

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

6 février 2024
17h30 - 19h30
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)             | <b>x</b> |
| Biologistes hospitaliers                               | Dr V. Picard (VP)             |          |
| 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)           | <b>x</b> |
| Centres de Référence constitutifs adulte IDF           | Dr C. Chantalat (CC)          | <b>x</b> |
| 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)        |          |
| Centre de Référence coordonnateur Antilles/Guyane      | Dr M. Etienne-Julan (MEJ)     | <b>x</b> |
| Centres de l'Océan indien                              | Dr A. Chamouine (AC)          | <b>x</b> |
| CGRF et Formation/enseignement                         | Pr. Aguilar-Martinez (PAM)    | <b>x</b> |
| EFS                                                    | Pr F. Pirenne (FP)            | <b>x</b> |
| GT ETP pédiatrique                                     | Pr M. de Montalembert (MDM)   | <b>x</b> |
| GT Coordination multidisciplinaire                     | Dr S. Le Jeune (SLJ)          | <b>x</b> |
| Associations drépanocytaire non FMDT                   | C. Liégeois (CL)              | <b>x</b> |
| Associations non drépano.                              | O. Bangratz (OB)              |          |
| Représentant(e)s des associations drépano. FMDT        |                               |          |

### Et pour l'équipe de la filière :

- Lucile Guénégo : cheffe de projet opérationnelle
- Marwa Khomsi : chargée de mission scientifique
- Catherine Pouzat : cheffe de projet scientifique
- Sonia Udino : assistante administrative

## 1. Budget filière

Rendez-vous le 5 février 2024 avec la direction des finances pour un état des lieux du budget.  
Budget total 2023 : 857 000€

| Principales lignes budgétaires                                                       | Principales dépenses 2023 | PIE (A part)  |
|--------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------|---------------|
| Salaires                                                                             | 390 500                   |               |
| AAP (+ rattrapage 2022)                                                              | 280 000                   |               |
| Congrès                                                                              | 82 000                    |               |
| Soutien ETP (hors AAP) –<br><b>PIE pour 20 000 € : non inclus dans les 857 000 €</b> | 6 000                     | 20 000        |
| PNDS                                                                                 | 29 000                    |               |
| Impressions<br><b>PIE : non inclus dans les 857 000 €</b>                            |                           | 15 435        |
| <b>Total</b>                                                                         | <b>787 500</b>            | <b>35 435</b> |

- **AAP** : montant supérieur au montant global des AAP pour 2023 : rattrapages de subventions non versées en 2022 ;
- **Congrès** : congrès extérieurs ou organisés par la filière (Journées de la filière, Atelier de coordination disciplinaire, journée greffe, Journée Psydre) => locations de salles, frais de bouche, prise en charge de certains déplacements ;
- **Soutien à l'ETP** (20 000€) absents de l'état des lieux du budget => considérés comme des Prestations Inter Etablissement (PIE) par le service des finances.
- **Impressions de documents** (15 435€) : Impressions très importantes en 2023 : rattrapage des années précédentes.  
⇒ Réponse à des besoins : demandes importantes des centres sur les différents documents (pathologies, don du sang, Activité physique adaptée (APA) etc.)

Budget 2024 : pas d'information de la part de la DGOS mais MIG de fonctionnement aux alentours de 540 000€ (Petite augmentation liée à l'augmentation du nombre de centres).  
MIG fléchées : annonce DGOS => pérennité du financement des ARCs.

Reliquats de 2023 : informations à venir de la direction financière d'H. Mondor : fin mars, début avril, (+ notification sur la MIG de fonctionnement).

## 2. Budget : Financement des centres de référence maladies rares - nouvelle labellisation

Financement des centres de référence composé d'une part fixe et d'une part variable => Intérêt de saisir correctement dans Piramig (dead line : 31 mars).

### 3. Pistes de travail 2024

Orientation du PNMR4 : Réception de certains documents d'orientation (extrêmement volumineux) => Parcours de soins.

L'ensemble des documents disponibles seront consultables [ici](#).

#### Points clés du parcours de soins.

MDM : a suivi les travaux d'un sous-groupe de travail Parcours de soins ; extrêmement intéressant. Conclusions du GT :

- ⇒ Définir un socle de missions
- ⇒ Soutenir les CRMR
- ⇒ Créer des espaces et équipes : transition, médico-social, aide au diagnostic
- ⇒ Renforcer le pouvoir des PNDS
- ⇒ Agir sur la formation initiale
- ⇒ Soutenir Orphanet et le Plan France Médecine Génomique (PFMG)
- ⇒ Investir le Griot
- ⇒ Financer, Simplifier, Fluidifier
- ⇒ Volonté de soutenir les centres de référence

#### **Axes à améliorer - Rappel contrôle de gestion 2023 de la DGOS :**

**Axe 3** : Soutenir le déploiement de la BNDMR => Recrutement d'ARC en cours,

**Axe 2** : Dépistage néonatal : créer une cellule de travail afin de structurer le DNN => Groupe de travail actif,

**Axe 9** : Renforcer la politique de formation initiale (médecine, pharma, biologie) => Contact pris avec le Min. de l'enseignement supérieur et de la recherche,

**Axe 10** : Encourager le développement de la recherche dans les territoires d'Outre-mer=>Journées Océan Indien prévues en inter filière au 4<sup>e</sup> trimestre.

#### **Axes à améliorer - Rappel COPIL des mois d'octobre et décembre 2023 :**

- Constitution de cohortes de suivi clinique,
- Banques de données et collections,
- Développement de la recherche en sciences sociales sur la qualité de vie,
- PNDS : Drépanocytose pédiatrie : sortie envisagée début 2024 ; Drépanocytose adulte : le Pr A. Habibi a commencé la rédaction ; Polyglobulie : initié d'ici peu,
- Réseau ville-hôpital,
- Thérapie génique => primauté aux partenariats publics/privés. Recommandations de la HAS : s'appuyer sur les données de vie réelle des patients plutôt que sur des essais de phase 3 mal faits. (Mdm)

#### **Nouvelles propositions :**

- Activité physique adaptée (APA) : proposition de créer un groupe de travail constitué par Philippe Connes, Laurent Messonnier, Pablo Bartolucci => s'en saisir.
- Développer l'APA en pédiatrie.

### 4. Appels à projet

Appels d'offres mis en place en 2023 => objectif : initier des projets.

Proposition d'AAP à mettre en place (sous réserve de finances suffisantes), en plus de ceux diligentés par la DGOS (Mig 22 et/ou 23) :

- AAP s'inscrivant dans les conclusions du PNMR 4 diligentés ;
- AAP généraliste ;
- AAP associations.

Règles : objectifs et retombées des projets au bénéfice de l'ensemble de la filière.

Rappel : Les associations ne se sont pas saisies de l'AAP édition/rédition de documents => beaucoup de relances et extension du délai nécessaire + séance pour expliquer cadre et attentes (LG et CL).

FG/JBA: accompagner, être pédagogue dans notre positionnement auprès des associations ; culture à développer.

Demande (JBA)/réponse (LG):

- Retours sur les premiers appels à projets ? rapports demandés ?  
⇒ Demande d'intervention lors des journées du mois de juin 2022 et 2023 et présentation de leur état d'avancement. Réfléchir à une autre manière d'informer la filière de l'utilisation des fonds si multiplication des projets ; Posters ?
- Quid des difficultés rencontrées dans leur mise en œuvre ?  
Ex : projet sur la douleur de Luce K. Sona : Travail formidable, mais problème dans les hôpitaux pour réaliser sa formation=> difficile de libérer suffisamment de soignants pour assister à la formation sur une journée.  
⇒ Proposition de la filière d'organiser une journée de formation nationale ?
- Préciser dans l'appel d'offres les prérequis : cadre/documents administratifs.  
⇒ Toutes les précisions sont inscrites dans le dossier de candidature et la procédure.
- Préciser que les délais de versement des fonds peuvent être très longs.  
⇒ A ajouter aux prochains dossiers de candidature des AAP et le préciser sur le site.

**Remarque :**

Les fonds peuvent être versés de manière très tardive sans que la filière ait la main ou sache même pourquoi. Difficile de savoir=> la réponse se situe à la direction de l'APHP.

CL : un compte rendu sera fait pour la formation éthique (AAP Généraliste – Ensemble Vaincre la Drépanocytose).

FG : maintien de ce profil pour les appels d'offres.

**5. Déploiement des ARCs**

=> Effort financier considérable de la part de la filière pour la saisie dans BaMaRa.

/!\ Deadline Piramig : 31 mars et il n'y aura pas d'ARC recruté d'ici là.

**Remarque :**

Travail peu stimulant pour les ARCs ;

Difficultés : les former, les piloter, leur permettre d'intervenir sur les centres : liste de patients pas toujours accessible et accès au DPI parfois compliqué même quand centre très coopératif => beaucoup d'énergie pour des résultats parfois décevants.

Budget 2023 ARCs : 93000€ + coûts déplacements

### **Deux possibilités pour la filière :**

- Centralisation et management au niveau de la filière ;
- Partage des 150 000 € entre tous les centre de compétences (3800€/centre) ; à chaque centre de trouver le complément pour un ARC qui aiderait aux études collectives.

### **Avantages et limites :**

- Projets des centres suffisamment matures ?
- Intérêt pour l'ARC d'être impliqué dans des projets de recherche = poste plus attractif + encouragement à monter des projets de recherche.
- Division des fonds = autant de convention et de prélèvements de la part des centres = procédure fastidieuse => risque de perte de temps et d'argent + Peu réaliste de multiplier les conventions : les centres de compétences ont peu de voies de financement pour compléter un quart d'ETP ARC (JBA).

### **Autres propositions :**

- **Articulation avec les plateformes d'expertise maladies rares (PEMR) :**

VB : Appui intéressant même pour le recrutement.

Ex : R.Debré : offre proposée par la PEMR Paris Nord.

Proposition d'établir une convention tripartite entre la filière les centres et les plateformes ?

Mais : PEMR très hétérogènes => missions différentes et aide des sites sur lesquels elles sont installés ; solution non universelle. Possibilité d'aide de la part des plateformes sur des missions de recherche, et parfois pour BaMaRa. (FG)

### Saint-Denis :

SN : seul service qui a fait l'effort d'être dans les filières : service de médecine interne (FAI2R ; MCGRE) ; difficile d'obtenir de l'aide de la PEMR + difficile de quantifier besoins et missions sur lesquels les ARCs pourraient intervenir.

- **Rétrocession :**

⇒ Proposition d'apporter un soutien matériel par le centre coordonnateur : financement d'ARC sur des mutualisations via le Red => rétrocession à l'hôpital ; rapide à évaluer au cas par cas, en fonction de projets précis (PB).

FG : impossible pour la filière de faire de la rétrocession.

JBA : important d'avoir ce déploiement des ARCs notamment => centres de compétences.

CM : beaucoup de difficulté pour stabiliser les accès extérieurs des arcs : problème d'hacking, sécurité informatique importance.

- 1- Quid de la possibilité de signaler par écrit à la DGOS les besoins de saisie à distance ? => besoins collectifs.

- 2- La PEMR Auvergne Rhône-Alpes, [AURA](#) : organisation centralisée or Lyon = territoire surdimensionné, pas de plate-forme Arc alpin, ce qui aurait été plus cohérent. Volonté de mutualisation qui sera, en définitive, mince et qui ne répondra pas à tous les besoins.
- Accord entre Mhéméo et MCGRE réalisable dans notre sens, mais pas forcément étendu à d'autres centres sur le territoire. Possibilité que ces accords ne soient pas respectés sur le terrain. Besoin d'une officialisation d'engagement réciproque.
- FG : on reste sur cette proposition. Merci pour la contextualisation Auvergne Rhône-Alpes.

**A faire : Recrutement des ARCs par la filière**

**6. Logiciel utilisé pour les besoins transfusionnels**

Logiciel Cursus utilisé pour la prescription de PSL sur Grenoble (services dématérialisés en 2024)

Difficultés identifiées :

- ⇒ Respect des délais pour l'envoi du tableau d'anticipation des demandes sur les besoins transfusionnels des cohortes à l'EFS sur les 4 -6 semaines à venir => sentiment d'être dans une impossibilité technique,
- ⇒ Bugs monstrueux, qualité et sécurité ne sont pas assurés ; circuits correctifs insatisfaisants.

Groupe de travail monté avec Anne François de l'EFS

- a. A faire : informer le groupe de travail de EFS des situations très concrètes ;
- b. Au sein de la filière : comment mettre en place des bonnes pratiques.

FP : Anne François : bon contact ; transmission de CM vers FP vers EFS

CM : préparation des questions, relecture par la filière et par le Groupe de travail Centres de compétence et envoi à l'EFS

**7. Siclopédie**

PB : dernière version de Siclopédie => mars 2024.

Discussion avec avocat spécialisé RGPD

Tableau de bord et charte réalisés par le groupe de travail Base de données ; sera soumis à l'ensemble des centres de référence et de compétences. Objectif : Ouverture de plein droit à tous les centres.

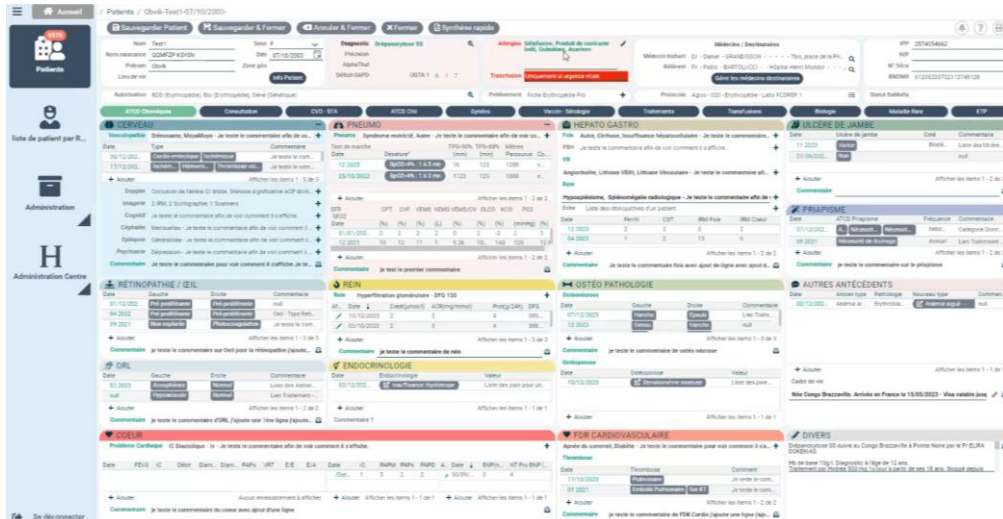


Tableau de bord qui permet d’apercevoir le bordereau du patient.

Insertion : Nom, prénom, date de naissance, numéro BNDMR du patient.

Possibilité d’intégrer les antécédents + possibilité d’ajouter un Doppler, antécédents de CVO et STA.

Suivi gynécologique et suivi de grossesse : les obstétriciens ont donné leur avis => priorités pour améliorer le suivi des patientes enceinte ;

Possibilité de renseigner :

- Alertes vaccinales, les traitements => ordonnances sous format PDF ;
- Dates de programme transfusionnel ;
- Possibilité pour le patient de saisir (via l’appli) ses données de santé et les autorisations pour les professionnels de son réseau de soins : droit de lecture sur les états de santé ;
- Possibilité d’intégrer des pathologies telles que PK et sphérocytose.

Aspect réglementaire en cours de réalisation :

- Autorisations liées à la mise en place de Siclopédie Web ;
- Choix de l’hébergeur sécurisé - point saillant (attaques informatiques) ;
- Sécurité informatique : même hébergeur que le gouvernement français (Azur) ou site purement français hébergé en France ;
- Mise en place d’une hotline.

JBA : possibilité d’entrer des données dans un DPI externalisé ?

- ⇒ Accord des référents protection des données de l’HEGP car HEGP déclaré comme une entité participante suite à une demande d’utilisation de Siclopédie de 2018.

PB : Centres de référence et centres de compétences membres de droit et constituent le CA après une contractualisation avec la filière.

### Interrogations :

Recherche : encadrement des données d’un point de vue organisationnel, réglementaire et de propriété intellectuelle => point discutable selon responsable URC local ; besoin de contractualisation. (JBA)

PB : seule règle à prendre en compte => réglementation des entrepôts de données, Exigence de Siclopédie supérieure ; aucune autre contractualisation nécessaire en dehors de celle du comité d'éthique et de celle du patient.

Toutes les interopérabilités devront être contractualisées (discussions en cours avec BaMaRa).

Charte finalisée et envoyée à tous les responsables de centre rapidement.

## **8. Données minimum attendues – Saisie BaMaRa**

Questions posées lors du dernier COPIL : proposition de simplification d'aide au diagnostic.  
=> document déjà simplifié au maximum.

## **9. Divers :**

**Enquête du laboratoire Agios : Alpha et bêta-thalassémie** - Demande du Dr C. Badens

CB : Enquête ponctuelle d'Agios sur les bêta et alpha thalassémie or dans NaThaly données déjà présentes (nombre de patients, standard de suivi, complications, mode de suivi, prise en charge etc.). Mais ajout d'un volet qualité de vie + questionnaire directement adressé aux patients.

Proposition de passer par le registre (requête), puis de compléter par un recueil de données plus spécifique ; position de la filière ?

FG aligné avec cette position ; très réticent à un accès direct des entreprises pharmaceutiques aux patients.

### **Rappel :**

MDM : Novartis et Pfizer se sont déjà directement adressés aux patients ; patients rémunérés.

CL : méfiance des patients quant à ce type d'études.

FG : déficit d'études qualitatives au sein de la filière sur ce sujet.

Réglementation (PB) :

- si accord donné par les patients à l'industrie : OK
- si signature de l'autorisation sur le registre thalassémie : cela dépend des données transmises, même pour la transmission de données agrégées, il faut une autorisation des patients.

CB : Le registre ne transfère jamais de données patients : transmission de données agrégées uniquement. Registre déclaré à la CNIL en entrepôt de données de santé. Dans ce cadre, le patient donne un accord recueilli par le médecin. Consentement non obligatoire pour transmettre les données agrégées.

MDM : pour le déficit en pyruvate kinase, les patients ont signé un consentement éclairé pour répondre à un questionnaire.

CB : 2 volets chez Agios,

- un questionnaire adressé aux patients ;
- un questionnaire adressé au médecin.

MDM : enquête sur le déficit en pyruvate kinase => signature d'un consentement éclairé par les patients.

CB : certes, mais il n'y avait pas de registre pour le PK.

Proposition :

- Volet adressé au médecin => données présentes dans le registre
  - Volet adressé aux patients **via** le médecin pour l'enquête sur la qualité de vie.
- => OK pour Agios promoteur car pas d'étude sur la qualité actuelle ; démarche intéressante, mais un registre existe, donc se rapprocher de CB (FG).

|                                                                            |
|----------------------------------------------------------------------------|
| A faire par la filière : interroger l'ANSM et la HAS et Ordre des médecins |
|----------------------------------------------------------------------------|

### **COPIL : Groupes sans représentants**

Proposition : Wassim El Nemer intègre le groupe de travail recherche et PB renouvelle son engagement en tant que représentant au sein du COPIL.

### **Demande de financement -** Projet de médiation transculturelle du Pr C. Pondarré

Présentation au sein du groupe de travail dépistage néonatal : Souhait de développer un projet de vidéo traduit en plusieurs langues pour des personnes non allophones.

Objectifs :

- Rendre compréhensible des concepts intraduisibles dans les langues d'origine (transmission, trait drépanocytaire etc.)
- Quatre langues identifiées : Soninké, Bambara, Lingala et créole haïtien.

Collaboration avec [le Centre Babel](#) :

Devis pour les vidéos en quatre langues 25 000 environ : 13 045 € (vidéo) 10 000 € environ + interprètes 10 000€.

Rappel :

La filière a perçu un financement de 50 000 € par la DGOS pour s'emparer de la question du dépistage néonatal ; à ce jour moins de 2000 € ont été utilisés.

Le COPIL donne son accord.

\*\*\*\*\*

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