

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

# 3<sup>ième</sup> Journée des Associations de la Filière de Santé MCGRE

(Maladies Constitutionnelles Rares du Globule Rouge et de l'Erythroïèse)

---

15 novembre 2019  
Maison des Mines, Paris

# Appels à projets DGOS 2019

## Création de plateformes de coordination maladies rares en Outre-mer

- Guichets uniques pour l'orientation des patients atteints d'une maladie rare avec ou sans diagnostic, avec pour but d'améliorer la coordination des parcours de prise en charge diagnostique et thérapeutique :
- Faciliter l'accès aux experts locaux
- Faciliter le parcours de soins entre départements/territoires : télémédecine, lien avec les centres experts de métropole
- Faciliter l'accès à la prise en charge extra-médicale (psychologue, assistante sociale,...)
- 4 plateformes :
  - plateforme Guadeloupe (référente médicale : Dr Maryse Etienne-Julan)
  - plateforme Guyane (référent médical : Pr Narcisse Elenga)
  - plateforme Martinique (référent médical : Dr Rémi Bellance)
  - plateforme La Réunion-Mayotte (référente médicale : Dr Marie-Line Jacquemont)

# Appels à projets DGOS 2019

## Rédaction de protocoles nationaux de diagnostic et de soin (PNDS)

- 2 PNDS proposés dans la filière MCGRE
- Mise à jour du **PNDS thalassémie** (2008) (porteur : Dr Isabelle Thuret)
- Nouveau **PNDS Sphérocytose et autres anomalies de la membrane du globule rouge** (porteur Dr Corinne Guitton)
- Publication au plus tard début 2021
- Autres PNDS seront proposés l'an prochain

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

# Appels à projets DGOS 2019

## Programmes d'éducation thérapeutique des patients (ETP)

- 4 projets proposés dans la filière MCGRE (en attente de validation)
- Extension du programme d'ETP Thalassémie, Marseille (I. Thuret)
- Extension du programme d'ETP Drépanocytose Evad' et Vous aux thalassémie (D. Bachir)
- Nouveau programme d'ETP Drépanocytose en Auvergne-Rhône-Alpes (A. Gauthier)
- Nouveau programme d'ETP Drépanocytose à Mayotte (A. Chamouine)
- Accent mis sur l'inclusion des aidants familiaux/proches, outils de e-ETP, programmes transversaux facilement transférables et déclinables aux centres de compétence

# Fonctionnement

## Charte des associations

- Objectifs
  - nous aider à identifier les associations membres de la filière
  - établir un cadre de travail
- La charte fixe les modalités d'intégration des associations, les responsabilités et engagements de chacun
- La charte sera proposée à toutes les associations de malades
- Validation des associations membres en comité de pilotage MCGRE

# Vidéo commune « Présentation des associations » + Plaquette

- Expliquer ce qu'est une association de malades MR, ses rôles, son champ d'action
- Diffusion : dans les services, via les associations, via la filière, lors d'événements spécifiques
- Associations sollicitées (messages, missions, illustrations) : 2-3 réponses
- Comité éditorial souhaitable : relai associations-filières. Pas de réponse
- Pilotage, financement et réalisation : filière MCGRE
- Poursuivre le projet ?

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

## Vidéo « Aidants familiaux »

- Projet issu de la tenue d'ateliers par la filière MCGRE sur la santé des aidants familiaux (rencontres régionales interfilière)
- Missions de la filière dans le domaine médico-social
- Vidéo générale (non spécifique pathologies du globule rouge)
- Diffusion filière et interfilière

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

# Cartes d'urgences



- Mission des filières de mettre à jour les cartes existantes et de créer de nouvelles cartes si besoin
- 3 mises à jour en cours : drépanocytose, déficit en G6PD, thalassémie
- Contenu élaboré et validé par un comité d'experts + une association



# Du nouveau sur le site MCGRE

## Rubrique « La recherche expliquée aux patients »

**MCGRE**  
FILIERE SANTE MALADIES RARES

Filière de santé maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythropoïèse

Rechercher sur le site | S'abonner à la newsletter | Nous contacter | Espace membres

LA FILIERE | LES PATHOLOGIES | OÙ CONSULTER ? | **LE PARCOURS PATIENTS** | ESPACE PROFESSIONNELS DE SANTE | ACTUALITÉS

Vivre avec une maladie rare  
Dépistage  
Éducation thérapeutique du patient  
Transition enfant/adulte  
Associations de malades  
**La recherche médicale expliquée au patient**

**À LA UNE**

08/11/19  
**La sixième édition du bulletin recherche est disponible !**

31/10/19  
**Nouvelle rubrique « La recherche médicale expliquée au patient »**

16/10/19  
**« Comment accueillir les aveugles et malvoyants à l'hôpital » : un tuto sous forme de vidéo**

**Nouvelle rubrique "La recherche médicale expliquée au patient"**

# Du nouveau sur le site MCGRE

## Rubrique « La recherche expliquée aux patients »

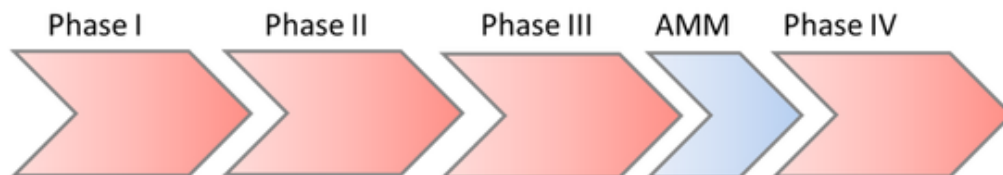
### QU'EST CE QU'UN ESSAI CLINIQUE ?

Un essai clinique (aussi appelé étude clinique) est une étude réalisée chez l'être humain, afin d'évaluer l'efficacité et la tolérance d'un produit, en vue du développement d'une thérapie, d'un outil de diagnostic ou d'un dispositif médical. Un essai clinique peut inclure aussi bien des personnes malades qu'en bonne santé. L'essai clinique doit suivre une progression logique pour parfois aboutir à un produit utilisable pour les patients.

### QU'EST-CE QU'UN COMPARATEUR ET QU'EST-CE QUE LA RANDOMISATION ?

Dans un essai clinique, on cherche à évaluer l'efficacité d'une nouvelle molécule. Dans le cadre d'un essai clinique dit « comparatif », on peut comparer l'efficacité de la nouvelle molécule à un autre traitement, s'il existe déjà, ou à un placebo. Le placebo est un médicament n'ayant aucune substance active. Il n'a donc aucun pouvoir thérapeutique. Dans l'essai clinique, il faudra donc diviser les patients en deux catégories : ceux qui vont recevoir la nouvelle molécule et ceux qui vont recevoir le placebo ou le traitement de référence. Cette étape est appelée « randomisation », c'est-à-dire que l'on va attribuer les patients dans l'un ou l'autre des groupes de manière aléatoire, par tirage au sort. Afin d'éviter de fausser les résultats de l'essai, les participants ignorent complètement s'ils font partie du groupe qui recevra la nouvelle molécule ou le placebo/traitement existant.

### QUE SIGNIFIENT PHASE I, II ET III ? QUELLE EST LEUR DIFFÉRENCE ?



- La phase I d'un essai clinique consiste à étudier la tolérance du produit par le corps humain, son assimilation dans l'organisme et sa

# New Globinoscope

- New Globinoscope n° 4 : publication début 2020
- New Globinoscope n° 5 : en réflexion
- Attention ! Nouveauté dans la distribution : nous indiquer le nombre d'exemplaires souhaités. **Réponse obligatoire** sur le lien suivant : <https://tinyurl.com/newGlobinoscope4>

# Représentants européens de malades pour la drépanocytose

- Pilotage EuroBloodNet (ERN, réseau européen de référence) : projet de réseau européen d'associations de malades drépanocytaires
- Dans chaque pays : 2 représentants (+- suppléants). A élire pour la France
- 2<sup>ème</sup> étape : élection d'1 représentant d'ePAG (European Patient Advocacy Group) pour Eurobloodnet
- Actuellement, drépanocytose non représentée
- But : représentation solide des patients en Europe ; communiquer d'une seule voix sur les besoins des malades

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

# Les différents outils d'information

Filière MCGRE - Ne pas diffuser

- Site Internet : <https://filiere-mcgre.fr/>
- Réseaux sociaux : Facebook, Twitter
- Newsletter (abonnement sur le site MCGRE)
- Bulletin recherche