

Compte-rendu de la réunion du comité de pilotage de la Filière MCGRE
17 décembre 2024
17h30 - 19h30
Visioconférence

~~~~~

## 1. Membres du COPIL

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

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
- Sonia Udino : assistante administrative

## 2. Labellisation (slides 3)

### Contexte :

Le processus implique la soumission d'un dossier de candidature, validé par les coordonnateurs des centres de référence et soutenu par des lettres d'associations (voir note d'information interministérielle [n° DGOS/MMR/DGRI/2024/164](#))

Le Dr Valentine Brousse, du centre de référence de l'hôpital Debré, s'est portée candidate. Cette candidature répond aux critères demandés par la note d'information interministérielle et a été validée par les responsables des centres coordonnateur PB et le MEJ et par FG.

VB a souhaité un co-animateur et PC a donné son accord.

La filière n'a pas reçu d'autres candidatures.

Le dossier est à transmettre à la DGOS le 19 décembre.

### Changements envisagés :

VB : proposition de la mise en place d'un bureau => plus restreint et opérationnel, qui se réunirait plus fréquemment que le Copil.

Coanimation proposée, avec PC (qui a donné son accord) comme co-animateur.

FG : renouvellement de la demande d'un **expert clinicien** pour participer au jury de labellisation des 23 filières ; en attente de volontaires de la filière MCGRE.

## 3. Point finances 2024 (Slide 4-5)

Budget 2024 : environ 1 million d'euros ; Utilisation des fonds satisfaisante, malgré quelques financements tardifs de la DGOS.

### A noter en 2024 :

- 200 000 € transféré au Club du Globule Rouge et du Fer pour un appel à projets recherche commun ;

- 15000 € en soutien à trois jeunes internes => congrès de la ASH ;

- 30 000€ au projet GR-Learn => solution technique pour développer l'activité ville-hôpital.

- 9 000€ pour la journée des associations ; bon fonctionnement du trio FMDT, associations drépanocytaires hors FMDT et associations non drépanocytaires.

SS : Vérifier transfert des fonds suite AAP associations

Intervention PB :

=> situation critique à Mayotte : propositions d'aide et de soutien.

Up date : [page](#) mise à jour sur le site de la filière

## 4. Axes de travail 2025 + AAP (slide 6-10)

Reprise des propositions du dossier de labellisation déposé par VB => proposition **d'axes de travail qui seront à discuter à l'avenir.**

- Valorisation des traductions en anglais des PNDS ;
- Soutien à l'ETP, avec notamment le recrutement d'un coordinateur pour l'activité d'EVAD et financement des programmes d'éducation thérapeutique (AAP) ;

- Importance de la base de données BNDMR mais comment assurer la qualité de la saisie des données => à questionner en 2025 (maintien ou non de l'utilisation de la MIG ARC-TEC au sein de la filière)
- Poursuite des appels d'offres et bourses de la filière.
- Collaboration avec le réseau européen EuroBloodNet et implication à renforcer dans JARDIN (Joint action rare disease innovation).

## 5. Budget prévisionnel 2025 (slides 11)

Budget prévisionnel qui repose sur les montants habituellement alloués :

- Mig de fonctionnement : F 17 => 700 000 € (environ)
- MIG F 22, fléchée sur l'Observatoire des traitements et l'errance impasse diagnostiques => 100 000 €
- MIG F 23, fléchée sur la formation et l'expertise => 50 000 €

A ces montants habituels pourraient s'ajouter une aide de la DGOS pour soutenir l'activité du CIDD.

## 6. Dépistage néonatal

Généralisation du dépistage effective => augmentation du nombre de consultations, principalement, pour les parents d'enfants AS.

Discussion avec la DGOS : besoin de soutien du CIDD de Paris ; en attente de la demande écrite du CIDD (1 ETP infirmière + 0.1 ETP médecin).

=> enveloppe de 70 000 € (?)

FG : cela ne résoudra pas entièrement le problème en Île-de-France, où la plupart des centres ne peuvent pas prendre en charge cette activité.

MK : seuls 5 centres en Île-de-France ont répondu positivement pour continuer les consultations, dont le CIDD de Paris qui demande des ressources supplémentaires. Une carte interactive des centres volontaires a été mise en ligne sur le site de la filière.

**Mise à jour du site internet :**

[Page dédiée au Dépistage Néonatal](#)

[Page dédié à l'annonce du trait AS](#)

La page contact utile : recensement des centres proposant une consultation/téléconsultation aux parents des enfants dépistés AS.

[Contacts utiles](#)

## 7. Observatoire des traitement (slides 14-15)

MK : mise à jour du rapport 2024, demandée par la DGOS et la DGS ; demande de retours sur les difficultés de prescription ou d'accès aux médicaments.

MK : en attente des retours des signalements des médicaments avec difficultés de prescription ou d'accès.

PB : problème récurrent avec le Voxelotor, => nécessité d'une intervention rapide et d'un meilleur système pour gérer de telles situations (arrêt brutal de l'autorisation et de la prise des traitements).

1. Demander informations à Vertex
2. Mener une réflexion collective
3. Décider des actions à entreprendre.

ML : Questionnement face au retrait de médicaments en accès précoce, notamment le Voxelotor pour la drépanocytose.

VB : proposition que la filière se positionne officiellement sur la thérapie génique => déclaration officielle

- ⇒ Observatoire des traitements : bon moyen de collecter des informations et d'émettre des avis d'experts sur ces questions ;
- ⇒ Organiser une réunion du groupe de travail Observatoire des traitements pour discuter de la position de la filière sur la thérapie génique.
- ⇒ Aborder également la question du risque de dysmyélopoïèse lié aux thérapies géniques et aux allogreffes => importance d'informer correctement les associations de patients sur ces risques.

## 8. Divers (slide 16)

RCP thrombose : Réfléchir à la fréquence et au format des RCP thrombose ; développer en interfilière (?) des RCP atteintes hépatiques ou rénales (VB).

Data Manager au sein de la filière => réflexion à mener ; difficulté d'avoir des données de qualité dans BaMaRa mais est-ce que la présence d'un data manager est une solution ? A questionner en 2025.

Article dans Grand Angle du Monde : Évaluer les retombées médiatiques potentielles avant de décider de participer au supplément

Étude qualitative IQVIA :

Projet amélioration de la prise en charge globale des patients atteints de drépanocytose en France ; A faire (LG) : Demander le contenu détaillé de l'étude qualitative avant de décider de la transmettre aux associations.

## 9. Agenda

Journées de la filière les 31 janvier et 27 juin

Ateliers de coordination multidisciplinaire les 30 janvier et le 26 juin ;

Journée PsyDrep : 26 juin

**ATTENTION : modification de la date du prochain COPIL, repoussé au mardi 11 mars**

\*\*\*\*\*

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