



Re-labellisation du CRMW Wilson 2022-2027

Aurélia Poujois - Réunion Filière G2M 18 mars 2022

➤ **Filière Maladies Rares G2M:**



- **1 centre coordonnateur :** Hôpital Fondation Rothschild, Paris
- **1 centre constitutif :** Hôpital Femme-Mère-Enfant, Lyon



➤ **8 centres de compétence :**

- Marseille, Hôpital de la Timone (AP-HM)
- Paris-Centre, Hôpital universitaire Necker-Enfants malades (AP-HP)
- Paris-Sud, Hôpital Paul Brousse et Hôpital Kremlin-Bicêtre (AP-HP)
- Besançon, Hôpital Jean Minjoz
- Bordeaux, Hôpital Haut-Lévêque
- Lille, Hôpital Claude Huriez
- Rennes, Hôpital Ponchaillou
- Toulouse, Hôpital Purpan

- **1 Association de patients:** Association Bernard Pépin pour la maladie de Wilson



Cartographie du réseau CRM Wilson en 2022



Centre coordonnateur Hôpital Fondation Adolphe de Rothschild

(Lariboisière jusqu'en sept19)

Responsable: Dr Aurélia Poujois, médecin temps plein

Expertise neurologique, neuropédiatrique, hépatologique et dépistage familial

Lien étroit avec Service de toxicologie de l'hôpital Lariboisière et le service de Génétique

Réseau Européen MetabERN



L'équipe du Centre Coordonnateur (Paris)



HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

Neurologues:
Dr Aurélia Poujois, coordonnatrice
Dr Alexandre Obadia
Neuropédiatre: Dr Nathalie Dorison



Psychiatre : Dr Diane Samama
Echographiste : Dr Imen Mansouri



Psychologue : Louise de Veyrac
Neuropsychologue : Gwennaelle Perez
Orthophoniste : Michaela Pernon
Diététicien : Vincent Petit
Kinésithérapeute : Lena Lingemann



Secrétaire
Vinciane Wambergue



Attachés de Recherche Clinique
Djamila Rahji
Pélagie Ndotizo Adamou
Armen Quershi



Aide Médico Psychologique
Hypnothérapeute
Nathalie Combet



Infirmière
Hélène de Saint Vaurly



Assistante Sociale
Stéphanie Morel



Responsable de communication
Mélanie Roulleau



Biologistes
Dr Nouzha Oussedik-Djebbari, Dr Joël Poupon (Hôpital Lariboisière)



File Active
360 patients

Cs: **564**
HDJ: **288**

centre de référence

maladies rares

 European
Reference
Network


HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

MetabERN
European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

RCP, PNDs,
guidelines,
ETP, registre
national...

File Active
360 patients

Cs: **564**
HDJ: **288**

centre de référence

maladies rares



HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU



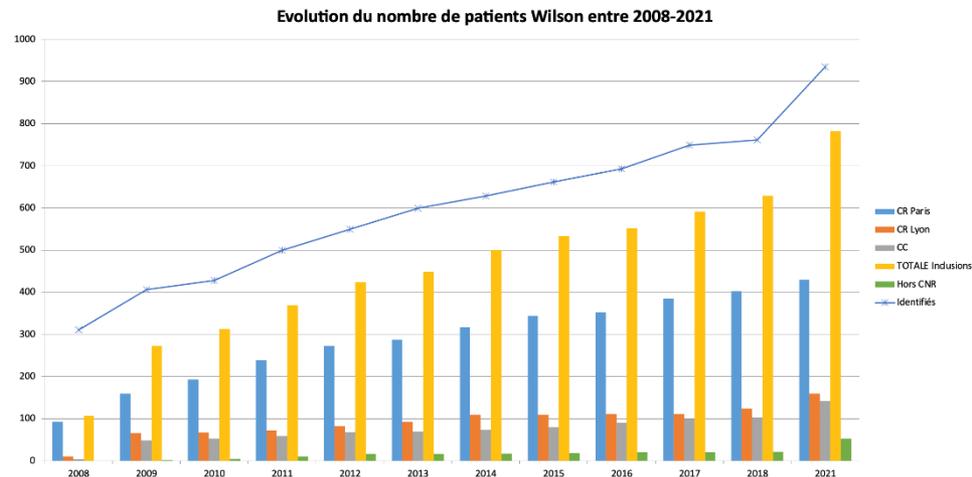
European
Reference
Network

MetabERN

European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

RCP, PNDS, guidelines, ETP, registre national...

- Organisation de RCP Wilson nationales mensuelles via ROFIM (83 dossiers en 2021)
- Coordination/écriture mise à jour PNDS Wilson en nov2021
- Coordination recommandations françaises et internationales
- Participation à 5 DIU en lien avec MW *dont maladies héréditaires du métabolisme*
- Programme ETP en cours de mise en place
- Coordination du Registre Wilson national et du iRegistry WD international
- Intégration de MetabERN
- Communication: site internet, webinaires, newsletter, réunion informations patients annuelle, documents patients dont livre de recettes, la MW en 60 questions ...
- ...



RCP, PNDS,
guidelines,
ETP, registre
national...

File Active
360 patients

centre de référence

maladies rares


HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

 European
Reference
Network

MetabERN
European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

Cs: **564**
HDJ: **288**

PI pour
- 12 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.
- 3 protocoles
industriels

1. Study of Retinal Vascular Parameters in Patients With Wilson's Disease: NCT04408300
2. WILSTIM - DBS (WILson STIMulation - Deep Brain Stimulation) : NCT02552628
3. Inhibitory rTMS in Dystonic Wilson Patients (WILSTIM) NCT01980433
4. rTMS in Wilson Disease Dysarthria: NCT04910581
5. Etude prospective sur les conséquences du COVID-19 sur l'équilibre de la maladie héréditaire du métabolisme (MHM) chez les patients contractant ou ayant contracté le covid-19: NCT04645498
6. Evaluation du retentissement du confinement lié à la pandémie Covid-19 chez une population de patients Wilsoniens (Wil- Ecco)
7. Transplantation hépatique dans les formes neurologiques sévères
8. Cuivre échangeable au diagnostic: facteur pronostic de la maladie de Wilson
9. Forme tardive de maladie de Wilson
10. Efficacité de la TRIENTINE non conservable au froid - étude de cohorte rétrospective
11. Observance dans la maladie de Wilson
12. Efficacité et tolérance du TETA 4HCL en vie réelle

PI pour
- 12 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.
**- 3 protocoles
industriels**

- 1- Trientine Tetrahydrochloride (TETA 4HCL) for the Treatment of Wilson's
- 2- Efficacy and Safety of ALXN1840 administered for 48 Weeks Versus Standard of Care in Patients With Wilson Disease With an Extension Period of up to 60 Months
- 3- TR-004 - Open label, Multicenter, Prospective Study to Characterize the Pharmacokinetics and Pharmacodynamics of Cufence and to Investigate the Efficacy and Safety in Wilson's Disease Patients.

RCP, PNDS,
guidelines,
ETP, registre
national...

File Active
360 patients

centre de référence

maladies rares



HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

 European
Reference
Network

MetabERN
European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

Cs: **564**
HDJ: **288**

Points SIGAPS
(4 dernières
années): 321

5
Chapitres
de Livre

PI pour
- 12 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.
**- 3 protocoles
industriels**

RCP, PNDS,
guidelines,
ETP, registre
national...

Lien avec
Association de
patients BP

Lien avec HFR,
Lariboisière,
P.Brousse et
Necker

File Active
360 patients

centre de référence

maladies rares


HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

 European
Reference
Network

MetabERN
European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

Lien avec
plateforme
MR Paris Nord

Cs: **564**
HDJ: **288**

Points SIGAPS
(4 dernières
années): 321

PI pour
- **12 projets**
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.
- **3 protocoles**
industriels

Lien avec G2M

Groupes de travail avec G2M

Axe 1 dg et prise en charge

Action 4: RCP: AP et MR

Action 7: base de données: AP et AO

Action 9: secteur médico-social: SML

Axe 2 Recherche

Action 4 favoriser la recherche: AP

Axe 3: Europe et international

Action 1: ERN: AP

Axe 4: formation et information

Action 1: info MR: MR

Action 4: ETP: HdSV

Axe 5: réflexion éthique

Action 1: réflexion éthique: LdV



**Lien avec
G2M**

RCP, PNDS,
guidelines,
ETP, registre
national...

Lien avec
Association de
patients BP

Lien avec HFR,
Lariboisière,
P.Brousse et
Necker

File Active
360 patients

centre de référence

maladies rares


HÔPITAL FONDATION
Adolphe de ROTHSCHILD
LA RÉFÉRENCE TÊTE ET COU

 European
Reference
Network

MetabERN
European Reference Network
for Hereditary Metabolic Disorders

Lien avec
plateforme
MR Paris Nord

Cs: **564**
HDJ: **288**

Points SIGAPS
(4 dernières
années): 321

PI pour
- **12 projets**
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.
- **3 protocoles**
industriels

Lien avec G2M

Cartographie du réseau CRM Wilson en 2022



Responsable : Pr Alain LACHAUX

-> changement prévu pour la nouvelle labélisation : Dr Eduardo COUCHONNAL

Expertise hépatologie et Neurologie, pédiatrique et adulte,
Laboratoires de biologie (moléculaire et toxicologie)



L'équipe du Centre
Constitutif (Lyon)



Hépto-pédiatres
Pr Alain Lachaux, Responsable
Dr Eduardo Couchonnal - Bedoya



Hépatologue
Dr Olivier Guillaud



Neuro Pédiatre
Dr Laurence Lion-François



Neurologue
Dr Chloé Laurencin



Secrétaire
Victoria Patissier



Biochimie et génétique moléculaire
Dr François Parant
Dr Cécile Pagan
Dr Carine Abel (Génétique Médicale)



Neuropsychologue : Logan Bars
Psychologue : Anaëlle Lorin



Diététiciennes
Chloé Brune
Clementine De L'Hermuzière



Chef de projet
Abdelouahed Belmalih



RCP
nationales,
PNDS,
guidelines, ETP
...

File Active
163 patients

Cs: 219
HDJ: 146

centre de référence

maladies rares



European
Reference
Network

Hepatological Diseases
(ERN RARE-LIVER)



RCP
nationales,
PNDS,
guidelines, ETP
...

- Participation à la rédaction du PNDS et aux recommandations nationales
- Organisation de la RPC Francophone : 4 séances annuelles
- Participation aux RCP nationales Wilson
- Programme ETP : EDUWILSON. Nouvelle autorisation ARS 2021
- Transition enfant - adulte
- Organisation annuelle de la Journée d'échanges patients soignants Maladie de Wilson : 33 participants en 2021.

RCP
nationales,
PNDS,
recommandati
ons, ETP ...

Lien avec
Association
de patients
BP

Lien avec Service
hépatopédiatrie,
hépatologue
adulte, neurologie
des Hospices civils
de Lyon

File Active
163 patients



Hepatological Diseases
(ERN RARE-LIVER)

Lien avec
plateforme
MR Rhone-
Alpes

Cs: 219
HDJ: 146

Points SIGAPS
(4 dernières
années): 164

PI pour
7 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.

Lien avec
G2M

Groupes de travail de G2M:

- Diagnostic et prise en charge
- Formation et information

Cartographie du réseau CRM Wilson en 2022



Les équipes des Centres de Compétence Wilson

PARIS SUD
Paul Brousse-Bicêtre

Resp. Dr Sobesky

- Dr Rodolphe Sobesky, **Hépatologue adultes**
- Dr Dalila Habes, **Hépatopédiatre**
- Pr Anne Mantel, **Biologistes moléculaires**

Centres de Compétences

Groupe Paris-Sud AP-HP

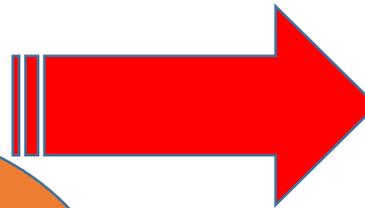
**Centre hépato biliaire Paul Brousse et centre
Hépatologie Pédiatrique Bicêtre**

Activité d'hépatologie avec transplantation hépatique,
enfants et adultes

File Active
126 patients
(97 adulte+29
enfants)

Cs: 262
HDJ: 17

PI pour
2 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.



**Postule pour redevenir Centre
Constitutif**

- **P. Brousse CR constitutif**
- **K. Bicetre: CC**

RCP
nationales,
PNDS,
guidelines, ETP
...

File Active
126 patients
(97 adulte+29
enfants)

Cs: 262
HDJ: 17

PI pour
2 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.

- Cohorte GH et de patients avec insuffisance hépatique sévère liée à la MW, BAMARA, participation au registre national Wilson,
- Participation aux RCP nationales mensuelles , organisation RCP locales
- Participation à la rédaction du PNDS Wilson et des recommandations nationales (*MW, utilisation des tests non invasifs pour le diagnostic et la prise en charge des maladies génétiques rares du foie*)
- Programme ETP : Patients Wilson transplantés hépatique,
- Transition enfant - adulte
- DU transplantation, DU réanimation
- Lien avec unité INSERM U1193 : Groupe de recherche sur les mesures rapide cuivre (biopsie paraffine et fluides)

RCP
nationales,
PNDS,
guidelines, ETP

...

File Active
126 patients
(97 adulte+29
enfants)

Cs: 262
HDJ: 17

PI pour
2 projets
de recherche clinique
ou fondamentale
financés au cours des
5 dernières années.

Lien avec Service
hépatopédiatrie,
hépatologue
adulte,
neurologue

Lien avec
plateforme
expertise
maladie Rares
Paris Sud

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

PARIS CENTRE Necker

Resp. Pr Debray

- Dr Dominique Debray, **Hépatopédiatre**
- Dr Muriel Girard, **Hépatopédiatre**

File active
15
23 patients
dans le
centre

Transition enfants-adulte
Dépistage familial

- Rédaction recommandations Europe MW pédiatrique
- Participation recommandations nationales et PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Registre national Wilson, BAMARA

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File active:

59:

MW 31

+ suspicion 28

CS: 150

HdJ: 50

- Participation recommandations nationales et PNDs
- Participation aux RCP nationales
- Registre national Wilson, BAMARA
- Participation à 1 étude clinique

MARSEILLE

Hôpital de la Timone

Resp. Dr Fluchère

- Dr Frédérique Fluchère, **Neurologue adultes**
- Dr René Gérolami, **Hépatologue adultes**
- Dr Alexandre Fabre, **Hépatopédiatre**
- Pr Brigitte Chabrol, **Neuropédiatre**

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File
active: 30

CS: 55
HdJ: 28

BESANCON
Hôpital Jean Minjoz
Resp. Dr Vanlemmens

- Participation recommandations nationales et PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Organisation RCP locale (hep/neuro/ped/bio)
- Registre national Wilson, BAMARA, registre COVID après greffe de foie, cohorte FRESH
- Participation à 5 études cliniques
- ETP greffe hépatique
- Mise en place suivi multidisciplinaire pédiatrie/neurologie /neuroradiologie /ophtalmologie /biochimie

- Dr Claire Vanlemmens,
Hépatologue adultes
- Dr Vincent Di Martino,
Hépatologue adultes
- Dr Aurélie Comte,
Hépatopédiatre
- Dr Mathieu Bereau,
Neurologue adultes
- Dr Claire Schartz, **OPH**
- Dr Thierry Nicolas,
Biologiste

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File
active: 34

CS: 142
HdJ: 25

- Participation recommandations nationales et PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Organisation RCP locale (hep/neuro/ped/bio)
- Registre national Wilson, BAMARA,
- Participation à 1 étude clinique

TOULOUSE
Hôpital Purpan
Dr Ory-Magne

- Dr Fabienne, Ory-Magne, **Neurologue adultes**
- Pr Laurent Alric, Pr Christophe Bureau, **Hépatologues adultes**
- Pr Pierre Broué, **Hépatopédiatre**
- Dr Claude Cances, Dr Emmanuel Cheret, **Neuropédiatres**
- Dr Cinq Frais Cristel, **Biologiste**

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File
active: 28

CS: 60
HdJ: 0

- Participation recommandations nationales et PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Registre national Wilson, BAMARA
- Participation à 2 études cliniques

RENNES
Hôpital Pontchaillou
Pr Bardou-Jacquet

- Pr Edouard Bardou-Jacquet **Hépatologue adultes**
- Dr Sophie Drapier, **Neurologue adultes**
- Dr Alexandre Fabre, **Hépatopédiatre**
- Dr Laure Bridoux-Henno, **Pédiatre**

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File
active: 24

CS: 77
HdJ: 0

- Participation PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Registre national Wilson, BAMARA,

LILLE
Hôpital Claude Huriez
Dr Canva

- Dr Valérie Canva, **Hépatologue adultes**
- Pr Frédéric Gottran, **Hépatopédiatre**
- Pr Caroline Moreau, **Neurologue adultes**
- Dr Jean-Marie Cuisset, **Neuropédiatre**

Les équipes des Centres de Compétence Wilson

File
active: 50

CS: 100
HdJ: 10

BORDEAUX
Hôpital Haut-Lévêque

Pr de Ledinghen

- Participation PNDS
- Participation aux RCP nationales
- Registre national Wilson, BAMARA

- Pr Victor de Ledinghen, **Hépatologue adultes**
- Dr Thierry Lamireau, **Hépatopédiatre**
- Dr Wassilios Meissner, **Neurologue adultes**

Cartographie du réseau CRM Wilson en 2022

