

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

17 septembre 2024
17h30 - 19h30
Visioconférence

~~~~~

### 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)             |          |
| Biologistes hospitaliers                               | Dr V. Picard (VP)             |          |
| Infirmiers                                             | A. Corbasson (AC)             | x        |
| Centre de référence coordonnateur métropole            | Pr P. Bartolucci (PB)         |          |
| 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)               |          |
| 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)          | x        |
| CGRF et Formation/enseignement                         | Pr. Aguilar-Martinez (PAM)    | x        |
| EFS                                                    | Pr F. Pirenne (FP)            | x        |
| GT ETP pédiatrique                                     | Pr M. de Montalembert (MDM)   | x        |
| GT Coordination multidisciplinaire                     | Dr S. Le Jeune (SLJ)          |          |
| Associations drépanocytaire non FMDT                   | C. Liégeois (CL)              |          |
| Associations non drépano.                              | O. Bangratz (OB)              |          |
| Représentant(e)s des associations drépano. FMDT        | S. Soobratty (SS)             |          |

#### 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. Dépistage Néonatal (slides 3-4)

Rappel : généralisation du dépistage de la drépanocytose au 1<sup>er</sup> novembre

Objectif du groupe de travail Dépistage néonatal => profiter de la généralisation, pour informer aussi sur les situations d'Hétérozygotie.

Problème :

Opposition du CNCNDN ; Information AS = prévention donc hors périmètre de leur action.

Piste d'action :

- Contacter localement les CRDN, centres de référence et autres acteurs pour mieux comprendre les spécificités territoriales ;
- Harmoniser l'information et les pratiques entre ces centres ;
- Inscription aussi dans le PNMR 4 du dépistage de la drépanocytose et de l'annonce du trait ;
- Inscription dans le carnet de santé de l'enfant.

18 septembre 2024 : réunion DGS/DGOS/CNCNDN/MCGRE

Conclusion/confirmation :

CNCNDN (CRDN) assure la transmission de l'information d'hétérozygotie.

PSR : Inscription dans le carnet de santé d'un enfant (AS ou SS) faite depuis longtemps !

FG : Besoin d'une uniformisation de cette pratique.

MdM : Informer des médecins de ville ? => capsule de formation des médecins de ville à réaliser par la filière + s'appuyer sur les associations. Les MG ont peu d'outils.

FG : travailler à un sous-chapitre du projet GR Learn ?

LG : film du Pr Pondarré (support à destination des parents)

[Page dédiée au Dépistage Néonatal](#)

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

## 2. Avis de la commission de Transparence de la HAS (Slide 5)

Rappel :

|                                               |                                                                                                                                                                                                                     |                                                                                                                           |
|-----------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| SMR<br>Service médical rendu                  | Efficacité et effets indésirables ;<br>Place dans la stratégie thérapeutique (notamment au regard des autres thérapies disponibles) et existence d'alternatives thérapeutiques ;<br>Intérêt pour la santé publique. | <b>SMR insuffisant</b> (SMRI ou Service médical rendu insuffisant) pour justifier une prise en charge par la collectivité |
| ASMR<br>Amélioration du Service médical rendu | Progrès thérapeutique apporté par un médicament.<br>niveau d'ASMR intervient dans la fixation du prix d'un médicament remboursable.                                                                                 | <b>ASMR V</b> , inexistante, signifie « absence de progrès thérapeutique ».                                               |

- **Casgévny** => ASMR V = rejet de la CT de la HAS pour le traitement de la **drépanocytose** sévère pour les 12 - 35 ans.
- **Casgévny** => ASMR IV de la CT de la HAS pour le traitement de la **β thalassémie TDT** pour les 12 - 35 ans.
- **Effortil** => ASMR V

Constat :

Décisions de la Commission de Transparence (CT) de la HAS non favorable à plusieurs nouveautés thérapeutiques.

### Effortil

FG : 2 urologues sollicités sans compétences en matière de drépanocytose ; ont contesté l'utilité de l'Effortil sous sa forme orale (forme injectable non remise en cause) => HAS menace donc de retirer l'AMM (indication priapisme dit à bas débit). Bientôt 2nd recours à la CT de la HAS.

**Casgévny** : Drépanocytose et béta-thalassémie

Drépanocytose : Confirmation du premier avis : ASMR V SMR 3

Choc provoqué par la décision ; Vertex : se prépare à représenter le dossier dans un an ; Pas de visibilité concernant l'accès précoce. Ne pas solliciter les patients avant de savoir.

Béta -thalassémie : Accès précoce accordé mais ASMR IV

Recours devant la commission de transparence prochainement.

### **Réurrence :**

Crizanlizumab, L-Glutamine, Voxelotor => situation qui se répète

MdM : Discussion argumentée ayant donné lieu à une ASMR => raisons données.

FG : pour la HAS, les données ne sont pas suffisamment probantes => refus de se prononcer. Alors que durée de suivi > 1 an pour presque 50 patients présentés.

VB : transcription de la discussion de la CT qui a donné lieu à l'ASMR V publique ; tous les arguments y sont ; Est-ce que la filière doit se positionner ?

- ⇒ Réaction/décision collective par rapport à l'attribution de cette ASMR 5 dans le cadre de la drépanocytose ? Deux possibilités :
  - Défense de ce traitement par la filière ; regret/étonnement de la décision pour tels ou tels arguments
  - Attente pour une réévaluation d'ici un an
- ⇒ Influence possible sur l'audition à venir pour la thalassémie.

FG : pas d'info sur l'accès précoce ; la HAS pourrait laisser aux professionnels le temps d'avoir de l'expérience sur ce traitement.

MdM : indispensable d'avoir cette expérience avant de se positionner. Si conservation de l'accès précoce => possibilité de mieux se positionner en connaissance de causes.

FG : dans le cas de la drépanocytose, demande conjointe (Accès précoce + AMM). Pour la thalassémie, si suppression de demande d'accès précoce quid des patients déjà sous traitement ?

VB : Le maintien de l'accès précoce appartient à Vertex => incertitude quant à la décision d'autorisation d'accès précoce donnée par la HAS, mais l'industriel peut décider de ne pas poursuivre l'accès aux médicaments dans le cadre de l'accès précoce.

MdM : impossible de donner de bonnes ASMR quand manque de recul ;  
Avis de la CT du 11 juillet 2024 (mise en ligne le 24 juillet) => décision d'accès précoce accordé dans la drépanocytose.

VB : certes mais la décision de poursuivre appartient au labo ; Possibilité pour l'industriel de répéter ce qui a été fait par Bluebirdbio : si ASMR V => impossible de défendre le prix de leurs médicaments. Vertex pourrait décider de quitter la France.  
Mais il ne faut pas mettre sur le même plan Casgévy et les autres médicaments  
=> signal globalement extrêmement négatif qui est donné à la population drépanocytaire (Bluebird +Vertex).

MdM : Communication sur la thérapie génique à revoir => plein de patients pensent être éligibles (traitement supposé accessible) or, attente pour greffe de moelle = un an (ou +)  
Necker : décision de 3 thérapies géniques de drépanocytose par an.

⇒ **Pas opportun d'entrer dans ce combat**

FG : prudence de mise => HAS à cheval sur ses prérogatives  
Attention : les médecins (experts) et filière composée de personnes très compétentes sont les plus à même de se positionner et la HAS ne leur fait pas confiance.

Modalités d'expertise de la HAS discutables ; exemple consternant => effortil et le recours à 2 urologues n'ayant aucune idée du priapisme intermittent.

MdM : les experts désignés par la HAS ne doivent pas avoir de conflits d'intérêt avec les industriels. La HAS se retourne vers des gens qui ne connaissent pas la maladie ; identique à l'EMA.

FG : à l'EMA, il y a 10 experts.

⇒ se repencher et comparer les 2 argumentaires (HAS/EMA) => commentaires de la filière ? EMA plus nuancé

MdM : la filière pourrait se positionner sur l'effortil (expérience) ; perte de chance pour les patients.

### **3. Projet Jardin (slide 6-7)**

JARDIN (Joint Action on Rare Diseases and ERN Integration into National)

ERN : European Reference Network  
NRN : National Reference Network  
HCP : HealthCare Professional

JARDIN = Nouveau projet européen inscrit dans le futur PNMR 4 :

**Attente forte de la DGOS de l'implication des filières au sein de ce projet.**

- Volonté de créer un réseau au niveau européen : Jardin a des objectifs plus restreints en termes de collaborateurs que l'European Joint Programme on Rare Diseases (EJP RD) ; centrés sur les ERN.

Granularité du projet : de l'Europe aux CCRM et CRMR

- Mission maladies rares très impliquée => création d'un groupe de travail miroir avec la DGOS et des experts (orphanet, BNDMr, Inserm etc.), des PUPH, représentants d'ERN et du Ministère de la santé et de la recherche. L'objectif est d'articuler les acteurs de Jardin et de l'European joint program rare Disease et dans un second temps dans Erdera (alliance de recherche européenne). Objectif => interopérabilité des données.

Objectifs :

- Améliorer la gouvernance des ERN avec les HCP de chaque pays ;
- Encourager/accompagner la formation de réseaux nationaux de référence,
- Améliorer la gestion des données (interopérabilité) à tous les échelons territoriaux,
- Identifier les pistes de soutien national pour les ERN en lien avec les HCP.

JARDIN est divisé en 9 work Package => chaque work package est attribué à un pays

France : en charge de la gestion des données en collaboration avec les Pays-Bas.

5 HCP au sein de MCGRE : Lille, Montpellier, Guadeloupe, Mondor (Créteil) et Necker.

#### **4. Budget (slides 8, 9 et 10)**

FG : La filière bénéficie d'un budget encore confortable. Quels sont les projets qui pourraient être financés d'ici la fin de l'année ? pourquoi pas de registres ?

Il y a les registres de Trousseau, Necker, Robert Debré, Marseille, Guadeloupe.

Quid des autres centres (même les centres de compétence qui pourraient s'agréger, à un registre des nouveau-nés par exemple.

MdM : les nouveau-nés on les a par le dépistage.

FG : certes mais comment sont-ils pris en charge, que deviennent-ils ?

MdM : proposition de refaire ce qu'avait fait Isabelle Thuret il y a une dizaine d'années sur un financement de l'AFDPH ?

FG : oui en France, => capacité de lancer une étude prospective de longue durée sur les dépistages néonataux => intérêt franco-français, mais aussi international. Et en particulier européen.

Autres propositions :

- ⇒ Aide des chercheurs dans tous les domaines du Globule rouge ?
- ⇒ Sanctuariser des fonds par une convention avec le club du Globule rouge, en se mettant d'accord évidemment sur l'utilisation ultérieure des fonds.
- ⇒ Financement des PNDS : polyglobulies, pathologies microcytaires ou autres.

PSR : très bonne idée de soutenir des petits projets de recherche pour lesquels il est très difficile, compte tenu de la rareté de certaines maladies, de trouver des financements ; faire de la recherche translationnelle.

=> Formaliser et importance d'une sélection par comité scientifique.

FG : le concevoir comme une aide à la connexion entre les mutations et les phénotypes.

=> aider des équipes de recherche à s'investir dans ces sujets-là.

=> Bourse de recherche de corrélation, phénotype, génotype sur les pathologies rarissimes.

**Judicieux d'éponger/sanctuariser le delta => fin de quinquennat filière.**

VB : faut-il se positionner ? proposition de rester ouvert aux bonnes idées et de valider rapidement ?

FG : difficile de se positionner sur des thèmes posés rapidement. La solution de la convention avec le Club du Globule rouge et du fer (CGRF) peut rapidement être mise en place ; comptes gelés pour l'année en cours en fin novembre.

LG : financement de webinaire pour la sortie du PNDS drépanocytaire et des PNDS qui peuvent démarrer cette année.

Revenir vers la filière si des projets émergent  
Signer une convention avec le CGRF

## 5. Utilisation MIG Arc-Tec

Sollicitation de toutes les filières par la DGOS quant à l'utilisation de la Mig Arc-Tec :

- Conservation et utilisation par la filière ;
- Délégation à la DGOS.

MCGRE : **150 000 €** => aide à la saisie des données dans Bamara (ou saisie dans d'autres bases de données)

Décision de la filière MCGRE :

- Poursuite des démarches engagées avec certains centres/plateforme (Centre coordonnateur Antilles/Guyane, PEMR Dijon, Nice et Réunion) + partie salaire ARC = 39 200€)
- Différence rendue à la DGOS : 110 800€ (centres orphelins ; plateformes)

Aide possible d'Amine Mohamed Bouménir (ARC de la filière) pour les centres qui seraient malgré tout en difficultés (selon lieu).

A faire : informer les plateformes, les centres et les centres orphelins des sommes qui leur ont été attribuées.

## 6. EVAD /MCGRE (slides 14-15)

Demande de l'ARS Ile-de-France qu'EVAD soit sous le pilotage administratif de la filière ARS ok sur la position de principe => filière porteur des fonds à redistribuer sur les centres mettant en place une activité d'éducation thérapeutique du patient via l'association Evad.

A venir : Réunion le 18 septembre pour déterminer l'organisation entre la filière et Evad

A définir : qui assure l'encadrement de la personne recrutée ?

Lieu d'exercice/télétravail ?

### Deux solutions : management EVAD ou filière ?

AC : remarque de l'ARS que la personne engagée ne se retrouve pas seule ; actuellement, pas de bureau Evad. => idée d'implanter la personne dans une structure existante.

Mdm : Quid du profil de la personne recrutée ?

AC : idéalement une personne compétente pour former à l'ETP sinon, profil de coordinateur (formation de 40h et coordination du programme + mise en réseau + volet communication) et travail avec Alliance thérapeutique pour assurer les formations à l'ETP

LG : demande de stage reçu par la filière ; possibilité d'embaucher un stagiaire ?

MdM : le RoFSED peut participer et soutenir l'action de recrutement.

## 7. Divers (slide 16)

### Labellisation :

Labellisation des filières => arrêté publié probablement au mois de novembre et rendu des dossiers par les filières avant les vacances de Noël à la DGOS, même si PNMR4 non publié.

Si changement de responsables de centres de compétence et de référence : **à faire avant le 13 novembre.**

### ReuseRare/Dromos rare Dromos.

PC : Validation des items à proposer lors d'une réunion à venir ; seule actualité.

### Programmes journée de la filière :

- Points forts de l'ASH  
Drépanocytose ;  
Autres pathologies que la drépanocytose
  - Sujets transverses sur le déficit en pyruvate kinase
  - Sujets sur les anémies dysérythropoïétiques congénitales
- Politique de santé : Sondage sur l'attribution des budgets par les centres hospitaliers aux CRMR ; proposition d'intervention d'un responsable de direction hospitalière ; budgets destinés aux centres noyés dans :
  - Procédures administratives complexes ;
  - Position de principe « opposée à l'attribution des budgets aux centres ;
  - Méconnaissance des circuits comptables ;

- Consultations non prises en considération dans la comptabilité du centre (ex : Montpellier)
- Quid de la valorisation des consultations en dehors des tarifs de base (si PUPH = 2C) ?

Action collective des filières à mettre en place ?

FG : courrier adressé aux directions hospitalières dans certaines situations avec succès parfois.  
AC : Mayotte => pas en T2A ; toutes les activités sont mises dans un pot commun ; dépenses en comptabilité analytique mais le financement du CRMR est mélangé au budget global du CHU. Cette année pas de notification ; confusion par l'ARS entre DAF et MIG.

FG : possibilité de solliciter la DGOS sur le sujet

PAM : la MIG est censée financée de la coordination et non des actions de soins.  
Chaque direction hospitalière a ses mauvaises raisons.

**Proposition de faire une table ronde :**

Responsable de direction financière ayant différents profils => proposition de confrontation et document support qui pourrait en sortir

## **8. Agenda**

Voir slide 17

**ATTENTION : date de journée de la filière modifiée**  
**27 juin 2025**

\*\*\*\*\*

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