRE                                  | Justine Fauvel (JF), Lucile Guénégou (LG), Catherine Pouzat (CaP), Marwa Khomsi (MK), Sonia Udino (SO) |

Justine GELLEN DAUTREMER (JGD), excusée.

### Ordre du jour :

1. Observatoire des traitements : constitution du groupe de travail
2. Dépistage : constitution du groupe de travail
3. Comités de sélection des AAP 2023
4. Journée de la filière 16 juin
5. ShareConfrère
6. accelRare (<https://www.accelrare.com/>)
7. Charte des Associations
8. Groupes de Travail – Etat des lieux
9. Divers

## 1. Observatoire des traitements : constitution du groupe de travail

Rappel :

Les accès dérogatoire, accès compassionnels, accès précoces sont des questions qui concernent ABM, ANSM, HAS et le ministère de la santé (DGS).

Deux axes de travail :

1. Constituer un groupe de travail Observatoires des traitements  
→ besoin de volontaires pour ce GT : peu de médecins pour l'instant  
→ occasion de mettre en avant les problèmes d'accès limitatifs aux médicaments dans les centres de soins.

### Constituer le GT de manière Urgente

2. Répondre à la demande de la DGOS de recenser les prescriptions hors AMM d'intérêt  
→ personnes se sont portées volontaires (équilibre entre pédiatrie et adulte). Volonté de travailler avec l'expertise de chacun sur la base 16Com (qui sera connectée à Thériaque) :

The screenshot shows the MCGRE web application interface. At the top, there is a navigation bar with the MCGRE logo and user information (Marwa KHOMSI, Vous déconnecter). Below the navigation bar, there are tabs for 'Tableau de bord', 'Prescriptions', 'Bibliothèque', and 'Utilisateurs'. The main content area is titled 'Accueil' and displays a section for 'Éléments en attente de validation'. This section contains a table with columns for 'Maladie ORPHA / Code HPO', 'Nom commercial (ATC)/DCI', 'Utilisateur', and 'Date'. The table currently shows 'Aucun élément en attente de validation'. Below the table, there is an 'Exports' section with several input fields for filtering: 'Maladie ORPHA', 'Libellé HPO', 'Centre de Référence Maladies Rares', 'Nom commercial spécialité', 'Intention clinique hors AMM', 'Population concernée', and 'Etat'. At the bottom of the export section, there are two buttons: 'Rechercher' and 'Exporter'.

| Maladie                                                                            | Produit                                   | Situation | Référencement | Références | Démarches complémentaires | Bilan |
|------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------|-----------|---------------|------------|---------------------------|-------|
| Référencement                                                                      |                                           |           |               |            |                           |       |
| Centre de Référence Maladies Rares *                                               | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| Nom du contributeur                                                                | <input type="text" value="Marwa KHOMSI"/> |           |               |            |                           |       |
| Première année de prescription au sein du centre                                   | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| Nombre de patients sous traitement hors AMM dans la situation clinique *           | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| Préciser le nombre de patients sous traitement hors AMM dans la situation clinique | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| Suivi de cohorte ou registre en cours *                                            | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| Commentaires                                                                       | <input type="text"/>                      |           |               |            |                           |       |
| <input type="button" value="Ajouter un référencement"/>                            |                                           |           |               |            |                           |       |

→ Retour à la DGOS qui va prendre en compte le niveau de consensus :

- Ancienneté de la pratique (au moins 5 ans) ;
- Nombre de patients traités (seuil à 50 patients, mais pas d'obligation) ;
- Priorisation de 2/3 molécules d'ici moins d'1 mois (constitution dossier ANSM).

Définir les attitudes à adopter pour des situations complexes pour prescriptions hors AMM → réattribution de l'AMM ou de l'usage hors AMM ; travail qui se déroulera sur plusieurs années.

## 2. GT Dépistage :

GT beaucoup plus mobilisé suite à la décision de la HAS.

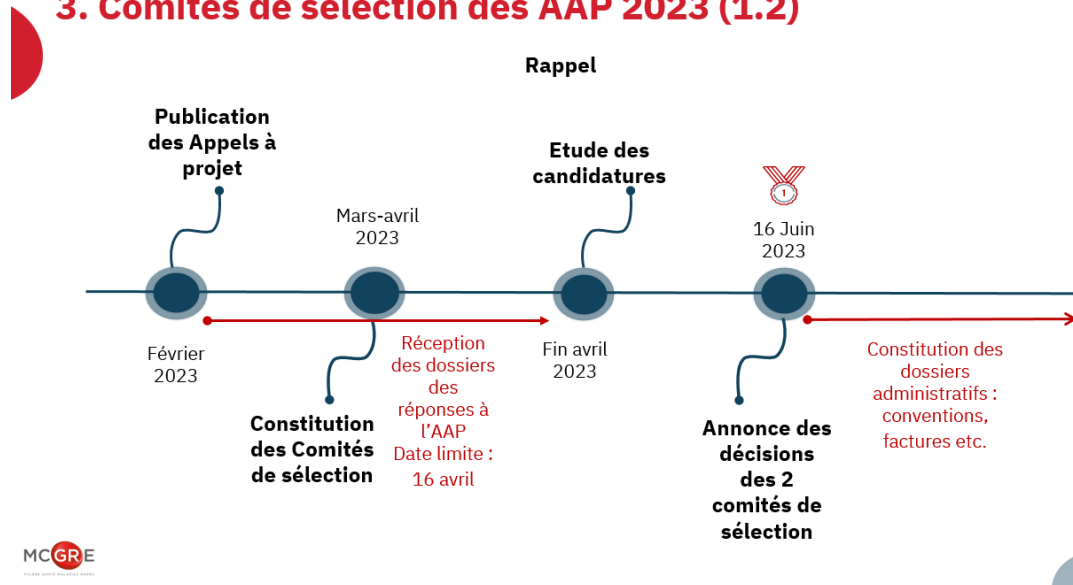
Obj :

1. Anticiper et accompagner la mise en place du dépistage généralisé ; dans aucune région en dehors des DOM le dépistage est généralisé → trouver des relais par région et par centre de dépistage néonatal sur l'ensemble du territoire
2. Travailler sur l'annonce du trait drépanocytaire → augmentation de manière marginale
3. Co-coordination : Isabelle Thuret et Marie-Hélène Odièvre-Montanié

## 3. AAP /

Généraliste : rappel du calendrier (voir slide)

## 3. Comités de sélection des AAP 2023 (1.2)



2023 :

Volonté de la filière que les AAP se mettent en place rapidement et que les fonds soient engagés avant la fin de l'année.

Proposition d'attendre la réception des dossiers pour constituer les comités de sélection composée de personnes non impliquées dans les candidatures.

Critères de sélection :

- Intérêt scientifique
- Faisabilité
- Objectif principal / Relation thématique à la Filière
- Budget / Adéquation budgétaire ; les co-financements sont acceptés.

Dossiers demandés simples, les objectifs doivent être simples et faisables dans le cadre des pathologies de la filière.

Attention particulière apportée lorsqu'un projet ne concerne pas la drépanocytose → Volonté d'équilibrer entre les pathologies de la filière.

Nombre de dossiers reçus en 2022 :

- 6 dossiers reçus pour l'AAP généraliste ;
- 11 dossiers reçus pour l'AAP Expertise-Formation.

Nombre de dossiers **demandés** (et non encore déposés) en 2023 :

- 11 dossiers demandés pour l'AAP généraliste ;
- 1 dossiers demandés pour l'AAP Expertise-Formation

### Questions :

Constitution du comité de sélection ? quid du fonctionnement ?

Après discussion, il est acté que :

La constitution du comité est à la charge du bureau de la filière  
(Représentants de chaque partie prenante de la filière)

Constitution du bureau en 2021 :

| <b>Bureau</b>                        |                                                                        |
|--------------------------------------|------------------------------------------------------------------------|
| Animateur MCGRE                      | Frédéric Galactéros                                                    |
| Coordinatrice de Centre de Référence | Maryse Etienne-Julan                                                   |
| Représentant(e)s des associations    | Christian Godart, Aurélie Zarka                                        |
| Représentant(e)s Laboratoire         | Catherine Badens (suppléant Philippe Joly)                             |
| Représentant(e)s CC pédiatrique      | Marie Belloy (suppléants Stéphanie Eyssette-Guerreau, Oussama Charara) |
| Représentant(e)s CC adulte           | Louis Affo                                                             |
| Représentant(e)s CR pédiatrique      | Mariane De Montalembert                                                |
| Représentant(e)s CR adulte           | Gylna Loko, Giovanna Cannas                                            |
| Equipe projets                       | Sonia Pavan                                                            |

Remplacement  
d'A. Zarka à venir

La composition du bureau sera renouvelée après la labellisation.

#### 4. Journée de la filière :

Objectif de la journée promouvoir l'activité des groupes de travail de la Filière.

- Sollicitation des groupes de travail par la filière pour que ceux qui le souhaitent présentent leur travail ;
- Proposition que les lauréats des appels d'offre 2022 (Expertise-Formation et Généraliste) puissent faire le point sur leurs travaux.

Après discussion, il est acté que :

Les lauréats 2022 devront présenter leur projet ou l'avancement de leur projet même si ce n'est qu'une diapo. Présentation orale ou poster → motivation pour les prochains appels à candidature.

→ Enquête [Drépatient](#)

Rappel :

Enquête sur les répercussions de la drépanocytose sur la qualité de vie, la scolarité et l'insertion socio-professionnelle des patients adultes et des parents d'enfants malades résidant sur le territoire français. Lancée à l'initiative des associations (FMDT SOS Globi), supportée sur le plan technique par la filière et analysée par Argo (Cabinet d'études).

Financement de départ : BluebirdBio

Départ de BluebirdBio → fin des financements ; il manquait 50 000€ pour finaliser le travail.

Suite intervention / Argo Santé et FG : octroi de 50 000€ par la DGOS

Caractéristiques de l'enquête :

- Multicentrique ;
- Versant qualitatif (entretiens) et quantitatif (questionnaires) ;
- Public cible : patients et parent d'enfant malade ;
- Sollicitation de tous les acteurs de la filière ;

- France métropolitaine et DOM ;

Répondeurs :

- 2/3 d'adultes (large majorité de femmes) et 1/3 de parents d'enfants atteints
- Plus d'un millier de questionnaires reçus ; 992 sont exploitables ;
- Réponses des familles et des patients proportionnelles à la présence des personnes drépanocytaires sur le territoire.

Difficultés : questionnaire long (décrochage) impossibilité de reprendre un questionnaire interrompu.

Remarque (Mdm) : Etude Shape financée par GBT – Pfizer un peu similaire : impact de la drépanocytose sur la vie des familles (travail/scolarité).

Caractéristiques :

- Etude multicentrique et multinationale

Si nouvelle enquête, procéder en 2 étapes ; voire plus :

1. Voulez-vous participer ? quel est votre profil ?
2. Saisie du questionnaire ;
3. Questions conditionnelles complémentaires.

Pour la journée de la filière :  
Présentation des données bio statistique même si pas entièrement finalisée.

## 5. ShareConfrère

Outil utilisé pour certaines RCP de la filière et par 9 filières

Difficultés avec l'outil :

- Mise en liquidation judiciaire fin novembre ;
- Différente piste de reprise de l'outil → Spin-off de l'AP-HP intéressé pour reprendre l'outil (start-up issue de l'APHP mais pas APHP) : Skézi

Skézi par la voie de son directeur (Dr Jean-Philippe Bertocchio) souhaite :

- Faire perdurer le système (maintien actuel du service et des coûts de 2022) ;
- Intégrer ShareConfrère aux fonctionnalités déjà présentes déjà Skézi (gestion des cohortes par ex.),
- Ne plus utiliser Zoom pour que toutes les données soient hébergées en France.

**Toujours dans l'attente d'une décision officielle mais espoir de garder cet outil**

Fonctionnement :

Questions : quid des zones couvertes au niveau international ?

→ la limite est fixée par le règlement RGPD (zones couvertes ou non)

Remarques :

En attendant la reprise officielle de Skézi :

- pas de support technique (néanmoins tutoriels développés par l'équipe de la filière).
- Impossible de convertir de nouvelles RCP en RCP pérennes.
- Actuellement, création de RCP possible mais limitation à 10 dossiers au total par RCP maximum (même pour plusieurs séances).

## 6. AccelRare

Proposition faite par Sanofi, à la suite d'un travail commencé par Orphanet :

- Classer les maladies rares en fonction de la difficulté pour aider les Médecins Généralistes à les identifier.
- Moyen : outil digital
- 270 maladies rares identifiées, dont 3 pathologies MCGRE identifiées par Sanofi.

/!\ Pyruvate kinase attribué à G2M → à rectifier.

Entretien intéressant et prolongé avec le responsable → proposition de commencer par une pathologie ; rémunération de 245€ HT pour le travail effectué.

→ idées qui se développent dans les laboratoires pharmaceutiques

Des invitations à participer vont être lancées aux centres de la filière.

**Questions :**

Qui complète l'outil ? → accelRare

A-t-on idée de la réception de l'outil par les MG ? → Non

L'outil servira-t-il à faire de la prévention pour le MG ? → Oui

Objectif de la filière : participer et tester l'intérêt pratique de cet outil et dans l'avenir participer au développement pour d'autres pathologies dans le périmètre de maladies rares.

## 7. Les associations :

Rappel :

Nouvelle version de la charte adoptée Renvoi de la charte aux associations membres et adhésion ?

Attente des résultats de labellisation avant envoi ?

Parler de la charte aux associations avant de leur envoyer ?

→ la charte a déjà été discutée depuis longtemps, il faut avancer.

Envoyer la version modifiée de la charte dès que possible ; la signature de la version n'empêchera pas la redynamisation dans un second temps.

Discussions sur les relations entre la filière et les associations :

a. **Constat des représentants associatifs :**

- Dynamiser les actions des associations prend du temps ;
- Personnes bénévoles et malades → structure fragiles ;
- Certaines associations se sentent délaissées par la Filière ;
- En l'absence de moyens associatifs la filière doit faire connaître les actions des associations localement ;
- Absence de support fort de la filière ;
- Petites associations ayant des difficultés de fonctionnement, → aller vers des fédérations ;
- Toutes les associations doivent aller dans le même sens (rappel : victoire commune par l'obtention du dépistage généralisé) ;
- Fonctionnement actuel entre la filière et les associations insatisfaisant ; la filière doit prendre en considération les difficultés des associations et leur donner une direction ;
- Souhait de faire de la drépanocytose une grande cause nationale.

**b. Constats/demandes de la filière :**

- Manque de ressource humaine et de moyens dans les associations → l'éparpillement joue contre les associations (Les malades ne connaissent pas suffisamment les associations à cause de cet éparpillement) ;
- Chaque association doit avoir ses caractéristiques propres et les mettre en avant (ex. : lobbying, transition, enfant ; adulte, aide sociale etc.)
- Être membre associatif se travaille. Il faut acquérir du professionnalisme.
- Participation des associations adhérant à la filière à au moins une action de la filière par an ;
- Réfléchir à un autre mode de fonctionnement AVEC l'aide des associations.
- La filière a beaucoup œuvré pour structurer la relation avec les associations → reproche des autorités financières du PNMR3.
- Filière et associations sont partenaires, à égalité : contributions réciproques.
- la filière n'a pas vocation à subventionner les associations ;
- Informations transmises par les associations relayées sur les outils de communication de la filière.
- Trois niveaux de communication avec les associations :
  - o le ou les centre.s de proximité ;
  - o l'équipe de la filière (voire le réseau européen ERN) ;
  - o les tutelles gouvernementales.

Identifier un interlocuteur unique pour chaque association ;  
Réfléchir avec les associations à une autre forme de fonctionnement

**Journée des associations :**

Associations sollicitées pour constituer le programme et la filière sera là pour accompagner en termes logistiques.

Les associations doivent se concerter, puis réunion formelle ou informelle pour constituer le programme sur 3 ou 4 thématiques d'actions communes aux patients et aux professionnels.

## 8. Groupes de travail :

Cf ppt

Chaque groupe de travail a une référente au sein du groupe de travail. Certains sont plus actifs que d'autres selon les périodes et l'activité liée à leur thématique. La liste des personnes inscrites dans

les groupes de travail est à date, en fonction des réponses reçues par la filière. Ces listes peuvent évoluer.

**Parcours de soins** : réflexion à venir pour parvenir à un meilleur fonctionnement

**PNDS** : IT ne souhaite plus coordonner ce groupe ; volonté de relance. Réfléchir à de nouvelles directions.

**Recherche** : GT en pleine re dynamisation

Présentation du travail du GT par Pierre Cougoul :

Volonté de dynamiser la recherche en utilisant le site internet comme moyen, en collaboration avec le prestataire et JF.

La page recherche va suivre la chronologie d'un projet :

1. De quoi a-t-on besoin pour construire un projet (bibliographie, interlocuteurs, etc.) ; en développement.
2. Interface de demande de collaboration entre différents labos, chercheurs etc. qui permettrait de développer des recherches multicentriques.
3. Interface bibliographique : chacun pourrait apporter le commentaire de sa lecture dans un fil dynamique. Idée de collaboration.
4. Résultats des études réalisées

Rappel : page d'information sur la recherche destinée aux patients disponible sur le [site](#)

Listes des GT = état des lieux non conclusif.  
Relayer l'existence de ces groupes pour les étoffer.

## 9. Points divers :

### **New Globinoscope**

JF : en cours de réception des articles du NG pour une diffusion le 16 juin ;

### **Journée enzymopathie**

Thématique pyruvate kinase strictement pour l'instant → élargir. limité et pas suffisamment attractif  
Habituellement journée en collaboration avec le groupe du globule rouge et du fer ; pas d'échanges à ce jour.

JBA : journée entière sur PK c'est un peu indigeste.

Fg : surtout que tout tourne autour de la même enquête avec un clivage manifestation précoce/tardive.

Autre thématique à suggérer : en attente

### **Financement DGOS :**

Question : financement de la DGOS à destination de l'ETP avec un calendrier de distribution dans les semaines qui viennent ?

→ oui, circulaire C4 fond destinés au PNDS, à l'ETP et RCP ; relative liberté dans l'utilisation. Pourquoi pas un appel d'offre dans l'ETP ? MAIS à ce jour toujours rien d'officiel.

### **Médiation transculturelle en santé :**

CP : à partir de 2024, poste hospitalier utilisé pour de la médiation transculturelle en santé et applicable à toutes les maladies, dont la drépanocytose.

→ en formation au centre Babel, centre européen en ressources transculturelles

→ développer pour la drépanocytose : lorsque conflit équipe médicale/famille (refus d'adhésion aux soins ; patients algiques non entendus par les soignants). Ce sont les équipes soignantes qui sont demandeuses.

→ réservé à l'Ile-de-France pour l'instant.

Perspectives passionnantes ; on avait appris à s'en passer parce qu'il n'y avait rien d'équivalent.

\*\*\*\*\*

Fin des discussions, le Pr Galactéros met fin au COPIL en souhaitant à tous et toutes une bonne soirée.