

Compte-rendu de la réunion du comité de pilotage de la Filière MCGRE

14 mai 2024
17h45 - 19h00
Visioconférence

~~~~~

### Membres du COPIL

| Représentant.e de(s)/du :                              | Nom                           | Présence |
|--------------------------------------------------------|-------------------------------|----------|
| Animateur de la filière                                | Pr F. Galactéros (FG)         | <b>x</b> |
| Biologistes hospitaliers                               | Pr C. Badens (CB)             |          |
| Biologistes hospitaliers                               | Dr V. Picard (VP)             | <b>x</b> |
| Infirmiers                                             | A. Corbasson (AC)             |          |
| Centre de référence coordonnateur métropole            | Pr P. Bartolucci (PB)         | <b>x</b> |
| Centres de Référence constitutifs adulte IDF           | Pr J-B. Arlet (JBA)           |          |
| Centres de Référence constitutifs adulte IDF           | Dr C. Chantalat (CC)          |          |
| Centres de Référence constitutifs pédiatrique IDF      | Dr V. Brousse (VB)            | <b>x</b> |
| Centres de compétence adulte IDF                       | Dr A. Santin (AS)             |          |
| Centres de compétence pédiatrique IDF                  | Dr S. Eyssette-Guerreau (SEG) |          |
| Centres de compétence adulte IDF                       | Dr S. Ngo (SN)                | <b>x</b> |
| Centres de compétence adulte IDF                       | Dr L. Affo (LA)               |          |
| Centres de Référence constitutifs adulte province      | Dr E. Jean-Mignard (EJ)       | <b>x</b> |
| Centres de Référence constitutifs adulte province      | Dr G. Cannas (GC)             | <b>x</b> |
| Centres de Référence constitutifs adulte province      | Dr P. Cougoul (PC)            | <b>x</b> |
| Centres de Référence constitutifs pédiatrique province | Dr M-P. Castex (MPC)          |          |
| Centres de compétence adulte province                  | Dr J. Dautremer (JD)          | <b>x</b> |
| Centres de compétence adulte province                  | Dr C. Makowski (CM)           | <b>x</b> |
| Centres de compétence pédiatrique province             | Pr P-S. Rohrlich (PSR)        | <b>x</b> |
| Centre de Référence coordonnateur Antilles/Guyane      | Dr M. Etienne-Julan (MEJ)     |          |
| Centres de l'Océan indien                              | Dr A. Chamouine (AC)          | <b>x</b> |
| CGRF et Formation/enseignement                         | Pr. Aguilar-Martinez (PAM)    |          |
| EFS                                                    | Pr F. Pirenne (FP)            |          |
| GT ETP pédiatrique                                     | Pr M. de Montalembert (MDM)   | <b>x</b> |
| GT Coordination multidisciplinaire                     | Dr S. Le Jeune (SLJ)          |          |
| Associations drépanocytaire non FMDT                   | C. Liégeois (CL)              | <b>x</b> |
| Associations non drépano.                              | O. Bangratz (OB)              |          |
| Représentant(e)s des associations drépano. FMDT        | S. Soobraty (SS)              | <b>x</b> |

#### Et pour l'équipe de la filière :

- Justine Fauvel : chargée de mission scientifique
- Lucile Guénégo : cheffe de projet opérationnelle
- Marwa Khomsi : chargée de mission scientifique
- Catherine Pouzat : cheffe de projet scientifique

## 1. Journée de la filière (slide 3)

Interventions prévues :

|                                |                                              |
|--------------------------------|----------------------------------------------|
| Pr P. Bartolucci               | Recherche                                    |
| Pr F. Pirene                   | Transfusion                                  |
| Dr M. Etienne-Julan            | Parcours de soins                            |
| Mme A. Krakovitch, Psychologue | Sexualité et fertilité                       |
| Dr E. Bernit                   | E learning sur les maladies du Globule Rouge |
| Dr J. Dautremer                | Titre à définir                              |

Possibilité d'ajouter 4/5 interventions

### Propositions :

Lauréats des AAP 2023 (VB)

Impossibilité de présenter tous les lauréats des AAP => en sélectionner certains (posters) ?  
Indiquer le calendrier des appels à projets 2025 (même si hypothétique => pas de visibilité sur le budget).

Session BaMaRa : comment la filière peut aider à la saisie ;

Avancées du groupe de travail médico-social (PC – JF)

Highlight de la journée PsyDrep/Atelier de coordination multidisciplinaire qui auront lieu la veille

Carte médicament => 5 Min

Fonctionnement d'un centre de compétence : coopération entre plusieurs établissements : structuration du parcours du patient ; utilisation d'outils pour une prise en charge améliorée du patient dans un centre de compétences, problématique territoriale. Comment favoriser le maillage ? (JD)

## 2. Constitution comité AAP : deadline 15 mai (slide 4)

Constitution du Comité en conséquence du profil des « demandeurs » de dossier.

Sélection des lauréats en fonction de critères => grille utilisée lors des précédents AAP

Les différentes spécialités doivent être représentées :

- Biologiste : Véronique Picard
- Personnel infirmier : Agathe Lanzeray (RoFSED)
- Centre de compétence : Dr Stéphanie Ngo
- Représentants d'associations : Stacy Soobraty (FMDT)

## 3. Journées océan indien (slides 5, 6, 7) :

Evènement développé en Inter filière : MaRIH, Mhémoto et MCGRE

Indiquer SOS Globi Réunion dans le programme (SS) en plus de l'association Hémato 974 (travaille sur l'ensemble des maladies du globule rouge).

Dernière réunion le 21 mai => finalisation du programme.

Association mahoraise : 2 représentants (environ 25 ans) nouvellement impliqués => prendre en charge pour déplacement à la Réunion ; à encourager (AC) en attente de

l'actualisation des statuts de l'association. Actuellement les patients mahorais sollicitent SOS Globi La Réunion (SS).

Déterminer les professionnels de santé qui feront le déplacement Mayotte/Réunion + sujets à aborder.

#### **4. Reuserare (slides 8-10) :**

Rappel => étude rétrospective multicentrique sur une maladie/thématique de son choix en utilisant BaMaRa pour le recueil des données de dossiers patients déjà saisies dans la BNDMR ensuite complétés par un set de données additionnelles.

Chaque filière peut présenter plusieurs projets ; Dead line (2<sup>e</sup> édition) : 30 octobre. Pas de discussion en inter filière sur ce sujet.

Propositions du COPIL précédent :

- Insuffisances rénales dans la drépanocytose.
- Ulcères de jambe dans la drépanocytose.
- Déficit en pyruvate kinase.

Enthousiasme relatif depuis le dernier COPIL : pas de retour des membres du COPIL.

MdM : registre réalisé par Agios très satisfaisant avec des moyens supérieurs.

FG : Etude d'Agios multinationale ; France très partiellement représentée + Intérêt de décrire l'histoire naturelle du déficit en PK.

A ce jour : 119 patients vivant avec un déficit en PK dans BaMara ; 42 patients français inclus dans l'étude mitapivat (plus gros effectif mondial et de loin).

Interrogation de l'équipe : possibilité d'étudier le PKD via l'AAP Dromos ? Après réponse de la BNDMR => ne rentre pas dans les critères.

#### **5. AAP BNDMR – Drómos (slides 11-12)**

##### **Objectifs :**

Décrire le parcours de soins typiques des patients atteints de maladies rares « fréquentes » (au moins 100 patients dans la BNDMR à la date du 31/12/2022) :

- Quantifier le coût associé à chaque maladie ;
- Décrire les inégalités de prise en charge et leurs liens avec les inégalités territoriales et socio-économiques et les pratiques des centres experts.

##### **Méthode :**

- Chaînage indirect
- Comparaison avec des témoins appariés issus du SNDS

- **Maladies MCGRE susceptibles d'être étudiées dans le cadre de Drómos** (regroupements selon codes ORPHA de maladie, pas toujours pertinents) :
  - Drépanocytose SS
  - Drépanocytose-SC
  - Drépanocytose-bêta-thalassémie
  - Sphérocytose héréditaire

- Bêta-thalassémie symptomatique
- Déficit en glucose-6-phosphate déshydrogénase classe I
- Alpha-thalassémie symptomatique
- Hémoglobinoïde C
- Déficit en 6-phosphogluconate déshydrogénase

Discussion :

Déficit en PK hors champ: moins de 100 patients dans la dernière extraction.

Déficit en 6-phosphogluconate déshydrogénase : au-delà de 100 mais erreurs de codage => confusion probable avec le déficit en G6PD.

MdM : très beau sujet, volontaire pour y travailler + Intégrer [Pierre Lévy](#), économiste de la santé par exemple Dr P. Cougoul déjà investi dans ce champ de recherche .

FG : se positionner sur la thématique inégalité en santé, sous la forme d'un GDT.

Quid des ressources de la BNDMR sur ce projet ?

=>elle donnera l'avantage aux maladies pour lesquelles elle disposera de moyens spécifiques ?

=> Ok pour accueillir des stagiaires

Beaucoup d'interrogations de la part des FSMR sur les attentes de la BNDMR (réunion chefs de projet du 14 mai)

A faire par la filière : Demander à la BNDMR en quoi on peut les aider.

## **6. Observatoire des traitements : outil de saisie « Base 16com » – renouvellement ? (slides 13-15)**

**Rappel :**

La filière a soutenu l'utilisation de la base 16 COM (contrat souscrit depuis mai 2022).

Demande initiale de la DGOS :

- ⇒ Participation des centres de référence à l'observatoire des traitements ;
- ⇒ Collecte des informations relatives aux prescriptions hors AMM ;
- ⇒ Actualisation annuelle.

Constat :

- Absence de travail de saisie des centres de la filière (malgré les relances et les explications) sur la base 16Com ;
- Un responsable de centre favorable au non-renouvellement (travail trop chronophage)

**Solution :**

Poursuivre le travail du groupe de travail Observatoire des traitements sans utiliser cette base 16Com.

PB : Base qui ne suscite pas beaucoup d'intérêt (double saisie) et ce qui est important : ne permet pas d'avoir de la connaissance produite par l'utilisation de ces médicaments.  
Proposition : recenser toutes les études faites et à venir de toutes les équipes et avoir des données et non un simple registre.

La DGOS demande :

- Une actualisation des données,
- Une actualisation des prescriptions
- L'effectif des patients.
- La priorisation éventuelle de certaines molécules pour un examen de son utilisation par l'ANSM

=> reste **obligatoire mais possibilité de répondre sans la base 16Com**

Décision : non renouvellement de la base 16Com

## 7. Divers

Demande de l'association SensiDrep à devenir membre de la filière.  
Travaille avec le Dr Dumesnil (Rouen) et en lien avec la filière depuis plus d'un an.

⇒ Validation du COPIL

Remerciements des représentants des associations de patients à la filière pour le soutien à la journée des associations du 6 mai. (CL et SS)

L'absence d'information sur certaines pathologies a été notée et cela sera corrigé. La filière est attentive (FG)

\*\*\*\*\*

Fin des discussions, le Pr Galactéros met fin au COPIL.

Prochain COPIL : 2 juillet 2024