

	<p style="text-align: center;"><b>FILIERE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b></p>	 <i>Hospices Civils de Lyon</i>
<p>Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017</p>	<p>Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017</p>	<p style="text-align: center;">VERSION FINALE PAGE 1 / 5</p>

**Réunion Filière MHEMO**  
**Mardi 30 Novembre 2017 de 10h à 17h**  
**Paris – INTS**

**Ordre du jour:**

1. **Etat d'avancement des actions rendues obligatoires par la DGOS**  
Etat d'avancement des actions « Recherche »
2. **PNDS et Recommandations de Bonnes Pratiques professionnelles de la Filière MHEMO - Présentation et discussion**
3. **Point d'actualité sur l'action : « Interopérabilité des différentes BDD existantes et intégration native des données dans la BNDMR »**
4. **Autoévaluation de la filière - Mars 2018**
5. **Etat d'avancement du site internet – démonstration**
6. **Point d'actualité : Association française des hémophiles**

**Table ronde :**

1. « Les scores hémorragiques : lesquels sont à privilégier ? »
2. « Les traitements futurs des Hémophiles et les associations médicamenteuses probables »

**Questions diverses (16h30 – 17h00)**

- Conditions de partenariat entre les CRTH et les unités d'hématologie biologique lors de travaux effectués sur des plasmas prélevés par un prescripteur du CRTH
- Organisation et compétences dans un CRTH/CRC-MHC
- ERNs : Appel d'offre - Candidature (Avril 2018)

**Compte rendu**

**Personnes présentes** : Cf liste d'émargement en pièce jointe

**Personnes excusées** : Cf liste d'émargement en pièce jointe

	<p style="text-align: center;"><b>FILIÈRE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b></p>	 Hospices Civils de Lyon
Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017	Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017	VERSION FINALE PAGE 2/5

## 1. Etat d'avancement des actions rendues obligatoires par la DGOS : état d'avancement des actions « Recherche » (S. RINGENBACH)

Le bilan 2017 des 5 actions « Recherche » de l'axe 2 du plan d'actions est très positif. En effet, l'ensemble des acteurs impliqués dans ces actions s'est mobilisé et a permis le recensement des laboratoires et de produire un état des lieux globalement assez complet en recherche clinique, en recherche fondamentale et en NGS. La recherche en sciences humaines et sociales fait preuve d'une bonne dynamique avec 4 projets en cours de réalisation.

Les retards identifiés pour décembre 2017 concernent 4 sous actions sur 24. Les principaux freins observés sont : la difficulté de mobilisation et de disponibilité des interlocuteurs, le manque de personnel et la difficulté d'accès aux plateformes d'échanges et de documents partagés. Le responsable de l'action NGS souligne la difficulté de travailler à l'échelle nationale sur une thématique aussi complexe.

## 2. PNDS et Recommandations de Bonnes Pratiques professionnelles de la Filière MHEMO - Présentation et discussion (P. SIE)

- Le premier point abordé concerne les PNDS.

A ce jour, deux lettres d'intention pour la réactualisation des PNDS existants ont été envoyées :

- Hémophilies et autres affections constitutionnelles graves de la coagulation (C. NEGRIER)
- Thrombasthénie de Glanzmann (M. FIORE)

Deux PNDS dont la lettre d'intention a été adressée à la HAS sont à rédiger :

- Maladies de Willebrand (probablement à décliner en plusieurs PNDS) (S. SUSEN)
- Syndrome MYH9 et autres thrombopénies macrocytaires constitutionnelles (MF HURTAUD et M FIORE)

### Discussion :

- *Ne faudrait-il pas séparer l'hémophilie des autres déficits rares constitutionnels ?*
- ⇒ *Oui, 2 PNDS seront réalisés pour différencier les deux types de pathologie.*

Pour rappel :

Les PNDS ne sont pas financés par la HAS mais une enveloppe budgétaire de la DGOS a été attribuée pour cet axe obligatoire du PNMR2.

La rédaction et la mise à jour des PNDS font partie des missions des centres de référence et non des filières. Le rôle de la filière est de définir les PNDS prioritaires (nouveaux ou à actualiser), d'élaborer un calendrier pluri-annuel et d'apporter un appui méthodologique si nécessaire aux CRMR.

- Le deuxième point abordé porte sur les recommandations professionnelles.

Deux types de projets sont possibles :

- **Recommandation de bonne pratique** dont l'objectif est de mettre en place un programme d'amélioration des soins (la HAS est promoteur et financeur),
- **Obtention d'un label HAS d'une recommandation (RBP, fiche mémo, fiche pertinence) élaborée par un organisme professionnel** dont l'objectif est de formaliser et de valider une prise en charge (élaboré et financé par un promoteur autre que la HAS, généralement sociétés savantes concernées et saisine de la HAS).

	<p style="text-align: center;"><b>FILIERE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b></p>	 Hospices Civils de Lyon
Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017	Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017	VERSION FINALE PAGE 3/5

Le projet « **Grossesse et Accouchement** » a été retenu comme 1ère priorité suite à la réunion du CMS le 07 novembre 2017, car question fréquente, important sur le plan de la santé publique et thématique transversale aux 3 CRMRs. Ce projet implique la participation du GFHT, de la filière MHEMO, des 3 CRMR, du collège de gynécologie-obstétrique de la société française de gynécologie et de plusieurs partenaires (pédiatres, sages-femmes, etc.). Une feuille de route sur 2018-2019 a été élaborée afin de planifier les étapes du projet.

Discussions :

- *Sous quelle forme réaliser ce projet ?*
  - ⇒ *Plutôt sous forme de recommandation de bonne pratique pour que la HAS soit promoteur, financeur du projet et mette à disposition un chef de projet dédié avec les ressources nécessaires à la réalisation des recommandations.*
- *Serait-on bloqué par les liens d'intérêt pour soumettre le projet par la HAS ?*
  - ⇒ *Pour éviter tout blocage en ce sens, il faudrait former en amont un groupe de travail pour réaliser un pré-projet et le soumettre à la HAS pour avis avant de déposer officiellement le projet.*
- *Les DPC sont-elles incluses dans les recommandations ?*
  - ⇒ *Réponse : le DPC fait partie des recommandations*

*Il est suggéré de demander conseil au le Professeur Laurent DEGOS qui connaît bien la HAS et de solliciter le président du collège de gynécologie-obstétrique.*

**3. Point d'actualité sur l'action : « Interopérabilité des différentes BDD existantes et intégration native des données dans la BNDMR » (S. VANDERZIEPE)**

Le contexte de la BNDMR et de BaMaRa a été rappelé: la participation à la BNDMR est une obligation qui s'impose à tous les centres labellisés. La dernière version du set minimum de données Maladies Rares date de Décembre 2016 : il comporte au total 61 items. La BNDMR sera une base issue de Bamara par dé-identification.

En 2017, publication du cadre d'interopérabilité par l'ASIP : cela comprend divers documentations, un fichier d'exemple et des outils de vérification. Le cadre impose l'utilisation de la messagerie sécurisée MS-Santé pour l'envoi des données.

Puis, cet été 2017, envoi par l'APHP de la convention Bamara à tous les CHU, avec un choix à faire : saisie dans Bamara ou DPI du centre.

Pour l'envoi de données à partir d'une base (Nhémo, DPI ou autres), le travail peut se décomposer en 3 étapes : extraction de données brutes, traduction en CDA-R2, envoi par MS-SANTE.

- ⇒ S. Vanderziepe est en cours de finalisation d'un programme de traduction d'un fichier contenant le Set Minimum de Données Maladies Rares dans un format brut (fichier csv ou XML) vers un fichier à la norme demandée CDAR2.

	<p style="text-align: center;"><b>FILIÈRE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b></p>	 Hospices Civils de Lyon
Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017	Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017	VERSION FINALE PAGE 4/5

- ⇒ Sandrine Vanderziepe se propose de contacter la BNDMR pour connaître l'état d'avancement de la signature de ces conventions.
- ⇒ Sandrine Vanderziepe est missionnée pour poursuivre son travail avec le CHU de Nantes pour évaluer l'interface entre NHEMO et la BNDMR/BAMARA. NHEMO sera un très bon test pour vérifier l'efficacité du programme de traduction mis au point par ses soins, permettant de recueillir les informations des 61 items du set minimum de données de la BNDMR.

#### 4. Autoévaluation de la filière - Mars 2018 (S. RINGENBACH, C. NEGRIER)

L'autoévaluation de la filière devra être réalisée pour **mars 2018, elle se fera** en deux étapes :

- 1) Deux documents imposés par la DGOS sont à compléter : « *Référentiel 2017 d'évaluation des filières de santé maladies rares* » et « *FSMR Etat d'avancement des actions et bilan financier 2017* »

Le « Référentiel 2017 d'évaluation des filières de santé maladies rares » porte sur 4 références (programme d'amélioration de la qualité, le fonctionnement, l'organisation et la communication) à évaluer selon plusieurs items. Pour compléter et relire ce document, il sera nécessaire de former un groupe d'évaluation en amont composé de l'animateur, d'un représentant du CC et un suppléant, d'un représentant du CMS et d'un suppléant, d'un représentant du CPU et d'un suppléant, d'un représentant de l'AFH et de la chef de projet MHEMO.

Le tableau « *FSMR Etat d'avancement des actions et bilan financier 2017* » est similaire au tableau d'état d'avancement complété en septembre 2017, avec pour différence une évaluation de l'année 2017 dans sa totalité (jusqu'au 31 décembre 2017).

- 2) Document interne à notre filière pour chaque action du plan d'actions : « *Synthèse de l'autoévaluation annuelle de l'action* » pour l'année 2017

Ce document sous forme d'une page recto-verso est une brève synthèse du déroulement de chaque action. Il est à compléter par les binômes/trinômes et le responsable d'action.

Le tableau « Fiche de suivi de projet » réalisé en interne pour une autoévaluation trimestrielle de chaque action élaboré en mars 2017 n'est plus à compléter.

#### 5. Etat d'avancement du site internet – démonstration (J.MERCY, S. RINGENBACH)

- Le site internet sera mis en ligne en décembre 2017. Pour le moment, le site est uniquement accessible au comité de pilotage du site internet.
- Un état des lieux des textes a été présenté :
  - A ce jour, 65% des textes ont été rédigés ou sont en cours de finalisation avec 47 rédacteurs/relecteurs impliqués,
  - Une carte provisoire est pour le moment présente sur le site internet, sans les pharmacies de rétrocession (cette carte sera modifiée en janvier 2018 suite à la nouvelle labellisation des centres de référence).

	<b>FILIÈRE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b>	 <i>Hospices Civils de Lyon</i>
Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017	Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017	VERSION FINALE PAGE 5/5

Toutefois, il manque encore 2 rédacteurs et 2 relecteurs pour le texte concernant les référentiels de la partie « Documentation » ainsi qu'un référent pour conseiller les publications (recherches thérapeutiques, non thérapeutiques et thérapies innovantes) à diffuser sur le site internet.

- Un rappel a été fait aux centres n'ayant pas envoyé leur annuaire (contacts personnel administratif, médical, paramédical, biologistes).
- Un courrier de non opposition à apparaître dans l'annuaire sera envoyé à chaque centre début janvier avec un délai de réponse de 15 jours.
- Depuis la dernière réunion filière du 12 juin 2017, une plaquette triptyque en format A4 a été créée afin de présenter la filière au grand public et aux professionnels. Cette plaquette, ainsi que la plaquette A5 créée en mars 2017, vont être modifiées en janvier 2018 suite à la labellisation des centres de référence.

## 6. Point d'actualité : Association française des hémophiles (T. SANNIE)

Parmi les dernières actualités de l'AFH :

- Facteur IX à durée de vie prolongée : envoi au CEPS des dernières études en vie réelle et d'une modélisation afin d'accélérer la mise sur le marché de ALPROLIX® et IDELVION®
- Appel d'offre des centres de référence : L'AFH a soutenu le projet de renouvellement des 3 CRMRS présenté par la filière. Rappel du souhait de l'AFH d'intégrer les comités d'organisation des 3 centres de référence et maintient son souhait d'une reconnaissance des centres qui ne seront pas labellisés sous forme de CRC-MHC ; en attente du retour de la DGOS le 15 décembre 2017
- Retour sur KREUTH IV : Hémophilie et Pathologies plaquettaires : présentation des 15 résolutions soumises au Comité des Ministres du Conseil de l'Europe par l'université de Munich, l'Institut Paul-Ehrlich et la Direction européenne de la qualité des médicaments.
- Date du prochain congrès national de l'AFH : 2 et 3 juin 2018 à Nancy

*Discussion :*

*Thomas SANNIE propose de mettre en place une recommandation ou un PNDS sur la prise en charge des hémophiles âgés.*

### **Table ronde :**

#### **1. « Les scores hémorragiques : lesquels sont à privilégier ? » (J. GOUEMAND, C. FALAISE)**

Les scores utilisés dans les pathologies plaquettaires et la maladie de Willebrand ont été présentés par Jenny Goudemand et Céline Falaise avec leurs avantages et leurs insuffisances dans les populations adulte et pédiatrique.

*Discussions :*

- *Les scores peuvent-ils être utilisés par des personnes non médecins ?*
- ⇒ *Si le personnel est formé et entraîné à l'utilisation des scores, il n'y a pas d'inconvénient à ce qu'un membre du personnel non médical interroge les patients.*

	<p style="text-align: center;"><b>FILIERE DE SANTÉ « MALADIES HÉMORRAGIQUES CONSTITUTIONNELLES »</b></p>	 Hospices Civils de Lyon
Rédacteur : Jehanne MERCY Titre : Assistante chef de Projet MHEMO Date : 04 Décembre 2017	Relecteurs : Stéphanie RINGENBACH Titre : Chef de Projet MHEMO Date : 15 Décembre 2017	VERSION FINALE PAGE 6/5

- *En considérant que le score augmente avec l'âge, il n'est pas vraiment cohérent de comparer les scores au fil du temps. Il faudrait extrapoler les résultats pour être plus pertinent.*
- *Il faut faire attention à l'utilisation des scores dans les autres pays car les cultures et coutumes ne sont pas les mêmes. Il faut donc prendre des précautions pour comparer les résultats avec ceux de l'étranger.*

## **2. « Les traitements futurs des Hémophiles et les associations médicamenteuses probables » (C. NEGRIER – C. Pouplard)**

Présentation des derniers résultats des études cliniques sur les traitements non substitutifs de l'hémophilie. Discussion sur les résultats positifs et les effets indésirables observés. Initiation d'un débat sur les associations avec des médicaments substitutifs ou by-passants et sur les méthodes de mesure de l'hémostase. En France, il y a une grande variabilité des réactifs et automates utilisés pour les méthodes de dosage des facteurs VIII et IX. C'est pourquoi, le « club des biologistes » a sollicité 35 laboratoires dans une enquête visant à comparer et déterminer les méthodes de dosage les plus pertinentes. Les études sur les méthodes de dosages et les réactifs utilisés ont porté sur Idelvion®, Alprolix®, Emicizumab, Fitusiran et Concizumab.

### Discussions :

- *Il faudrait sensibiliser les patients utilisant ces nouvelles molécules sur le changement fondamental concernant le suivi de l'impact de ces molécules en termes de d'amélioration du profil hémostatique puisque les mesures classiques par tests de coagulation habituels ne sont pas applicables aujourd'hui. Par exemple, pour l'emicizumab, il n'est pas pertinent de raisonner sur le taux de facteur VIII.*
- *Il faudrait également sensibiliser les patients et les prescripteurs utilisant ces nouvelles molécules sur l'importance d'un auto-suivi des injections et des associations médicamenteuses, notamment lors d'événements hémorragiques. En effet, l'utilisation de ces nouvelles molécules implique une modification substantielle des habitudes de traitement et des doses de facteurs substitutifs recommandées.*

### Questions diverses :

- **Conditions de partenariat entre les CRTH et les unités d'hématologie biologique lors de travaux effectués sur des plasmas prélevés par un prescripteur du CRTH (P. CHAMOUNI)**

D'après P. Chamouni, il y a un manque d'interaction entre les biologistes et les cliniciens. C'est pourquoi il insiste sur le fait que le « club des biologistes » devrait diffuser aux cliniciens les conclusions de leurs études. Il suggère de diffuser les informations sous forme de newsletters.

- **Organisation et compétences dans un CRTH/CRC-MHC (C. NEGRIER /V. ESCHWEGE)**

Certains centres présentent des problèmes d'organisation, notamment au niveau des astreintes. V. ESCHWEGE propose que la filière MHEMO mette en place des pistes d'organisation au sein des CRC-MHC pour améliorer les conditions de travail des cliniciens et partager les compétences entre les centres.

**Les présentations ppt sont jointes au compte rendu.**