

**DOCUMENT D'AIDE À
L'ÉLABORATION D'UN PNDS**
Inspiré du guide de la HAS

À destination des centres Maladies Rares



BRAIN-TEAM

Filière Nationale de Santé
Maladies rares du système nerveux central



L'objectif du PNDS est de décrire la prise en charge de référence d'un patient : expliciter le diagnostic, la prise en charge thérapeutique optimale, le parcours de soin. Il vise à optimiser et harmoniser la prise en charge et le suivi des patients sur l'ensemble du territoire et est un document de référence pour le médecin traitant.



**Appel à projet
DGOS**



**Cadrage du
projet**



**Accompagnement
BRAIN-TEAM**



**Rédaction de
l'argumentaire
scientifique**

**Rédaction
du PNDS**



**Finalisation du
PNDS**



**Diffusion du
PNDS**



[Liste des PNDS de la filière BRAIN-TEAM](#)





01 Méthodologie de rédaction des dossiers (Phase 01)

Le dossier est composé de **4 éléments** :

- lettre d'intention des CRMR rattachés à la FSMR, chacune signée du responsable légal de l'établissement de santé du porteur de projet
- CV au format court du porteur du projet ainsi qu'une déclaration publique d'intérêt dûment complétée
- Avis argumenté de la filière
- Avis des associations de patients concernant le caractère prioritaire d'un projet présenté

02 Modalités de sélection des projets

Toutes les maladies rares et tous les centres de référence sont concernés par les appels à projet DGOS. La **prévalence** de la maladie, sa **gravité** ou le **nombre de spécialités** médicales **utilisées régulièrement hors autorisation de mise sur le marché (AMM)** associés sont des exemples de critères utiles à la priorisation des projets.

03 Modalités de suivi administratif (Phases 2 et 3)

La **production du PNDS** doit s'effectuer **dans les 14 mois** suivant la décision ayant retenu le projet. Le PNDS sera considéré comme terminé lorsqu'il est **publié sur le site de la HAS**.

04 Financement des projets

- 30 000 € pour la rédaction d'un nouveau PNDS
- 15 000 € pour l'actualisation d'un PNDS existant

Le versement de la 1^{ère} tranche de financement (50 % de l'enveloppe) concerne la réalisation de la phase 1, le reste du financement interviendra suite à la diffusion du PNDS sur le site de la HAS (Phase 3).



En 2019, pour l'ensemble des CRMR français, 178 PNDS ont été financés (150 nouveaux PNDS, 28 actualisation de PNDS existant). En 2020, 98 PNDS ont obtenu un financement (88 nouveaux PNDS, 10 actualisation de PNDS existant).



La première étape constitue à l'**identification du CRMR** et d'un ou deux **coordonnateur(s)** au sein du CRMR/CCMR (dont au moins un membre du CRMR).



Le(s) coordonnateur(s) détermine(nt) le **champ du PNDS** (maladie, groupe de maladies, population, etc.) et les éléments nécessitant une recherche bibliographique spécifique.

Le(s) coordonnateur(s) **désigne(nt) 1 à 5 rédacteurs** du PNDS (ou plus si maladie multi-organes) et **définisse(nt) la composition du groupe de travail multidisciplinaire** :



- **7 à 15 professionnels représentatifs de l'ensemble du territoire**, différents du coordonnateur et des rédacteurs, qui interviennent dans la prise en charge du patient (médicaux/paramédicaux/sociaux, membres du CRMR/CCMR, libéraux ou hospitaliers)
- **Avis impératif d'un médecin généraliste** (ou pédiatre) de ville (recueil par courrier possible)
- **Représentants d'associations de patients** (à défaut, patients ou entourage)



Définition des **modalités de diffusion**
(cf [diffusion du PNDS](#))



Etablissement du **calendrier prévisionnel**.



Envoi de la **déclaration d'intention** à la HAS.



Accompagnement BRAIN-TEAM



L'argumentaire scientifique est un document plus détaillé que le PNDS et sert de base à l'élaboration du PNDS.

Contenu de l'argumentaire scientifique :

Recommandations HAS pour l'analyse de la littérature :

Informations sur les modalités de réalisation du PNDS (méthode d'élaboration*, stratégie de recherche bibliographique, champ du PNDS, liste des participants, modalités de concertation du groupe de travail (+ contenu des discussions pour les propositions de prise en charge non consensuelles au sein du groupe de travail))

Analyse critique et synthèse (description du contenu des recommandations ou protocoles existants, éléments de prise en charge faisant l'objet d'une analyse critique, médicaments ou dispositifs hors AMM)

Arbre(s) décisionnel(s)

Liste des références bibliographiques

* sources consultées, période de recherche, langues retenues, mots clés utilisés, nombre d'études recensées et retenues pour chaque mots clés

1 Méthodologie de la stratégie de recherche documentaire

Délimitation générale de la stratégie : étendue du projet (nombre de référence à analyser), finalité du projet (pour qui ? pour quoi ?), choix des critères d'exclusion ou d'inclusion (langue, limitation sur les années de recherche)



Elaboration des stratégies :

identification des recommandations et consensus existants sur 10 ans, des revues de la littérature et méta-analyses sur 5 ans, des articles sur l'analyse de la décision médicale sur 5 ans

Tableau 1. Recensement de la source primaire					
Source	Objectif	Méthode de recherche	Stratégie de recherche	Qualité de la source	Relevance de la source
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance

* Pour un état de la recherche, bases de données, avec des critères

Tableau 2. Recensement de la littérature					
Source	Objectif	Méthode de recherche	Stratégie de recherche	Qualité de la source	Relevance de la source
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance

* Pour un état de la recherche, bases de données, avec des critères

Tableau 3. Synthèse critique					
Source	Objectif	Méthode de recherche	Stratégie de recherche	Qualité de la source	Relevance de la source
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance
Articles	Revue	Recherche	Recherche	Relevance	Relevance



Mises à jour périodiques tout au long du processus d'élaboration du PNDS et nécessité d'interroger plusieurs banques de données

2 Sélection des articles

Première sélection sur la qualité de la revue, l'accessibilité du document (coût/délais d'obtention), le type d'article, le titre de l'article (évocateur de l'intérêt de l'article), la présence ou non d'un résumé permettant la sélection de critères supplémentaires et définition des **critères de sélection** retenues pour l'analyse (à expliciter dans l'argumentaire) selon ces critères

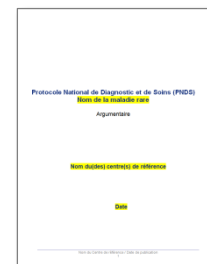
3 Analyse de la littérature

Il est possible d'utiliser des **grilles de lecture** comportant les **8 critères d'évaluation** suivants : objectif de l'étude, type de protocole utilisé, facteur étudié, critères de jugement, population source et sujets étudiés, facteurs de confusion potentiels et biais, analyses statistiques, conclusions des auteurs

4 Report des résultats

Les articles retenus peuvent être consignés dans des **tableaux de synthèse** ([voir trame HAS](#))

L'**évidence scientifique** est **appréciée lors de la synthèse des résultats** des études sélectionnées et constitue la conclusion des tableaux de synthèse de la littérature.



Accompagnement
BRAIN-TEAM

L'équipe BRAIN-TEAM peut vous accompagner dans la recherche bibliographique et la construction de l'argumentaire scientifique. Nous avons à disposition une trame spécifique BRAIN-TEAM pour l'argumentaire scientifique.



Le rédacteur doit se baser sur :

les **protocoles** de prise en charge et les **recommandations** existants

les **études cliniques** retenues

sa **propre expérience**

La HAS propose [une trame](#) avec un sommaire et un format commenté, à faire évoluer en fonction du champ de la pathologie défini lors du cadrage.



Le PNDS doit comporter (10-20 pages) :

La synthèse à destination du médecin traitant
(publiée en document autonome sur le site de la HAS et du CRMR)



Penser à rédiger des *check-lists* précisant ce qu'il faut spécifier dans les demandes de prise en charge

Le texte du PNDS

Introduction (définition, étiologie, données incidence/prévalence,...)

Objectifs du PNDS (le dernier paragraphe indique le lien sur le site du CRMR sur lequel l'argumentaire scientifique, le PNDS et les DPI sont publiés).

Description des différentes étapes de prise en charge diagnostique et thérapeutique (objectifs principaux, professionnels impliqués et modalités de coordination, contenu de la prise en charge,...)



Si approprié au champ du PNDS, penser à rédiger des paragraphes sur : l'éducation thérapeutique, la transition enfant-adulte

Arbres décisionnels en vue du diagnostic biologique/génétique

Annexes : liste des participants, coordonnées CR/CC et associations de patients, références bibliographiques



Accompagnement BRAIN-TEAM

Spécificité de la filière BRAIN-TEAM : **le volet médico-social**

But : regrouper de manière synthétique les recommandations médico-sociales pour la pathologie décrite dans le PNDS, sous forme d'une feuille A4 afin de pouvoir être publié en tant que document autonome.

L'équipe BRAIN-TEAM met à disposition une trame spécifique BRAIN-TEAM pour le texte du PNDS (avec ou non le volet médico-social selon la pertinence pour la pathologie).



Discussion et concertation du groupe de travail :



Objectif : Discussion des propositions, validation sinon accord sur de nouvelles propositions de prise en charge. En l'absence de consensus sur des propositions de prise en charge, le contenu des discussions et les positions divergentes devront apparaître dans l'argumentaire scientifique.



Modalités : une ou plusieurs réunions animée(s) par le(s) coordonnateur(s) (réunion physique ou par visioconférence ou par e-meeting), possibilité de recueil par courrier, avant la réunion, de l'avis d'un expert qui ne pourrait pas être présent.



Avis impératif d'un médecin généraliste (ou pédiatre) de ville (recueil par courrier possible)



Accompagnement
BRAIN-TEAM

L'équipe BRAIN-TEAM peut vous accompagner via une aide logistique dans l'organisation des réunions (physiques ou visioconférences) et la réalisation de questionnaires en ligne.

Finalisation du PNDS et de son argumentaire :

Suite aux discussions avec le groupe de travail, le(s) coordonnateur(s) et rédacteur(s) intègre(nt) les modifications proposées par le groupe de travail et, s'il y a lieu, ajoute(nt) dans l'argumentaire scientifique, le contenu des discussions pour les propositions de prise en charge non consensuelles au sein du groupe de travail.

Il est possible d'évaluer la procédure et la qualité des documents rédigés en utilisant la « [grille d'évaluation de la qualité méthodologique d'un PNDS](#) » (annexe 1 du [guide méthodologique de la HAS](#))



Tous les participants à l'élaboration du PNDS (coordonnateur(s), rédacteurs, membres du groupe de travail multidisciplinaire) **doivent remplir une déclaration d'intérêts** (formulaire disponible en ligne sur le site de la HAS).



Accompagnement
BRAIN-TEAM

L'équipe BRAIN-TEAM peut vous aider dans le recueil des déclarations publiques d'intérêts (DPI).



Envoi des documents à la HAS (texte, argumentaire scientifique et DPI)



Accompagnement BRAIN-TEAM

BRAIN-TEAM s'en occupe pour vous.



Le **PNDS**, l'**argumentaire scientifique** et la **synthèse à destination du médecin traitant** sont mis en ligne sur le site de la HAS, sur le site du centre de référence et sur le site de la filière de référence.



Le volet médico-social du PNDS peut être inclus dans le texte du PNDS mis en ligne sur le site de la HAS et est aussi mis en ligne comme document autonome sur le site du centre de référence.



Les **déclarations publiques d'intérêts** sont mises en ligne sur le **site internet du centre de référence** et de la filière.

Le **centre de référence doit informer les partenaires professionnels** (CCMR et autres centres concernés, membres du groupe de travail, collègues de bonne pratique ou sociétés savantes), **les associations de patients** et les **partenaires institutionnels** (Orphanet, Caisses d'Assurance Maladie, Ministère de la Santé).



Autres possibilités de diffusion : publication dans des revues, présentation dans des congrès, traduction et diffusion en anglais, ...



Une actualisation du PNDS est à évaluer, de préférence tous les 5 ans en fonction de la veille scientifique et réglementaire. L'actualisation se fait selon le même processus d'élaboration que pour la première version est obligatoire.



19 PNDS publiés

Atrophie Multisystématisée (Novembre 2015)

CADASIL (Juillet 2011)

Maladie et syndrome de Moyamoya (Août 2016)

Syndrome Gilles de la Tourette (Octobre 2016 et actualité en juillet 2022)

Syndrome de Allan Herndon-Dudley (Juin 2020)

Sclérose en plaques de l'enfant (Juillet 2016 et actualisé en avril 2019)

Narcolepsie de type 1 et 2 (mars 2021)

Maladies du spectre de la neuromyérite optique (Mars 2021)

Atrophie optique dominante OPA1 (Juillet 2021)

Thrombose veineuse cérébrale de l'enfant (octobre 2021)

Maladie de Huntington (actualisation octobre 2021)

Adrénoleucodystrophie liée à l'X (octobre 2021)

Ataxie de Friedreich (octobre 2021)

Syndrome de Kleine-Levin (Octobre 2021)

Aphasie Primaire Progressive (Janvier 2022)

Encéphalite auto-immune à anticorps anti-NMDAr (Janvier 2022)

Neurodégénérescence avec accumulation intracérébrale de fer (NBIA) (Avril 2022)

Le spectre des maladies à anticorps anti-MOG (Novembre 2022)

Paralysie Supranucléaire Progressive et Syndrome Corticobasal (Décembre 2022)

6 PNDS en cours de rédaction

Leucodystrophie métachromatique

Paraparésies spastiques pures

Démence fronto-temporale

Narcolepsies avec ou sans cataplexie

Ataxie télangiectasie

Atrophie multisystématisée (actualisation)





Protocolles
Nationaux de
Diagnostics et de
Soins

