

19^e Journée de la Filière MCGRE

31 janvier 2025

Sommaire

- Actualités:
 - Campagne de labellisation des filières et PNMR 4
 - Les 4 missions de la filière, définies par le ministère
 - Axe 1 : Amélioration de la prise en charge
 - Axe 2 : Coordination de la recherche fondamentale, translationnelle, clinique et organisationnelle
 - Axe 3 – Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information
 - Axe 4 – Coordination au niveau européen et international
- Les projets pour 2025... et un peu plus
- Les AAP et Bourses de la Filière
- Communication
- Les dates à retenir

Campagne de labellisation des filières et PNMR 4

MINISTÈRE
DU TRAVAIL, DE LA SANTÉ,
DES SOLIDARITÉS
ET DES FAMILLES



Février 2024

- 26 février : réunion interministérielle (RIM) à Matignon (+36M€)
- 29 février : communiqué de presse interministériel sur le lancement du PNMR4



PLFSS 2024

PNMR4 (DGOS) = 223,5M€
dont 137M€ pour le financement
des centres de référence
maladies rares (+36M€ par
rapport au PNMR3)

Été 2024

- Circularisation en DACs des mesures du PNMR4 avec chiffrage budgétaire et volet européen
- Rédaction du PNMR4 (fiches actions) pour validation par les cabinets
- Arbitrage défavorable sur le PEPR maladies rares : quid du volet recherche dans le PNMR4 ?

maladies rares



LANCEMENT DU

PLAN NATIONAL MALADIES RARES 4



1^{ère} RIM
26 février 2024



RIM informelle
Juin 2024



Labellisation FSMR
AAP fin 2024
Résultats mars 2025



Début du PNMR4
Février 2025 ?

Colloque maladies rares sur les
soins transfrontaliers
et les droits des patients dans
l'Union Européenne
Date : 27 février 2025
Heure : 8h45 – 17h00
Lieu : Parlement européen,

Avril / mai 2024

- Remise du document de propositions pour le PNMR4 par les personnalités qualifiées
(Pr Agnès LINGLART et Pr Guillaume CANAUD)
- Préparation du budget du PNMR4 en interministériel
- Volet européen du PNMR4



Janvier 2024

- Document final du PNMR4 à faire valider par les cabinets ministériels et Matignon (RIM)

Février 2025

- Jury labellisation FSMR



filiales de santé
maladies rares

COMMUNIQUÉ DE PRESSE

Vers un 4^{ème} Plan National
Maladies Rares (PNMR4)
Catherine Vautrin, Sylvie
Retailleau, Roland Lescure
et Frédéric Valletoux
annoncent un soutien
renforcé pour les personnes
malades



Campagne de labellisation des filières et PNMR 4



Migration de la filière de l'hôpital H. Mondor vers l'hôpital R. Debré



Campagne de labellisation des filières et PNMR 4

Ouverture de la campagne de labellisation :
22 novembre au 19 décembre 2024
(NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE
N° DGOS/MMR/DGRI/2024/164 du 22 novembre 2024)



Une candidature : **Pr V. Brousse**

Prochaine étape avant officialisation : passage devant le jury de labellisation des filières le **5 février 2025**

Les 4 missions de la filière, définies par le Ministère

Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

Axe 2 : Coordination de la recherche fondamentale,
translationnelle, clinique et organisationnelle

Axe 3 : Développement de l'enseignement, de la formation
et de l'information

Axe 4 : Coordination au niveau européen et international

Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

- **PNDS :**

Réalisé en 2024 :

- Syndromes drépanocytaires majeurs de l'enfant et de l'adolescent

En cours :

- Syndromes drépanocytaires majeurs de l'adultes en cours (Pr A. Habibi)

- Déficit en pyruvate kinase (déclaré fin 2024, Dr C. Guitton)

- **Maillage territorial :**

Soutien à la mise en place de programme ETP,
Organisation de Journées Océan indien en 2024 (interfilière),
Soutien à l'activité de saisie dans BaMaRa.

- **BaMara :**

Plus de 23 000 patients saisis dans BaMaRa en 2024 =>

Bravo!



Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

Les maladies MCGRE dans la BNDMR au 1er mai 2024

Rapport BNDMR : 23 100 malades vivants codés avec une maladie MCGRE

- **17 926** syndrome drépanocytaire majeur
- 1400 bêta-thalassémie et 450 alpha-thalassémie
- 1481 sphérocytose héréditaire
- 270 hémoglobinoase C
- 140 elliptocytose familiale
- 130 déficit en pyruvate kinase
- déficit en G6PD ?

Pour les autres maladies, les effectifs sont tous inférieurs à 100, dont notamment :

- 90 malades polyglobulie vraie constitutionnelle
- 85 une stomatocytose héréditaire
- 80 anémie dysérythropoïétique congénitale
- 62 hémoglobinoase E, 62 avec S-PHHF...

Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

● RCP :

13 nationales et 8 régionales => plus de 200 réunions en 2024 ;
De nouvelles propositions de : Thrombose (Nationale) et Néphrologie (Antilles).



RCP régionales ou locales

- Drépanocytose Antilles-Guyane
- Drépanocytose (GH est francilien)
- Drépanocytose et pathologies du globule rouge – paris ouest, pédiatrique et adulte
- Pédiatrique des maladies du globule rouge – GR ouest, pédiatrique
- Pathologies du globule rouge (Rhône-Alpes)
- Globules rouges (Hauts-de-France)
- Hématologie (Rhône-Alpes)
- Hémoglobinopathies avicenne-jean verdier
- Globule rouge pédiatrique (Languedoc-Roussillon, Occitanie est)

RCP nationales ou internationales

- Diagnostique nationale globule rouge
- Neuro-radio-drépano pédiatrique
- Drépanocytose
- Neuro-vasculaire drépanocytose
- Vasculopathie cérébrale (PCDREP)
- Drépacoeur
- Greffe drépanocytose
- Réunions du réseau de recherche clinique sur la drépanocytose
- Thalassémies
- Procréation & drépanocytose
- Drépanocytose et situation transfusionnelle complexe – pédiatrie
- Drépanocytose et situation transfusionnelle complexe – adulte
- Thalassémie -thérapie génique

Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

- **Diagnostic génétique :**

Cartographie de l'offre de diagnostic réalisée avec le GT Diagnostic et actualisée en 2024 ;
Arbres décisionnels disponibles sur le site.

- **Situations d'urgence :**

Problématique en cours d'analyse et de réflexion :

- Groupe de travail MCGRE en partenariat Novo Nordisk ;
- Travail du centre coordonnateur Métropole – Réunion/Mayotte en collaboration avec le SAMU.

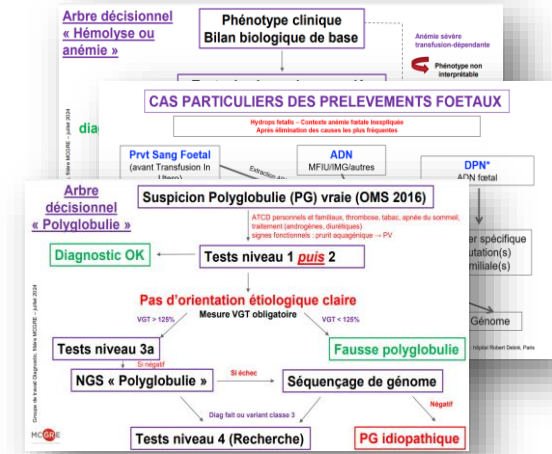
- **Transfusion :**

Travail entrepris sur les capacités en érythrophérèse des centres par des GT.
Contribution active de la filière au projet France génomique.

- **Dépistage néonatal**

Développement de nouveaux outils

Important travail collaboratif mené avec le CNCDN.



Axe 1 : Amélioration de la prise en charge

- **Liens avec le secteur médico-social et l'Education nationale :**
Un dépliant réalisé par le GT MPS.



- **Transition enfant-adulte :**

Organisation d'un webinaire en 2024 (plus de 70 présents) par le GT.



- **Education thérapeutique du patient (ETP) :**
 - **53 sites proposent de l'ETP dont 4 en Outre-mer ;**
 - Soutien à la création/développement d'outils ;
 - AAP ETP d'un montant de 100 000 € euros financé sur les fonds propres de la filière pour 7 lauréats, dont 4 CCMR (2023).



Axe 2 : Coordination de la recherche fondamentale, translationnelle, clinique et organisationnelle

- **Projets et travaux de recherche :**

Mise en place :

- D'une boîte à outils « Recherche » sur le site internet (2023) ;
- D'une « RCP » Méthodologie (2024) ;

Ressources mises en ligne sur le site internet suite au travail du GT Recherche.



- **Accompagnement pour les appels à projet maladies rares :**

Depuis 2022, la filière ouvre un AAP généraliste qui permet l'émergence ou le complément de financement de projets de recherche :

- 5 en 2022 : 60 000€
 - 5 en 2023 : 50 000 €
 - 3 en 2024 : 55 000 €
- 165 000 €**



Axe 3 – Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information



Soutien à la mise en place de DU, DIU et Formation en ligne :

La filière finance et contribue au développement de :

- GR-Learn,
- MOOC drépanocytose (Association pour la recherche en pédagogie médicale (ARPEM))
- Elle recense :
 - 7 Diplômes universitaires spécifiques aux maladies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse
 - 2 Diplômes inter Universitaires spécifiques aux maladies rares du globule rouge et de l'érythropoïèse
 - 1 Certificat d'université



Axe 3 – Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information

- **Réalisation de nombreux supports d'information :**

En 2024 : Dépliant médico-psycho-social, Carnet de vaccination drépanocytose (mise à jour en 2025)



Axe 3 – Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information

- **Communication à destination de tous les publics**
 - Communication sur les réseaux sociaux : LinkedIn, Facebook, Instagram ;
 - Alimentation de la chaîne YouTube (125 abonnée ; 64 vidéos) ;
 - LinkTree => qui recense tous les liens de la filière.

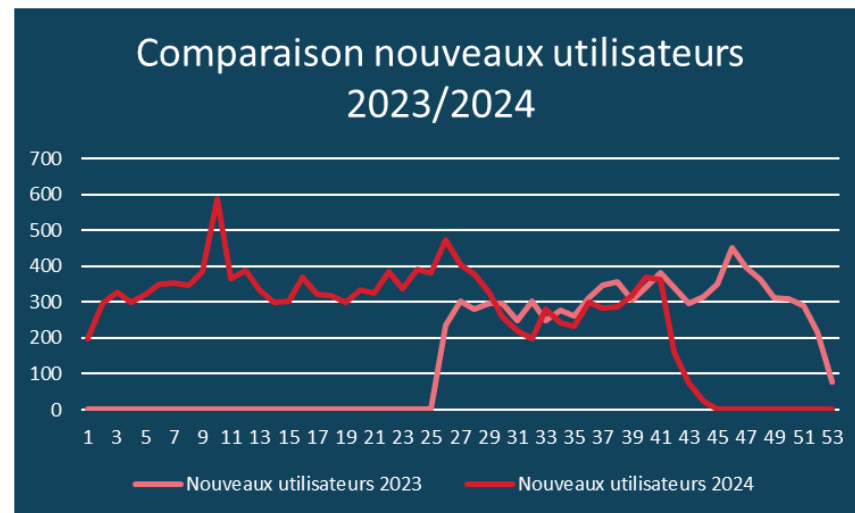
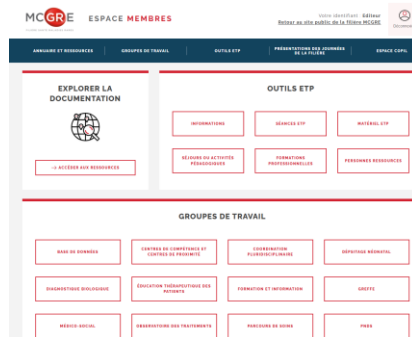


Axe 3 – Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information

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

Depuis 2023, 2 espaces distincts et complémentaires :

- Espace public
- Espace membre



Axe 4 – Coordination au niveau européen et international

- **Participation aux réseaux européens de référence**
- 6 centres sont impliqués au sein de l'ERN Eurobloodnet
 - Montpellier,
 - Marseille,
 - Créteil (Mondor),
 - Guadeloupe,
 - Paris (Necker)
 - Paris (Robert Debré).



**Un grand merci à vous tous,
Vous êtes les acteurs de cette
réussite !
Il faut maintenant poursuivre.**



Les projets pour 2025... et un peu plus

Nouvelle organisation avec la mise en place de :



Poursuite de l'engagement de la filière dans les axes définis par la DGOS avec comme nouveautés :

- Consolidation ou émergence de GT en fonction des thématiques ;
- Validation des formations en formation professionnelle continue
- Implication renforcée dans la recherche
- Montée en puissance à l'international

Budget prévisionnel

Dépenses prévisionnelles 2025			Recettes prévisionnelles 2025		
Dépenses	Détail	TOTAL	Recettes	Détail	TOTAL
CHARGES DE PERSONNEL		325 000 €	MIG F17		700 000 €
ACHATS (matériel, fournitures)	5 000 €	5 000 €	MIG F22		100 000 €
SERVICES EXTERIEURS		387 000 €	Observatoire des traitements	50000	
Prestataires externes Communication, Webinaires, ateliers de coordination, captation	50 000 €		Errance impasse diagnostiques	50000	
Frais d'annonce, d'impression, de publicité et autres	10 000 €		MIG F23		50 000 €
Frais de mission, de déplacement et de réception	30 000 €		Formation	50000	
Frais de formation Communication digitale	2 000 €		Soutien CIDD	70000	70 000 €
AAP – Bourses - Soutien aux registres	295 000 €				
Soutien CIDD	70 000 €	70 000 €			
FRAIS DE GESTION (dont frais de structure 19%)	133 000 €	133 000 €			
TOTAL		920 000 €			920 000 €

Axes de travail 2025

Diagnostic et prise en charge

Poursuite de l'aide :

- financière et logistique à la rédaction, la diffusion la mise à jour et la traduction des PNDS
- de l'aide financière et logistique à l'ETP : visibilité, recensement, transmission, partage des savoirs et des outils
- aux recours à la médiation transculturelle (financière et logistique)
- Aux RCP nationales et régionales

A développer :

- Un partenariat avec des associations d'aide aux migrants
- L'amélioration de l'articulation avec le secteur social et les MDPH



Axes de travail 2025

Recherche



Poursuite :

- des efforts d'exhaustivité et d'exactitude de la saisie dans la BNDMR => épidémiologie ;
- des AAP et Bourses de congrès de la filière, en partenariat ou non (CGRF, Novo Nordisk, Fondation Maladies rares par exemple),

A développer :

- Une convention avec l'Inidex GRex (Université Paris Cité regroupant des laboratoires de recherche et de cliniciens, labellisé fin 2024) afin de proposer des AAP communs sur les pathologies du globule rouge et de l'érythropoïèse ;
- Le renforcement du groupe de travail Médico-Psychosocial et des travaux de recherche autour des aspects psycho-sociaux.

Axes de travail 2025

International

Renforcement de la collaboration avec :

- Eurobloodnet
- Radeep



A développer :

- la présence des membres de la filière volontaires (y compris les membres d'associations) dans :
 - les instances de gouvernance européennes et internationales ;
 - les conseils d'administration de sociétés savantes internationales (EHA, ASH etc.).
- La participation active au projet Européen JARDIN



Axes de travail 2025

Formation

Poursuite de :

- L'organisation des Journées d'information de la Filière (bi annuelle)
- L'aide financière et logistique aux MOOC, webinaires, bourses pour l'accès des plus jeunes aux congrès.

A développer :

- Aide à la formation professionnelle continue
- Journée dédiée aux professions paramédicales
- Collaboration approfondie avec les filières MaRIH et MHEMO

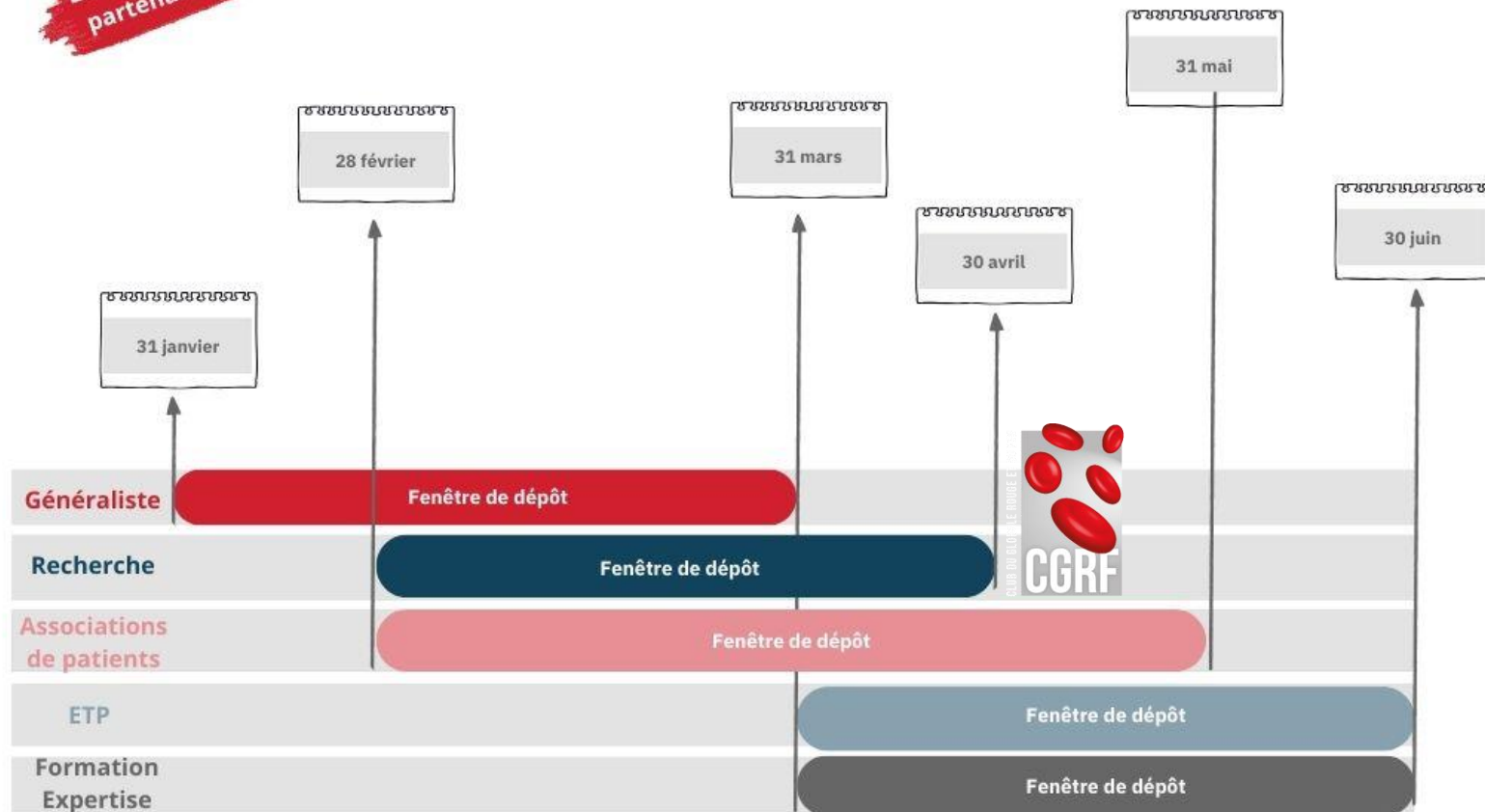


Les AAP et Bourses de la Filière

CALENDRIER DES AAP 2025

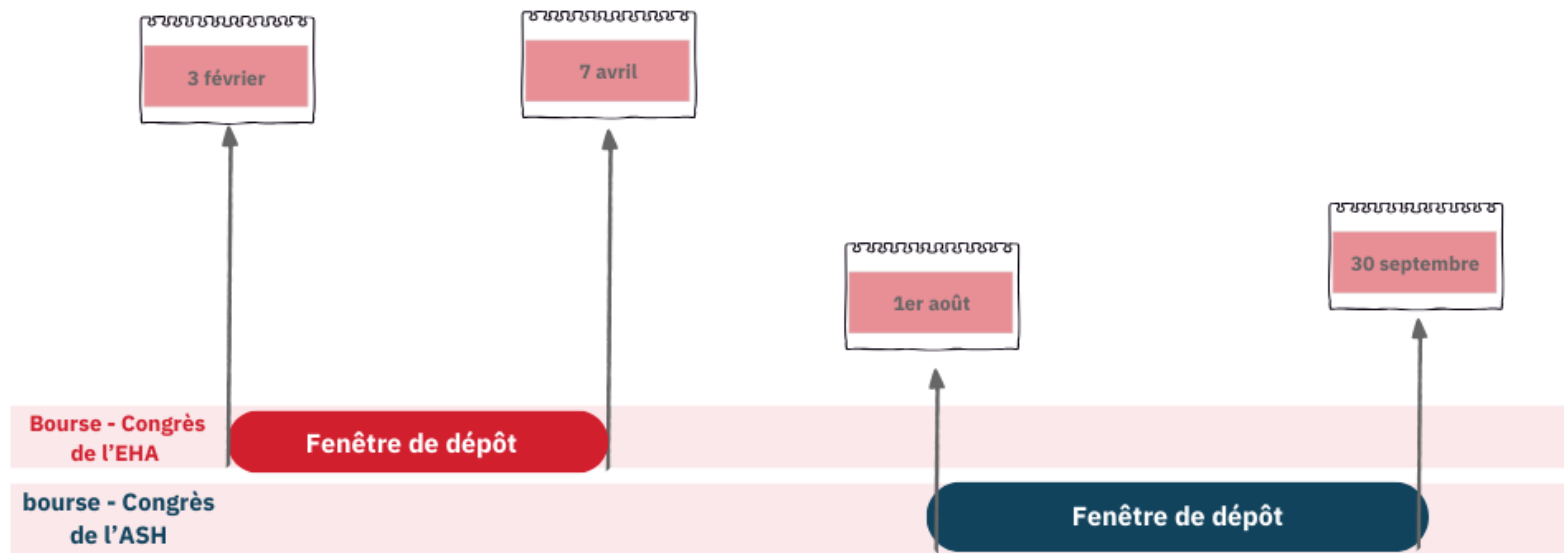
FENÊTRES DE DÉPÔT

L'AAP Recherche se fait en partenariat avec le CGRF



CALENDRIER DES BOURSES 2025 FENÊTRES DE DÉPÔT

Nouveauté 2025
Bourses EHA



Lauréats de l'AAP généraliste 2024

Lauréats	Projets
Dr Cécile DUMESNIL de MARICOURT, CRMR Rouen	GLOBUL'BOOST
Dr Jean-Benoît ARLET, CRMR HEGP	Impact des facteurs environnementaux sur l'incidence des crises vaso-occlusives drépanocytaires hospitalisées en France : étude sur bases de données nationales de santé
Dr Isabelle GENTY, CRMR Créteil (CHIC)	Fonction ovarienne après greffe de cellules souches hématopoïétiques réalisées pour drépanocytose
Marion DUSSAUGE, Université Savoie Mont-Blanc	Trouble de la vasodilatation dans la drépanocytose : Exploration de la voie ATP-dépendante.
Raphaëlle ANELKA, association SICKELINK	DRÉPAFUN Dispositif Régional d'Éducation Thérapeutique du Patient pour l'Autonomie, la Fiabilité des connaissances, l'Utilisation des acquis et la Normalisation de la maladie
Dr Yoann HUGUENIN, CRMR Bordeaux	Code PK : cohortes de patients déficitaires en Pyruvate kinase
Emilienne RIM A KEDI, CIDD Haute-Savoie	Formation autour de la drépanocytose

Félicitations aux lauréats
de l'AAP Généraliste 2024 !

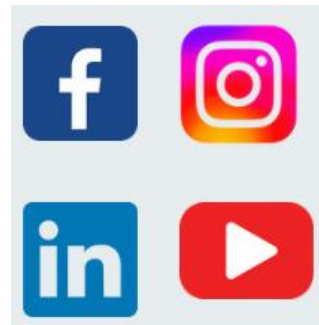


Pour un total de 75 000 €

Nos actions de communication

Filière MCGRE et réseaux sociaux

- La filière est présente sur les réseaux sociaux :
 - Facebook
 - Instagram
 - LinkedIn
 - YouTube



Réseau Sociaux	Public visé
Facebook et Instagram	Associations de patients
LinkedIn	Professionnels de santé
YouTube	Tout le réseau de la filière

Focus Instagram

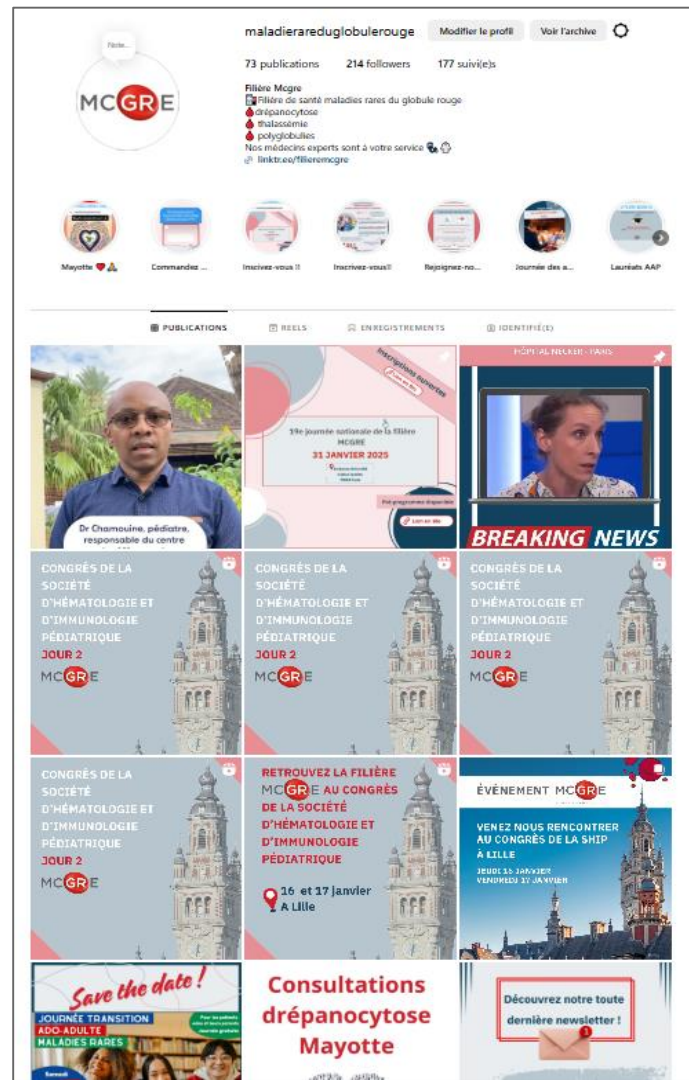
- Création de compte : Mars 2024
- 73 publications
- 214 abonnés



Fort engagement des abonnées : 86,9% des interactions
(audience existante)

→ **Communauté fidèle et engagée**

Présence des **non-abonnés** : **essentiel pour la croissance**,
à développer.



Nouvelles pages du site internet de la filière

Ressources et documents

Publications et supports d'information :

Accession facilitée sur le site de la filière via la rubrique « **Ressources et documents** ».



Nouvelles pages du site internet de la filière

Ressources et documents – Nos supports d'information

- Ressources et documents », page « Nos supports d'information » :



Supports d'information destinés aux professionnels de santé



Supports d'information destinés aux patients

Commande à l'adresse suivante: contact@filieres-mcgre.fr

(Quantité, nom du support demandé, nombre d'exemplaires et adresse de livraison.

Nouvelles pages du site internet de la filière

Ressources et documents – Nos publications

Trois publications, en version strictement numérique :



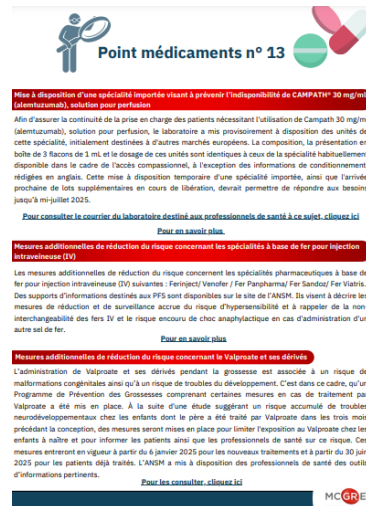
- **Un bulletin recherche**

- Recherche ou une étude réalisée dans la filière
- Liste d'appels à projets
- Bibliographie scientifique récente



- **Une newsletter mensuelle**

- Nouveautés et actions dans la filière et chez d'autres acteurs.



- **Un point médicaments mensuel**

- Actualités
- Aide à la prescription

Nouvelles pages du site internet de la filière

Ressources et documents – Nos publications

Un magazine, en version numérique et papier :



- **Le New Globinoscope**
- **Magazine d'information** des acteurs de la filière MCGRE.
- **Publié deux fois par an**
- **Gratuit.**

Les dates à retenir

Webinaire PNDS Drépanocytose enfant

Vendredi 28 mars

Vendredi 20 juin 2025

Atelier de coordination multidisciplinaire :

Jeudi 26 juin 2025

Journée PsyDrep :

Jeudi 26 juin 2025

Journée de la filière :

Vendredi 27 juin 2025

Journée des associations de patients :

Vendredi 16 mai 2025



**Merci à tous pour votre
attention**