

COPIL
4 juillet 2023

Filière MCGRE

Sommaire

- 1. Actualité de la Filière MCGRE**
- 2. accelRare**
- 3. ShareConfrère**
- 4. Accès précoce pour la thérapie génique**
- 5. HAS - évaluations des actes du RIHN**
- 6. Associations membres – état des lieux**
- 7. Groupes de travail**
- 8. New Globinoscope**
- 9. Discussions et agenda**

1. Actualités - Labellisation

La filière a fait un gros travail de facilitation pour cette campagne de labellisation. Néanmoins, certains centres n'ont pas répondu.

Le jury du comité de la campagne de labellisation (DGOS) doit rendre ses conclusions dans les prochains jours.

Pour rappel :

Candidatures du CRMR coordonnateur Mondor (métropole-Mayotte) :

• 20 centres ont postulé en tant que CRMR constitutif

9 nouvelles candidatures : 8 issues de 10 CCMR actuels plus 1 autre au CHU de Lille suite à scission du CRMR lillois

- AP-HP Tenon,
- AP-HP Trousseau (fusion des deux CCMR de Trousseau),
- Bordeaux (fusion des deux CCMR du CHU),
- Dijon,
- Grenoble,

- Lille CHU (suite à séparation de l'ICL et du CHU de Lille, les bi-sites n'étant plus admis),
- Rouen,
- Strasbourg
- Toulouse



1. Actualités - Labellisation

- 35 centres ont postulé en tant que CCMR
4 nouvelles candidatures dont 1 à Bondy-hôpital Jean Verdier
(suite à scission du CRMR Avicenne-Jean Verdier)

- AP-HP Saint-Antoine,
- Blois,
- La Réunion
- AP-HP Jean Verdier (Bondy)
- suite à séparation d'Avicenne (ex bi-site)

- 2 des CCMR actuels ont renoncé à repostuler :

- Mantes-la-Jolie
- Mulhouse



1. Actualités - Labellisation

Candidatures du CRMR coordonnateur Guadeloupe (Antilles-Guyane) :

- 2 centres ont postulé en tant que CRMR constitutif (pas de changement)
- 1 centre postule CCMR
- 1 des deux CCMR actuels ne sera pas renouvelé
(Saint-Laurent du Maroni - absence de candidat)

Au total :

- 2 CRMR coordonnateurs
- 22 candidatures CRMR constitutifs (augmentation de 13 à 22)

Au total, 24 CRMR ont déposé leur candidature.



1. Actualités - Labellisation

La DGOS a rendu un premier avis concernant les centres de référence fin mars et a confirmé lors du RDV du 14 juin la labellisation de l'ensemble des centres de compétence :

- 4 CRMR ont eu un avis défavorable ; 1 a été réévalué positivement.
- 38 CCMR ont eu un avis favorable (**oral**).

!/C'est la dernière fois que les demandes sont validées hors BaMaRa

La filière compte désormais 21 CRMR et 38 CCMR

La publication officielle de l'arrêté est attendue au mois de septembre 2023.

Calendrier prévisionnel d'application de la labellisation des CRMR **(validé)**

Mars 2023

- Financement des CRMR et CRC labellisés en 2017 en C1 2023
- Décision finale du jury de labellisation sur les candidatures retenues fin mars 2023

Juillet 2023 :

- **Ouverture de la campagne PIRAMIG début juillet : clôture à la mi-octobre → en cours de validation**
- **Fiabilisation de la liste des CCMR en lien avec les CRMR et FSMR : file active ≥ 25 ; doublons d'établissement ; responsable**

Dernier trimestre 2023

- Priorisation d'une mesure nouvelle pour l'ONDAM 2024 pour revalorisation des MIG dédiées aux CRMR



A l'été 2023

- Validation des candidatures de CRMR par la DGOS, la DGS et la DGRI
- Préparation et publication de l'arrêté de labellisation signé des ministres chargés de la santé, de l'enseignement supérieur et de la recherche




Courrier individuel à chaque candidat / établissement

Début 2024

- Financement des nouveaux CRMR et CRC labellisés en 2023 en C1 2024 avec application de la réforme de la part variable
- Lancement du PNMR4

Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année

- Le troisième plan national maladies rares 2018-2022 (PNMR 3) est financé à hauteur de 147,6M€/an sur la durée du plan. Depuis le Ségur de la santé, l'intégration de la revalorisation du point d'indice des fonctionnaires et la prolongation d'un an du PNMR3, le plan est augmenté en 2023 à **175,1M€/an** 

134M€

Soutien aux centres de référence

(4 MIG)

- Une MIG « générale » (F04) pour l'ensemble des CRMR (hors 3 filières)
 - Trois MIG spécifiques pour 3 filières dédiées (F05, F06, F07) : Maladies hémorragiques constitutionnelles (MHEMO), Mucoviscidose (Muco), Sclérose Latérale Amyotrophique et Maladies du Neurone Moteur (FILSLAN)
 - 473 centres financés : 388 CRMR (coordonnateurs / constitutifs) + 85 CRC
- 1^{ère} circulaire budgétaire

14,3M€

Soutien aux filières de santé maladies rares

(1 MIG)

- 1 MIG dédiée (F17) : les filières de santé maladies rares coordonnent des CRMR, des professionnels de santé, des laboratoires, des structures éducatives, sociales, médico-sociales, des associations, etc.
 - Objectif du PNMR 3 : renforcer les filières dans les enjeux de soin et de recherche
 - 23 filières de santé maladies rares relabellisées en juin 2019
- 1^{ère} circulaire budgétaire

26,8M€

Soutien aux actions et AAP du PNMR 3

(3 MIG)

- 1 MIG « plateformes d'expertise maladies rares » (F21) : création de 19 plateformes d'expertise MR et 4 plateformes de coordination Outre-mer (3,1M€)
 - 1 MIG Base de données maladies rares (F22) : Banque Nationale de Données Maladies Rares, mise en place de la BaMaRa, module DPI, projet « registre patients en impasse de diagnostic », observatoire des traitements, + prolongation d'un an du PNMR3 (16,4M€)
 - 1 MIG « Appui à l'expertise (F23) : financement des PNDs, programmes ETP, formation, ERN, outils de RCP (7,2M€)
- principalement 2^{ème} et 3^{ème} circulaires budgétaires

1. Actualités - CR bilans et actions DGOS - Budget à date

Origine des produits	Montants
Dotation (MIG filière)	540 000 €
Reliquat 2022	186 772 €
Dotation additionnelle F22 (Observatoire du diagnostic, Observatoire des traitements)	115 000 €
Dotation additionnelle F23 (PNDS, ETP, Soutien à la formation, Dépistage)	100 000 €
Dotation exceptionnelle C1/C4 (fongible PNDS/RCP/ETP)	191 921 €
Dotation exceptionnelle Drépatient	50 000 €
Total	1 183 693 €

1. Actualités - CR bilans et actions DGOS - Budget à date

Affectation des charges	Montant
Personnel	390 500€
Frais de structure (19%)	102 000€
AAP Expertise - formation	50 000€
AAP Généraliste	60 000€
Registre NaThaly	30 000€
Communication	2 500€
Soutien projets (2022)	20 000€
Congrès	2 500€
Journées de la filière	14 300€
Soutien PNDS	12 000€
Drépatient (Argo santé, étudiant KB, filière)	50 000€
RCP – ShareConfère	12 000€
TOTAL	745 800€

A date, le solde est évalué à : 437 893 €

1. Actualités - Points à améliorer suite RDV DGOS

- Axe 3 : Déploiement de la BNDMR dans les CRMR en lien avec les systèmes d'information hospitaliers 8 centres sans accès à BaMaRa → solliciter la BNDMR et éventuellement la DGOS pour débloquer les situations ;
- Axe 2 : Dépistage néonatal : proposition de créer une cellule de travail afin de structurer le DNN ; se rapprocher de la filière G2M ;
- Axe 9 : Renforcer la politique de formation initiale (médecine, pharma, biologie)
- Axe 10 : Encourager le développement de la recherche dans les territoires d'Outre-mer en s'appuyant sur les plateformes KARUKÉRARES (Guadeloupe), RE-MA-RARES (Réunion –Mayotte), Allo Maladies Rares (Martinique), et COMARG (Guyane).

Info en plus : → volonté que le renouvellement des filières soit finalisée début 2025

1. Actualités - Comment soutenir les nouveaux centres de référence et les centres de compétences ?

Rappel :

C1 : 191 921€ + 540 000€ (F17)

FSMR	C1 : soutien PNDS	C1 : soutien ETP	C1 : soutien RCP	C1 : soutien ERN	TOTAL C1 FSMR pour soutien aux actions PNMR3
MCGRE	76 769 €	76 769 €	38 384 €		191 921 €

C3

Filières	Régions	Etablissement	Registre des traitements	Observatoire du diagnostic	PNDS	ETP	Evaluation e-ETP	TOTAL C3 2022
MCGRE	Ile de France	APHP-Mondor	50 000 €	50 000 €	15 000 €			115 000 €

La filière a également obtenu 50 000€ afin de soutenir l'étude Drépatient et 50 000€ pour mener une réflexion sur le dépistage néo-natal.

1. Actualités : Comment soutenir les nouveaux centres de référence et les centres de compétences ?

Mettre en place des AAP destinés à ces centres strictement ?

Etablir des conventions de reversement à ces centres avec une utilisation des budgets à discrétion ?

Quel montant ?

1. Actualités : les PNDS

- 2 PNDS sont toujours en cours de rédaction suite à l'AAP 2020 de la DGOS :
 - **Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent ;**
 - **Syndromes drépanocytaires majeurs de l'adulte, 2010.**
- **Pour l'année 2023**, la filière peut accompagner, soutenir la rédaction de nouveaux PNDS.
- Proposition de PNDS à réaliser (avec le soutien de la DGOS) :
 - Polyglobulies constitutionnelles ;
 - Anémie microcytaire héréditaire (ou non) hors thalassémie chez l'enfant ;
 - Autres types d'hémoglobinopathies autres que thalassémie et drépanocytose.

1. Actualités : les PNDS

Comment soutenir la réalisation de nouveaux PNDS ?

- Soutien de la filière à travers l'emploi d'un prestataire ;
- Valoriser les PNDS par leur publication, traduction et diffusion dans des revues médicales.

1. Actualités - Renouvellement des mandats

Selon la charte de fonctionnement de la filière :

Rappel :

« Le comité de pilotage sera renouvelé à chaque date de renouvellement de la filière par le Ministère »

Le comité de pilotage est :

- **responsable de l'élaboration de la politique générale et de la stratégie,**
- responsable de l'établissement du **calendrier de travail de la filière et de son suivi,**
- autorisé à mettre en place tout comité permettant de mieux atteindre les **objectifs de la filière,**
- en charge de toutes les décisions relatives à la gestion de la filière et, particulièrement, celles relatives à l'emploi des fonds et à la délégation de gestion du personnel,
- **responsable de la préparation et de l'exécution du budget,** et en charge de la rédaction d'un rapport rendant compte de sa gestion en lien avec l'organisme gestionnaire (hôpital Henri Mondor (APHP)), transmis au Ministère de la santé.

1. Actualités - Renouvellement des mandats

Membres du COPIL et membres du bureau

Membres du COPIL :

Un renouvellement de l'ensemble des acteurs du COPIL et du bureau doit être envisagé.

Membres du bureau :

- nommés parmi les membres du comité de pilotage, pour la même durée que ce dernier ;
- renouvellement des membres dès le renouvellement du comité de pilotage.

→ les représentants de chaque groupe devront être arrêtés pour le prochain COPIL

1. Actualités - Les AAPs



Lauréats de l'appel à projet généraliste

Lauréats AAP Généraliste 2023	Projets
Laurent Messonier	Évaluation d'un programme d'entraînement en endurance à long terme chez des patients drépanocytaires : bénéfiques sur le profil clinique, l'aptitude physique et la qualité de vie des patients (projet EXDRE2)
François Girodon	Étude fonctionnelle de variants du gène SH2B3 identifiés chez des patients atteints de polyglobulie familiale
Marie-Hélène Odièvre Montanié	Etat des lieux des différents parcours d'annonce suite au dépistage néonatal de la drépanocytose. Etude prospective multicentrique au sein des centres de référence et de compétence
Danoune Michalina	Adaptation du programme FACETS. Gestion de la fatigue chez les patients adultes atteints de drépanocytose
Emmanuelle Bernit	GR Learn (Séquences d'apprentissage adaptées à la pratique de ville → création d'un réseau ville-hôpital de professionnels et renforcement de la coordination des soins autour des patients porteurs d'une maladie du GR)
Camille Roussel	SpheroSPLEEN : La rate dans la sphérocytose héréditaire & Pertinence pronostique des outils splénomimétiques

1. Actualités - Les AAPs



Annnonce des lauréats de l'appel à projet expertise-formation

Lauréats AAP Exp-For 2023	Projets
Roussel Aphaia	Bêta-thalassémie en Corse : diagnostic des porteurs à l'état hétérozygote, dépistage et information des couples à risque
Pondarre Corinne	Formation du candidat "sur le terrain" à la consultation de médiation transculturelle dans la drépanocytose et la thalassémie
Schott-Fona Emmanuelle	Podcasts : la crise vaso-occlusive
Mekontso Dessap Armand	MOOC Drépanocytose
Collectif Ensemble pour Vaincre la Drépanocytose (EVD)	Formation éthique pour les représentants de EVD

2. accelRare (1.2)

Outil digital

Objectif : aider les médecins de ville à identifier au plus tôt une maladie rare chez les patients. accelRare s'appuie sur l'outil de pré-diagnostic Medvir, certifié dispositif médical en Europe.

270 maladies rares listées et identifiable grâce à des algorithmes liés à des symptômes conséquents.

Mais besoin de spécialistes pour rendre l'outil performant,
Si pas de spécialiste, retrait de la pathologie.

Pathologies présentes sur l'outil et dépendantes de la filière MCGRE :

Drépanocytose ;

Béta-thalassémie ;

Déficit pyruvate kinase (G2M).



Autres pathologies à ajouter ?

2. accelRare (2.2)

1er semestre 2023 :

- Confirmer la fiabilité de l'outil par des experts
- Confirmer l'usage par des médecins de ville

Mi Septembre 2023

- Lancement en France
- Disponible sur le web pour les médecins de ville



- 245 € HT par revue de la configuration d'une maladie (identification des symptômes, des combinaisons de symptômes, fréquence, ajout de critères d'exclusion) ;
- 245 € HT par cas de tests fictifs (exposition du cas et saisie dans le questionnaire) – 30mn environ

3. ShareConfrère, les RCPs

- Maintien de l'outil ShareConfrère (**Skézy**) : **plateforme de télémédecine dédiée au partage de données de santé entre médecins.**
 - Soutien financier de la DGOS aux RCP :
- ➔ **L'objectif de la filière est de présenter l'ensemble des RCP sur la plateforme dans les limites de ses moyens et de l'offre de service de Skézi.**
- ➔ La filière **accompagne** le responsable de la RCP dans l'implémentation et l'organisation de la RCP afin de **garantir une réunion fluide et surtout sécurisée.**



N'hésitez pas à nous contacter si vous souhaitez organiser de nouvelles RCPs :

contact@filiere-mcgre.fr

4. Accès précoce à la thérapie génique

Discussion

La DGOS a demandé la position de la filière sur l'arrivée des thérapies géniques.

5. HAS - évaluations des actes du RIHN

Rappel :

Réunion HAS sur la hiérarchisation des évaluations des actes du RIHN concernant le séquençage haut débit d'un panel de gènes en génétique constitutionnelle postnatale (9 juin)

→ Présentation de la HAS.

- Hiérarchisation des maladies du GR correcte selon la filière.

6. Associations membres – état des lieux

- Associations ayant signé la nouvelle charte :
 - AADC ;
 - Drépacare ;
 - Drépavie ;
 - Drépa 31 ;
 - SickElink ;
 - SOS Globi Nord;
 - SOS Globi Nouvelle Aquitaine ;
 - SOS Globi Nouvelle-Occitanie ;
 - SOS Globi 77 ;
 - SOS Globi Val-de-Marne ;
 - Vigifavisme.

**Envisager une réunion
en présentielle afin de
clarifier/dynamiser les
relations entre les
associations de patients
et la filière?**

**Cibler un AAP à
destination des
associations ?**

6. Associations – Livre blanc

27 propositions réparties en 4 axes :

1. Renforcer la prévention et continuer à faire connaître la maladie
2. Améliorer la prise en charge globale de la drépanocytose dans le parcours de soins
3. Aider à la libération de la parole
4. Permettre la réussite scolaire et professionnelle



7. Groupes de travail

- Interventions :
 - GT Observatoire des traitements;
 - GT Diagnostic ;
 - GT Recherche ;
 - GT dépistage néo-natal.

- **Nécessité de former un GT télémédecine.**

7. Groupes de travail : Observatoire des traitements

Membres du GT :

Nom	Prénom
CARPENTIER	Benjamin
COUGOUL	Pierre
DESCLAUX	Arnaud
DUMESNIL DE MARICOURT	Cécile
GIRODON	François
LE JEUNE	Sylvain
LIONNET	François
RIVET	Valérian
BROUSSE	Valentine
ALLALI	Slimane
GALACTEROS	Frederic
KHOMSI	Marwa
POUZAT	Catherine

Missions du GT :

- 1ere réunion : le mercredi 28 juin
- Détermination des missions des membres du GT – Observatoire des traitements :
 - 1) Recensement des **prescriptions hors AMM par maladie** de la filière et **par situation clinique** dans la base de données nommée la Base 16com.
 - 2) Réflexion à la **priorisation de 2 molécules chez les adultes et 2 molécules en pédiatrie prescrites en hors AMM** en détaillant la situation clinique, afin de les remonter aux tutelles concernées **vers mi-octobre**.

8. New Globinoscope

Le 7^e numéro du New Globinoscope est paru.

Prochain numéro à paraître :
Orientation à discuter.



9. Discussions et Agenda

- Journées de la filière 2024
- Date du prochain Copil



**Consultez le site officiel de la filière pour
plus d'informations :**

<https://filiere-mcgre.fr/>

