



# Préparation de la labellisation

18 mars 2022



# Rappel de l'organisation de la filière

FILIÈRE NATIONALE DE SANTÉ MALADIES RARES G2M : **64** CENTRES MALADIES RARES

équipe de coordination et d'animation

**7** CENTRES COORDINATEURS

mission de coordination et d'animation des centres

**11** CENTRES DE RÉFÉRENCE CONSTITUTIFS

5 missions de la DGOS

**47** CENTRES DE COMPÉTENCE

5 missions de la DGOS à encourager

1 obligation (2022) : remplissage BaMaRa

# Les 5 missions d'un CMR : obligation pour CRMR, encouragements pour CCMR



## MISSION DE RECOURS

01

- Consultations et/ou HDJ
- programmes ETP

## MISSION DE RECHERCHE

02

- Activités investigations PI ou projet de recherche en lien avec domaine d'expertise (présenter 10 à 15 meilleures publications)

## MISSION D' EXPERTISE

03

- **Saisie BNDMR/BaMaRa**
- Élaboration guides de bonnes pratiques
- PNDS
- Groupes de travail nationaux, européens et internationaux

## MISSION D' ENSEIGNEMENT

04

- DU / DIU
- Développement professionnel continu (DPC)

## MISSION DE COORDINATION

05

- Mise en place et animation réseau de soins
- Organisation PEC médico-sociale par le site coordonnateur

### NOUVEAUTÉS 2022

- projet de recherche clinique et/ou fondamentale des 5 dernières années + publication livres
- Points SIGAPS

- Dispensation de formations qualifiantes universitaires

- Intensifier liens avec G2M: tous les centres
- Mise en œuvre d'un plan d'action autour du centre coordonnateur
- Associations de malades

# Rappel des critères de labellisation (1/2)

## Critères chiffrés par label

	COORDONNATEUR	CONSTITUTIF	COMPÉTENCE
File active	150	75	25
CS et/ou HDJ	300	150	-
Pi projet recherche	2	1	-

## Particularités pour les centres de compétence

### Obligation

- remplissage BaMaRa (soutien PEMR, FSMR, CRMR, ...)

### Encouragements

- dispenser de l'enseignement et des formations
- participer à la recherche pour les maladies relevant de leur périmètre

## Engagement de l'établissement de santé accueillant un centre

- Faciliter / permettre tous les modes de prise en charge des personnes atteintes de maladies rares : hospitalisation complète, de jour ou à domicile, consultations, télémédecine

# Rappel des critères de labellisation (2/2)

## Nouvelles thématiques évoquées dans COPIL DGOS

- ORGANISATION TERRITORIALE (POUR LES CRMR ET LES CCMR)

- Interaction avec l'hôpital,
- Interaction avec le service

- Interaction avec les plateformes d'expertise maladies rares régionales

### 1/ Création de liens avec les acteurs du territoire

- Organisation d'actions transversales et de rencontres
- Actions en lien avec les associations
- Actions en lien avec les établissements médico-sociaux

### 2/ Appui administratif aux centres labellisés

- Soutien à la campagne PIRAMIG
- Soutien pour le recrutement
- Soutien à la contractualisation

### 3/ Soutien aux activités des centres maladies rares

- Appui à la logistique et à la coordination des projets de recherche et innovants des centres labellisés
- Soutien à l'implémentation de BaMaRa dans les centres labellisés
- Soutien et participation aux actions des DSI\*\*

\*Source COPIL DGOS

\*\*Direction du système informatique

# Interaction avec les plateformes d'expertise



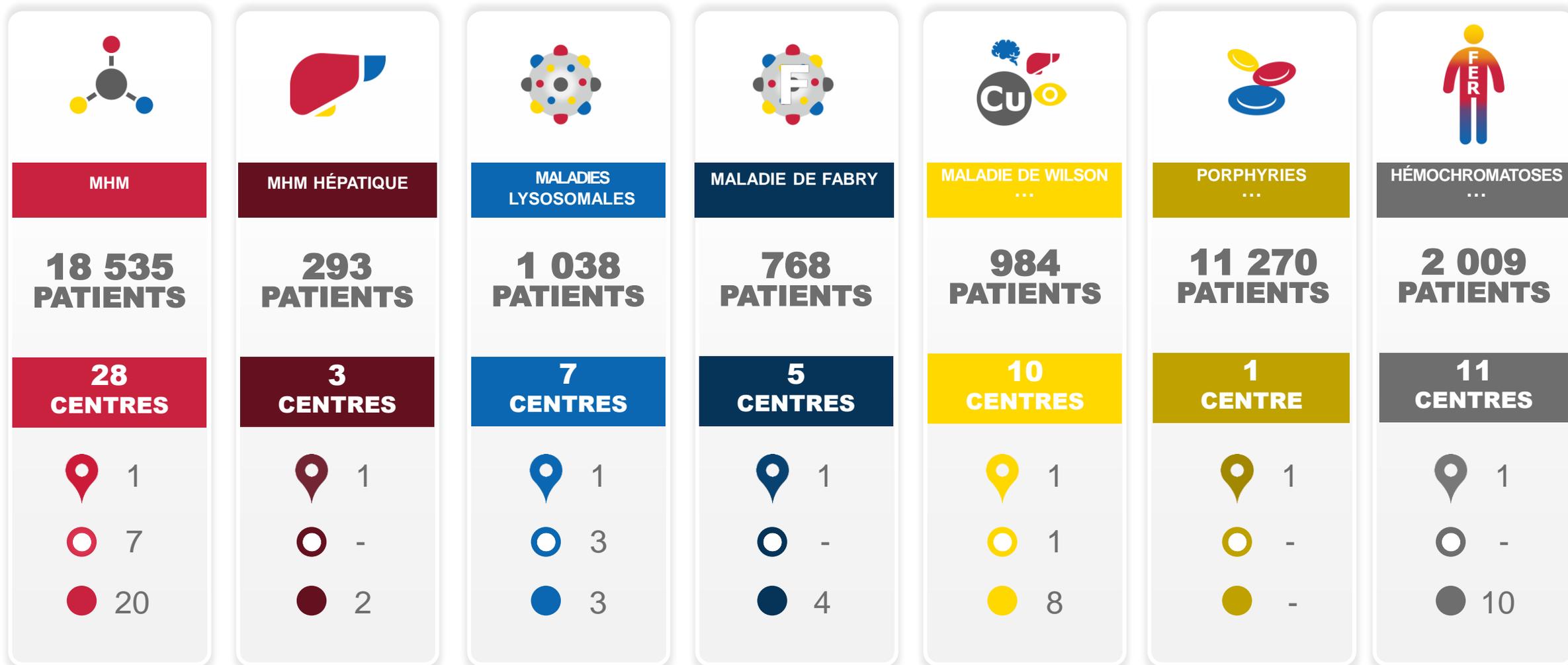
Etablissement	Chef de projet/chargé de mission	
Hospices Civils de Lyon + CHU de Saint Etienne + CHU Clermont-Ferrand + CHU Grenoble + CH Métropole Savoie,	GAILLARD Ségolène	<a href="mailto:segolene.gaillard@chu-lyon.fr">segolene.gaillard@chu-lyon.fr</a>
CHU de Bordeaux.	PIQUET Maider Chargée de mission Maladies Rares	<a href="mailto:maider.piquet@chu-bordeaux.fr">maider.piquet@chu-bordeaux.fr</a>
CHU Dijon + CHU Besançon	GAUTIER Elodie	<a href="mailto:elodie.gautier@chu-dijon.fr">elodie.gautier@chu-dijon.fr</a>
CHU Rennes + CHU de Brest + CH de Lorient + Fondation Iladys (Roscoff) + CH Saint Briec + CHBA Vannes	PRESTEL Anne	<a href="mailto:anne.prestel@chu-rennes.fr">anne.prestel@chu-rennes.fr</a>
AP-HP hôpitaux universitaires Henri Mondor	MITHIEUX Nicolas	<a href="mailto:nicolas.mithieux@aphp.fr">nicolas.mithieux@aphp.fr</a>
Guadeloupe	VALENTINO Lyne	<a href="mailto:lyne.valentino@chu-guadeloupe.fr">lyne.valentino@chu-guadeloupe.fr</a>
CH de Cayenne	MAZIA Murielle Cadre de santé puéricultrice coordinatrice	<a href="mailto:guyane.maladiesrares@ch-cayenne.fr">guyane.maladiesrares@ch-cayenne.fr</a>
CHU de La Réunion	LAMAURT Florence Chargée de missions	<a href="mailto:florence.lamaurt@chu-reunion.fr">florence.lamaurt@chu-reunion.fr</a>
CHU Limoges - à préciser	BERNARD David	<a href="mailto:david.bernard@chu-limoges.fr">david.bernard@chu-limoges.fr</a>
CHU AP-HM (Marseille)	GIZARD Florence Chargée de missionscientifique	<a href="mailto:florence.gizard@ap-hm.fr">florence.gizard@ap-hm.fr</a>
CHUM (CHU de Martinique)	HARMENIL Lina Infirmière coordinatrice	<a href="mailto:LINA.HARMENIL@chu-martinique.fr">LINA.HARMENIL@chu-martinique.fr</a>
CHU de Lille	BARBET Audrey	<a href="mailto:audrey.barbet@chru-lille.fr">audrey.barbet@chru-lille.fr</a>
AP-HP.Centre Université de Paris	RICHARD Véronique	<a href="mailto:veronique.richard@aphp.fr">veronique.richard@aphp.fr</a>
AP-HP Paris Nord - Université de Paris et HUPSSD	ESKENAZI Marine	<a href="mailto:marine.eskenazi@aphp.fr">marine.eskenazi@aphp.fr</a>
AP-HP Université Paris-Saclay	BAROSI Anna CHABRIER Amélie	<a href="mailto:anna.barosi@aphp.fr">anna.barosi@aphp.fr</a> <a href="mailto:amelie.chabrier@aphp.fr">amelie.chabrier@aphp.fr</a>
CHU d'Angers / Nantes et le Centre hospitalier du Mans	FERTE Matthieu	<a href="mailto:matthieu.ferte@chu-angers.fr">matthieu.ferte@chu-angers.fr</a>

Liste des 10 plateformes d'expertise déjà en place

\* Source plateforme MR Paris-centre

# Filière G2m structurée en groupes de pathologies

34 897 patients répartis en 7 groupes de maladies (recensement BNDMR - février 2022)



centre coordonnateur



centre référence constitutif



centre compétence

Très grand merci pour toutes ces données !



**Amina**



**Mounira**



**Astrid**



**Pauline**



**Eloi**



**Amina**



**Emma**



**Thierry**



**Louise**

**LUTTE CONTRE  
L'ERRANCE DIAGNOSTIQUE**



**DIRECTION  
GÉNÉRALE  
DE L'OFFRE  
DE SOINS**

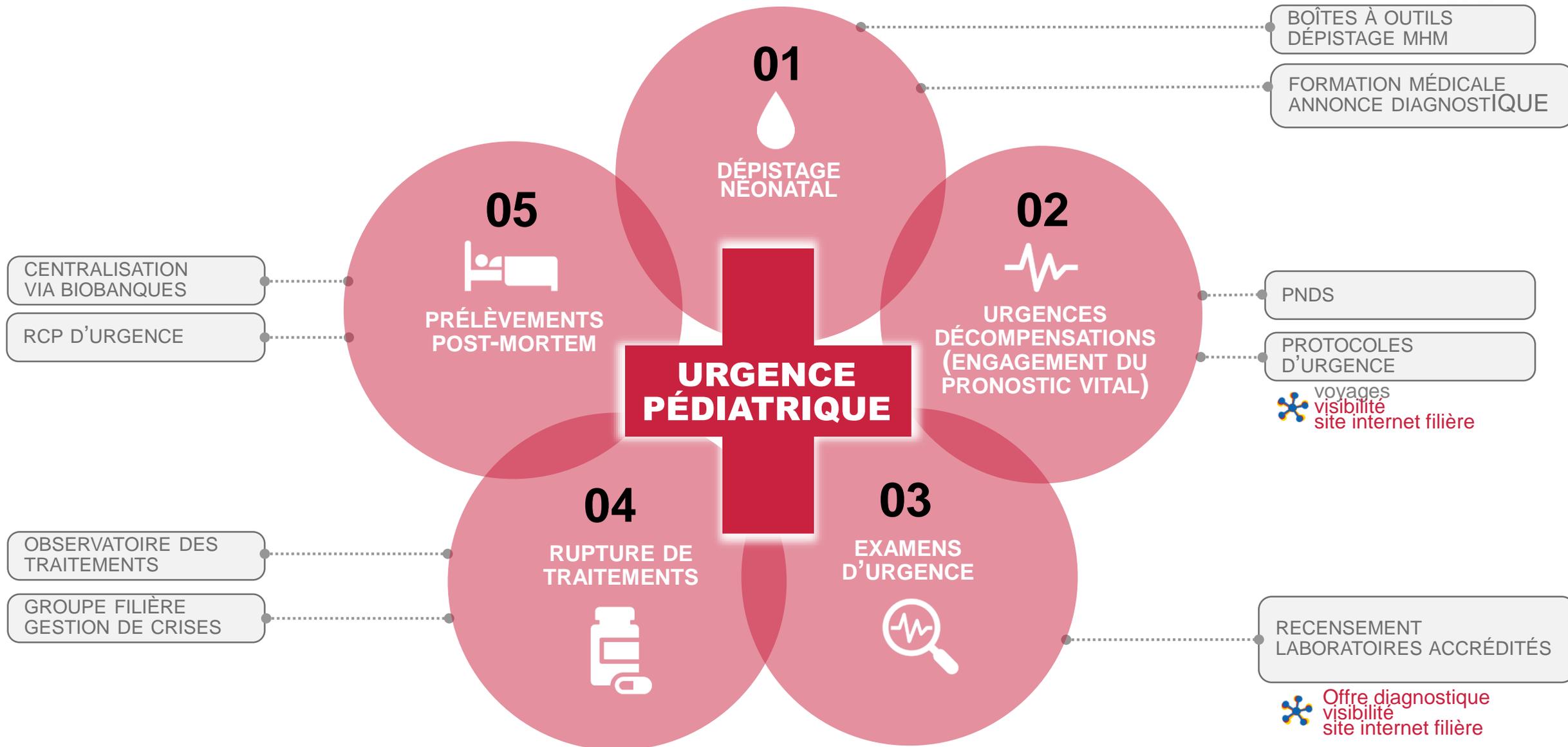


**BNDMR**

Banque Nationale de Données  
Maladies Rares

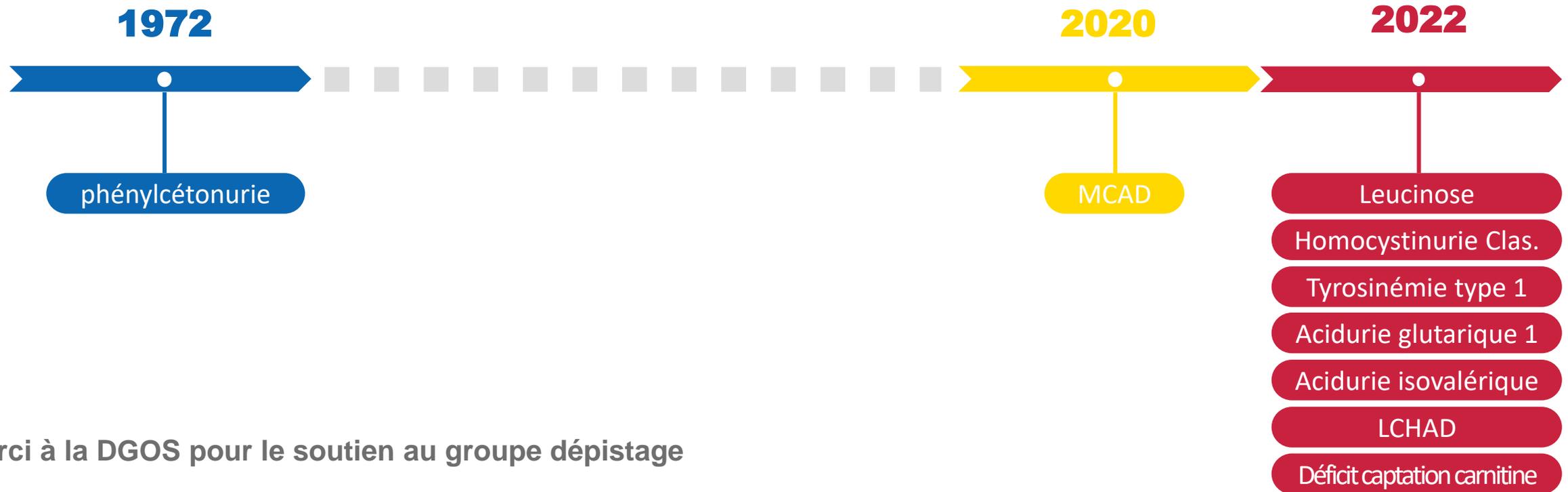
**soutien DGOS et BNDMR**

# Particularités de la filière (1/4) : L'urgence pédiatrique et adulte



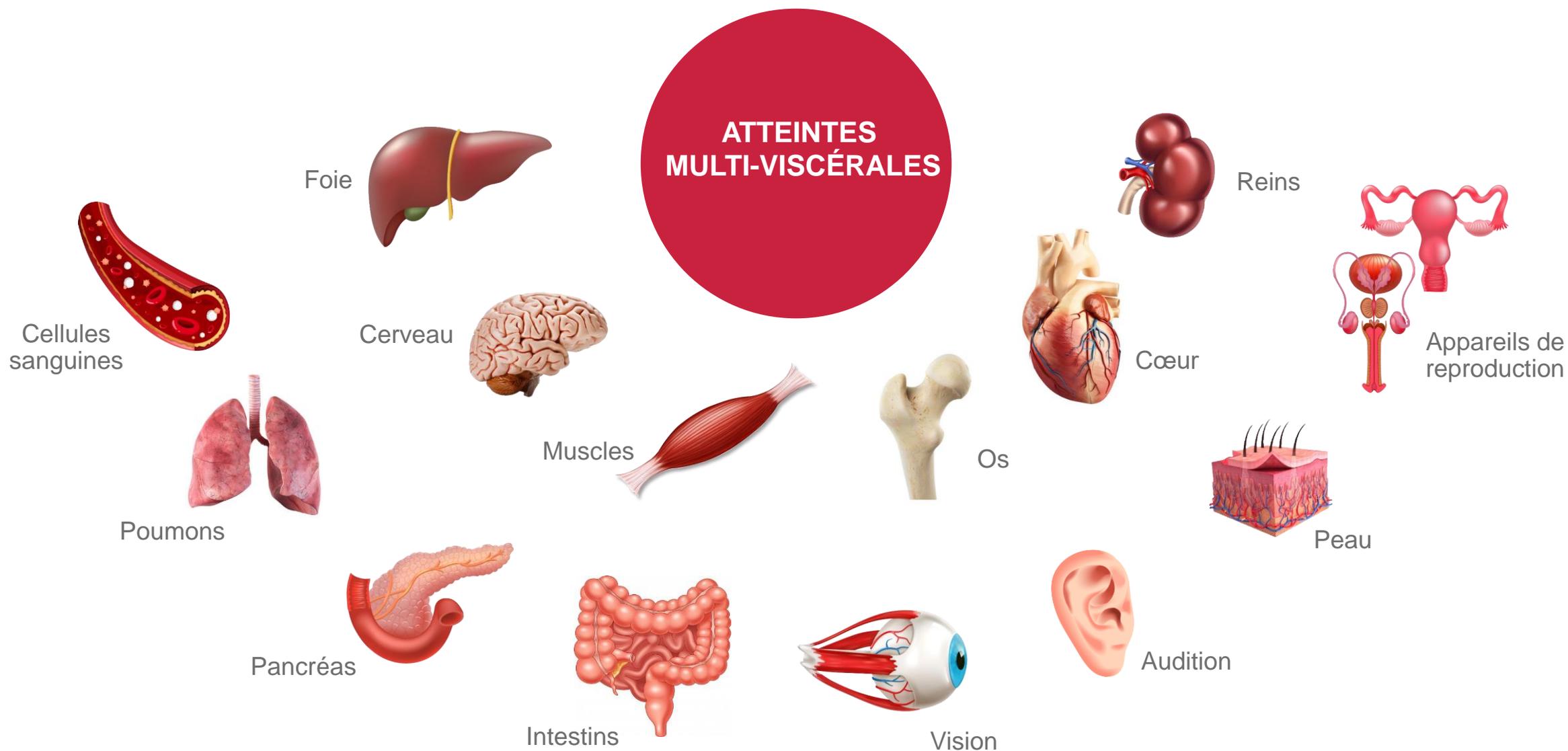
# Particularités de la filière (2/4) : l'extension du dépistage pour des maladies de la filière

9 maladies de la filière seront dépistées fin 2022.



Merci à la DGOS pour le soutien au groupe dépistage

# Particularités de la filière (3/4) : Hétérogénéité des atteintes



# Particularités de la filière (4/4) : Diversité des traitements



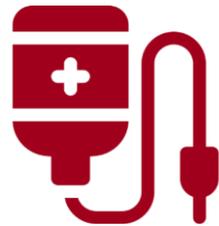
médicaments



diététique



saignées



enzymothérapies  
thérapies innovantes



greffes

Prises en charge  
rééducatives

Psychosocial

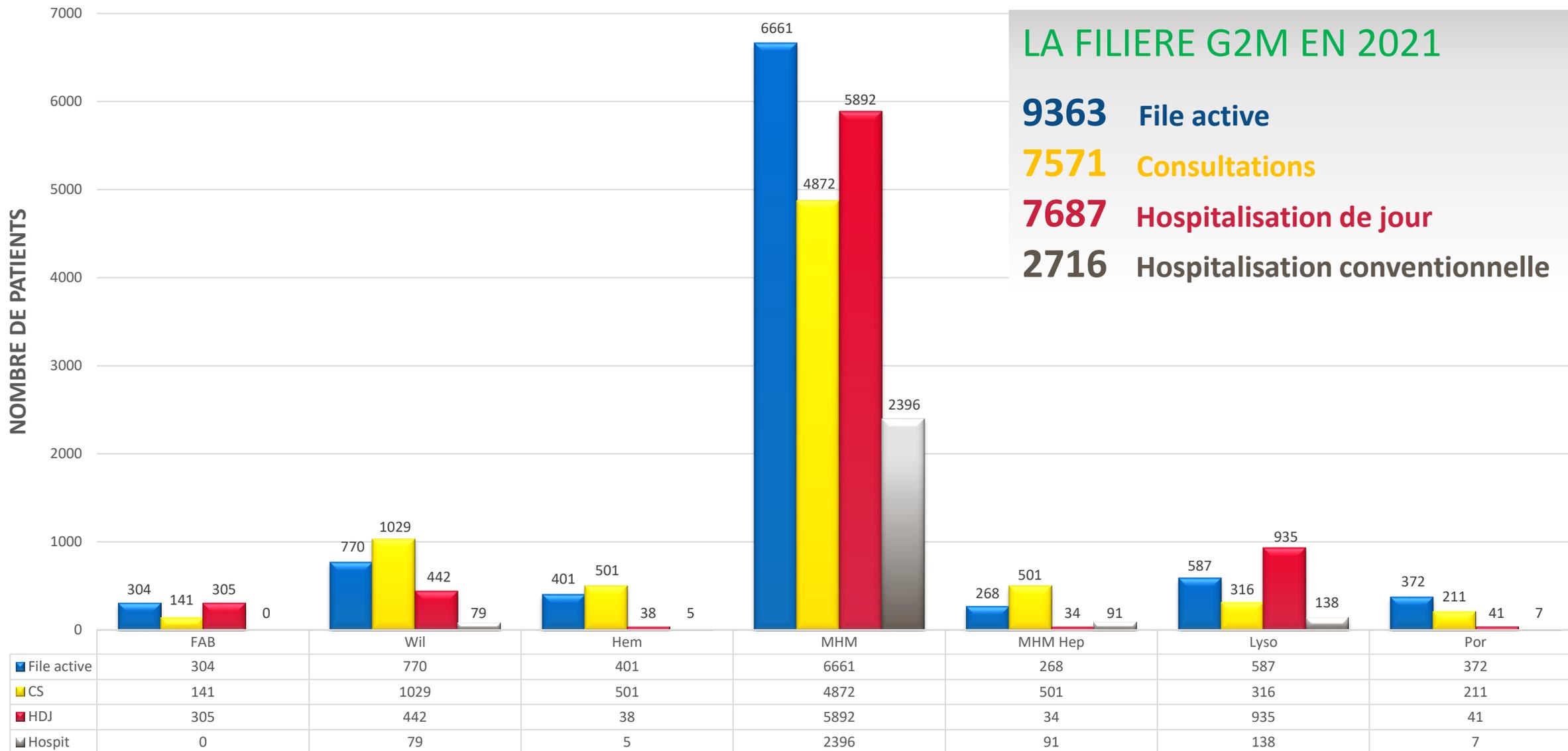
# Chiffres

**Quelques chiffres filière G2M**

# QUELQUES CHIFFRES DE L'ANNEE 2021

\*Données BNDMR du 7 mars 2022

\*\*Chiffres amenés à évoluer jusqu'au 31 mars 2022



# Labellisation

**La préparation du renouvellement de labellisation au niveau de la filière**

# Préparation du renouvellement de labellisation au niveau de la filière



## Organisation de réunions Filière > Coordonnateurs des centres des 7 groupes de pathologies

- Discuter **la situation** des CRM et des CCM, faire **l'état des lieux de la saisie** et de **la file active** des patients
- Présentation des critères d'éligibilité des dossiers
- Propositions d'actions supplémentaires – joindre les centres pour une réflexion
- Diffusion du questionnaire de labellisation en format word et en ligne pour faciliter le remplissage

## Le questionnaire labellisation filière G2M reprend

- Recensement des intentions de candidatures
- Les thématiques qui seront demandées dans le dossier de labellisation – il vous aide à préparer ce renouvellement
- Cartographier les centres au niveau national: Localisation des intentions de candidatures pour assurer **un bon maillage territorial**

## Plan du questionnaire labellisation filière G2M

- Il reprend les principales thématiques évoquées dans le dossier de labellisation de 2018
- Les nouveaux items évoqués par la DGOS et que prendra en compte le conseil de suivi de labellisation dans son évaluation des candidatures de 2022
- Le questionnaire rappelle les critères de sélection de la DGOS pour chaque catégorie de centre (CRM coordonnateur, constitutif, CCM)

# Questionnaire labellisation filière G2M



## Plan de questionnaire:

### PARTIE 1: Thématiques de la note d'information DGOS 2017

- Identification du centre
- Mission de recours (consultations, Nombre d'hôpital de jour, File active)
- Mission de recherche: (Nombre de participation à des **projets de recherche fondamentale** au cours des 5 dernières années, Nombre d'études cliniques Nombre de publications au cours des 5 dernière années, **Points SIGAPS, Publication de livre**, Registres, Cohortes)
- Mission d'expertise, d'enseignements, de formation et de coordination
  - A- **Mission d'expertise** (Nombre de PNDS mis en place, Participation à des PNDS, Guidelines, **saisie sur BAMARA**, RCP, Liens avec les DOM-TOM, ETP )
  - B- **Mission d'enseignements et formation** (coordination ou participation à un DU, **les formations qualifiantes universitaires**)
  - C- **Mission de coordination** (CRMR coordonnateurs et constitutifs) (Rôle du centre, mode d'action, Action médico-sociales)

*\* Nouvelles missions communiquées par la DGOS*

# Questionnaire labellisation filière G2M



## Plan de questionnaire: PARTIE 2: Nouvelles thématiques COPIL DGOS 2022

- Interaction avec le service
- Interaction avec l'hôpital
- Interaction avec les plateformes d'expertise
- Liens avec la filière

Elaboration et **mise en œuvre d'un plan d'action avec la filière**, actions réalisées avec les associations de malades :

→ une stratégie en mode « projet » s'appuyant sur les actions déjà existantes : s'impliquer dans la transition enfants-adultes, le vieillissement, la grossesse, les nouvelles thérapies

# Questionnaire

**Analyse du questionnaire**

# DETAILS DES REPONSES AU QUESTIONNAIRE

46 REPONSES

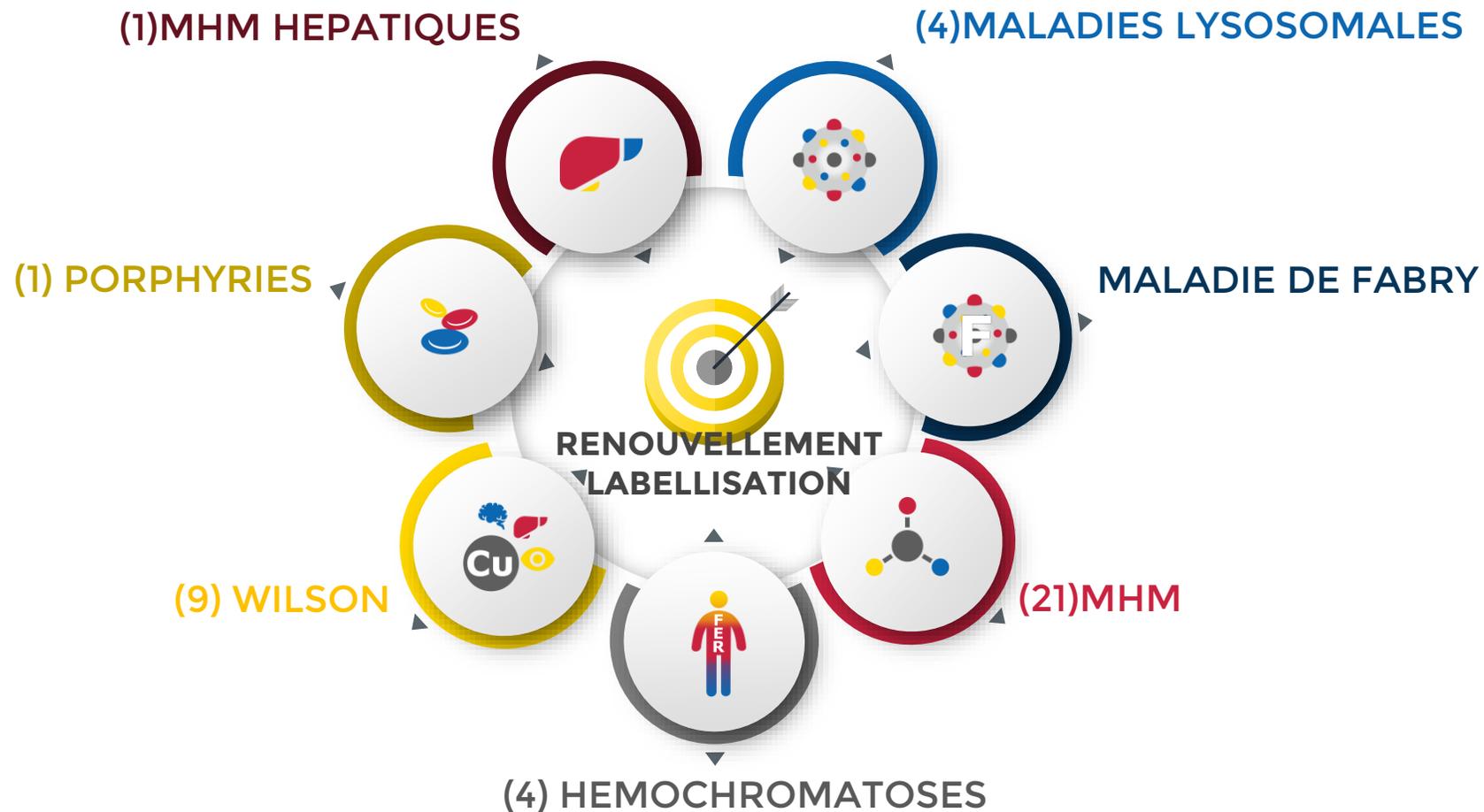


**46/64 (72%)**  
**REPONSES**

**11 (24%) CRMR**

3 CRMR coordonnateurs  
8 CRMR constitutifs

**35 (76%) CCMR**





100% d'intention de renouvellement de candidature pour les centres qui ont répondu aux questionnaires



1 Création d'un nouveau CRMR Lysosome  
1 Création d'un nouveau CCMR MHM  
3 Evolutions de CCMR à CRMR constitutifs



33/38 responsables assureront leur mandat en totalité

# PROJETS RECHERCHE FONDAMENTALE

## RECHERCHE FONDAMENTALE

24/46 (52%) Centres , 97 Projets

	CRMR (%)	CCMR (%)
Nombre de Centres	11/11(100)	12/35(34)
Nombre de Projets	71	26

# PROJETS RECHERCHE CLINIQUE SUR 5 ANS

## RESPONSABLE DE PROJETS RECHERCHE CLINIQUE (PI)

19/46 Centres (41%), 119 Projets

	CRMR(%)	CCMR(%)
Nombre de Centres	11/11(100)	18/35(51,4)
Nombre de Projets	101	18

## PARTICIPATION A DES PROJETS RECHERCHE CLINIQUE

27 Centres (59%), 153 Projets

	CRMR(%)	CCMR(%)
Nombre de Centres	9/11(82)	18/35 (51,4)
Nombre de Projets	93	60

# RECHERCHE

## PUBLICATIONS sur les 5 ans

**1088 PUBLICATIONS (33/45, 72%)**

	CRMR(%)	CCMR(%)
Nombre de Centres	11/11(100)	22/35(62,8)
Nombre de Publications	752	336

## POINTS SIGAPS sur les 5 ans

**POINTS SIGAPS 15/34 (44) Centres**

0 →. 3251

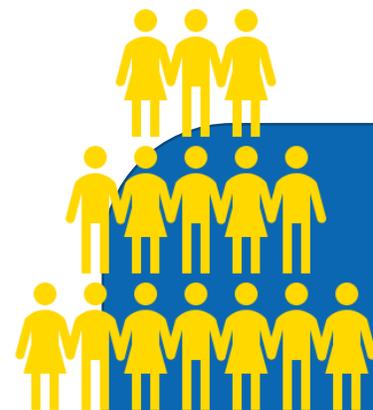
## Publication de livres (à définir) 3

# MISSION D'EXPERTISE



**32/39** Centres  
participent à des  
registres

Un **registre** est défini comme : un recueil continu et exhaustif de données nominatives intéressant un ou plusieurs événements de santé dans une population géographiquement définie, à des fins de recherche et de santé publique, par une équipe ayant des compétences appropriées (*l'arrêté du 6 novembre 1995*).



**26/39** Centres  
impliqués dans des  
cohortes

Les **cohortes** de malades consistent au suivi de personnes porteuses d'une même **maladie**. Il s'agit d'évaluer quels médicaments, quels traitements vont améliorer l'état de santé de ces personnes. Une **cohorte** en population générale consiste au suivi de personnes en bonne santé.



**43/45** Centres  
font des RCP

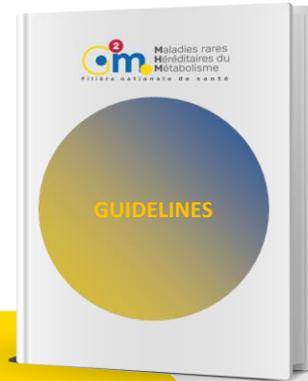
Réunions de  
Concertation  
Pluridisciplinaire

Rofim

# MISSION D'EXPERTISE



**13/24** Centres ont  
mis en place ou participé  
à un ou plusieurs  
**PNDS\***



**15/32** Centres ont  
participé à un ou  
plusieurs  
**GUIDELINES**



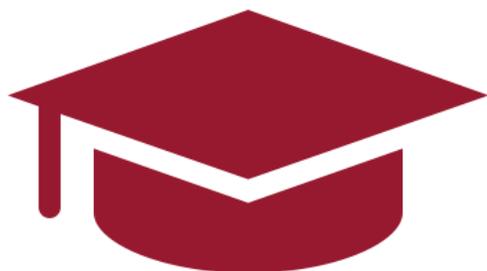
**BNDMR**

Banque Nationale de Données  
Maladies Rares

**45/46** Centres  
saisissent dans  
**BNDMR**  
ou autres plateformes  
locales

\*PNDS: Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins

# MISSION FORMATION



**24/46 CENTRES**  
participent à un  
**DU**



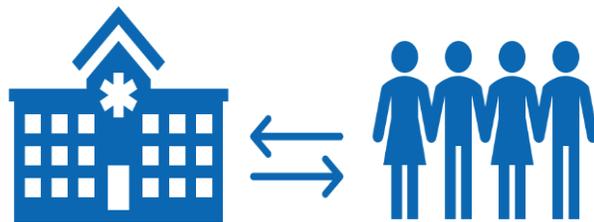
**Les centres  
participent à d'autres  
missions de formation**

Heures d'enseignement, webinar,  
DES, SSIEM, SFEIM, Master, Cours pour les  
internes, UPS, formation continue,  
Enseignement de diffusion, e-Learning, etc.

# ORGANISATION TERRITORIALE



**25/26** Centres ont des interactions avec le service



**28/34** Centres ont des interactions avec leur hôpital



**19/27** Centres ont des interactions avec les plateformes d'expertise MR

2 centre pour lesquels la plateforme en cours de déploiement

3 Centres pas d'interaction

6 Centres ont montré **une méconnaissance** de la notion de Plateformes

! Ex: la plateforme RCP ROFIM, AURAGEN, Sequoia, SFEIM, ...

**28/35** Centres ont des liens avec la filière sous forme de participation dans les groupes de travail

# Conclusions



Ce questionnaire, l'activité du réseau d'ARC et l'interaction avec la BNDMR ont permis de soulever certains points, à discuter

- L'existence de CRMR constitutif et CCMR dans la même ville appartenant au même groupe de pathologies
- L'existence de deux CCMR dans la même ville appartenant au même groupe de pathologies
- La nécessité du dépôt de dossier pour certains CCMR au niveau du CSL\* afin de déclarer un changement de responsable (départ...) ou un changement d'établissement
- La situation de centres de référence coordonnateur et constitutifs en difficulté de saisie →  
**Soutien des ARCs**

# Interventions

**Les interventions de la journée**

# Campagne de labellisation 2022



**MINISTÈRE  
DES SOLIDARITÉS  
ET DE LA SANTÉ**

*Liberté  
Égalité  
Fraternité*

-  Nouveautés
-  Calendrier
-  Session questions/réponses

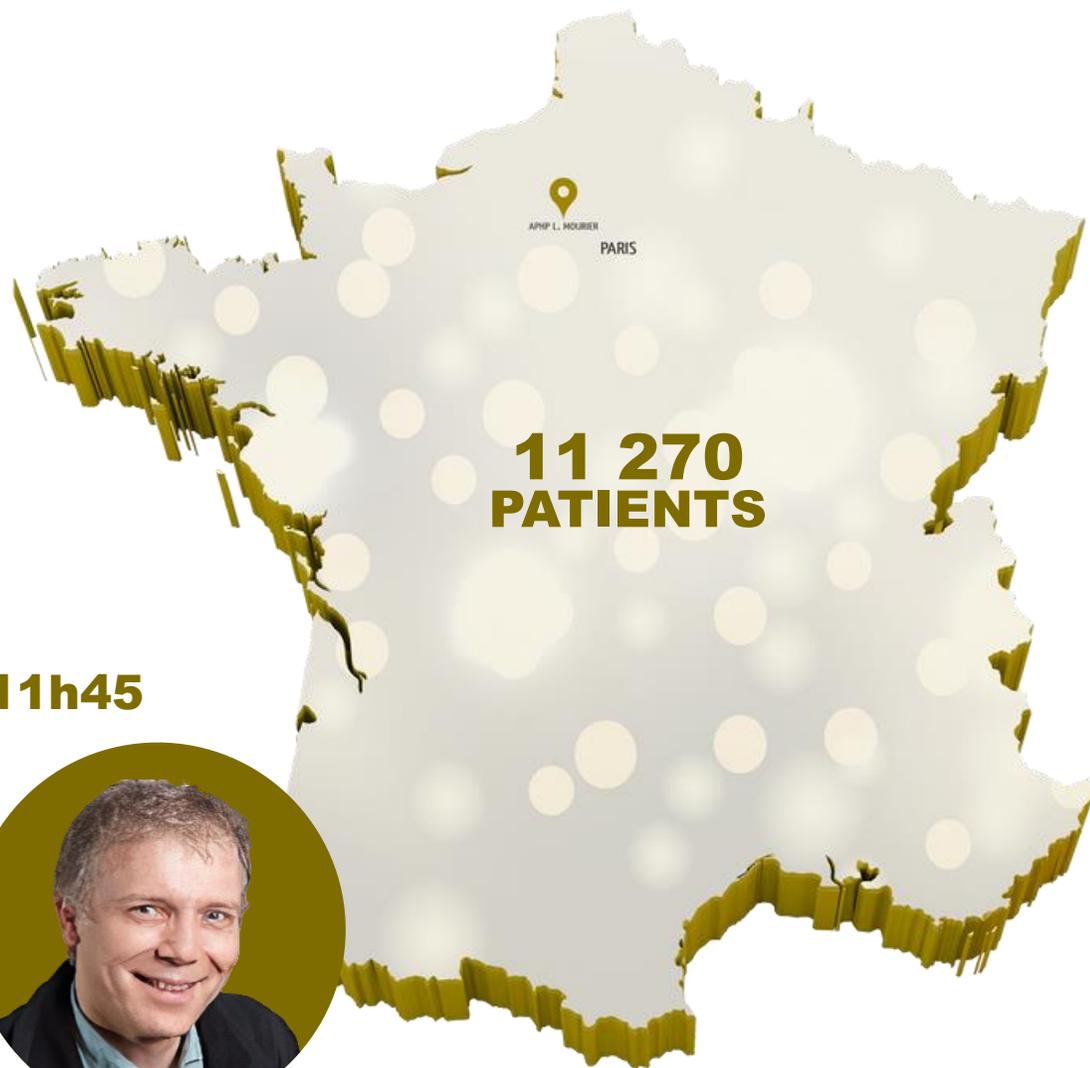
**10h00**



## **Madame Anne-Sophie LAPOINTE**

Cheffe de projet mission Maladies Rares  
Sous-direction Pilotage de la performance des  
acteurs de l'offre de soins  
DGOS Ministère des Solidarités et de la Santé

# Le centre porphyries et anémies rares du métabolisme du fer



1

oo

P L

nt GOU A



-

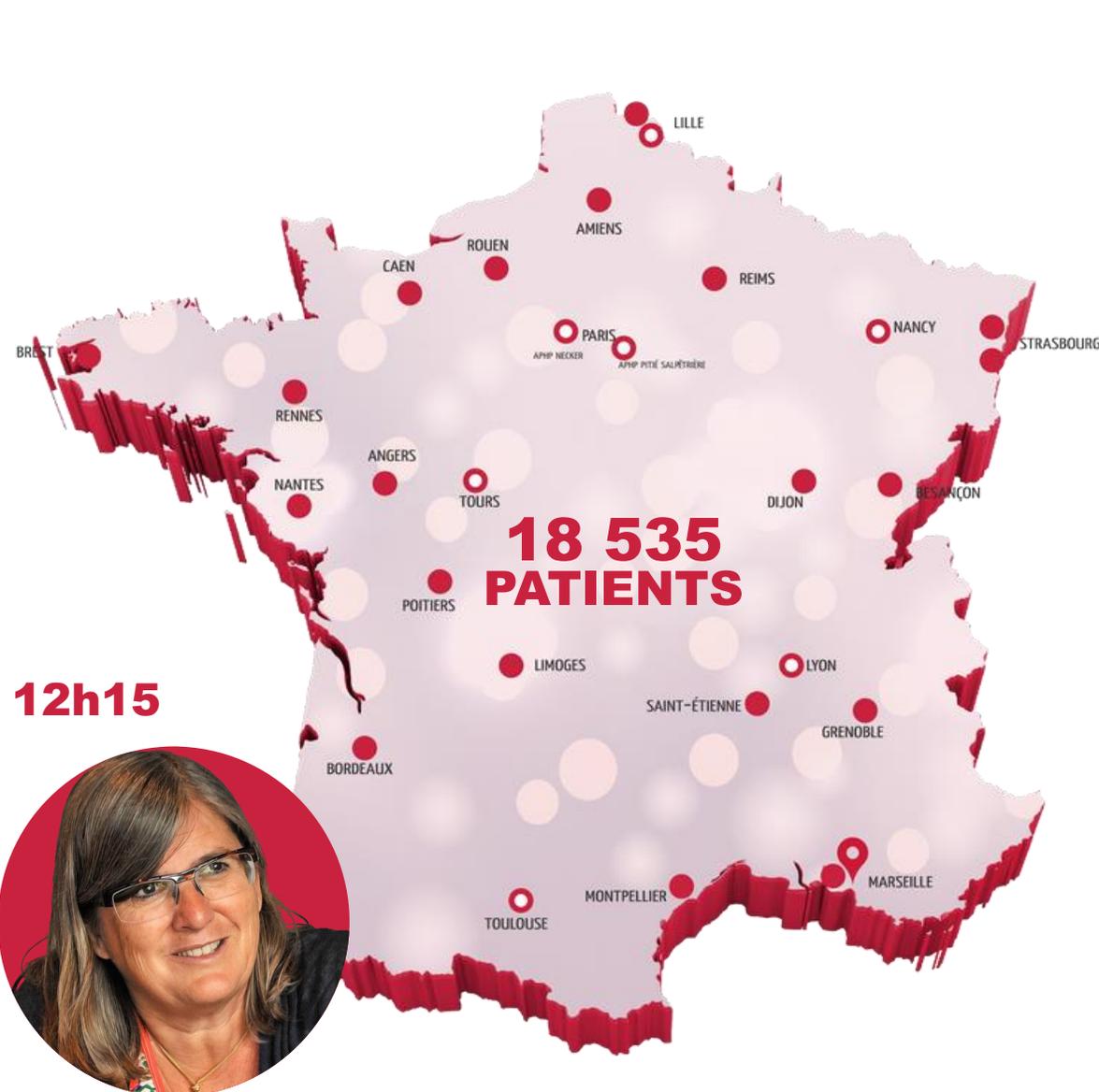


-

11h45



# Les 28 centres maladies héréditaires du métabolisme



1

Marseille : Pr Brigitte CHABROL



7

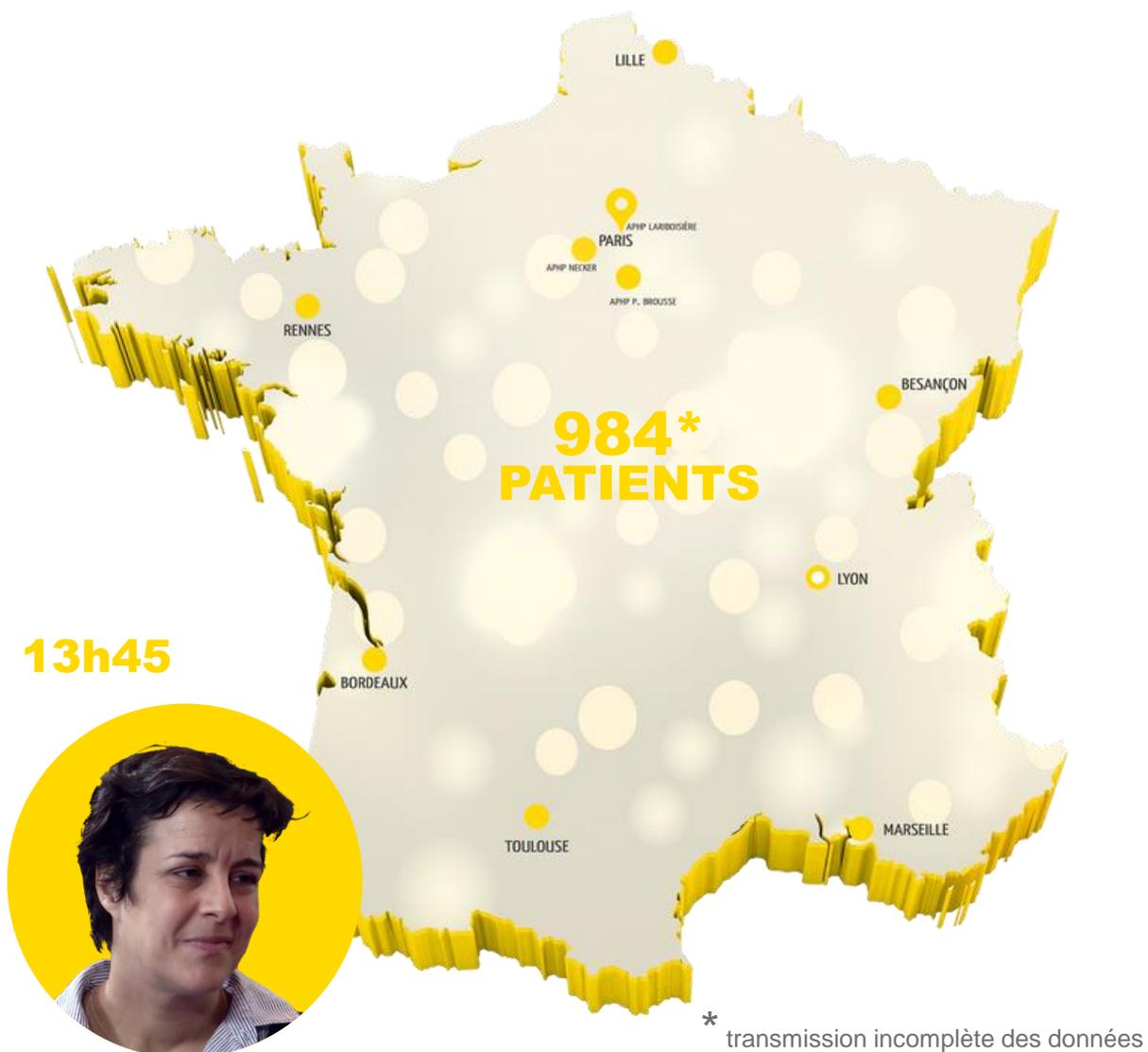
Lille : Dr Dries DOBBELAERE  
Lyon : Dr Nathalie GUFFON  
Nancy : Pr François FEILLET  
Paris La Salpêtrière : Dr Fanny MOCHEL  
Paris Necker : Pr Pascale De LONLAY  
Toulouse : Dr Pierre BROUÉ  
Tours : Pr François LABARTHE



20

Amiens : Dr Gilles morin  
Angers : Dr Magalie BARTH  
Besançon : Dr Cécilia ALTUZARRA  
Bordeaux : Dr Delphine LAMIREAU  
Brest : Dr Elise SACAZE  
Caen : Dr Alina ARION  
Dijon : Dr Nada Centre de compétence  
Grenoble : Dr Gérard BESSON  
Lille : Dr Caroline MOREAU  
Limoges : Dr Cécile LAROCHE  
Marseille : Pr Christophe lançon  
Montpellier : Pr Agathe ROUBERTIE  
Nantes : Dr Alice KUSTER  
Poitiers : Pr Brigitte GILBERT-DUSSARDIER  
Reims : Pr Nathalie BEDNAREK  
Rennes : Dr Léna DAMAJ  
Rouen : Dr Stéphanie TORRE  
Saint-Etienne : Dr Claire GAY  
Strasbourg : Dr Mathieu ANHEIM  
Strasbourg : Dr Marie-Thérèse ABI WARD

# Les 10 centres maladie de Wilson et autres maladies rares liées au cuivre



1 Paris : Dr Aurélia POUJOIS

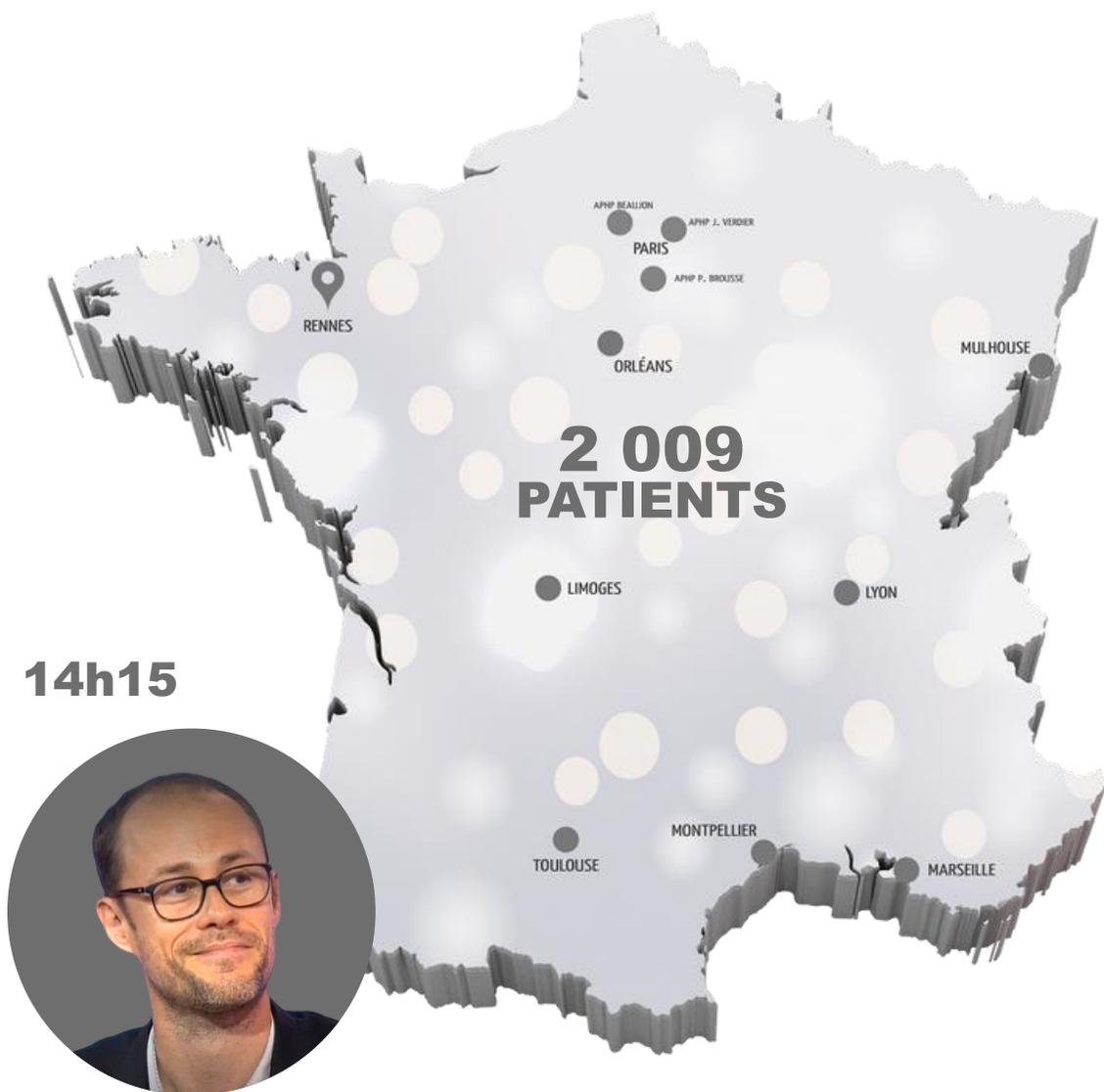


1 Lyon (Bron) : Pr Alain LACHAUX



8 Besançon : Dr Claire VANLEMMENS  
Bordeaux (Pessac) : Pr Victor DE LEDINGHEN  
Lille : Dr Valérie CANVA  
Marseille : Dr Frédérique FLUCHERE  
Paris : Pr Dominique DEBRAY  
Villejuif : Dr Rodolphe SOBESKY  
Rennes : Pr Edouard BARDOU-JACQUET  
Toulouse : Dr Fabienne ORY-MAGNE

# Les 11 centres hémochromatose et autres maladies du métabolisme du fer



1

Rennes : Pr Edouard BARDOU-JACQUET



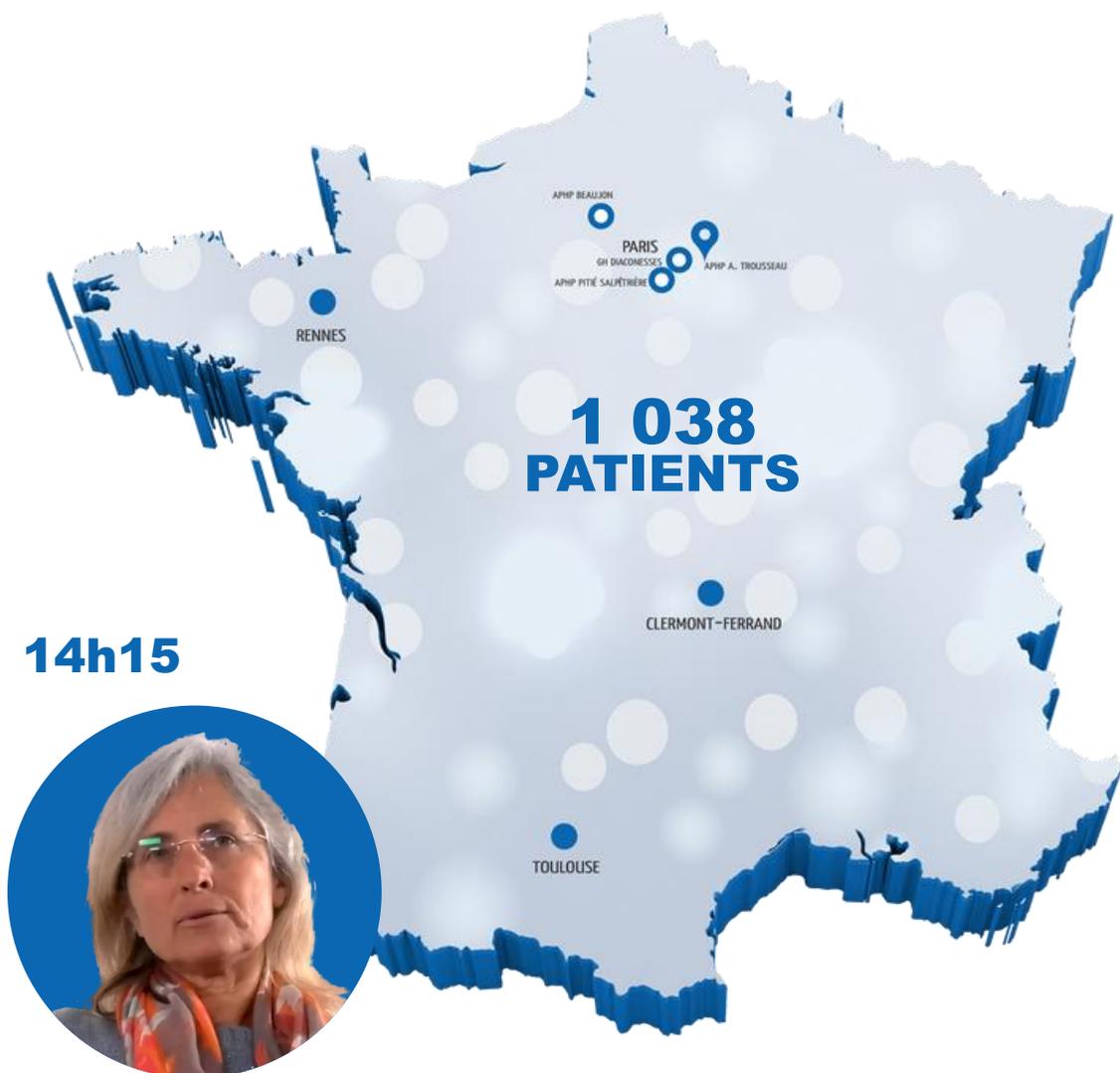
-



10

Bobigny : Pr Nathalie GANNE- CARRIE  
Limoges : Pr Véronique LOUSTAUD-RATTI  
Lyon (Pierre Benite) : Dr Stréphane Durupt  
Marseille : Pr Danielle BOTTA-FRIDLUND  
Montpellier : Pr Patricia AGUILAR-MARTINEZ  
Mulhouse : Dr Bernard DRENOU  
Orléans : Dr Xavier CAUSSE  
Villejuif : Pr Gilles PELLETIER  
Toulouse : Pr Christophe BUREAU  
Clichy : Pr François DURAND

# Les 7 centres maladies lysosomales



1 Paris APHP Trousseau : Dr Bénédicte HERON

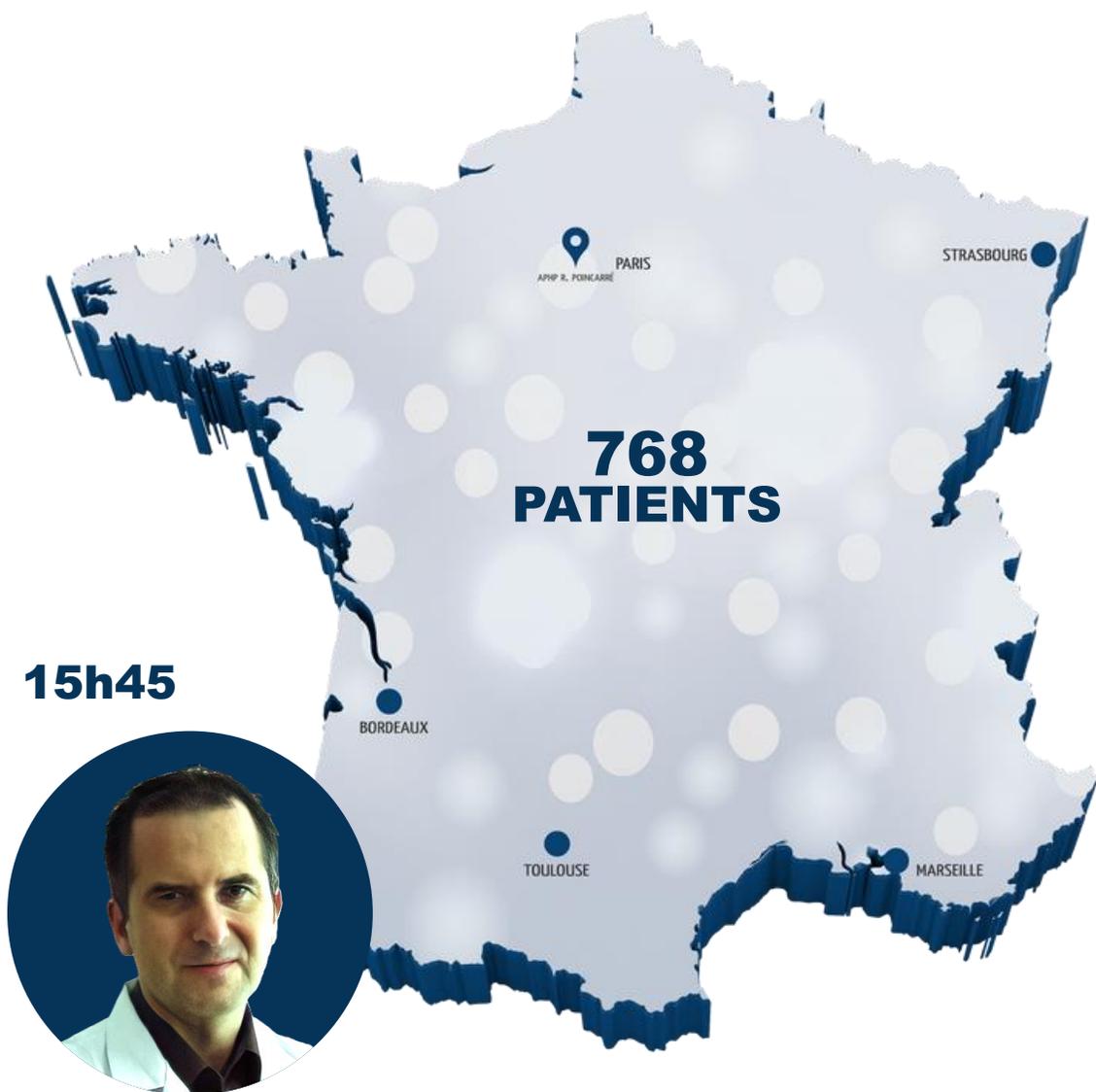


3 Clichy : Dr Nadia BELMATOUG  
Paris (Croix St-Simon) : Pr Olivier LIDOVE  
Paris APHP Pité-Salpêtrière : Dr Yann NADJAR



3 Clermont-Ferrand : Pr Marc BERGER  
Rennes : Dr Bérangère CADOR  
Toulouse : Dr Francis Gaches

# Les 5 centres maladie de Fabry



1

Paris (Garches) : Pr Dominique GERMAIN



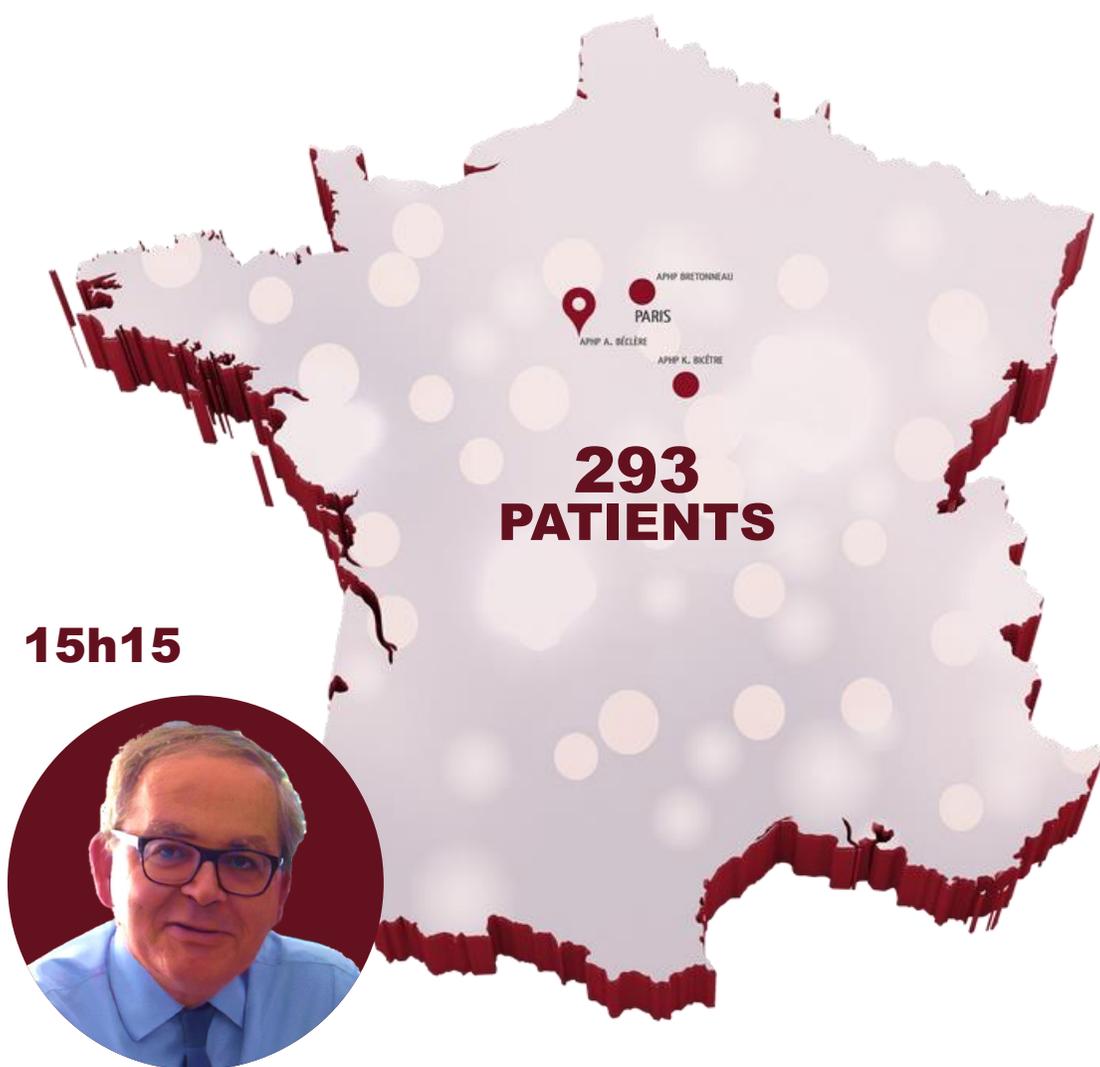
-



4

Toulouse : Pr Stephane Decramer  
Bordeaux : Dr Didier Lacombe  
Marseille : Pr Bertrand DUSSOL  
Strasbourg : Dr Noël ESTHER

# Les 3 centres maladies héréditaires du métabolisme hépatique



1

Clamart : Pr Philippe LABRUNE



-



2

Paris : Dr Martin BIOSSE-DUPLAN  
Kremlin-Bicêtre : Dr Emmanuel GONZALES

# Calendrier

**Calendrier des journées de la filière**

# Calendrier des journées filière à venir

**JEUDI 31 MARS 2022**



visio

## THÉMATIQUES

- Registres
- Refonte/Inauguration du site internet filière
- Harmonisation du codage et contrôle qualité de la saisie BNDMR (guides)

Avant G2MTour

**MERCREDI 6 AVRIL 2022**



Présentiel Imagine

## THÉMATIQUES

- Présentation des 7 nouvelles maladies dépistées
- Bilan et registre MCAD
- Projet de futurs dépistages concernant les maladies Lysosomales

**VENDREDI 20 MAI 2022**



Présentiel Imagine

## THÉMATIQUES

- Présentation des 4 programmes nationaux d'ETP
- Place de l'ETP Hybride dans le mode de dispensation
- e-ETP et Plateforme STIMULAB



Merci