

17^e Journée de la filière MCGRE

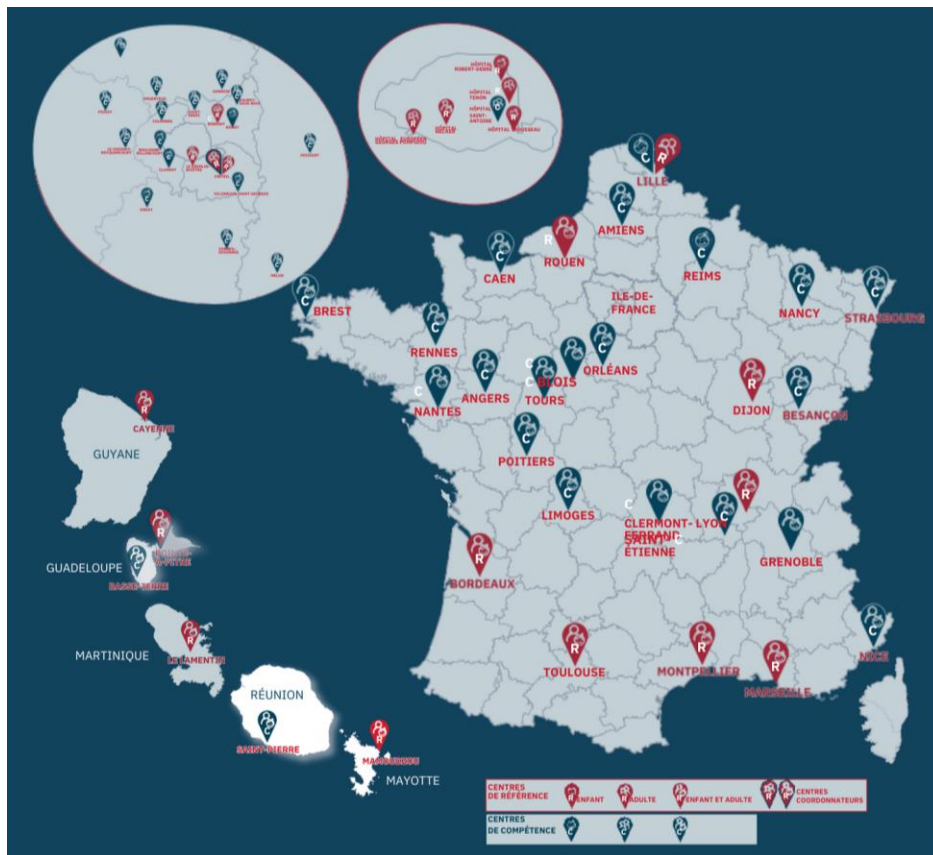
2 février 2024

Campus Picpus, Paris

Sommaire

- Les 5 ans à venir
 - Nouvelle cartographie de la filière
 - Labellisation des CRMR
 - Financement des nouveaux centres – Campagne Piramig
 - PNMR 4
- Bilan partiel de l'année 2023
 - Les maladies MCGRE dans la BNDMR au 1er novembre 2023
 - AAP - Projets financés en 2023
 - Les RCP de la filière
 - Les nouveaux outils :
 - La Recherche sur le site internet
 - Le point médicament
 - Quelques supports de communication
 - Des nouveaux outils pour l'ETP
- Quelques évènements de l'année 2023
- Evènements 2024

Nouvelle carte des centres de la filière



- 2 centres de référence coordonnateurs
- 19 centres de référence constitutifs
39 centres de compétence
- L'arrêté de labellisation a été signé fin décembre et publié au Bulletin officiel le 29 décembre 2023

BRAVO à tous et particulièrement aux nouveaux labellisés !

Labellisation des CRMR

Calendrier prévisionnel d'application de la labellisation des CRMR

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

PLFSS 2024



Envoyée aux FSMR
le 31 mars 2023

Dernier trimestre 2023

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



CSL Exceptionnel
2 octobre



CSL RETEX
11 décembre



AAP Labellisation
FSMR en 2024



Été 2023

- Validation des candidatures de CRMR par la DGOS, la DGS et la DGRI
- Préparation de l'arrêté de labellisation (vérification des candidatures des CCMR > 1800)



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 : 29 février 2024 ?



RAREDISEASEDAY.ORG

Financement des nouveaux CRMR – Campagne Piramig

Financement des centres de référence maladies rares avec la nouvelle labellisation :



- Mode de calcul :** une *part fixe* pour garantir le fonctionnement minimal des centres et une *part variable* basée sur l'activité déclarée pour l'année n-1 (PIRAMIG) → **versement en totalité en première circulaire budgétaire C1 2024**



IMPORTANT

La part fixe est garantie quelque soit le niveau de mesure nouvelle obtenue dans l'ONDAM 2024 :

MODULATION DE LA PART FIXE DU COORDONNATEUR	
Si nombre de centres constitutifs ≥ 6	74 230 €
Si nombre de centres constitutifs 3 ≤ - ≤ 5	49 487 €
Si nombre de centres constitutifs 1 ≤ - ≤ 2	24 743 €
Si nombre de centres constitutifs = 0	-

PART FIXE = 7% de la MIG CRMR (F04)
(revalorisée avec Ségur et point d'indice du fonctionnaire)

148 461 euros pour les sites coordonnateurs
*305 909€ pour le site coordonnateur mucoviscidose, 233 714€ pour le site coordonnateur SLA, 159 953€ pour les sites coordonnateurs MHC

123 717 euros pour les sites constitutifs
*278 099€ pour les sites constitutifs mucoviscidose, 202 552€ pour les sites constitutifs SLA, 133 294€ pour les sites constitutifs MHC

39 988 euros pour les centres de ressources et de compétences (CRC)
*139 050€ pour les CRC Muco, 42 308 pour les CRC SLA

+ une **PART MODULABLE** pour les sites coordonnateurs, selon leur nombre de sites constitutifs, pour financer le coût de la coordination
+ **coefficient géographique** selon la localisation du CRMR

% en fonction du niveau de la part variable obtenue dans l'ONDAM 2024



- Réunion du groupe de travail PIRAMIG – Maladies rares :** représentants des CRMR, de toutes les filières, des directions hospitalières et de la DGOS pour discuter des évolutions à apporter à PIRAMIG et au financement des centres

→ **C1 2024 :** travail de modélisation des MIG CRMR et FSMR en janvier 2024 avec l'impact de la nouvelle labellisation et de la mesure nouvelle demandée

Date limite de saisie dans BaMaRa des activités de 2023 des CRMR pour prise en compte dans le rapport PIRAMIG : **31 mars 2024.**

- ⇒ Ouverture de la campagne en avril ou en mai.
- ⇒ **Vérifier votre file active au fil de l'eau et de ne pas attendre le mois de mars.**

Les groupes de travail PNMR4 animés par
un tandem d'experts soins et recherche
avec dans chaque sous groupe

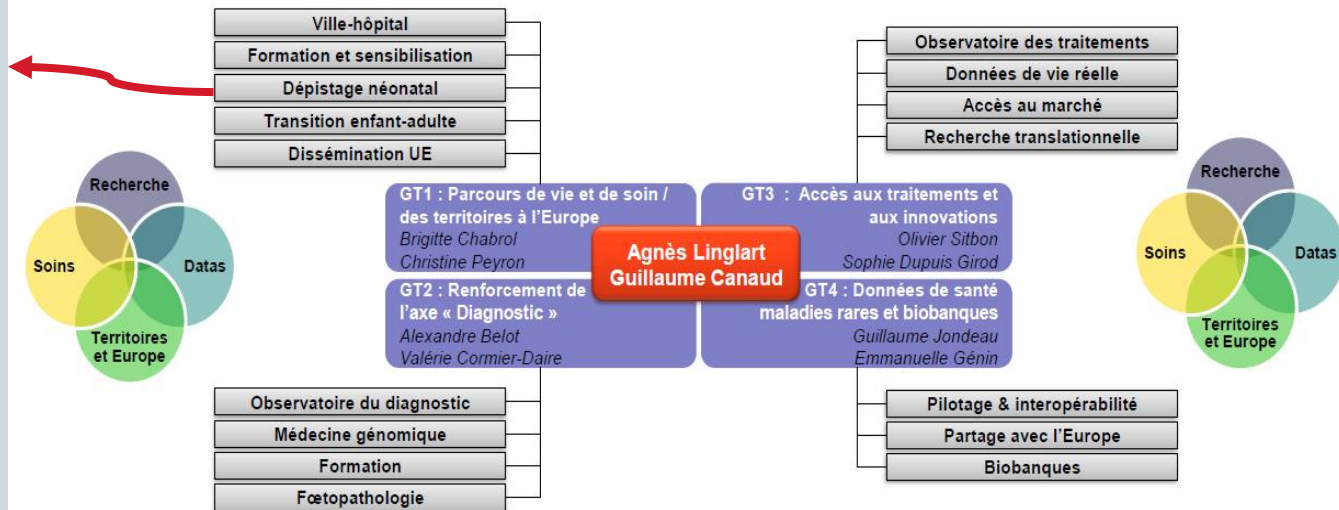
les associations de personnes malades :
présentations de quelques propositions sur les 4 thématiques

1. Mettre en place

- Un suivi continu des **nouveau-nés dépistés positifs** à une maladie rare, dans BaMaRa (SDM-DN)
- Une Commission Scientifique de Prospectives intégrée au Programme National de Dépistage Néonatal → **inclusion de nouvelles maladies ;**

2. Être un **interlocuteur privilégié** des demandeurs souhaitant faire inclure une pathologie ou un groupe de pathologies

3. **Conseiller les professionnels de santé et les associations d'usagers** sur les questions attenantes au Programme National de Dépistage Néonatal et à son extension.



31/01/2024

Les maladies MCGRE dans la BNDMR au 1^{er} novembre 2023

Le dernier rapport BNDMR **Nombre de cas par maladie rare** recense globalement **21 300 malades porteurs de maladies MCGRE** (diagnostics confirmés).

- La drépanocytose de génotype SS, avec 12 271 malades, se place en 3^e position de l'ensemble des maladies rares et le nombre total de malades porteurs d'un **syndrome drépanocytaire majeur** se monte à **16 774**.
- Environ **1275 malades** sont codés porteurs d'une **bêta-thalassémie** et **470** d'une **alpha-thalassémie** (dont environ 65 cas d'alpha-thalassémies syndromiques)
- **1319** malades sont porteurs d'une **sphérocytose héréditaire**
- **222** malades sont porteurs d'une **hémoglobinoase C**
- **128** malades sont porteurs d'une **elliptocytose familiale**
- **119** malades sont porteurs d'un **déficit en pyruvate kinase**
- *Il reste impossible d'indiquer un nombre de cas de **déficit en G6PD** en raison notamment de l'utilisation du code de la classe 1 (seule rare) pour des cas de classe 2 ou 3 et de l'invisibilité des cas de classe 2/3 symptomatiques correctement codés.*
- Pour les autres maladies, les effectifs sont tous inférieurs à 100, dont notamment :
 - environ 80 malades avec une anémie dysérythropoïétique congénitale
 - environ 80 malades avec une stomatocytose héréditaire
 - 58 malades avec une hémoglobinoase E, 55 avec S-PHHF...



AAP - Projets financés en 2023

Total des AAP
2023
230 000€



AAP		Lauréats	Montants
	Education thérapeutique du patient	6 lauréats	100 000 €
	Association	4 lauréats	20 000 €
	Généraliste	6 lauréats	60 000 €
	Expertise-Formation	5 lauréats	50 000 €

Les RCP mises en place dans la filière

Nombre de RCP :

- 13 RCP nationales
- 8 RCP régionales ou locales

Dont 9 RCP sur Skemeet (Anciennement ShareConfrere)

Dernière RCP mise en place : **Procréation & drépanocytose** ; la première s'est tenue le 14 décembre 2023.

Une RCP est prévue sur la **Thérapie génique**.

La liste des RCP est disponible sur le site internet, dans l'onglet "Espace Professionnels de santé"



La recherche

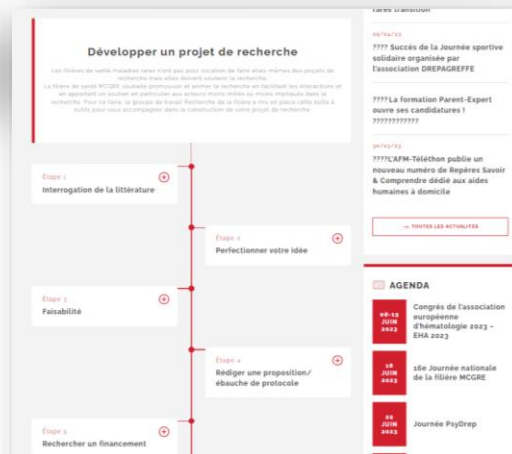
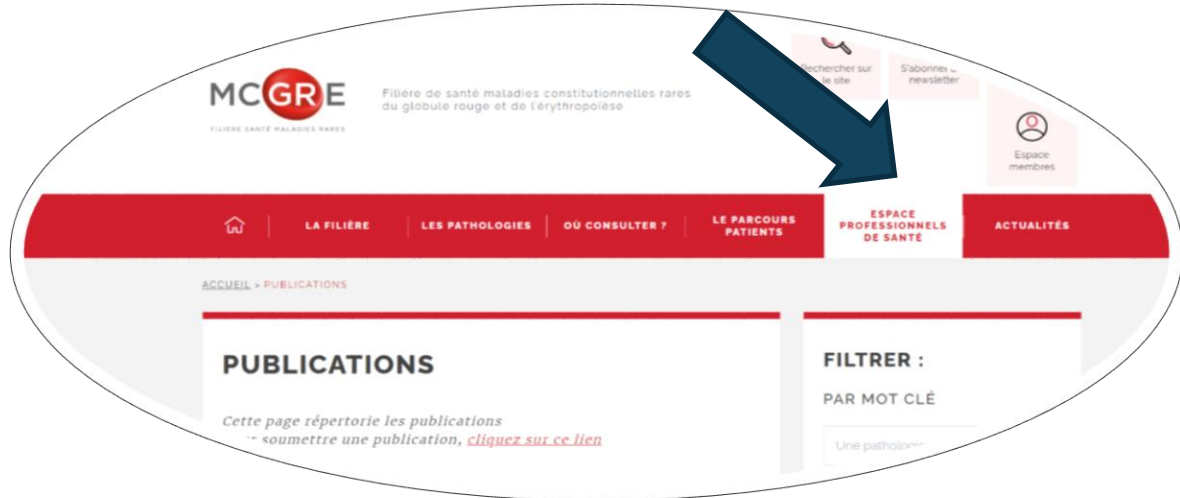


A partir de l'onglet Espace professionnels de santé, possibilité d'accéder à :

ESSAIS CLINIQUES : répertorie les essais cliniques menés en France; possibilité de soumettre un essai clinique,

PUBLICATIONS : chaque utilisateur peut partager un article qu'il estime d'intérêt ,

BOITE A OUTILS : [prochainement mise en ligne] propose de l'aide à chaque étape de l'élaboration d'un projet de recherche. Des réunions d'appui méthodologique seront proposées 4 fois par an.



Nouveauté : le point médicaments



Point médicaments n° 1



Amoxicilline : une nouvelle préparation magistrale disponible

Dans le contexte de tensions d'approvisionnement en Amoxicilline, seule ou en association à l'acide clavulanique, l'ANSM apporte actuellement un soutien temporaire et exceptionnel aux pharmacies de ville spécialisées dans la **réalisation de préparations magistrales pédiatriques à base d'amoxicilline**. C'est dans ce cadre que l'ANSM a publié la **monographie et la fiche d'utilisation de l'amoxicilline 500 mg en gélule**. Les pharmaciens peuvent délivrer, sur prescription médicale, cette **préparation magistrale adaptée pour les enfants de moins de 12 ans si l'amoxicilline en poudre pour suspension buvable (500 mg/5 ml) n'est pas disponible**.

[Pour en savoir plus](#)

Autorisation d'accès précoce à la spécialité CASGEVY

Une autorisation d'accès précoce a été octroyée à la spécialité **CASGEVY** (exagamglogène autotemcel) dans l'indication : **Traitement de la β thalassémie dépendante des transfusions (TDT) chez les patients âgés de 12 ans à 35 ans éligibles à une greffe de cellules souches hématopoïétiques (CSH) et pour lesquels un donneur apparenté HLA (antigène leucocytaire humain) compatible n'est pas disponible**.

[Pour en savoir plus](#)

Ferrostrane 0,68 pour cent, sirop (férrédérate de sodium)

Nous attirons votre attention sur les **risques de surdosage et d'erreurs médicamenteuses** associés à ce produit, en particulier **chez les nouveau-nés et nourrissons de faible poids**.

En effet, la pipette-doseuse fournie dans la boîte dispose de graduations de 0,5 en 0,5mL, ce qui ne permet pas d'administrer la posologie adéquate aux plus petits.

Dans ces situations, **la pipette-doseuse fournie dans la boîte doit donc être utilisée avec prudence**.

Une nouvelle présentation, adaptée aux nourrissons, comprenant une pipette-doseuse aux graduations adaptées aux plus petits volumes, est actuellement en cours de développement. Elle sera disponible en 2024. **Il est nécessaire de faire preuve d'une vigilance extrême**.

Nous recommandons fortement que :

- Le volume (V) à administrer soit clairement indiqué sur l'ordonnance (xx mL/2our).
- Le pharmacien hospitalier et/ou le prescripteur sensibilisent les parents sur les risques de sur/sous dosage et la meilleure façon de prélever le bon volume de médicament.

MEOPA (Actynox, Antasol, Entonox, Kalinox, Oxynox, Placynox)

MODIFICATION DE L'ETIQUETAGE POUR RÉDUIRE LE RISQUE DE CONFUSION AVEC LES BOUTEILLES D'OXYGÈNE

Des **erreurs involontaires d'administration de MEOPA** ont été signalées. Ces erreurs sont survenues en raison de la confusion entre les bouteilles de MEOPA et celles d'oxygène.

Dans les cas les plus graves, cette erreur d'administration peut entraîner une **détresse respiratoire par désaturation**.

Afin de mieux distinguer le MEOPA de l'oxygène médical, l'ANSM a demandé aux laboratoires concernées de **modifier les étiquettes dans le but de réduire ce risque d'erreur d'administration**.

Ce **nouvel étiquetage** est déployé de manière progressive depuis début novembre 2023 :

- Non commercial de chacune des spécialités, agrandi de manière à couvrir une plus grande surface de la bouteille ;
- Harmonisation de la présentation de la dénomination commune internationale (DCI) sur les bouteilles de MEOPA qui se présente dorénavant ainsi : protoxyde d'azote/oxygène – 50 % / 50 %.

Un document destiné aux services de soins présentant les éléments distinctifs permettant de bien identifier les bouteilles est maintenant disponible ici.

Casgevvy a obtenu
une autorisation
d'accès précoce

Mail de la filière

Bonjour à toutes et à tous,

Un « point médicaments » vous sera envoyé par mail afin de vous informer sur les **actualités liées aux médicaments**.

Vous trouverez le **point médicaments n°1** en cliquant sur le lien suivant : [Point médicaments n° 1.pdf](#)

Ce « point médicaments » a pour but de vous aider à **prendre des décisions éclairées en matière de prescriptions** améliorant ainsi la prise en charge des patients.

Pour plus d'informations sur les actualités, n'hésitez pas à parcourir notre site, rubrique « A la Une » : [MCGRE - Filière de santé maladies rares \(filiere-mcgre.fr\)](#)

Je vous souhaite une bonne réception !

Bien à vous,

Marwa KHOMSI - Chargée de mission scientifique

Filière de santé MCGRE

Groupe hospitalier Henri Mondor - APHP

Quelques supports de communication

A destination des patients :



Fiches d'informations sur nos maladies



Dépliant de sensibilisation sur le don du sang

Dépliant Sport & drépanocytose



Plaquette de présentation de la filière (comprenant nos missions et nos coordonnées)



Dernier numéro du New Globinoscope

Quelques supports de communication

A destination des professionnels de santé :



Liste des maladies de la filière MCGRE, codes ORPHA et conseils pour le codage des diagnostics sans code ORPHA dans BaMaRa	1
Fiche « Codage des drépanocytoses (syndromes drépanocytaires majeurs) dans BaMaRa »	13
Fiche « Codage des déficits en GaPD dans BaMaRa »	15
Fiche de recueil des données pour le codage dans BaMaRa en mode autonome	16

Document de travail en cours, appelé à évoluer selon nos retours et les réponses d'Orphanet aux demandes de la Filière.

Guide de codage
BaMaRa

MCGRE



Bulletin recherche

Un document développé par le GT MPS – psychologues : « **La drépanocytose et ses retentissements psychologiques** » et le PNDS **SDM de l'enfant et l'adolescent** devraient être disponibles rapidement.

Un PNDS sur les **microcytoses** est en réflexion.

Des traductions en anglais des PNDS sont disponibles et la traduction d'un des ateliers de coordination multidisciplinaire est en cours.

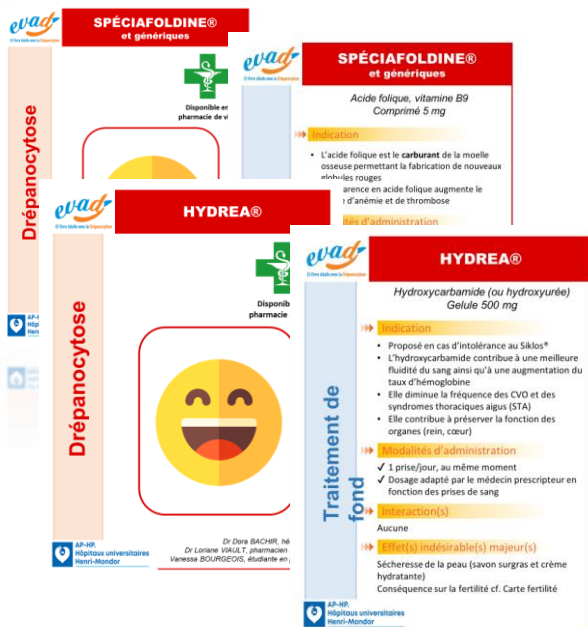
PNDS en version
imprimée



Tous ces documents
peuvent être commandés ici



De nouveaux outils pour l'ETP



Cartes Vrai/Faux
réalisées par le
groupe EVAD'DONS-
NOUS

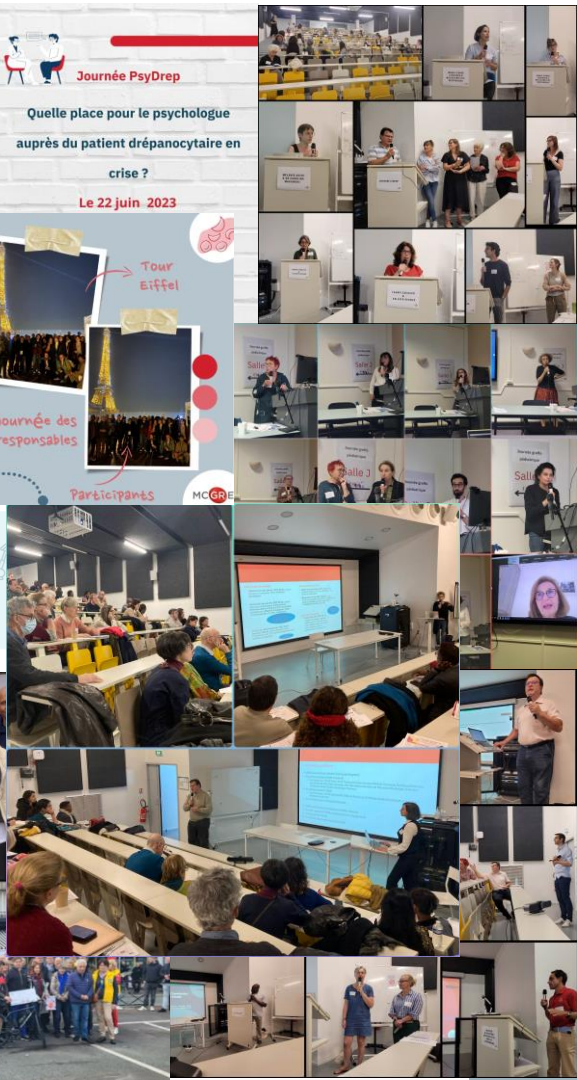
Des programmes et
outils pour l'ETP
doivent être
développés pour
toutes les pathologies
du périmètre de la
filiale



Cartes médicaments réalisées par le groupe Drépacard

Quelques évènements de l'année 2023

- Journée maladies rares transition en interfilière – 3 juin
- 2 Journées de la filière : 25 janvier et 16 juin
- 2 Ateliers de coordination multidisciplinaire :
 - La prise en charge des atteintes osseuses chez l'enfant drépanocytaire
 - les atteintes cérébro-vasculaire des patients drépanocytaire adultes
- Journée PsyDrep – 22 juin
- Journée drépanocytose sud-ouest, 26 mai
- Journées amazoniennes de la drépanocytose 26-27 juin
- Journée du groupe de travail greffe - 6 octobre
- Journée des responsables de centre – 15 décembre



Evènements 2024

- Journées de la filière :
 - 2 février 2024
 - 28 juin 2024
- Ateliers de coordination multidisciplinaire :
 - 1^{er} février 2024
 - 27 juin 2024
- Journée interfilière MaRIH MCGRE Antilles - Guyane
 - 18 mars
- Journée des associations : avril 2024
- Journée PsyDrep
 - 27 juin 2024
- Journée interfilière MaRIH Mhéméo MCGRE Océan Indien – La réunion
 - Fin septembre / début octobre 2024



Merci de votre attention