CRMW

**COMPTE-RENDU REUNION FILIERE MHEMO**
**15 DECEMBRE 2016**
**Institut National de Transfusion Sanguine**
**6 rue Alexandre Cabanel 75015 PARIS**

**Etaient présents :** cf. Emargement ci-joint

**Etaient excusé(e)s :** cf. Emargement ci-joint

**-oOo-**

## 1. Plan d'action 2016 : retour du comité d'experts DGOS (C. NEGRIER et S. RINGENBACH)

Le comité d'experts de la DGOS a rendu son avis après étude du plan d'actions 2016. Le dossier est de bonne qualité et prend en compte les priorités nationales. Toutefois l'état des lieux est insuffisant. Il est demandé de le compléter pour juin 2017.
Le comité d'experts incite également à développer le travail inter-filières.
L'étude des actions proposées dans le plan d'actions 2016 a conduit à la validation de l'ensemble des actions, cependant les budgets demandés n'ont pas tous été accordés.
Il s'agit des actions suivantes :

- « Etat des lieux et mise à jour des PNDS » : le temps de secrétariat demandé est à prendre en charge sur la part fixe.
- « Evaluation de l'insertion socio-scolaire des enfants et l'insertion socio-professionnelle des adultes » : il est demandé de répondre à un appel à projet en sciences humaines et sociales de type Fondation Maladies Rares ou Fondation de France.
- « Recensement des laboratoires de diagnostics et de recherche » **:** le temps de secrétariat demandé est à prendre en charge sur la part fixe.
- **«** Organisation du transfert de RFC à l'AP-HM » : le transfert de RFC est déjà budgétisé par une autre dotation de la DGOS. La demande de financement par MHEMO n'est donc pas possible.

## 2. Présentation de la charte de fonctionnement de la filière MHEMO (C. NEGRIER)

Quelques extraits de la charte de fonctionnement de la filière ont été présentés. La version en date du mois de décembre 2016 est annexée au compte-rendu.

## 3. Etat d'avancement de l'action interopérabilité des bases de données et de l'intégration des données natives dans la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR) (S. VANDERZIEPE)

Il a été présenté un état des lieux des différentes bases de la filière (BNDMR, CRMW, Nhémo, RFC, Renapp).

Pr Claude NEGRIER
Groupement Hospitalier Est – Hôpital Cardiologique Louis Pradel
59 boulevard Pinel 69677 BRON CEDEX
Tél. : 04.72.11.88.22 – Télécopie : 04.72.11.88.17

Les bases RFC et CRMW dans leur état actuel ne peuvent pas envoyer de données à la BNDMR, par contre, Nhémo pourrait le faire. Concernant le projet de récupérer ponctuellement les données Nhémo dans la BNDMR, il n'y a pas d'objection de l'assemblée. Un nouveau registre pour les maladies plaquettaires devrait voir le jour afin de remplacer l'ancien Renapp.
Comme la BNDMR veut favoriser l'envoi des informations à partir des DPI (Dossier Patient Informatisé), une présentation des différents DPI des sites de la filière et une information sur les GHT (Groupement Hospitalier de Territoire) et leur système d'information ont été présentés.
L'instruction de la labellisation des Centres de Référence Maladies Rares fait référence à une obligation de renseignement du set minimal de la BNDMR, si ceci n'est pas appliqué il pourrait y avoir ainsi une sanction financière.
D'après le site internet de la BNDMR, l'ASIP santé doit publier un cadre d'interopérabilité pour les DPI, afin de permettre l'introduction d'une fiche Maladies Rares dans ceux-ci.

**4. FranceCoag : conditions du transfert et les perspectives 2017 (H. CHAMBOST)**

Le transfert a été acté, il a pour effet au 01/01/2017 avec signature de convention de transfert en décembre 2016 entre Santé Publique France et l'AP-HM, prévoyant l'accompagnement du transfert par Santé Publique France jusqu'au 30 juin 2017.

Les aspects réglementaires principaux ont été validés : l'enregistrement de la demande de transfert d'autorisation auprès de la CNIL autorise le démarrage à l'AP-HM, la conservation de la biothèque passive passera par un avenant à la convention entre EFS et Santé Publique France. Le marché de Tierce Maintenance Applicative est publié et le recueil des offres est en cours. Les conventions concernant les ARCs FranceCoag sont en cours d'établissement, les renouvellements de contrats étant prévus sans interruption pour Vincent DALIBARD et Yohan DEMAY.

Une convention entre l'AP-HM et la DGS doit être rédigée et signée avec éventuellement en annexe, la charte de fonctionnement de FranceCoag incluant la description du rôle des différentes agences.

Sur le plan technique, l'application webfc sera interrompue à partir de mi-janvier 2017. Chaque centre pourra reprendre l'ensemble des fonctions de webfc, seulement après la signature d'une convention entre son établissement et l'AP-HM. A cet égard, les hôpitaux sièges des centres FranceCoag recevront la convention type avec une lettre incitative de la DGOS.

En ce qui concerne l'équipe projet à l'AP-HM, Vanessa MILIEN a été promue comme Cheffe de Projet (1 ETP). Un ARC doit être recruté a priori au CHU de Bordeaux pour la remplacer dans cette fonction. Il est prévu de recruter un gestionnaire de base de données (1 ETP), un médecin épidémiologiste (0,5 ETP) et un statisticien (0,5 ETP).

Les perspectives sur 2017 sont :

- la continuité avec un changement de portage sans rupture,
- l'engagement de la réflexion sur la mise en œuvre du projet proposé à la DGS avec élargissement aux pathologies plaquettaires, redéfinition des registres et cohortes, optimisation de l'exhaustivité, possibilité d'auto-renseignements des données sur l'état de santé et qualité de vie, élargissement

des bases de financement avec redistribution et partenariats, optimisation de la valorisation par des appels à projets et des publications.

## 5. Site internet : présentation du projet (S. RINGENBACH - M. GINESTE)

L'arborescence du site internet développé par le comité de pilotage a été présentée.
En résumé, ce site se décompose en 2 parties :

- une partie en accès libre pour les patients, leurs familles et le grand public,
- une partie en accès connecté (par un mot de passe) réservée aux membres de la filière.

**Description succincte du site :**
**La page d'accueil** présentera

- **Une phase de bienvenue : Bienvenue sur le site de la filière MHEMO : Maladies Hémorragiques Constitutionnelles**
- Présentation succincte des 3 centres de référence,
- Les actualités de la filière MHEMO et un agenda avec les manifestations à venir,
- Une carte interactive des différents centres permettant de rechercher un centre de consultation par spécialité, un médecin, une pharmacie de rétrocession, un laboratoire, ou une antenne régionale de l'Association Française des Hémophiles.

**Le bandeau d'onglets** : L'accès aux différentes parties du site se fera par l'intermédiaire du bandeau d'onglets qui sont : La filière MHEMO, les pathologies, l'espace patient et famille, les traitements, la recherche, la formation, le diagnostic, la documentation.

**Les onglets** de **l'espace public** et ceux de **l'espace membres** seront les mêmes. L'espace membres comportera des sous-onglets supplémentaires offrant une information plus spécifique réservée aux professionnels de la filière.

Au cours de la présentation, des discussions ont eu lieu sur le contenu du site. Il a été convenu qu'il y aurait des liens avec les sites partenaires et notamment celui de l'AFH pour que les informations soient cohérentes et qu'elles se complètent. Pour éviter toutes redondances, il y aura des liens hypertextes avec les sites des partenaires. La question des réseaux sociaux a été abordée et la terminologie de certains documents mis en ligne (PDF) a été discutée.

Enfin, l'architecture proposée a été validée et le calendrier pour la conception du site a été présenté :

- Lancement de l'appel d'offre : décembre 2016
- Notification du marché : mars 2017
- Mise en production du site (production et approvisionnement des textes) : mai 2017
- Mise en ligne : juillet 2017

## 6. Etat des lieux des projets de la filière

### 6.1 Transition enfants/adultes (N. ROSSO)

- Etat des lieux des pratiques et des besoins concernant la transition Enfants-Adultes (objectif 1)

Action menées de mai à octobre 2016.

- Elaboration par la chef de projet de la filière MHEMO et les responsables de l'action d'un questionnaire à destination des centres de traitement.
- Proposition et validation de ce questionnaire aux membres du groupe de travail Transition.
- Envoi de ce questionnaire par la chef de projet aux différents centres de traitement (réponses attendues pour novembre 2016).

- Projet TRANSHEMO : Evaluation de la qualité de la transition des jeunes personnes vivant avec l'hémophilie et identification des déterminants d'une transition réussie chez les jeunes personnes vivant avec l'hémophilie (Objectifs 2 et 3).

**Actions réalisées :**

- Accord pour financement du projet TRANSHEMO, dans le cadre de l'appel à projets DGOS - PREPS 2015. Démarches administratives en vue d'obtention des accords légaux, élaboration des outils d'enquête.
- Sollicitation des investigateurs des différents centres de traitement pour participation au projet : accord de 29 centres / 34 sollicités (soit une file active de 556 patients éligibles pour l'enquête, 157 adolescents et 399 jeunes adultes).
- Obtention de l'autorisation de l'ANSM, soumission auprès du CPP Sud Méditerranée V (version 1). Des commentaires ont été émis.
- Soumission auprès du CPP Sud Méditerranée V (version 2 après prise en compte des commentaires). L'accord est en attente.
- Validation des outils d'enquête par le comité de pilotage de l'étude.

**Actions Prévues :**

- Décembre 2016 : mise en place de l'étude, envoi du matériel d'inclusion aux différents centres,
- Début 2017 : début des inclusions.

**6.2 Recensement des laboratoires de diagnostic et de recherche (C. POUPLARD)**

Trois « annuaires » seront créés :

- Annuaire de Diagnostic Phénotypique (C. POUPLARD)
- Annuaire de Diagnostic Génotypique (C. COSTA)
- Annuaire des Laboratoires de Recherche Fondamentale en Clinique (C. DENIS, S. SUSEN)

Les liens vers les sites internet des manuels de prélèvements des laboratoires de C.H.U vont être largement utilisés pour permettre la pérennité des annuaires phénotypique et génotypique.

La fiche Excel du diagnostic phénotypique va circuler *via* le 'Club des Biologistes en Hémostase' et le CRPP, afin d'être complétée. Il est souligné que les laboratoires participant, à un niveau spécialisé, au diagnostic biologique des maladies de la filière MHEMO, doivent figurer dans cet annuaire.

Une mutualisation de ce fichier devra exister avec les sites du GFHT, de la CoMETH, de Génostase, etc …

**6.3 Recherche clinique (S. RINGENBACH)**

Une synthèse de la journée de rencontre des ARCs travaillant dans les centres de la filière MHEMO a été présentée. Lors de cette journée qui s'est déroulée le 9 juin 2016, différents exposés ont été présentés : fiche action « promouvoir la recherche clinique », la filière de santé maladies rares MHEMO et le projet du site internet.
Suite aux échanges et discussions qui ont eu lieu, il a été décidé de :
- Créer le sous-groupe de travail : « **Dynamisons la recherche clinique** » formé d'ARCs,
- Faire un **état des lieux sur l'organisation et pratiques utilisées en Recherche Clinique** dans les centres,
- Mener une réflexion sur la mise à disposition d'outils visant à aider et soutenir l'activité de recherche clinique dans les centres.

Enfin les documents bientôt disponibles pour l'ensemble des centres de la filière ont été communiqués. Il s'agit de la grille de surcoût du « contrat unique » et ses annexes.

**6.4 Recherche fondamentale (P. LENTING)**

Les laboratoires et équipes impliqués dans des projets de recherche rentrant dans le périmètre de la filière (pathologies plaquettaires, maladie de Willebrand, hémophilie) ont été identifiés et contactés.
14 laboratoires ont été approchés (Unités ou équipes Inserm, Equipes CNRS, équipes d'accueil universitaires et 1 équipe ATIP-Avenir). Sur ces 14 laboratoires :
- 10 ont répondu positivement et ont déjà ou vont très prochainement envoyer une liste de projets,
- 2 n'ont pas répondu,
- et 2 ont répondu que leur recherche, bien que portant sur l'étude des plaquettes n'était pas dirigée vers les pathologies hémorragiques.

La question se pose de savoir s'il faut inclure des projets tel que le rôle des plaquettes dans l'inflammation ou dans le cancer. Après discussion, la décision est prise d'inclure ces projets dans la liste des projets déjà communiqués (une trentaine en tout).
Une autre question se pose également, à savoir de différencier recherche fondamentale et recherche clinique puisque pour certaines équipes, il existe un recouvrement partiel de ces projets de recherche. La décision est prise de faire une seule liste de projets de recherche.

**6.5 NGS (Next-Generation Sequencing) - Etat des lieux décembre 2016 (C. COSTA)**

Cette action est menée et suivie par un groupe de travail venant de sites et d'horizons divers (diagnostic, clinique, recherche) représentant les 3 centres de référence de la filière MHEMO, le Centre de Référence des maladies hémorragiques (CRMH), le Centre de Référence de la maladie de Willebrand (CRMW) et le Centre de Référence des Pathologies Plaquettaires (CRPP). La mise en route et les

premières étapes ont été réalisées par 5 conférences téléphoniques et de très nombreux échanges par email. Il a été constaté la difficulté d'organiser des conférences téléphoniques supérieures à 3 personnes au sein de l'APHP ainsi que des visioconférences. L'état d'avancement de cette action a été présenté lors des différentes réunions de la filière.

Un recensement des laboratoires utilisant le NGS en recherche a pu être réalisé selon les modalités suivantes. Rédaction d'un courrier explicatif sur l'intérêt de cette action à destination des laboratoires, services, unités de recherche potentiellement concernés, avec établissement d'un questionnaire à destination des correspondants ciblés. Ce questionnaire a pour but de dresser un inventaire de leurs activités (panels de gènes), de leurs besoins, du mode de fonctionnement et de la sous-traitance du NGS ainsi que le suivi des évolutions. Il permet entre autres de mesurer la couverture de l'analyse et l'interprétation des données.

Cette enquête a été adressée par email le 30 juin 2016 selon une répartition par groupe de pathologies avec une demande de retour pour le 30 septembre 2016. Un rappel a été fait par email en octobre 2016 et lors de la réunion de la Filière durant le congrès de la CoMETH le 17 novembre 2016.

Il a été constaté une confusion entre NGS diagnostic et NGS recherche, frontière difficile avec de plus la notion de passage du séquençage Sanger au NGS égal à un saut technologique encore récent pour certains.

Un état des lieux est prévu sous forme de conférence téléphonique le 10 mars 2017 après rédaction du bilan par le coordonnateur du projet en amont de la discussion.

Il est convenu ensuite d'établir un mode de suivi des informations et une mise à disposition des données à destination des membres de la filière MHEMO, via l'interface WEB de la filière et d'interroger des cliniciens sur leurs besoins.

Le suivi des actions est envisagé sous forme de réunions téléphoniques trimestrielles et d'une réunion annuelle commune pour tous les groupes de pathologies.

**7. Evaluation des actions : présentation de la méthodologie (S. RINGENBACH)**

En introduction de ce point, il est rappelé l'organisation de la gouvernance de la filière MHEMO qui est composée du Comité de Coordination, du Conseil Médical et Scientifique et du Collège des Praticiens et des Usagers.
Il est ensuite expliqué que le suivi et l'évaluation des actions, seront réalisés par le Comité de Pilotage composé de membres du Conseil Médical et Scientifique (CMS) et du Collège des Praticiens et des Usagers (CPS) réunis en binôme/trinôme de constitution libre et volontaire.
Chaque binôme/trinôme sera chargé de :

- Suivre en continu et évaluer une fois par an les actions menées par les groupes de travail, en collaboration avec le responsable de l'action évaluée ;
- Rédiger une synthèse de l'autoévaluation (une synthèse par binôme/trinôme) ;
- Adresser cette synthèse au Comité de Coordination et de la présenter en réunion semestrielle de la filière.

Les binômes/trinômes seront soutenus dans leur mission par le chef de projet.
Les outils mis à disposition des binômes/trinômes sont présentés :

- Lettre de mission qui reprendra le cadre de la demande et la nature de l'action à piloter.
- Document de méthodologie présentant la procédure d'évaluation sur le principe des feux tricolores (vert = terminé – orange =en cours – rouge =pas entamé).

Il est précisé que les calendriers et indicateurs indiqués dans la fiche action peuvent évoluer en cours d'action et donner lieu à des modifications.

## 8. Questions diverses

- Renouvellement de labellisation des CRMR/PNMR 3 (C. NEGRIER)

Les CRMRs de la filière MHEMO comme ceux des filières MUCO et SLA font partie des CRMRs qui devront répondre à la 2ème phase de labellisation. Les CRMRs (des 20 autres Filières) répondent au 1er appel d'offre et doivent envoyer leur dossier dans le courant du mois de janvier 2017.
Des réunions téléphoniques ont eu lieu entre la DGOS et les coordonnateurs actuels des CRMRs pour définir le cadre de ce nouvel appel d'offre et répondre à la question du maintien éventuel des CRMRs pour ces filières.
La date de cette 2ème phase de labellisation a également été discutée et fixée dans le courant du 2ème trimestre 2017.

- Instruction relative à la dispensation des FAH (FVIII et FIX) (V. CHAMOUARD)

Une instruction relative à la dispensation des FAH (FVIII et FIX), émanant de la DGS et de la DGOS est en cours de rédaction. Ce texte devrait préciser que les spécialités pharmaceutiques de FAH (FVIII et FIX) doivent être dispensées conformément à la prescription sans changement. Néanmoins, des situations urgentes peuvent nécessiter un changement avec les médicaments disponibles sur place. Ce changement s'effectuera en concertation avec le médecin prenant en charge le patient.

**-oOo-**

- Prochaine réunion Filière MHEMO aura lieu le :

**<u>Mardi 13 juin 2017 de 10 h à 17 h</u>**
**Institut Imagine**
**24 boulevard Montparnasse 75015 PARIS**

**<u>Pièces jointes</u> :**
- Emargement
- Ordre du jour de la réunion du 15/12/2016
- Charte de fonctionnement de la Filière MHEMO (version décembre 2016)

Hospices Civils de Lyon
Pr Claude NEGRIER
Groupement Hospitalier Est – Hôpital Cardiologique Louis Pradel
59 boulevard Pinel 69677 BRON CEDEX
Tél. : 04.72.11.88.22 – Télécopie : 04.72.11.88.17