



MINISTÈRE DES SOLIDARITÉS ET DE LA SANTÉ

*Liberté
Égalité
Fraternité*



Relabellisation des CRMR/CCMR & Avenir du PNMR3

Anne-Sophie Lapointe (PhD)

Mission maladies rares

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

Les Plans Nationaux Maladies Rares : une décision nationale politique

- Le 1er plan a dessiné le paysage national en créant le réseau des centres de référence sur les maladies rares. Ce maillage territorial a beaucoup amélioré l'accès aux soins et la prise en charge des malades.
- C'est en outre un instrument puissant pour la recherche médicale et la formation des soignants.
- Le premier plan a également promu **Orphanet** :
 - créé en France en 1997 à l'initiative de l'Inserm et la DGS et soutenu dès 2001 par la Commission Européenne, comme le portail de référence pour l'ensemble de l'information sur les maladies rares
 - a permis de développer l'information pour le grand public et pour les services d'urgence.



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

Des efforts de structuration et de coordination encore nécessaires.

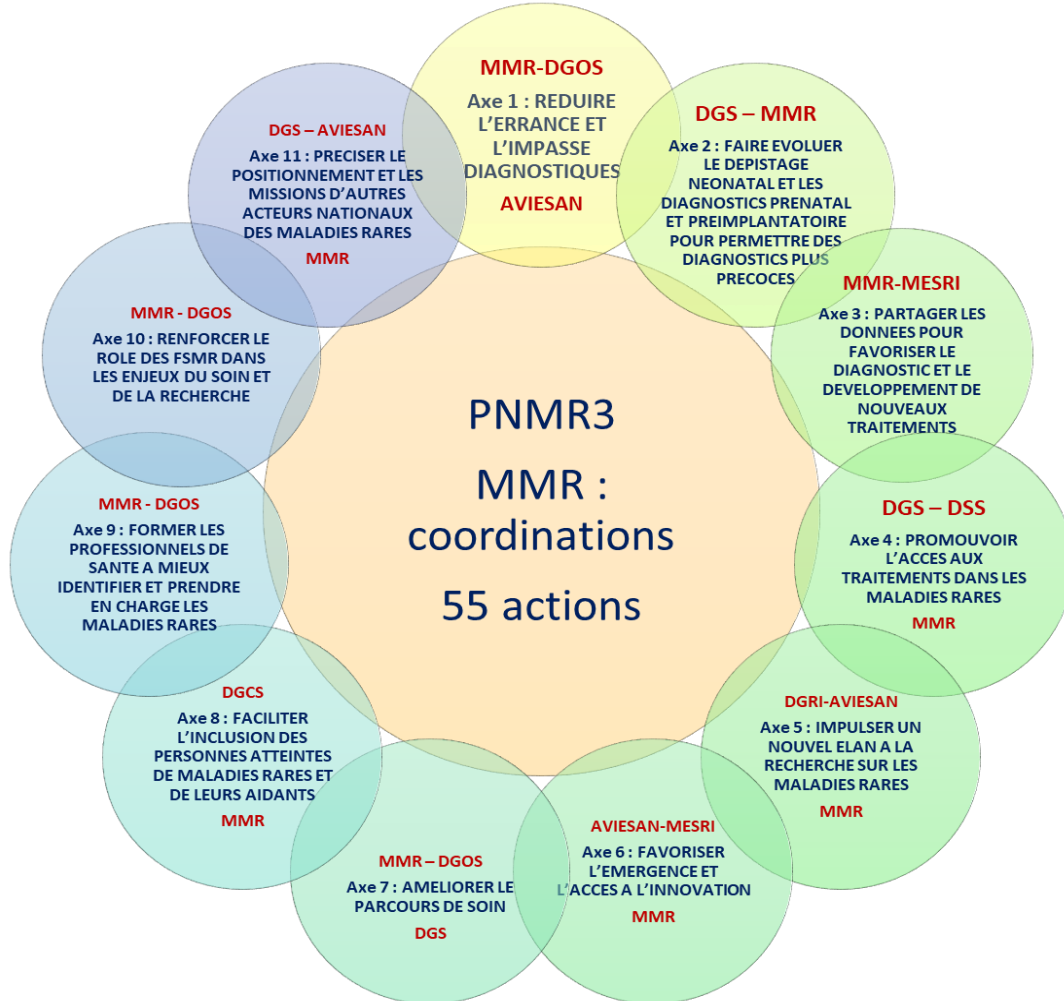
Des défis spécifiques en termes de recherche.

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 efficience 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 continu 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 l'après PNMR3 :

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

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

Amont
du diagnostic

Axe 1, 2, 3, 7 et 9
PNMR3

- Diagnostiquer plus tôt : orienter plus vite vers les CRMR/CRC/CCMR, renforcer le lien PNMR3-PFMG;
- Harmoniser les parcours : protocoles nationaux de diagnostic et de soins (+ 300 PNDS avec 2 AAP), RCP, Observatoire du diagnostic : recenser les patients en impasse de diagnostic (Base de données dynamique avec la BNDMR);
- Formation initiale et continue : **Former les professionnels de santé** à mieux identifier et prendre en charge les maladies rares.

Aval
du diagnostic

Axe 4, 5, 6, 7, 10
PNMR3

- Information sur la maladie rare diagnostiquée;
- Anticipation des situations à risque : **problématique des urgences**;
- Accompagner le développement de thérapies innovantes et de repositionnement de traitements : **observatoire des traitements / réduction des mésusages**;
- Impulser un nouvel élan à la **recherche** sur les maladies rares;
- Favoriser l'émergence de l'**innovation** et son transfert.



Soutenir
les
Parcours
maladies
rares de
proximité

Équité
territoriale
Axe 7, Axe 10

- AAP Plateformes d'expertise maladies rares
- 19 plateformes d'expertise maladies rares en métropole et 4 sur les territoires ultra marin.
- Soutien aux CCMR (par les filières de santé maladies rares, les PEMR,...)
- Projets pilotes maladies rares en région (ex. DNN SMA) : rôle moteur de l'ARS Grand Est avec le CRM de Strasbourg + FILNEMUS
- AAP ETP : + 200 programmes et 50% en e-ETP / la crise a souligné l'importance d'outils à distance afin de garder un lien avec la personne malade et ses aidants.

Actions menées par les plateformes d'expertise sur l'année 2020

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

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

Une société
inclusive
Axe 8

- Scolarisation
- Travail
- Maladies rares et handicaps rares
- Articulation médico-social et santé
- Équité pour les personnes malades vs la société : parcours administratifs

La qualité de
vie
PNMR3

- Vision holistique de la personne malade
- Nommer la maladie et permettre une reconnaissance par l'entourage
- Changer les regards sur la maladie rare
- Réduire le fardeau de la maladie rare

Les patients
experts

- Créer du lien avec la recherche dont les SHS : ex. repérer des items en amont de la construction des registres + PROMS + PREMS
- Construire les programmes ETP, participer aux PNDS
- Participer à la gouvernance des filières de santé maladies rares, des plateformes d'expertise maladies rares, à la formation des médecins, professionnels de santé, paramédicaux

Le rôle des associations représentant les patients

- 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, le plan est revalorisé à partir de 2021 à 157,4M€/an
- Cette enveloppe regroupe 8 MIG dédiées

128,4M€

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^{ière} circulaire budgétaire

13,8M€

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^{ière} et 2^{ème} circulaires budgétaires

15,2M€

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

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

<https://www.legifrance.gouv.fr/download/pdf/circ?id=44024>

Un CRMR doit assurer l'ensemble des 5 missions (synthèse réalisée par la PEMR Paris Centre, merci+++):

- o **Recours** : CS et/ou HDJ, programmes ETP ;
- o **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*) + **projet(s) de recherche clinique ou fondamentale financé(s) au cours des 5 dernières années + publication (s) de livres (nouveau)** ;
- o **Expertise** : élaboration de guides de bonnes pratiques, PNDS, groupes de travail nationaux, européens, internationaux et saisie des données dans BaMaRa ;
- o **Mission d'enseignement et de formation** : enseignement DU ou DIU, DPC ;
- o **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 (les sites constitutifs participent à cette mission, actions réalisées avec les associations de malades).

Rappel des critères de labellisation

- Chaque CRMR doit avoir une filière de santé maladies rares de rattachement : avis obligatoire de la FSMR dans le dossier;
- 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 un nouvel acteur : la plateforme d'expertise maladies rares

	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 ou un CRC 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,...).

Rappel des critères de labellisation

L'établissement de santé accueillant un CRC s'engage à :

– faciliter tous les modes de prise en charge des personnes atteintes de maladies rares : hospitalisation complète, de jour ou à domicile, consultations, télémédecine ;

Pour les maladies hémorragiques constitutionnelles, la mucoviscidose et autres anomalies du CFTR et la sclérose latérale amyotrophique et autres maladies du neurone moteur, ces missions sont assurées par un centre de ressources et de compétences (CRC). Il assure une prise en charge de proximité 24h/24h et 7j/7j, justifiant un financement particulier et un effectif médical et paramédical minimal.

	CRC Muco	CRC MH	CRC SLA
File active	50	100	50
CS et/ou HDJ		150	

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 :

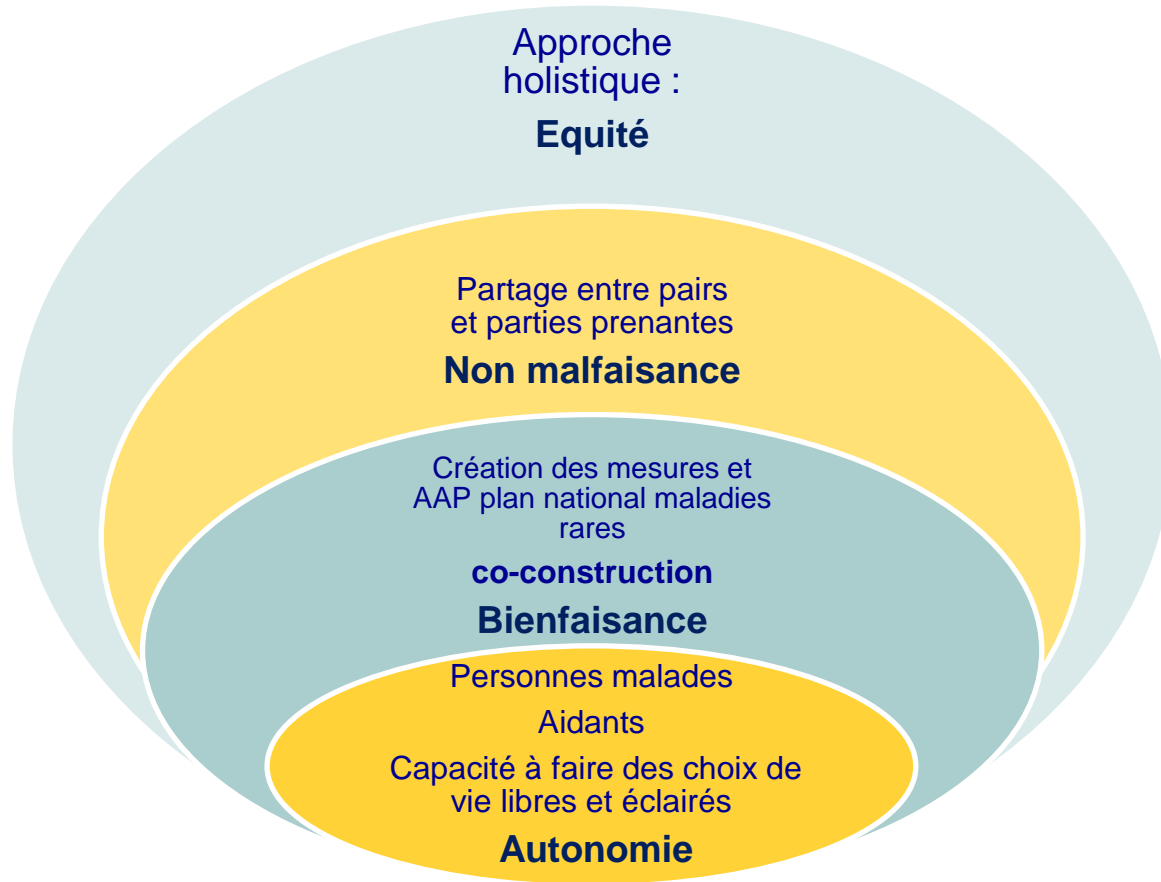
- Etre PUPH, MCU-PH ou PH tps plein
- Pour les professeurs consultants après 65 ans (activité autorisée par l'ARS) : conserver une activité clinique au sein du sein CRMR ;
- Pour les professeurs consultants après 68 ans : pas de possibilité de poursuivre leur activité de coordonnateur.

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 pédiat et adultes ?
Un CRMR enfant et un adulte sur un même site doit se justifier : ex. projet de transition enfants adultes entre les deux CRMR, publi, PI etc. selon les critères ;
- 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 a donc rappelé l'importance pour la FSMR de s'impliquer dans les projets des CCMR/CRMR/CRC :
« 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). »

Conclusion
le fondement
du
processus de
création du
plan national
maladies
rares
↓
la place
centrale de la
personne
malade et de
ses aidants



MERCI