



Journée des responsables de centre 15 décembre 2023

Place de la filière dans le réseau européen

Béatrice GULBIS, M.D., PhD (LHUB-ULB/H.U.B.)

Co-coordonateur



Co-funded by
the European Union

Les pathologies rares/ ultra-rares

Hémoglobinopathies

Sickle cell disorders

Beta-thalassemia and
related diseases

Alpha-thalassemia and
related diseases

Hemoglobinopathy
(Other than THAL and
SCD)

Pathologies membranaires

Hereditary
spherocytosis

Hereditary
stomatocytosis

Hereditary
elliptocytosis

Enzymopathies

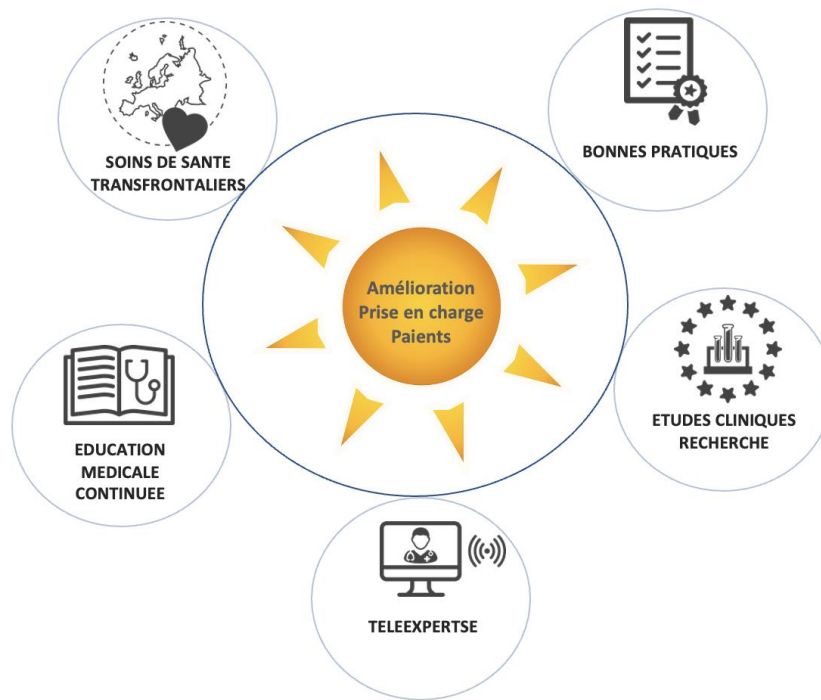
Rare constitutional
hemolytic anemia due
to pyruvate kinase
deficiency (PKD)

Rare constitutional
hemolytic anemia due
to an enzyme disorder
(Other than PKD)

Primary inherited
erythrocytosis /
Congenital
polycythemia

Anémies dysérythropoïétiques congénitales

Les actions transversales



Bilan 2017 - 2022



Faciliter la partie administrative
Améliorer ou réaliser le lien entre ERN – ministères de la santé – directions hospitalières

Membres de l' ERN-EuroBloodNet – Red Blood Cell Disorders

France

Assistance Publique-Hôpitaux de Marseille <

Assistance Publique-Hôpitaux de Paris, Hôpital
Henri-Mondor <

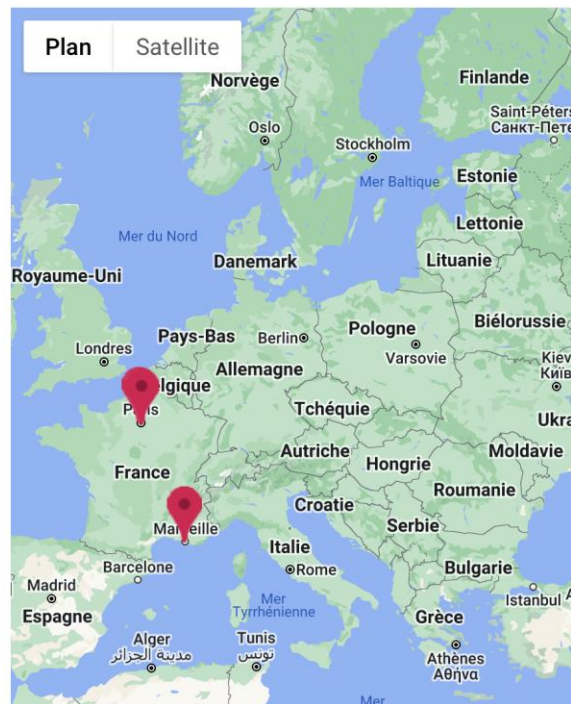
Assistance Publique-Hôpitaux de Paris, Hôpital
Necker-Enfants Malades <

CHU de Pointe-à-Pitre/Abymes <

Assistance Publique-
Hôpitaux de Paris, Hôpital
Robert Debré

Assistance Publique-
Hôpitaux de Paris, Hôpital
Robert Debré

Importance de la visibilité
des experts sur le site
<https://EuroBloodNet.eu>

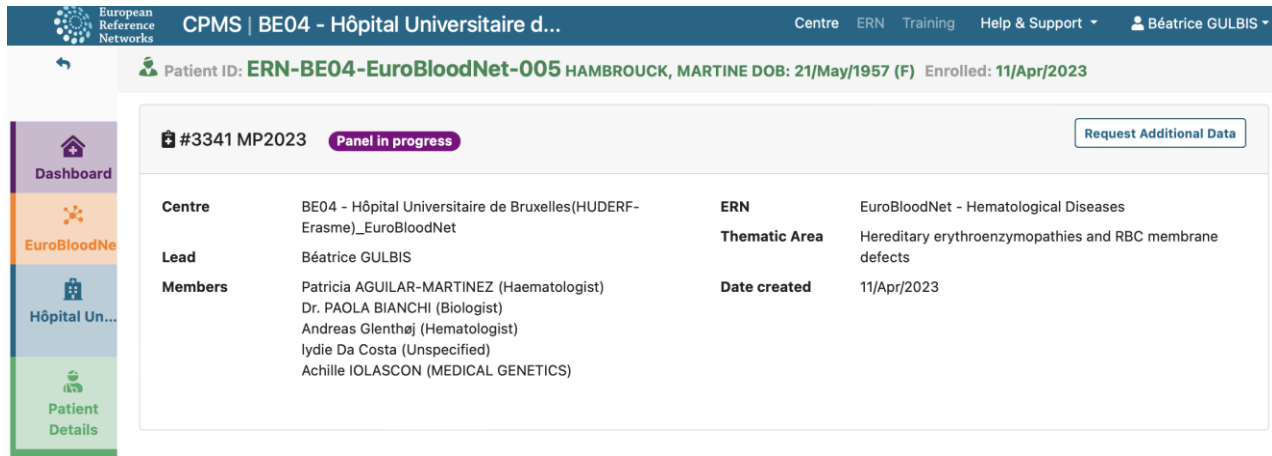


Comment créer/mettre à jour les profils

<https://eurobloodnet.eu/membership/edit-your-profile-handbooks/>

Experts ERN-EuroBloodNet – CPMS (Clinical Patient Management System)

Importance de la visibilité
des experts sur la plateforme



The screenshot displays the CPMS (Clinical Patient Management System) interface. The top navigation bar includes the European Reference Networks logo, the title 'CPMS | BE04 - Hôpital Universitaire d...', and links for 'Centre', 'ERN', 'Training', 'Help & Support', and a user profile for 'Béatrice GULBIS'. The main content area shows patient information for 'Patient ID: ERN-BE04-EuroBloodNet-005 HAMBROUCK, MARTINE DOB: 21/May/1957 (F) Enrolled: 11/Apr/2023'. A sidebar on the left contains navigation links: 'Dashboard', 'EuroBloodNet', 'Hôpital Un...', and 'Patient Details'. The patient details section includes a 'Panel in progress' status and a 'Request Additional Data' button. Below this, a table lists patient attributes:

Centre	BE04 - Hôpital Universitaire de Bruxelles(HUDERF-Erasme)_EuroBloodNet	ERN	EuroBloodNet - Hematological Diseases
Lead	Béatrice GULBIS	Thematic Area	Hereditary erythroenzymopathies and RBC membrane defects
Members	Patricia AGUILAR-MARTINEZ (Haematologist) Dr. PAOLA BIANCHI (Biologist) Andreas Glenthøj (Hematologist) lydie Da Costa (Unspecified) Achille IOLASCON (MEDICAL GENETICS)	Date created	11/Apr/2023

Comment utiliser le CPMS
<https://eurobloodnet.eu/cpms/how-to-use-the-cpms/>

Experts ERN-EuroBloodNet – CPMS (Clinical Patient Management System)

roles	Enrolling patients	Opening panels	Panel lead	Panel selection/ inviting other experts	Scheduling video meeting	Joining panels	Consult cases	Manage the workflow of panel	Assessment and contribution	Access to Outcome report
Guest Expert	✓	✓				✓	✓		✓	✓
Member Expert	✓	✓	★	★	★	✓	✓	★	✓	✓

★ When assigned as a panel lead

Comment utiliser le CPMS

<https://eurobloodnet.eu/cpms/how-to-use-the-cpms/>

Participations concrètes

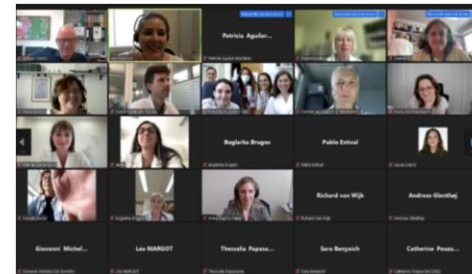
Quelques exemples

Participations concrètes réalisées

• CPMS

**Création d'un
Groupe d'experts**
Cas cliniques
complexes
d'anémie hémolytique
sans diagnostic
malgré NGS

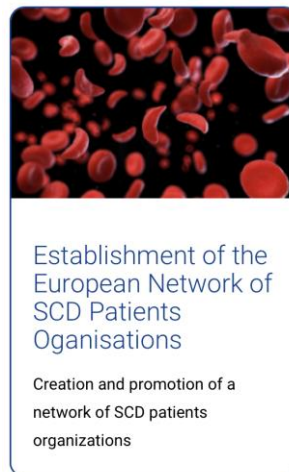
Expert Groups		
Group Name	Description	
Virtual Board on Cutaneous Lymphoma	The Virtual Board on Cutaneous Lymphoma is composed of ERN-EuroBloodNet members regularly consulting rare and complex cases to speed up diagnosis and choice of treatment for this area of diseases.	
Virtual Board on Rare haemolytic Anemias	The Virtual Board on Rare haemolytic Anemias is composed of ERN-EuroBloodNet members regularly consulting rare and complex cases to speed up diagnosis and choice of treatment for this area of diseases.	



Participations concrètes réalisées

• La filière a participé

- Aide aux patients venant d'un autre pays européen qui cherchaient un centre de soins en France
- A l'élection d'un représentant français pour le réseau européen de patients drépanocytaires
- A la traduction de notre enquête d'évaluation des possibilités d'amélioration de la prise en charge de la drépanocytose



Participations concrètes réalisées

• Les hôpitaux ont participé

- Accès aux outils diagnostiques
 - Cartographie d'accès au séquençage de nouvelle génération
 - Cartographie d'accès au doppler transcrânien
- Accès aux traitements
 - Cartographie transplantation MO/CS dans les maladies non –oncologiques
- Nouvelles recommandations
 - Méthémoglobinémie
 - Dépistage néonatal
 - Diagnostic déficit en PK
- Activités dédiées aux patients
 - Coordination des 10 premières priorités patients drépano.
 - Coordination groupe patients ASCAT
 - Topic on Focus

Practice Guideline > Am J Hematol. 2019 Jan;94(1):149-161. doi: 10.1002/ajh.25325.
Epub 2018 Nov 28.

Addressing the diagnostic gaps in pyruvate kinase deficiency: Consensus recommendations on the diagnosis of pyruvate kinase deficiency

Paola Bianchi ¹, Elisa Fermo ¹, Bertil Glader ², Hitoshi Kanno ³, Archana Agarwal ⁴, Wilma Barcellini ¹, Stefan Eber ⁵, James D Hoyer ⁶, David J Kuter ⁷, Tabita Magalhães Maia ⁸, Maria Del Mar Mafu-Pereira ⁹, Theodosia A Kalfa ¹⁰, Serge Pissard ¹¹, José-Carlos Segovia ¹², ¹³, Eduard van Beers ¹⁴, Patrick G Gallagher ¹⁵, David C Rees ¹⁶, Richard van Wijk ¹⁷;
with the endorsement of EuroBloodNet, the European Reference Network in Rare Hematological Diseases

Participations concrètes réalisées

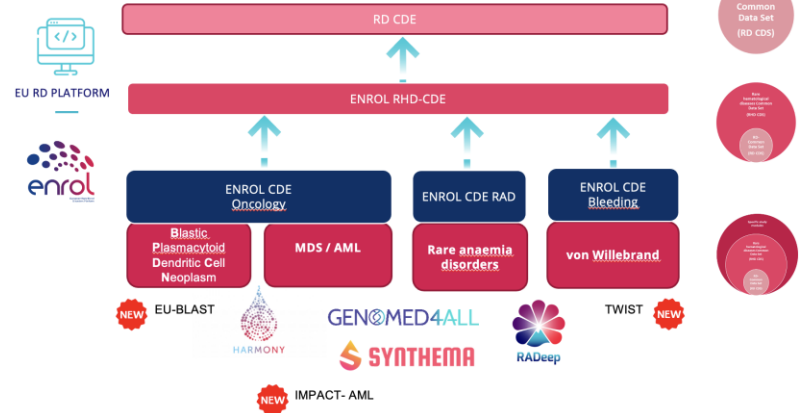
• Les hôpitaux participant

• Registres

- Cartographie des registres au niveau de l'UE
- Premières collaborations
- Difficultés réglementation en France

Belgium
Denmark
Italy
Spain
Greece

ENROL sub registries:



Participations concrètes réalisées

• Les hôpitaux participent

- Recommandations drépanocytose- support DG SANTE (revue littérature, traductions)
- **But:** identifier les standards de prise en charge (minimales – européennes)
- **Cadre**
 - Populations adultes et pédiatriques
 - Recommandations EU (+ USA/Canada pour comparaison)
 - Dernière mise à jour max10 ans
 - Langue anglaise ou du pays
- **Stratégie**
 - *Analyse comparative* de ces recommandations nationales
 - *+ revue littérature*

Participations concrètes à poursuivre

- Participations aux différents programmes
 - Mise à jour Webinars, Topic on focus
 - E-Learning platform (CHU Montpellier)
 - Registres
 - Mise à jour de recommandations
 - Des nouveaux projets à concrétiser avec une plus-value d'une collaboration européenne?
 - Recommandations/Guidelines
 - Recherche
 - Courts séjours de formation
 - Promotion de « ring tests » pour des analyses rares
 - Création d'un groupe virtuel d'experts pour second avis (CPMS)
 - Trajets de soins patients

Participations concrètes à venir

- Collaboration avec ISLH
 - Programme de séminaires communs en cours de préparation
 - Orateurs seront sollicités
- Drépanocytose: personnel infirmier et médecins généralistes
 - Programme de formation en cours de préparation
 - Avis et orateurs seront sollicités

MERCI à TOUTES ET TOUS

L'équipe



Pierre Fenaux

Coordinator

Oncological Hub Chair

AP-HP; Hôpital St. Louis, Paris

✉ pierre.fenaux@aphp.fr



Béatrice Gulbis

Co-coordinator

Non-oncological Hub Chair

Hôpital ERASME-CUB, LHUB-ULB,
Brussels

✉ beatrice.gulbis@erasme.ulb.ac.be



**Maria del Mar Mañú
Pereira**

**Scientific Director & ENROL
Coordinator**

University Hospital Vall d'Hebron

Vall d'Hebron Research Institute,
Barcelona

✉ mar.manu@vhir.org



**Victoria Gutiérrez
Valle**

Scientific Manager

University Hospital Vall d'Hebron

Vall d'Hebron Research Institute,
Barcelona

✉ victoria.gutierrez@vhir.org



Mariangela Pellegrini

**Educational & Patients Program
Manager**

AP-HP

Hôpital St. Louis, Paris

✉ mariangela.pellegrini@aphp.fr



**Maria Rodríguez
Sánchez**

Dissemination Manager

University Hospital Vall d'Hebron

Vall d'Hebron Research Institute,
Barcelona

✉ maria.rodriguez.sanchez@vhir.org



Claire Diot

ENROL Manager

University Hospital Vall d'Hebron

Vall d'Hebron Research Institute,
Barcelona

✉ claire.diot@vhir.org



Adeline Gladieux

**Financial and Administrative
Officer**

AP-HP

Hôpital St. Louis, Paris

✉ adeline.gladieux@aphp.fr



Maryam Lalem

**Educational Activities for Health
Professionals Manager**

Hôpital ERASME-CUB

LHUB-ULB, Brussels

✉ maryam.lalem@ulb.be



Giulio Sannasardo

European Project Manager

AP-HP

Hôpital St. Louis, Paris

✉ giulio.sannasardo@aphp.fr

**Next ERN-EuroBloodNet meeting will be held face to face at
European Hematology Association Congress!!**

See you 13th June 2024 in Madrid!