

COPIL
13 mai 2024

Filière MCGRE

Sommaire

- Journée de la filière
- Constitution comité AAP : deadline 15 mai
- AAP BNDMR – ReuseRare
- Dromos
- Renouvellement de la base 16Com
- Journée Océans indiens

Journée de la filière

Les journées du mois de juin sont destinées prioritairement aux groupes de travail
Présentations proposées jusqu'à présent :

Intervenants	Sujet
Pr P. Bartolucci	Recherche
Pr F. Pirenne	Transfusion
Dr M. Etienne-Julan	Parcours de soins
Mme A. Krakovitch	Sexualité et fertilité
Dr E. Bernit	E learning sur les maladies du Globule Rouge
Dr J. Dautremer	Pratiques de consultation avancée

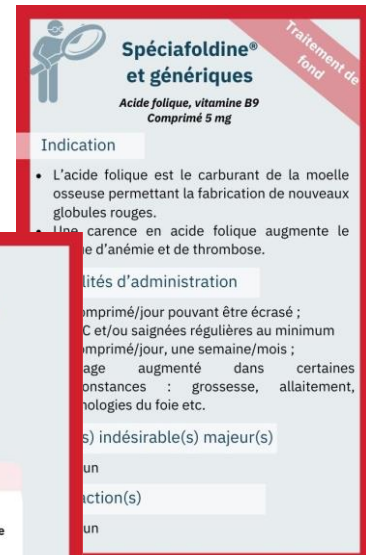
Suggestions :

Cartes médicaments

Intervention ARC

Etat des lieux outils de communication (site internet/réseaux sociaux)

Distribution jeu Drépas'cool



Constitution comité de sélection AAP

Nombre de dossiers demandés : 9

Dead line : 15 mai 2024

1. Marion Dussauge, Étudiante en Master 2 sous la direction de Phanélie Berton au Laboratoire Interuniversitaire de Biologie de la Motricité (LIBM) de Chambéry;
2. Stéphanie Dulucq, PH, Laboratoire Hématologie du CHU Bordeaux
3. Chloé Nouette, Infirmière de Coordination du CHU de Montpellier
4. Maud Devilleger, coordinatrice scientifique et clinique de la filière, centre hospitalier sud francilien
5. Victor Bobée-Schneider, Biologiste Laboratoire d'Hématologie, CHU de Rouen
6. SOS Globi Picardie
7. Emilienne Rim A Kedi, Fondatrice et directrice du CIDD Haute-Savoie
8. Sickelink => week-end Drépafun autour de la transition
9. SensiDrep / Dr Dumesnil : projet autour du bien être pour les patients atteints d'anémie chronique

Journées Océan indien

Le lundi 30 septembre, une visite de l'hôpital de Mayotte pour les filières de santé maladies rares sera organisée : Tables rondes asso/médecins sur les difficultés (évacuations sanitaires, progrès thérapeutiques, stockage des produits, dispensaire...)

MARDI 1 OCTOBRE

Ouverture du congrès	Patricia Zunic (La Réunion) & Marc Michel (Créteil), MaRIH Abdourahim Chamouine (Mayotte) & Pablo Bartolucci (Créteil), MCGRE Stéphane Vanderbecken (La Réunion) & Yesim Dargaud (Lyon), MHEMO
Organisation de la prise en charge entre La Réunion et Mayotte	DGOS ARS Mayotte (Maxime Ransay-Colle) & La Réunion (Christine Pillay Lipkow) Directions hospitalières CHU (Sabrina Wadel) & CHM (Mathieu Defour) Stéphane Vanderbecken (La Réunion), Patricia Zunic (La Réunion), Hugo Legendre (La Réunion)/Alain Garou (Mayotte)
Prise en charge aux urgences	Cécile Stoven (La Réunion) & Mehdi Khellaf (Créteil)
Les associations de patients sur l'Océan indien	Associations de patients Hemato974 et membres des filières MCGRE, MaRIH, MHEMO

Journées Océan indien

MERCREDI 2 OCTOBRE

Projets & boîtes à outils des filières	Amélie Marouane (Paris), Stéphanie Ringenbach (Lyon) & Lucile Guénéguou (Créteil)
MCGRE/interfilière Enjeux de la participation aux essais cliniques et registres maladies rares	Pablo Bartolucci (Créteil) & Abdourahime Chamouine (Mayotte)
MCGRE Prise en charge médico-sociale	Pierre Cougoul (Toulouse) & Hugo Legendre (La Réunion)
MCGRE Dépistage néo-natal (MCGRE)	Ketty Lee (Guadeloupe)
Etude de l'hémoglobine et CAT devant une anomalie érythrocytaire dans le cadre d'un conseil génétique (MCGRE)	? Dr S. Pissard (à confirmer)
MaRIH Amylose AL : Y a-t-il encore des patients non répondeurs ?	Arnaud Jaccard (Limoges)

Journées Océan indien

MERCREDI 2 OCTOBRE

MaRIH Olivier Hermine (Paris)	Nouveautés dans la classification la physiopathologie et le traitement des mastocytoses
MaRIH Marc Michel (Créteil)	Quelles actualités dans les cytopénies auto-immunes
MaRIH/MHEMO Paul Sautier (Marseille) & Marc Michel (Créteil)	Diagnostic différentiel thrombopénie constitutionnelle et PTI
MHEMO Antoine Rauch (Lille) & Mehdi Khellaf (Créteil)	Syndromes hémorragiques en lien avec la transfusion / réanimation
MHEMO Yesim Dargaud (Lyon)	Hémophilie acquise



AAP BNDMR – ReuseRare

Rappel => étude rétrospective multicentrique sur une maladie/thématique de son choix en utilisant BaMaRa pour le recueil des données.

- Etude ciblée sur la pathologie de son choix ;
- Chaque filière a la possibilité d'ajouter un set de données additionnel dans BaMaRa, de 50 items maximum.
- Ces données additionnelles doivent provenir des dossiers patients existants et concerner un nombre restreint de patients.
- La BNDMR va implémenter ce set additionnel et propose un accompagnement pour réduire les démarches administratives liées au projet.

Appel à projet Reuserare

Sans contraintes réglementaires

- Besoin d'une **étude ciblée** sur la pathologie rare de votre choix ?
- Besoin de **visibilité** pour vos maladies rares ?

Répondez à l'offre de la BNDMR

La BNDMR va implémenter ce set additionnel et propose un accompagnement pour réduire les démarches administratives liées au projet.



Quelle maladie rare ou groupe de maladies rares choisir ?

La BNDMR offre à chaque filière la possibilité d'ajouter un set de données additionnel dans BaMaRa, de **50 items** maximum.

Comment ?

Ces données additionnelles doivent provenir des dossiers patients existants et concerner un nombre restreint de patients.

Besoin de précisions, de réfléchir avec vos pairs ?

Intéressé ?
Contacter la **filière** 
Prendre connaissance du **texte de l'AAP ReuseRare** 

AAP BNDMR – ReuseRare

Informations complémentaires :

- aucun chainage avec le SNDS n'est prévu dans le cadre de cet AAP (il pourrait être envisagé ultérieurement)
- il ne concerne que les projets sur une maladie rare donnée et non une thématique concernant un grand nombre de pathologies
- il ne prévoit pas l'intégration de données provenant d'une base déjà existante (si vous avez un tel projet, vous pouvez nous contacter directement)
- idéalement, il s'agit d'un projet sur une maladie très rare (pour avoir un nombre de dossiers limités) permettant de décrire l'histoire naturelle de cette maladie

Chaque filière peut proposer plusieurs projets

AAP BNDMR – ReuseRare

Sujets proposés le 24 avril :

Drépanocytose, avec un focus sur :

- Insuffisance rénale
- Ulcères de jambe

Déficit en Pyruvate kinase

Discussion libre

AAP BNDMR – Drómos

- => vise grâce à un chainage entre la BNDMR et le SNDS à décrire les parcours de soins typiques des patients ;
- ⇒ plus de 850 maladies rares pour lesquelles les données de plus de 100 patients ont été collectées dans la BNDMR

Objectif :

- quantifier le coût associé à chaque maladie,
- décrire les inégalités de prise en charge :
 - En liens avec les inégalités territoriales
 - En liens avec les inégalités socio-économiques
 - En liens avec les pratiques des centres experts.

MAIS , la BNDMR pour étudier les parcours de soin, a besoin d'une expertise clinique et souhaite mobiliser les experts des centres.

AAP BNDMR – Drómos

Attentes de la BNDMR :

⇒ Identification d'un seul groupe d'experts qui coordonnera l'expertise autour d'une maladie.

La BNDMR est :

- ⇒ Est Ok pour accueillir dans sa cellule opérationnelle des stagiaires (interne, master, mobilité) pour faciliter ces analyses ;
- ⇒ Donnera l'avantage aux maladies pour lesquelles elle disposera de moyens spécifiques.

Observatoire des traitements : outil de saisie « Base 16com » – renouvellement ou pas ? (1)

- Comme mentionné dans le PNMR3, la DGS et la DGOS demandent que **les centres de référence participent au projet d'observatoire des traitements**. Celui-ci consiste à **collecter toutes les informations relatives aux prescriptions hors AMM (médicament / situation clinique) pour les maladies rares**.
- La filière a déjà initié un travail de recensement en sollicitant différents médecins en 2022 pour compléter un tableau Excel avec une liste des (principaux) médicaments prescrits hors AMM.
- Ces données devant être actualisées **annuellement**, avec si possible les effectifs de patients concernés dans les différents centres, la filière a développé (avec d'autres filières) une application en ligne (**nommée « base16com »**), avec des items pré-remplis.
- La base 16com permet de collecter les informations complémentaires relatives aux prescriptions hors AMM : modalités des différentes « prescriptions » et, pour chaque centre de la filière, effectifs de patients concernés par le recours à ces prescriptions.

Observatoire des traitements : outil de saisie « Base 16com » – renouvellement ou pas ? (2)

- **1^{ère} sollicitation des responsables de centres de référence : le 28 septembre 2023**

Deux objectifs :

- présentation de l'application « base 16com »
- avancer sur la saisie des données sur l'application

➔ Réponse de la part de deux centres uniquement. L'outil a été présenté mais le travail de saisie n'a pas avancé.

- **2^{ème} sollicitation des responsables de centres de référence : le 05 avril 2024**

➔ Réponse de la part d'un seul responsable de centres

Favorable au non renouvellement de l'application (car travail de saisie chronophage / médecins surchargés de travail clinique et administratif).

Observatoire des traitements : outil de saisie « Base 16com » – renouvellement ou pas ? (3) :

Sans la coopération de tous les médecins prescripteurs, nous ne pourrons pas avancer sur la saisie des données étant donné que ces dernières doivent refléter les pratiques quotidiennes des prescripteurs. Le manque d'adhésion à ce projet de saisie des prescriptions hors AMM sur la base 16com nous a amené à nous questionner sur le renouvellement de la plateforme base 16com.

Si pas de renouvellement de la base 16com :

- La mise en place d'un observatoire des traitements dans chaque filière reste **toujours obligatoire**.
- Un groupe de travail « Observatoire des traitements » a déjà été constitué (voir les membres ci-dessous) :

Nom	Prénom	Site	Spécialité
CARPENTIER	Benjamin	Lille	Hématologue
COUGOUL	Pierre	Toulouse	Médecine interne (Adultes)
DESCLAUX	Arnaud	Bordeaux	Médecine interne (Adultes)
DUMESNIL DE MARICOURT	Cécile	Rouen	Pédiatrie
GIRODON	François	Dijon	Hématologie biologique
LE JEUNE	Sylvain	AP-HP, Avicenne	Médecine interne (Adultes)
LIONNET	François	AP-HP, Tenon	Médecine interne (Adultes)
RIVET	Valérien	Toulouse	Médecine interne (Adultes) ET Pharmacien
BROUSSE	Valentine	Paris	Pédiatre au service d'immuno-hématologie
ALLALI	Slimane	Paris	Pédiatre

Les responsables des centres de référence pourront également être sollicités par mail afin de nous communiquer des détails relatifs à des prescriptions hors AMM (comme le nombre de patients concernés par le recours à tel médicament etc).

Les membres de ce groupe seront sollicités à chaque demande de la DGS / DGOS pour **une actualisation de la liste des prescriptions hors AMM**.

Divers

Agenda

- Journées de la filière :
 - 28 juin 2024
- Ateliers de coordination multidisciplinaire :
 - 27 juin 2024
- Journée PsyDrep
 - 27 juin 2024
- Journée Océan Indien (octobre 2024)



L'agenda des évènements hors filière est disponible sur notre site internet [ici](#)

Dates COFIL :

2 juillet 2024	17 septembre 2024
	17 décembre 2024

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

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

