



MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

*Liberté
Égalité
Fraternité*



Point 2022 Mission Maladies Rares : Relabellisation des CRMR/CCMR

Anne-Sophie Lapointe (PhD)

Vincent Vauchel

Clémence de Dinechin

Isabelle Oriez

Mission maladies rares – 29 mars 2022

**Direction générale
de l'offre de soins**



Orienter (CRMR) + Coordonner (FSMR) + Partager (datas, BNDMR) : maison MR

Des efforts de structuration et de coordination encore nécessaires.

Des défis spécifiques en termes de recherche.

La constitution nécessaire de bases de données nationales, et leur interaction avec les bases de données européennes.

Une Europe des maladies rares avec les 24 ERN à construire.

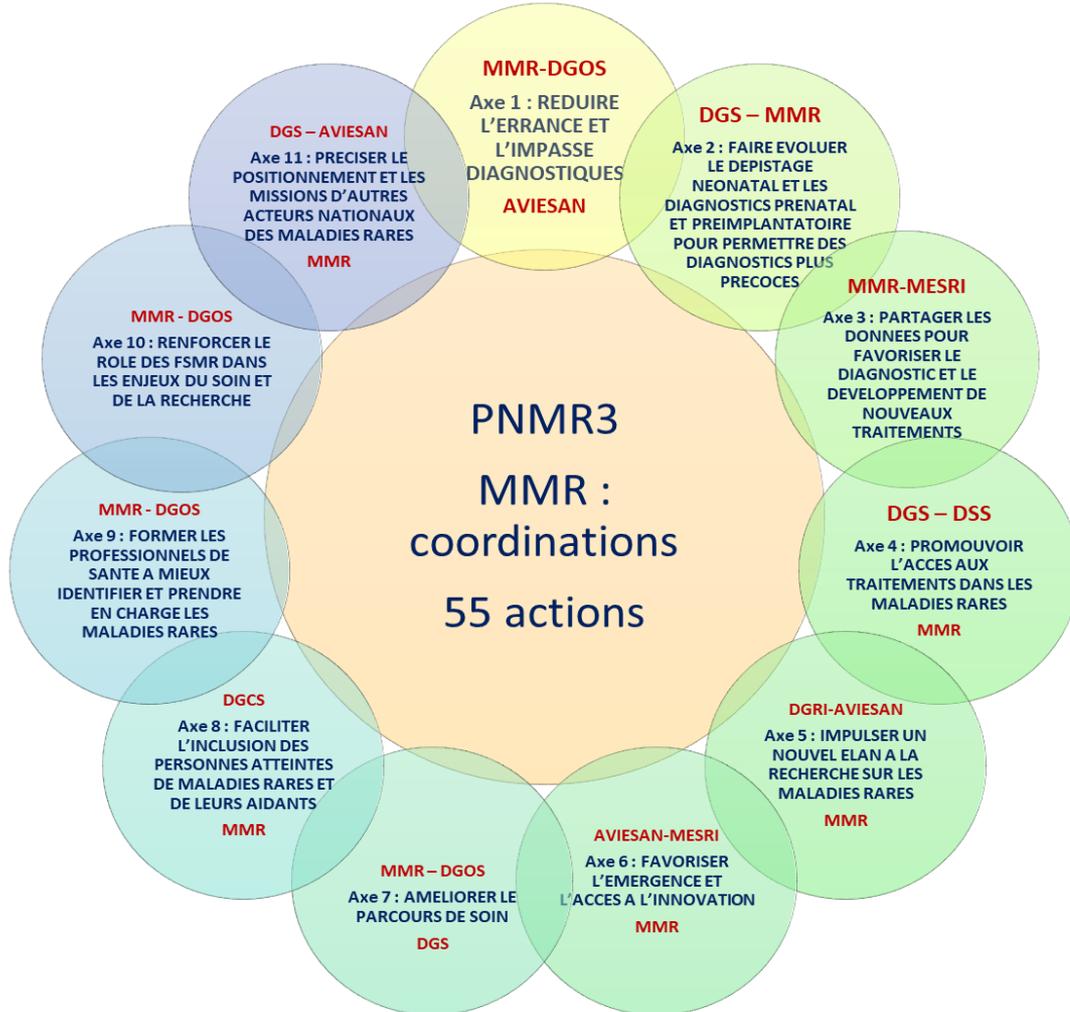
Place des parties prenantes et des associations dans le soin et dans la recherche pour une efficacité des parcours :

- **Articulation entre l'organisation des soins, la production de connaissances et le retour vers le patient construisent un cercle vertueux :**
AAP PNDS, AAP ETP, journées d'information Maladies Rares,...
- Structuration en centres de référence et en filières organise l'**accès aux soins et à l'expertise pour tous** : gouvernance des FSMR avec les associations, plateformes d'expertise maladies rares sur les territoires, formation initiale et continue des professionnels avec tous les acteurs,...
- **Innovations thérapeutiques et de nouvelles stratégies de prise en charge dans la recherche et dans le soin, recherche participative** : en amont des registres, construction des endpoints pour les essais cliniques, retour des résultats de la recherche, la prise en compte du qualitatif en intégrant la parole des personnes malades

Des ressources nationales et européennes pour les maladies rares

- **473 centres de référence et de ressources et de compétences (MUCO, SLA, Maladies Hémorragiques) et plus de 1800 centres de compétence ;**
- **23 filières de santé (FSMR) avec des missions accrues ;**
- **24 réseaux européens de référence (ERN) ;**
- **Plus de 220 associations de personnes malades.**





Perspectives de la labellisation des CRM/CCMR/CRC :

Des enjeux identifiés pour une réponse adaptée avec les filières de santé maladies rares, les centres de référence maladies rares, les associations de patients et les plateformes d'expertise maladies rares

**Rendre les
parcours
du
diagnostic
+ lisibles
pour les
personnes
malades et
leurs
aidants**



**Soutenir les
parcours
maladies
rares de
proximité**



**Personne
malade et
aidant :
Être acteur
de son
parcours de
soin, de vie
et de
recherche**



Missions des 19 plateformes d'expertise maladies rares

Actions menées par les plateformes d'expertise sur l'année 2021

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

FOCUS
10.6

Encourager les établissements de santé à mettre en place des plateformes d'expertise maladies rares pour renforcer l'articulation inter-filières au sein des établissements siège de plusieurs centres labellisés

2020
2021

MALADIES RARES sur les TERRITOIRES



Labellisation DGOS

- 2020 : 10 PEMR

- 2021 : 9 PEMR

Outre-mer

4 plateformes de coordination

- Martinique
- Guadeloupe
- Réunion
- Guyane

Le rôle des associations représentant les patients dans la relabellisation des centres de référence maladies rares

- Information et formation des familles : droits sociaux, choix thérapeutiques, choix de vie...
 - Récolte d'informations auprès des familles et transmission aux cliniciens et aux chercheurs
 - Participation aux comités d'éthique qui revoient les projets de recherche et les essais cliniques, aux décisions de compensation et d'aides sociales en MDPH etc...
 - Soutien financier et participation aux projets de recherche, à la création et gestion des bases de données, aux essais cliniques du consentement au recrutement des malades et à la dissémination de l'information.
-

Financement par Missions d'Intérêt Général (MIG) dédiées aux maladies rares chaque année



- Le troisième plan national maladies rares 2018-2022 (PNMR 3) est financé à hauteur de 147,6M€/an sur la durée du plan. Depuis le Ségur de la santé, la plan est revalorisé à partir de 2021 à 159,8M€/an : cette enveloppe regroupe 8 MIG dédiées

130,4M€

Soutien aux centres de référence
(4 MIG)

- Une MIG « générale » (F04) pour l'ensemble des CRMR (hors 3 filières)
- Trois MIG spécifiques pour 3 filières dédiées (F05, F06, F07) : Maladies hémorragiques constitutionnelles (MHEMO), Mucoviscidose (Muco), Sclérose Latérale Amyotrophique et Maladies du Neurone Moteur (FiSLAN)
- 473 centres financés : 388 CRMR (coordonnateurs / constitutifs) + 85 CRC

→ 1^{ère} circulaire budgétaire

13,9M€

Soutien aux filières de santé maladies
rares (1MIG)

- 1 MIG dédiée (F17) : les filières de santé maladies rares coordonnent des CRMR, des professionnels de santé, des laboratoires, des structures éducatives, sociales, médico-sociales, des associations, etc.
- Objectif du PNMR 3 : renforcer les filières dans les enjeux de soin et de recherche
- 23 filières de santé maladies rares relabellisées en juin 2019

→ 1^{ère} et 2^{ème} circulaires budgétaires

18,2M€

Soutien aux actions et AAP du PNMR 3
(3 MIG)

- 1 MIG « plateformes d'expertise maladies rares » (F21): création de 19 plateformes d'expertise MR et 4 plateformes de coordination Outre-mer (2,3M€)
- 1 MIG Base de données maladies rares (F22): Banque Nationale de Données Maladies Rares, mise en place de la BaMaRa, module DPI, projet « registre patients en impasse de diagnostic », observatoire des traitements (6,3M€)
- 1 MIG « Appui à l'expertise (F23) : financement des PNDS, programmes ETP, formation, ERN, outils de RCP (6,6M€)

→ principalement 2^{ème} et 3^{ème} circulaires budgétaires

Rappel du calendrier pour la labellisation des CRMR / CCMR / CRC

Mai 2021.

- Lancement des consultations (FSMR, CRMR, GT restreint de suivi du PNMR3)
- Retour sur la précédente labellisation

Fin juin 2021 début septembre.

- Echanges avec le CSL
- Avec les FSMR lors des entretiens
- Avec les DH.

Mi-Mai 2022

- Publication de l'AAP labellisation CCMR/CRMR/CRC

Début mars 2023

- Désignation des CCMR/CRMR/CRC pour un financement en C1 2023

Septembre 2021 – Mars 2022 : prévoir réglementairement l'AAP de labellisation CCMR/CRMR/CRC.

- Construction du projet d'AAP par les parties prenantes

Mi-octobre 2022

- Retour de l'AAP
- Désignation des experts et des membres du jury de labellisation

Novembre 2022 – janvier 2023

Relecture des projets + Jury

Méthodologie de construction de l'appel à projets pour la labellisation des CRMR / CCMR / CRC



→ Réunion collaborative du CSL tous les jeudi à 13h pour rédaction de l'AAP (critères, jury, etc.)

→ Validation interministérielle de l'AAP par DGOS et DGRI



→ Proposition de rédaction d'un décret pour ancrage juridique des centres et des FSMR (discussion en cours avec la DAJ)

→ Les arrêtés de labellisation se baseront sur ce décret



→ Travail sur une plateforme en ligne pour le dépôt des dossiers (simplification des transmissions)

→ Mise en ligne d'une foire aux questions (FAQ)

→ Document d'accompagnement à la labellisation réalisé avec la BNDMR (envoi cette semaine)

Modalités de chargement

Pour l'année 2021, les données de BaMaRa font foi et sont non-modifiables

Les données d'activité 2021 peuvent saisies jusqu'au 30 avril 2022

La **modélisation financière**, qui s'appuie sur les nouveaux items, sera **réalisée en fin d'année**.

Les difficultés propres à certains centres seront prises en compte : toutes les données collectées serviront dans la modélisation financière

- Pour mémoire, 60% de cette modélisation repose sur les données BaMaRa (30% sur la file active, 12,5% sur les consultations, 12,5% sur les séjours, et 5% sur les avis)

Cette année étant la première dans ce format, un **plancher égal à 50% de la file active déclarée dans Piramig en 2020 s'appliquera pour les centres en difficulté** (saisie < 50% de la file active 2020)

Les données correctement saisies dans le DPI avant le 30 avril mais dont l'intégration technique dans BaMaRa n'aura été possible qu'après **seront comptabilisées**

Rôle et mission des centres de référence (CRMR, CCMR, CRC)

EDL *vus avec PEMR Paris Centre* : <https://www.legifrance.gouv.fr/download/pdf/circ?id=44024>

Un CRMR doit assurer l'ensemble des 5 missions :

- **Recours** : CS et/ou HDJ, programmes ETP ;
- **Recherche** : activités d'investigation PI ou participant à des projets de recherche en lien direct avec le domaine d'expertise du CRMR, publications en lien avec le domaine (*présenter uniquement les 10 ou 15 meilleures publications*) + **projets de recherche (clinique, fondamentale, SHS...) financés au cours des 5 dernières années + SIGREC + Entre 2017 et 2022, un CRMR coordonnateur doit comptabiliser au moins 3 publications avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur et un CRMR constitutif doit comptabiliser au moins 2 publications avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur ;**
- **Expertise** : élaboration de guides de bonnes pratiques, PNDS, groupes de travail nationaux, européens, internationaux et saisie des données dans BaMaRa ;
- **Mission d'enseignement et de formation** : enseignement DU ou DIU, DPC, **les formations qualifiantes universitaires, publication de livres (nouveau, dernier CSL) ;**
- **Coordination** : mise en place et animation d'un réseau de soins, organisation de la prise en charge médico-sociale par le site coordonnateur : communication, élaboration et mise en œuvre d'un plan d'action et les liens avec la filière de santé de rattachement avec les sites constitutifs, actions réalisées avec les associations de malades : **une stratégie en mode « projet »**

Rappel des critères de labellisation

- **Chaque CRMR doit avoir une filière de santé maladies rares de rattachement** : avis **indispensable et motivé** de la FSMR dans le dossier ; **Le contexte a évolué par rapport à la précédente labellisation, tous les centres de référence sont rattachés à une FSMR ;**
- **Chaque CRMR s'appuie sur une organisation territoriale (cartographie)**. La réflexion autour du maillage territorial est conduite en lien avec la filière de santé maladies rares de rattachement du CRMR, et l'hôpital de rattachement à travers le soutien de la plateforme d'expertise maladies rares et l'implication des chefferies de service.

Centres	Coordonnateur	Constitutif	Compétence
File active	150	75	25
CS et/ou HDJ	300	150	
PI projet de recherche clinique ou fondamentale	2	1	

Un centre de compétence est encouragé à **participer à l'enseignement et à la formation et à la recherche pour les maladies rares relevant de son périmètre + remplissage obligatoire comme les CRMR de BaMaRa** (soutien PEMR, FSMR, CRMR,...).

Laboratoires, imagerie médicale : comme lors de la précédente labellisation, distinguer l'activité de laboratoire et de soin : la labellisation des sites MR ne concerne pas les laboratoires de diagnostic qui ont leurs propres financements et labellisation, c'est le cas également pour l'imagerie médicale.;

Rappel des critères de labellisation

Conditions à remplir pour être coordonnateur d'un CRMR, responsable d'un site constitutif ou d'un centre de compétence :

Les professionnels qui souhaitent occuper ces fonctions doivent répondre aux conditions suivantes :

- Etre PUPH, MCU-PH ou PH tps plein ;
- Pour les professeurs consultants **après 65 ans** : conserver une activité clinique au sein du sein CRMR ;
- Pour les professeurs consultants **après 68 ans** : pas de possibilité de poursuivre leur activité de coordonnateur.

Critères d'âge ont changé / départ à la retraite.

Le responsable doit préparer son éventuelle succession et l'évoquer dans le dossier de labellisation.

Le responsable est désigné pour 5 ans soit une période équivalente à celle de la labellisation du CRMR.

Questions concernant la relabellisation en mai 2022 (remontées de questions via la PEMR AuRA)

- ❖ **Doit-on s'attendre à de gros changements des critères par rapport au dossier de 2017 ?** Non pas de gros changement ;
- ❖ **Les centres multi-sites seront-ils autorisés ?** Non ;
- ❖ **Y compris si au sein d'un même CHU? Quid des centres pédiatres et adultes ?** Un CRMR avec une valence enfant et un adulte sur un même site pourrait avoir un soutien renforcé (modélisations de modèles de projection par la MMR pour la C1 2023) ;
- ❖ **Les files actives minimum resteront-elles les mêmes pour chaque type de centres ?** Oui acté avec le comité de suivi de la labellisation du PNMR3 ;
- ❖ **Peut-on souhaiter se labelliser sur un besoin régional/géographique ?** Le comité de suivi de la labellisation a rappelé l'importance pour la FSMR, les CRMR, les PEMR de s'impliquer dans les projets des CCMR/CRMR/CRC avec une vision élargie sur des zones non couvertes :

« En ce qui concerne les zones isolées, le comité a estimé qu'il était important de voir quel investissement les centres mettent à profit de ces zones (peut-être pour cela, voir avec le PEMR locales). »

CSL Juin 2021

Focus Regroupements territoriaux

Explication de cette interdiction

Rappel des principes de la labellisation :

- Financement des **établissements**, et non des réseaux de soin territoriaux
- Reconnaissance d'une **expertise** basée sur une file active minimale, points SIGAPS etc.
- Équité

Raisons techniques et réglementaires :

- Le responsable de traitement des données est l'établissement labellisé, avec lequel l'APHP a contractualisé (conventions)
- Sécurité et confidentialité : données cloisonnées à un établissement = pas de partage du dossier patient, ni de BaMaRa
- Gestion des habilitations des utilisateurs par établissement
- *Slide de la BNDMR présentée au COPIL des FSMR le 25 janvier 2022*

Questions concernant la relabellisation en mai 2022 (remontées de questions via la PEMR Paris Nord)

- ❖ Conditions du responsable/coordonnateur médical : pas de statut « contractuel » ;
- ❖ Concernant les nouvelles candidatures :
- ❖ ***Certains services souhaitent candidater pour une maladie extrêmement rare :***
 - ❖ Si non représentée dans certains centres de compétence/référence : quand même possible de candidater ? regroupement possible dans un centre / filière ?
 - Si la file active est < 25 patients en raison de « l'extrême rareté » : possible d'être labellisé ou pas ? **Non, regroupement à envisager avec plusieurs maladies**
 - Possibilité d'intégrer les cancers rares ? **Uniquement maladies rares (pas de cancers rares ni de maladies infectieuses rares, ni candidature de laboratoires de diagnostic)**

Questions concernant la relabellisation en mai 2022 (remontées de questions via la PEMR Paris Nord)

- ❖ Harmonisation sur le codage : avis en salle : 1/j ou 1/hospitalisation ? **Un professionnel de santé délivre un avis sur le cas d'un patient qu'il voit en salle en dehors de son propre service, le principe repose sur 1 hospitalisation / 1 codage quel que soit le nombre de jours d'hospitalisation ;**
- ❖ A valider : possibilité de saisir les données patients de 2021 jusqu'à la fin du 1er semestre 2022 (avant la campagne PIRAMIG) **30 avril 2022 ;**
- ❖ Consignes sur le codage : saisir uniquement sur le DPI quand c'est possible mais vérifier avec les DSI de l'établissement si transmission correcte de la fiche MR dans BaMaRa. Sinon toujours possible de rentrer les données en mode autonome directement sur BaMaRa. La reprise ensuite via la fiche maladies rares n'écrase pas les données rentrées en mode autonome précédemment.
- ❖ 1 seul centre constitutif sur 1 même thématique (1 même filière) ? sur 1 même GHU ? par région ? ou à l'échelle nationale ? **Pas 1 centre sur du multi-site, 1 CRMR par établissement.**

Questions concernant la relabellisation en mai 2022 (remontées de questions via la PEMR Paris Nord)

- ❖ 1 seul centre constitutif sur 1 catégorie d'âge sur 1 même filière ? + question de la transition enfant-adulte : dépend de la « politique » aussi de la FSMR. A voir en interne. Sur le principe toujours 1 seul CRMR sur 1 établissement. Si la thématique enfants et adultes pour un même groupe de maladies rares existe = réflexion en cours pour valoriser le centre de référence sur le même établissement un peu +++ comme la MUCO afin que les deux tranches enfants et adultes bénéficient de moyens humains pour assurer la coordination, il faut pour cela que les deux services enfants-adultes soient bien distincts (pas le même service).
- ❖ Quid sur la relabellisation des CMR qui n'ont pas répondu aux missions requises à la saisie : pour les CCMR et CRMR ? Un des critères « obligatoire » est lié à l'activité remontée de BaMaRa vers PIRAMIG ;
- ❖ Est-ce que les données sur BaMaRa seront récupérées pour vérifier la file active des centres de référence et compétence ? OUI
- ❖ Possibilité de renommer un centre constitutif en intégrant 2 services ? Oui, mais un seul responsable ;

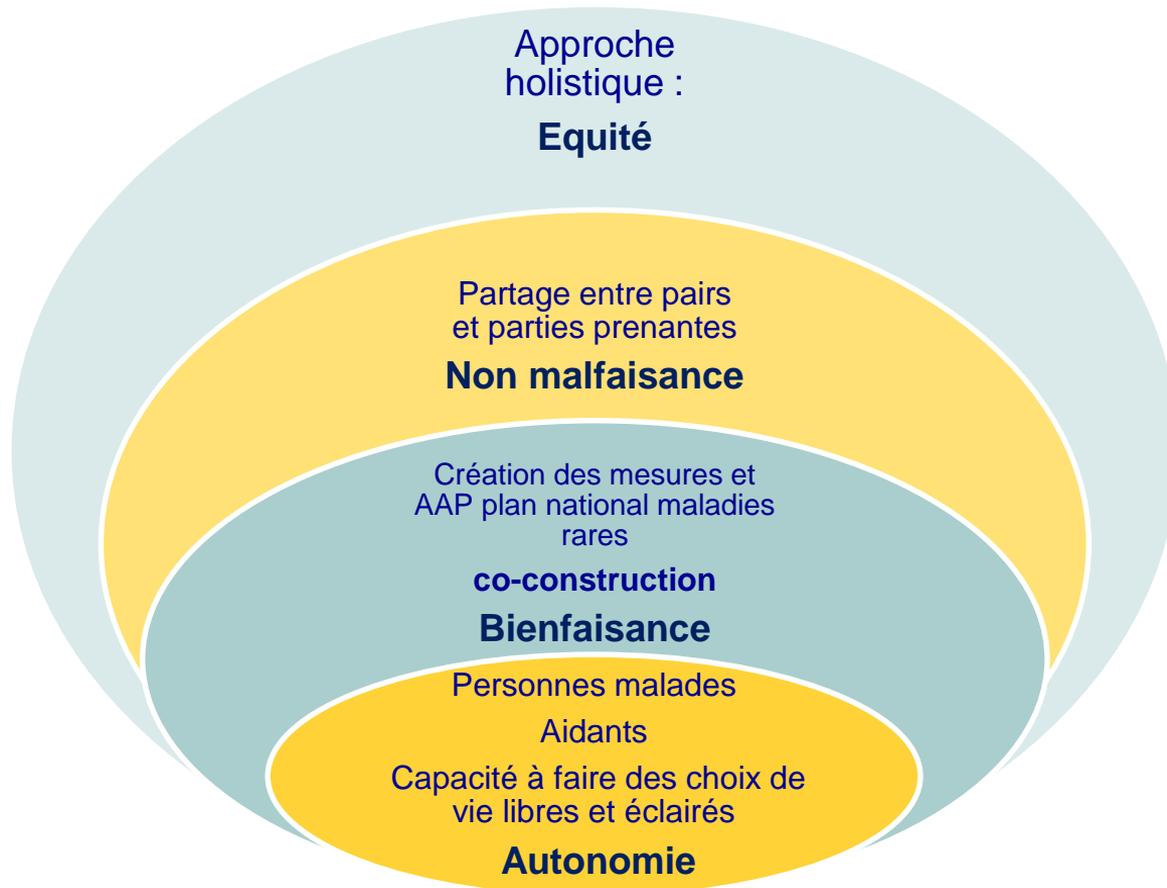
Questions concernant la relabellisation en mai 2022 (remontées de questions via la PEMR Paris Nord)

- ❖ Possibilité de créer un centre constitutif bi-site sur des différentes pathologies (concernant 2 filières) : **pas de centre sur multi-site ni inter-FSMR ;**
- ❖ Un centre de compétence souhaitant candidater à un centre constitutif mais non retenu : est ce qu'il perd toutes les labellisations ou maintenu à compétence ? **À priori maintenu en CCMR comme en 2017 ;**
- ❖ Un centre de compétence souhaitant candidater à un centre constitutif, en remplissant toutes les conditions sauf au niveau des missions d'enseignement : pas DU/DIU, mais participe à des journées d'enseignement, congrès, formation, mémoires DES ? Est-ce équivalent ? **DU/DIU pas obligatoire, mais participera au financement de la part variable (2%) en revanche attention à la valence recherche**
- ❖ Un centre en cours de rédaction de PNDP ou montage ETP pris en compte dans le montage de dossier de relabellisation ? **Montre l'implication du centre, le jury y sera sensible ;**
- ❖ A quoi correspond le critère « mission de coordination », mise en place et animation d'un réseau de soins et organisation de la prise en charge : RCP ou autre ? mise en place et animation d'un réseau de soins, organisation de la prise en charge médico-sociale par le site coordonnateur : **communication, élaboration et mise en œuvre d'un plan d'action en concertation avec l'établissement et en lien étroit avec la filière de santé maladies rares de rattachement (les sites constitutifs participent aussi à cette mission, actions réalisées avec les associations de malades)**

Conclusion
le fondement
du
processus de
création du
plan national
maladies
rares



la place
centrale de la
personne
malade et de
ses aidants



MERCI

