Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

Ministère des affaires sociales et de la santé
Ministère de l'enseignement et de la recherche

Personne(s) chargée(s) du dossier :
Anne CHEVRIER
Cheffe de projet du Plan national Maladies rares
Direction générale de l'offre de soins
Ministère des affaires sociales et de la santé
Tél. 01 40 56 80 27
Mél. : anne.chevrier@sante.gouv.fr
Patrice DOSQUET
Chargé de mission Maladies rares
Direction générale de la santé
Ministère des affaires sociales et de la santé
Tél. : 01 40 56 42 21
Mél. : patrice.dosquet@sante.gouv.fr
Jean-Michel HEARD
Directeur scientifique, secteur biologie santé
Direction générale pour la recherche et l'innovation
Ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche
Tél: 01 55 55 90 30
Mél. : jean-michel.heard@recherche.gouv.fr

La Ministre des Affaires sociales et de la Santé

Le Ministre de l'Enseignement Supérieur et de la Recherche

à

Mesdames et Messieurs les directeurs généraux
des agences régionales de santé

INSTRUCTION N° DGOS/SR/2016/323 du 25 octobre 2016 relative à l'appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares (CRMR)

NOR : AFSH1630997J
Classement thématique : établissement de santé
Validée par le CNP le 21 octobre 2016 - Visa CNP 2016 - 152
Publiée au BO oui
Déposée sur le site circulaire.legifrance.gouv.fr : oui

Catégorie : Directives adressées par le ministre aux services chargés de leur application, sous réserve, le cas échéant, de l'examen particulier des situations individuelles.
Résumé : Appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares (CRMR)
Mots-clés : labellisation – maladies rares - établissement de santé – centre de référence – centre de compétences– filière de santé
Textes de référence : - Code de la sécurité sociale, Article L. 162-22-13 - 2ème Plan national maladies rares (2011-2016) - Instruction n° DGOS/PF2/2013/306 du 29 juillet 2013 relative à la structuration des filières de santé maladies rares ; - Rapport d'évaluation du volet recherche, 2ème Plan national maladies rares 2011-2014, Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur, décembre 2015 - Instruction n°DGOS/PF4/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence maladies rares, centres de compétences et filières de santé dans le domaine des maladies rares ; - Rapport d'évaluation du 2ème Plan national maladies rares, Haut conseil de la santé publique, mai 2016.
Annexe 1 : Volet « Présentation générale du CRMR » **Annexe 2** : Volet « Site coordonnateur » **Annexe 3** : Volet« Site constitutif » **Annexe 4** : Volet « Centre de compétences» **Annexe 5 :** Rappel du cadre national
Diffusion : les établissements de santé doivent être destinataires de cette instruction, par l'intermédiaire des agences régionales de santé (ARS)

I- INTRODUCTION

Une maladie rare touche un nombre restreint de personnes, à savoir moins d'une personne sur 2 000 en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin[1].

La clarification de la structuration de la prise en charge des maladies rares en France constitue un enjeu majeur du 2ème Plan national maladies rares (PNMR), contribuant à la pérennisation de l'excellence française dans ce domaine, et servira de socle au 3ème PNMR en cours d'élaboration.

[1] Règlement (CE) no 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins

La labellisation des centres de référence maladies rares (CRMR) doit faciliter l'orientation des personnes malades et de leur entourage et permettre aux professionnels de santé de proposer un parcours de soins pertinent.

La présente procédure vise à actualiser la liste de ces CRMR. Elle vise à reconnaitre leurs sites coordonnateurs et leurs sites constitutifs. Elle est étendue aux centres de compétences maladies rares (CCMR), qui se trouveront ainsi identifiés en lien avec leur CRMR de rattachement. Ainsi, un CRMR est ici défini comme un « réseau », comprenant un site coordonnateur, un ou plusieurs site(s) constitutif(s) le cas échéant, et un ou plusieurs CCMR.

L'objectif de cet appel à projets est d'identifier et reconnaitre les unités fonctionnelles exerçant une activité dans le champ des maladies rares, répondant ainsi aux missions décrites dans l'instruction n°DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016.

Le dépôt d'un projet de CRMR est justifié par le constat du besoin et de la rareté de l'expertise pour une maladie rare ou un groupe cohérent de maladies rares, par la complexité de la prise en charge et par la nécessité d'organiser une offre de soins structurée permettant d'éviter l'errance diagnostique, thérapeutique et de suivi. Au moment de la candidature, les qualifications et équipements requis par le présent appel à projets doivent exister.

Au terme de l'appel à projets, tout établissement de santé prétendant être éligible à un financement au titre des missions d'intérêt général (MIG) dédiées aux CRMR devra être le siège d'un site coordonnateur ou constitutif d'un CRMR.

La filière de santé maladie rare (FSMR) contribue à garantir un continuum entre les différents acteurs qui y sont impliqués et en premier lieu entre les CRMR qui la composent, à échanger, mutualiser, fédérer toutes les actions qui contribuent à une meilleure prise en charge des personnes malades. A ce titre, son avis est requis pour les projets de CRMR dans le champ des maladies rares qu'elle recouvre.

Les cancers rares et les maladies infectieuses rares ne sont pas dans le champ des maladies rares tel qu'aujourd'hui défini en France, et ne sont donc pas concernés par cet appel à projets.

Les maladies rares relevant des FSMR MUCO-CFTR, MHEMO et FILSLAN sont hors du périmètre du présent appel à projets. Elles feront l'objet d'un ou plusieurs appel(s) à projet(s) ultérieur(s).

II- MODALITES DE SOUMISSION DES DOSSIERS ET SELECTION DES CANDIDATURES

A. Modalités de soumission des dossiers

Tous les établissements de santé sont concernés par le présent appel à projets.

Un seul et unique dossier de candidature par projet de CRMR doit être constitué. Il doit être composé comme suit :

- Un volet de présentation générale du CRMR ;
- Un volet pour le site coordonnateur ;
- Un volet pour chaque site constitutif ;
- Un volet pour chaque CCMR.

Pour chaque projet, l'établissement siège du site coordonnateur candidat pilote l'ensemble de la réponse du CRMR et transmet le dossier complet de candidature de ce réseau à la direction générale de l'offre de soins (DGOS) ainsi qu'à l'agence régionale de santé (ARS) dont il dépend.

Le dossier de candidature du CRMR doit être accompagné d'un courrier signé par le responsable médical du site coordonnateur candidat et par le directeur de l'établissement de santé siège du site coordonnateur.

Chaque volet consacré à un site constitutif ou de CCMR est accompagné d'un courrier signé par leur responsable médical et par le directeur de l'établissement de santé dont il relève.

Le dossier de candidature du CRMR doit comporter l'avis motivé de la FSMR de rattachement quand elle existe, c'est à-dire la FSMR recouvrant la maladie rare ou le groupe de maladies rares du CRMR candidat. Cet avis a un caractère consultatif.

Les dossiers doivent être téléchargés à l'adresse http://social-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/article/appel-a-projets-labellisation-crmr

Ils sont à transmettre à la DGOS impérativement sous forme électronique jusqu'au :

12 janvier 2017, 23h59 à l'adresse DGOS-labellisation-CRMR@sante.gouv.fr

Ils devront être transmis aux ARS sous format papier.

B. Calendrier de l'appel à projets

- ✓ *12 janvier 2017: date limite dépôt des dossiers de candidature*
- ✓ *Mars 2017 : publication des premiers résultats de l'appel à projets*

C. Conditions de recevabilité des candidatures

→ Le respect des modalités de soumission des dossiers.

→ Un CRMR candidat a nécessairement un et un seul site coordonnateur.

→ Un CRMR doit assurer l'ensemble des 5 missions des centres de référence, rappelées dans l'instruction ministérielle en date du 11 janvier 2016. [2]

→ Chacun des sites (site coordonnateur, site(s) constitutifs) d'un CRMR a obligatoirement une activité clinique[3], au minimum de consultation externe, et doit être identifié comme unité fonctionnelle ou de gestion.

→ Chacun des sites (site coordonnateur, site(s) constitutifs) d'un CRMR doit comprendre une équipe hospitalière assurant une prise en charge pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle.

→ Chaque CCMR doit répondre aux critères définis dans l'instruction du 11 janvier 2016.

→ Chaque CRMR doit avoir l'avis d'une FSMR de rattachement. Dans l'hypothèse où une FSMR de rattachement n'existerait pas, il convient d'argumenter cette affirmation.

→ Chaque CRMR s'appuie sur une organisation territoriale. Les dossiers de candidature doivent intégrer une cartographie permettant d'apprécier le maillage territorial proposé.

Cette cartographie identifie le site coordonnateur du CRMR et ses sites constitutifs lorsqu'ils existent ainsi que le(s) CCMR rattachés.

La réflexion autour du maillage territorial est conduite en lien avec la FSMR de rattachement du CRMR.

[2] Chacun des sites d'un CRMR (site coordonnateur, site(s) constitutif(s), CCMR) assure les missions qui lui incombent selon les termes de l'instruction du 11 janvier 2016.

[3] Chacun des sites (site coordonnateur, site(s) constitutifs, CCMR) d'un CRMR ne peut être uniquement un laboratoire ou un plateau technique d'imagerie médicale.

D . Conditions d'éligibilité des candidatures.

Chaque CRMR doit présenter un regroupement pertinent de sites ou CCMR concernant une maladie rare ou un groupe de maladies rares définis, afin de garantir une expertise et une prise en charge optimales.

D.1. Organisation du CRMR

Si la candidature comprend un ou des sites constitutifs en complément du site coordonnateur, il convient de justifier l'existence de chacun :

- Soit, il apporte une complémentarité d'expertise, de recours, de recherche ou de formation pour une ou des maladie(s) rare(s) ou une forme phénotypique particulière d'une maladie rare dans le périmètre du CRMR ;

- Soit, il permet d'assurer la prise en charge pédiatrique ou adulte complémentaire de celle du site coordonnateur et de structurer ainsi la liaison pédiatrie-adulte **;**

- Soit, il a les mêmes activités d'expertise, de recours, de recherche ou de formation que le site coordonnateur mais la prévalence ou la diversité des maladies rares concernées par le CRMR légitiment son existence et l'organisation territoriale proposée[4].

D.2. Seuils d'activité

→ Pour garantir un haut niveau d'expertise et d'excellence dans la prise en charge des patients atteints de maladies rares en France, des seuils minimaux d'activité sont requis.

La **mission de recours** est valorisée par les consultations et/ou hospitalisations de jour (HDJ), la file active, les programmes d'éducation thérapeutiques (ETP) autorisés par l'ARS et par les partenariats avec l'Outre-mer.

Des seuils minimum sont fixés pour cette mission : un site coordonnateur doit comptabiliser au minimum 300 consultations et/ou hospitalisations de jour (HDJ) par an concernant directement les maladies rares pour lesquelles il est labellisé, ET avoir une file active[5] de 150

[4] La diversité des maladies rares et de leur prévalence et/ou incidence ne permettent pas la définition a priori de critères de territorialité communs à tous les CRMR. Néanmoins, la définition d'un maillage territorial adapté est nécessaire, tout en maintenant l'exigence du caractère d'excellence des CRMR.

[5] La file active correspond au nombre de patients vus en consultation ou en hospitalisation de jour au moins une fois dans l'année.

patients au minimum. Un site constitutif doit comptabiliser au minimum 150 consultations médicales et/ou HDJ, ET avoir une file active de 75 patients minimum.

Chacun des sites composant un CRMR doit respecter les seuils d'activité qui lui sont applicables. En deçà de ces seuils, des regroupements doivent être privilégiés pour des maladies rares concernant un même organe ou groupe d'organes et dont la prise en charge requiert des approches diagnostiques, thérapeutiques et de suivis proches.

→ Néanmoins, par exception, la candidature d'un site constitutif n'atteignant pas les seuils définis ci-dessus pourra être examinée s'il justifie d'un ratio file active/prévalence de la maladie rare concernée significatif ET d'une prise en charge nécessitant une expertise spécifique.

La **mission de recherche** est valorisée au travers des activités d'investigation (en tant qu'investigateur coordonnateur et/ou de participation à des projets de recherche en lien direct avec le domaine d'expertise du CRMR), de publication (liées aux projets de recherche en lien directs avec le domaine d'expertise du CRMR).

Des seuils minimum sont fixés pour cette mission : un site coordonnateur doit être investigateur principal pour, au minimum, deux projets de recherche clinique ou fondamentale financés au cours des 5 dernières années. Un site constitutif doit être investigateur principal pour, au minimum, un projet de recherche clinique ou fondamentale financé au cours des 5 dernières années.

La **mission d'expertise** n'est pas soumise à des seuils minimaux. Elle est valorisée par l'élaboration et/ou contribution à l'élaboration de guides de bonnes pratiques, protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)[6], l'implication dans des groupes de travail nationaux, européens ou internationaux (guidelines, bases de données, etc.), la participation à la mise en place de la banque nationale de données maladies rares (BNDMR).

La **mission d'enseignement et de formation** n'est pas soumise à des seuils minimaux. Elle est notamment valorisée par les enseignements dans le cadre de diplômes universitaires (DU) ou inter-universitaires (DIU).

La **mission de coordination** n'est pas soumise à des seuils minimaux. Elle est valorisée par la mise en place et l'animation d'un réseau de soins et l'organisation de la prise en charge médico-sociale par le site coordonnateur (notamment, la communication, l'élaboration et la mise en œuvre d'un plan d'actions et les liens avec la FSMR de rattachement) ; les sites constitutifs participent à cette mission.

[6] http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2012-12/guide_methodologique_pnds.pdf

Cette mission est également valorisée par les actions réalisées avec les associations de personnes malades qui doivent être décrites. A ce titre, les candidatures peuvent intégrer tout document illustrant leur collaboration avec les associations.

D.3. Centres de compétences maladies rares (CCMR)

Un CCMR rattaché à un CRMR doit avoir une file active d'au moins 25 patients et une expertise reconnue par le coordonnateur du CRMR de rattachement. Les CCMR participent à la mission de coordination du CRMR.

D. Evaluation des candidatures

L'évaluation des candidatures sera appréciée dans un premier temps par un comité d'experts travaillant en sous-groupes. Elle sera effectuée à l'aide d'une grille d'évaluation portant sur les différentes missions des CRMR.

Chaque sous-groupe sera composé de 3 membres, respectivement (I) un clinicien dans le domaine des maladies rares, (II) un chercheur ou enseignant-chercheur et (III) un référent dans l'organisation des parcours de soins.

Un expert clinicien dans le domaine des maladies rares sera proposé par chacune des FSMR.

Les chercheurs et/ou enseignants-chercheurs seront désignés par la direction générale de la recherche et de l'innovation (DGRI), d'après une liste établie par l'Alliance pour les sciences de la vie et de la santé (AVIESAN).

Les référents dans l'organisation des parcours de soins seront désignés par la DGOS et la DGS.

La répartition des dossiers pour les experts sera tirée au sort. Elle pourra être revue de façon à prévenir tout conflit d'intérêt.

La DGOS, la DGS et la DGRI réuniront ensuite un jury composé de 10 membres : un président et un vice-président, lesquels sont à la fois cliniciens et enseignants-chercheurs, un directeur d'hôpital, un représentant des ARS, un doyen de faculté de médecine, un membre du Haut conseil de la santé publique (HCSP), un membre du Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur (HCERES), un représentant d'association de malades et deux animateurs de FSMR.

Les membres du jury concernés par une candidature de CRMR ou impliqués dans une FSMR ne participeront pas aux délibérations et ne se prononceront sur aucune candidature rattachée à cette FSMR.

Chaque expert ou membre du jury remettra à la DGOS sa déclaration publique d'intérêts dûment complétée avant de participer aux réunions.

La DGOS assurera le secrétariat de ce jury.

Le jury pourra ne pas retenir en l'état certaines candidatures de CRMR et formuler des demandes de modifications ou des compléments d'information au porteur de la candidature.

Le porteur et les établissements concernés disposeront alors d'un délai 4 mois pour proposer un nouveau dossier de candidature. Dans ce cas, le jury se réunira à nouveau et statuera ultérieurement sur la nouvelle proposition.

E. Décision de labellisation, de suivi et de renouvellement

La décision de labellisation des CRMR sera prise par la DGOS, en accord avec la DGS et la DGRI. La labellisation sera valable **5 ans**.

L'instruction n°DGOS/PF4/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des CRMR, CCMR et FSMR détaille certaines procédures en vigueur quant au suivi des modifications pouvant intervenir durant cette période.

Des modalités de suivi seront mises en place (exemple : obligation de renseignement du set minimal de données de la BNDMR par chaque site d'un CRMR, en fonction de la maturité du développement national et intra-établissement de cet outil).

Le non-respect de ces modalités de suivi par les CRMR labellisés ou, par l'un de leurs sites, pourra entraîner la suspension provisoire ou définitive de tout ou partie du financement, voire le retrait de la labellisation.

F. Notification, publication et diffusion

Les décisions seront notifiées aux établissements sièges des différents sites du CRMR (site coordonnateur, site constitutif(s), CCMR).

Un arrêté fixant la liste des CRMR labellisés sera publié.

G. Modalités de financement

Les établissement sièges des sites coordonnateur et constitutif(s) des CRMR labellisés sont éligibles à la mission d'enseignement, de recherche, de référence et d'innovation (MERRI) dédiée au financement des CRMR. Dans ce cadre, seuls sont considérés les surcoûts induits par la réalisation des missions d'intérêt général assignées aux structures.

Pour la ministre et par délégation

signé

Anne-Marie ARMANTERAS-DE SAXCÉ
Directrice générale de l'offre de soins

Pour la ministre et par délégation

signé

Pierre RICORDEAU
Secrétaire général
des ministères chargés des affaires sociales

Pour la ministre et par délégation

signé

Benoît VALLET
Directeur général de la santé

Pour la ministre et par délégation

signé

Alain BERETZ
Directeur général
de la recherche et de l'innovation

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

ANNEXE 1 - VOLET « PRESENTATION GENERALE DU CRMR »[1]

Nom du CRMR[2] candidat.

[1] Cette annexe est à remplir par le site coordonnateur du CRMR
[2] CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

Etablissement de santé siège du site coordonnateur du CRMR candidat (ex. AP-HP, CHU Bordeaux).

Adresse :

Directeur de l'établissement de santé.

Courriel professionnel :

Téléphone :

Le cas échéant, site hospitalier du site coordonnateur du CRMR candidat (ex. : Bicêtre, Pellegrin).

Adresse.

Directeur du site hospitalier.

Courriel professionnel.

Téléphone.

Responsable médical du CRMR candidat.

Courriel professionnel.

Téléphone.

FSMR de rattachement[3] du CRMR candidat.

Existe-t-il un site internet dédié à l'activité du CRMR candidat ?

□ Oui

Si oui, adresse web.

□ Non

Existe-t-il un numéro d'urgence dédié à l'activité du CRMR candidat ?

□ Oui

Si oui, plage de permanence.

□ Non

[3] FSMR : filière de santé maladies rares

Le CRMR candidat a-t-il fait l'objet d'une labellisation dans le cadre d'un PNMR[4] ?

□ Oui

Nom actuel du CRMR	
Date de labellisation	

Explicitez le cas échéant les évolutions de périmètre :

Maximum 500 mots

□ Non

Actions significatives menées ces 5 dernières années par le CRMR candidat.

500 mots maximum

[4] PNMR : Plan national maladies rares

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e)en charge par le CRMR candidat.

Liste détaillée des maladies rares ou regroupement de maladies prises en charge[5], avec leur prévalence[6] .

Description du parcours de soins le plus fréquent pour la maladie rare la plus fréquemment prise en charge dans le CRMR candidat.

500 mots maximum

[5] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum)

[6] Prévalence en France, pour 100 000 habitants (à défaut, en Europe)

Liste des sites constitutifs du CRMR candidat.

Nom	Responsable médical	Etablissement de santé

Justifiez la candidature du CRMR candidat sous la forme d'un CRMR multi-sites :

□ Le site constitutif apporte une complémentarité d'expertise, de recours, de recherche ou de formation pour une ou des maladie(s)rare(s) ou une forme phénotypique particulière d'une maladie rare du périmètre du CRMR.

□ Le site constitutif permet d'assurer la prise en charge pédiatrique ou adulte complémentaire de celle du site coordonnateur et structurer ainsi la liaison pédiatrie-adulte.

□ Le site constitutif a les mêmes activités d'expertise, de recours, de recherche ou de formation que le site coordonnateur mais la prévalence, l'organisation territoriale ou la diversité des maladies rares concernées justifient son existence.

Si le CRMR candidat n'a pas de site(s) constitutif(s), cochez la case ci-contre : □

Justifiez la structuration du CRMR.

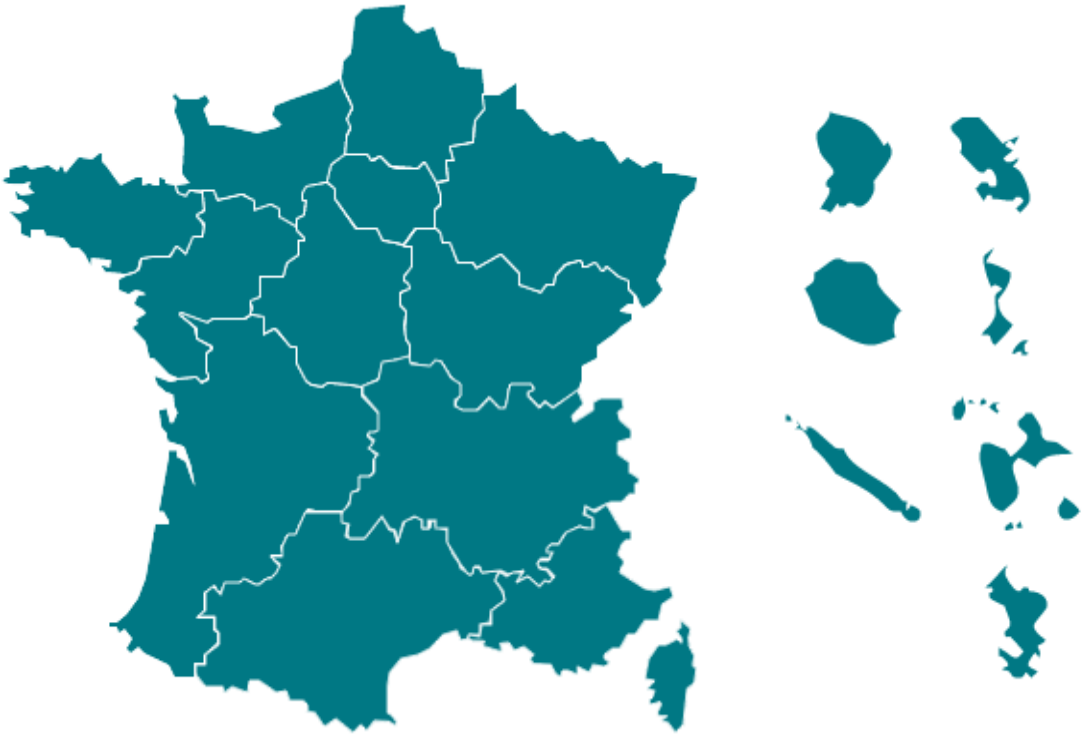
500 mots maximum

Liste des CCMR du CRMR candidat.

Nom	Responsable médical	Etablissement de santé

Si le CRMR candidat n'a pas de centre(s) de compétences (CCMR), cochez la case ci-contre : □

Présentez une carte de France (exemplaire à télécharger à l'adresse http://social-sante.gouv.fr/soins-et-maladies/prises-en-charge-specialisees/maladies-rares/article/appel-a-projets-labellisation-crmr, localisant les différents sites du CRMR, en respectant le code couleur suivant : site coordonnateur (point rouge), site constitutif (point vert), CCMR (point bleu).



Présentez la gouvernance du CRMR candidat[7] .

Les associations de personnes malades participent au fonctionnement du CRMR candidat.

□ Oui

□ Non

Présentez le plan d'actions du CRMR candidat sur les 5 années à venir, en articulation avec celui de la FSMR de rattachement.

5 objectifs prioritaires et 5 actions en rapport avec les missions des CRMR.

Les critères d'atteinte doivent être précisés.

L'articulation avec les objectifs et actions de la FSMR doivent être explicités.

500 mots maximum

[7] Il est conseillé d'intégrer un organigramme en réponse à cet item et/ou un maximum de 500 mots

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné).

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CRMR pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Mission d'expertise

Liste des PNDS élaborés par le CRMR candidat ces 5 dernières années.

Titre	Date de publication

Liste des guides de bonnes pratiques français, européens ou internationaux élaborés par le CRMR candidat ou auxquels il a participé ces 5 dernières années.

Titre	Date de publication

Le CRMR candidat a-t-il engagé des actions pour collecter des données dans la BNDMR[8] ?

□ Oui

□ Non

Le CRMR candidat organise-t-il des RCP[9] ?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Fréquence

□ Non

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active[10] du CRMR candidat en 2015

Nombre de consultations médicales réalisées par le CRMR candidat en 2015

Nombre de séjours en hospitalisation de jour réalisés par le CRMR candidat en 2015

[8] BNDMR : banque nationale de données maladies rares.

[9] RCP : réunions de concertation pluridisciplinaire (« Les réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) regroupent des professionnels de santé de différentes disciplines dont les compétences sont indispensables pour prendre une décision accordant aux patients la meilleure prise en charge en fonction de l'état de la science du moment. Au cours des RCP, les dossiers des patients sont discutés de façon collégiale. La décision prise est tracée, puis est soumise et expliquée au patient. » HAS, Fiche méthode Réunion de concertation pluridisciplinaire (RCP), 2014, p.1. http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2013-).

[10] La file active correspond au nombre de patients vus en consultation ou en hospitalisation de jour au moins une fois dans l'année.

Nombre de séjours en hospitalisation complète réalisées par le CRMR candidat en 2015

Le CRMR candidat met-il en œuvre des outils de télémédecine[11] ?

□ Oui
□ Non

Le CRMR candidat a-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins au cours des 5 dernières années?

□ Oui
□ Non

Le CRMR candidat prescrit-il régulièrement des médicaments hors AMM[12] ?

□ Oui
□ Non

Le CRMR candidat a-t-il mené au cours des 5 dernières années des programmes d'éducation thérapeutique autorisés par l'ARS ?

□ Oui
□ Non

Le CRMR candidat organise-t-il des consultations avancées ?

□ Oui
□ Non

Le CRMR candidat organise-t-il une prise en charge particulière pour les patients d'Outre-mer ?

□ Oui
□ Non

Mission de recherche

[11] Décret n° 2010-1929 du 19 octobre 2010 relatif à la télémédecine https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000022932449

[12] AMM : autorisation de mise sur le marché

Nombre de projets de recherche du CRMR candidat au cours des 5 dernières années

Nombre de publications du CRMR en lien avec la(les) maladie(s) rare(s) concernée(s) ?

Nombre de points SIGAPS cumulés sur les 5 dernières années par le CRMR candidat

Texte libre relatif à la recherche dans le CRMR candidat (texte libre) (ex. exposé des programmes de recherche)

500 mots maximum

Mission d'enseignement-formation

Liste des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) mis en place par le CRMR candidat au cours des 5 dernières années

Intitulé	Date de création	En cours en 2016
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

Liste des formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2015 par le CRMR candidat

Liste des formations ou manifestations organisées pour et avec les associations de malades

Texte libre relatif à la candidature du CRMR en matière d'enseignement-formation (développez les autres actions d'enseignement-formation s'il y a lieu)

500 mots maximum

Avis du directeur de l’établissement de santé siège du site coordonnateur du CRMR candidat *(à joindre)*

Avis de la FSMR de rattachement *(à joindre)*

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

ANNEXE 2 - VOLET DE PRESENTATION « SITE COORDONNATEUR »

Nom du CRMR[1] candidat :

Nom du site coordonnateur du CRMR candidat :

Etablissement de santé siège du site coordonnateur (ex. AP-HP, CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

[1] CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

Pôle de rattachement du site coordonnateur :

Service de rattachement du site coordonnateur :

Identification du site coordonnateur comme unité fonctionnelle[2] ou de gestion :

□ Oui

□ Non

Responsable médical du site coordonnateur :

Statut :

□ PU-PH[3]
□ PH[4]
□ MCU-PH[5]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre Précisez :

Spécialité médicale exercée :

[2] « L'unité fonctionnelle est la plus petite entité de l'établissement à partir de laquelle la collecte des informations (activités et/ ou économique) peut être réalisée et utilisée dans les fichiers informatiques. » DGOS, Guide méthodologique de comptabilité analytique hospitalière, 2012

[3] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier

[4] PH : praticien hospitalier

[5] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme site constitutif

Nom du CRMR :

□ Oui, comme CCMR[6]

Nom du CRMR :

□ Non

Avez-vous candidaté à un RER[7] ?

□ Oui, comme site coordonnateur de ce RER

Nom du RER :

□ Oui, comme membre de ce RER

Nom du RER :

□ Non

[6] CCMR : centre de compétences maladies rares
[7] RER : réseau européen de référence

Collaborez-vous avec une unité de recherche labellisée (INSERM, CNRS…) ?

□ Oui

Si oui, liste de ces unités de recherche :

Nom	Formalisation du partenariat

□ Non

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e)en charge par le site coordonnateur :

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[8], avec leur prévalence[9] :

[8] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum)

[9] Prévalence en France, pour 100 000 habitants (à défaut, en Europe)

Nature du site coordonnateur.

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

La prise en charge par le site coordonnateur nécessite des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques ou soins de suite et réadaptation). Sont-elles dans le même établissement de santé (ex. AP-HP, CHU Bordeaux)?

□ Oui

Si oui, liste des spécialités actuellement disponibles (précisez les modalités de rattachement avec le site coordonnateur : même site, même pôle, même service).

□ Non

Si non, quelles sont les alternatives ? (établissements ou professionnels partenaires, formalisation).

Principaux métiers[10] au sein du site coordonnateur[11] (précisez leur quotité de temps).

De nouveaux métiers seraient ils nécessaires à la prise en charge au sein du site coordonnateur?

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du site coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, comme elle désigne un projet d'ensemble, elle est à renseigner dans la partie « Mission de coordination » du volet de présentation générale du CRMR candidat. Ceci pour les items suivants :

- La gouvernance du CRMR candidat ;
- Le plan d'actions du CRMR candidat ;
- Le rôle du CRMR candidat au sein de sa FSMR de rattachement.

Les items ci-dessous sont à renseigner de façon synthétique dans le volet de présentation générale du CRMR candidat et de façon détaillée dans le présent volet.

[10] http://www.metiers-fonctionpubliquehospitaliere.sante.gouv.fr/

[11] Le périmètre retenu est celui du site coordonnateur du CRMR candidat proprement dit – les intervenants réguliers peuvent également être listés dans une liste subsidiaire

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné).

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le site coordonnateur pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Participation des associations de personnes malades.

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)	Modalités de participation de l'association (accompagnement, éducation à la santé, soutien psychologique, autre)	Modalités de diffusion de l'information auprès des associations par le site coordonnateur

Mission d'expertise

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de PNDS[12] par le site coordonnateur ces 5 dernières années.

Titre	Date de publication

PNDS en cours d'élaboration (ou participation à l'élaboration) par le site coordonnateur.

Titre

PNDS à réaliser ou à actualiser.

Titre	
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux par le site coordonnateur au cours des 5 dernières années.

Titre	Date de publication

[12] PNDS : protocoles nationaux de diagnostic et de soins

Guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux dont l'élaboration est en cours par le site coordonnateur (ou à laquelle il participe).

Titre

Des actions sont-elles engagées par le site coordonnateur pour collecter des données dans le BNDMR[13] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, saisissez-vous des données dans CEMARA?

□ Oui

□ Non

Avez-vous débuté la saisie des données dans BAMARA ?

□ Oui

□ Non

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR?

□ Oui

□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données, la date de sa déclaration à la CNIL[14] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits	
		□ Oui	□ Non
		□ Oui	□ Non
		□ Oui	□ Non

[13] BNDMR : banque nationale de données maladies rares

[14] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés

Utilisez-vous un DPI[15] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, est-il compatible avec la BNDMR[16] ?

□ Oui

□ Non

Le site coordonnateur organise-t-il des RCP[17] [18]?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Fréquence

□ Non

Si non, prévoyez-vous d'en organiser ?

□ Oui

□ Non

[15] DPI : dossier patient informatisé

[16] Le DPI est compatible avec la BNDMR s'il intègre le minimum data set

[17] RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire

[18] http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2013-02/reunion_de_concertation_pluridisciplinaire_fiche_technique_2013_01_31.pdf

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active[19] du site coordonnateur.

2013	2014	2015

Nombre de consultations médicales réalisées par le site coordonnateur[20].

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation de jour réalisés par le site coordonnateur.

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation complète réalisées par le site coordonnateur.

2013	2014	2015

Pourcentage de patients hors-région

[19] La file active correspond au nombre de patients vus en consultation ou en hospitalisation de jour au moins une fois dans l'année.

[20] Les activités de télémédecine ou consultations avancées sont à renseigner dans des items ultérieurs

Le site coordonnateur a-t-il accès à un réseau sécurisé de soins ?

□ Oui □ Non

Télémédecine.

Le site coordonnateur effectue-t-il des actes de télé-expertise [21] ?	□ Oui	□ Non
Si oui, l'activité de télé-expertise a-t-elle été validée par l'établissement de santé ?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Si oui, combien d'actes de télé-expertise ont-ils été effectués en 2015 ?		
Le site coordonnateur effectue-t-il des actes de téléconsultation[22] ?	□ Oui	□ Non
Si oui, l'activité de téléconsultation a-t-elle été validée par l'établissement de santé ?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Si oui, combien d'actes de téléconsultation ont-ils été effectués en 2015 ?		

[21] Décret n° 2010-1929 du 19 octobre 2010 relatif à la télémédecine https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000022932449

[22] Idem

Le site coordonnateur réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui
□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le site coordonnateur :

Le site coordonnateur a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[23]

□ Oui
□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le site coordonnateur

Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le site coordonnateur et autorisés par l'ARS ces 5 dernières années.

Nombre de programmes

Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme

[23] AMM : autorisation de mise sur le marché

Le site coordonnateur organise-t-il des consultations avancées ?

□ Oui

Si oui, lieu et fréquence

□ Non

Le site coordonnateur a-t-il des relations organisées avec l'Outre-mer ?

□ Oui

Si oui, précisez.

300 mots maximum

□ Non

Mission de recherche

Investigations : recensement des projets de recherche du site coordonnateur du CRMR candidat[24][25] sur les 5 dernières années.

Le site coordonnateur est il porteur du projet ?	□ Oui □ Non
Si non, indiquez le porteur du projet	
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le site coordonnateur du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Autre

[24] Les projets à lister sont ceux qui, pendant la période couverte par l'enquête, se trouvaient dans la période comprise entre leur instruction ou mise en œuvre dans le site coordonnateur, et le dernier suivi du dernier patient à inclure.

[25] Les projets à lister sont tous ceux qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le site coordonnateur est expert (DGOS, Fondations, ….).

Publications : recensement des principales publications publiées sur les 5 dernières années[26] (au format Pubmed)

Nombre de points SIGAPS du site coordonnateur[27] .

En 2015	
Sur les 5 dernières années [28]	

Le site coordonnateur du CRMR candidat a-t-il déposé des brevets au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

□ Non

[26] Les publications à lister sont celles qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le site coordonnateur est expert et pour lesquelles un membre du site coordonnateur est dans la liste des auteurs. Inscrire en gras les auteurs membres du site coordonnateur.

[27] Idem

[28] Il s'agit de la somme cumulée des points sur 5 années.

Cohortes : recensement des cohortes en cours sur les 5 dernières années.

Nom de l'établissement gestionnaire des fonds de la cohorte	
Intitulé de la cohorte	
Type de financements (appels à projets, industrie, …)	
Existence d'un lien avec RADICO	□ Oui □ Non
Nom et prénom du responsable de la cohorte	
Année de création de la cohorte	
Type de cohorte (patients, matériel biologique, images, etc)	
Pathologie(s) concernées	
Structure(s)en charge de la préparation, conservation, mise à disposition des ressources biologiques	
Rattachement à un établissement de santé	□ Oui □ Non
Liste des études ancillaires utilisant la cohorte	
Nombre de publications basées sur l'exploitation de la cohorte	

Exposé du ou des programme(s) de recherche du site coordonnateur

500 mots maximum

Mission d'enseignement-formation

Le site coordonnateur a-t-il mis en place des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) au cours des 5 dernières années.

□ Oui

Si oui, précisez.

Intitulé	Date de création	En cours en 2016
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

□ Non

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2015 par le site coordonnateur.

Intitulé	Public concerné	Nombre d'heure/an

Le site coordonnateur a-t-il accueilli des étudiants au cours des 5 dernières années, en lien avec une unité de recherche ?

□ Oui

Si oui, indiquez le nombre d'étudiants accueillis par niveau.

Etudiants en master

Etudiants en doctorat

Etudiants en post-doctorat

□ Non

Le site coordonnateur a-t-il organisé des congrès nationaux, européens ou internationaux au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

Si oui, précisez.

	Titre	Année	Lieu	Acte
Congrès national				
Congrès européen				
Congrès international				

□ Non

Le site coordonnateur du CRMR candidat a-t-il réalisé des communications au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Titre de la conférence	Année	Lieu	Qualité de l'intervenant	Portée
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale

□ Non

Texte libre relatif à la candidature du site coordonnateur (le cas échéant, développez les actions d'enseignement-formation autres, par exemple à destination des associations)

500 mots maximum

Avis du directeur de l'établissement de santé siège du site coordonnateur du CRMR candidat *(à joindre)*

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

ANNEXE 3 - VOLET DE PRESENTATION « SITE CONSTITUTIF »

Nom du CRMR[1] candidat :

Nom du site constitutif du CRMR candidat :

Etablissement de santé siège du site constitutif (ex. AP-HP, CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

[1] CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

Pôle de rattachement du site constitutif :

Service de rattachement du site constitutif :

Identification du site constitutif comme unité fonctionnelle[2] ou de gestion :

□ Oui

□ Non

Responsable médical du site constitutif :

Statut :

□ PU-PH[3]
□ PH[4]
□ MCU-PH[5]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre Précisez :

Spécialité médicale exercée :

[2] « L'unité fonctionnelle est la plus petite entité de l'établissement à partir de laquelle la collecte des informations (activités et/ ou économique) peut être réalisée et utilisée dans les fichiers informatiques. » DGOS, Guide méthodologique de comptabilité analytique hospitalière, 2012

[3] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier

[4] PH : praticien hospitalier

[5] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme site coordonnateur

Nom du CRMR :

□ Oui, comme site constitutif[6]

Nom du CRMR :

□ Oui, comme CCMR[7]

Nom du CRMR :

□ Non

Avez-vous candidaté à un RER[8] ?

□ Oui, comme site coordonnateur de ce RER

Nom du RER :

□ Oui, comme membre de ce RER

Nom du RER :

□ Non

[6] CCMR : centre de compétences maladies rares
[7] CCMR : centre de compétences maladies rares
[8] RER : réseau européen de référence

Collaborez-vous avec une unité de recherche labellisée (INSERM, CNRS…) ?

□ Oui

Si oui, liste de ces unités de recherche :

Nom	Formalisation du partenariat

□ Non

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e)en charge par le site constitutif :

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[9], avec leur prévalence[10] :

[9] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum)
[10] Prévalence en France, pour 100 000 habitants (à défaut, en Europe)

Nature du site constitutif.

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

La prise en charge par le site constitutif nécessite des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques ou soins de suite et réadaptation). Sont-elles dans le même établissement de santé (ex. AP-HP, CHU Bordeaux)?

□ Oui

Si oui, liste des spécialités actuellement disponibles (précisez les modalités de rattachement avec le site constitutif : même site, même pôle, même service).

□ Non

Si non, quelles sont les alternatives ? (établissements ou professionnels partenaires, formalisation).

Principaux métiers[11] au sein du site constitutif[12] (précisez leur quotité de temps).

De nouveaux métiers seraient ils nécessaires à la prise en charge au sein du site constitutif?

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du site coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, certains items sont à renseigner également par un site constitutif candidat (ci-dessous).

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné).

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le site constitutif pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets. *500 mots maximum*

Participation des associations de personnes malades.

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)	Modalités de participation de l'association (accompagnement, éducation à la santé, soutien psychologique, autre)	Modalités de diffusion de l'information auprès des associations par le site constitutif

Mission d'expertise

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de PNDS[13] par le site constitutif ces 5 dernières années.

Titre	Date de publication

PNDS en cours d'élaboration (ou participation à l'élaboration) par le site constitutif.

Titre

[13] PNDS : protocoles nationaux de diagnostic et de soins

PNDS à réaliser ou à actualiser.

Titre	
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux par le site constitutif au cours des 5 dernières années.

Titre	Date de publication

Guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux dont l'élaboration est en cours par le site constitutif (ou à laquelle il participe).

Titre

Des actions sont-elles engagées par le site constitutif pour collecter des données dans le BNDMR[14] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, saisissez-vous des données dans CEMARA?

□ Oui

□ Non

Avez-vous débuté la saisie des données dans BAMARA ?

□ Oui

□ Non

[14]BNDMR : banque nationale de données maladies rares

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR[15]?

□ Oui
□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données, la date de sa déclaration à la CNIL[16] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

Utilisez-vous un DPI[17] ?

□ Oui
□ Non

Si oui, est-il compatible avec la BNDMR[18] ?

□ Oui
□ Non

Le site constitutif organise-t-il des RCP[19] [20]?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Fréquence

□ Non

Si non, prévoyez-vous d'en organiser ?

□ Oui □ Non

[16] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés
[17] DPI : dossier patient informatisé
[18] Le DPI est compatible avec la BNDMR s'il intègre le minimum data set
[19] RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire
[20] http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/2013-02/reunion_de_concertation_pluridisciplinaire_fiche_technique_2013_01_31.pdf

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active[21] du site constitutif.

2013	2014	2015

Nombre de consultations médicales réalisées par le site constitutif[22].

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation de jour réalisés par le site constitutif.

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation complète réalisées par le site constitutif.

2013	2014	2015

Pourcentage de patients hors-région

[21] La file active correspond au nombre de patients vus en consultation ou en hospitalisation de jour au moins une fois dans l'année.

[22] Les activités de télémédecine ou consultations avancées sont à renseigner dans des items ultérieurs

Le site constitutif a-t-il accès à un réseau sécurisé de soins ?

□ Oui

□ Non

Télémédecine.

Le site constitutif effectue-t-il des actes de télé-expertise [23] ?	□ Oui	□ Non
Si oui, l'activité de télé-expertise a-t-elle été validée par l'établissement de santé ?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Si oui, combien d'actes de télé-expertise ont-ils été effectués en 2015 ?		
Le site constitutif effectue-t-il des actes de téléconsultation[24] ?	□ Oui	□ Non
Si oui, l'activité de téléconsultation a-t-elle été validée par l'établissement de santé ?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Si oui, combien d'actes de téléconsultation ont-ils été effectués en 2015 ?		

[23] Décret n° 2010-1929 du 19 octobre 2010 relatif à la télémédecine https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000022932449

[24] Idem

Le site constitutif réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui
□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le site constitutif :

Le site constitutif a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[25]

□ Oui
□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le site constitutif :

Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le site constitutif et autorisés par l'ARS ces 5 dernières années.

Nombre de programmes	

Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme

[25] AMM : autorisation de mise sur le marché

Le site constitutif organise-t-il des consultations avancées ?

□ Oui

Si oui, lieu et fréquence :

□ Non

Le site constitutif a-t-il des relations organisées avec l'Outre-mer ?

□ Oui

Si oui, précisez :

300 mots maximum

□ Non

Mission de recherche

Investigations : recensement des projets de recherche du site constitutif du CRMR candidat[26][27] sur les 5 dernières années.

Le site constitutif est il porteur du projet ?	□ Oui □ Non
Si non, indiquez le porteur du projet	
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le site constitutif du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Autre

[26] Les projets à lister sont ceux qui, pendant la période couverte par l'enquête, se trouvaient dans la période comprise entre leur instruction ou mise en œuvre dans le site constitutif, et le dernier suivi du dernier patient à inclure.

[27] Les projets à lister sont tous ceux qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le site constitutif est expert (DGOS, Fondations, ….).

Publications : recensement des principales publications du site constitutif sur les 5 dernières années[28] (au format Pubmed)

Nombre de points SIGAPS du site constitutif[29] .

En 2015	
Sur les 5 dernières années [30]	

Le site constitutif du CRMR candidat a-t-il déposé des brevets au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

□ Non

[28] Les publications à lister sont celles qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le site constitutif est expert et pour lesquelles un membre du site constitutif est dans la liste des auteurs. Inscrire en gras les auteurs membres du site constitutif.

[29] Idem

[30] Il s'agit de la somme cumulée des points sur 5 années.

Cohortes : recensement des cohortes en cours sur les 5 dernières années.

Nom de l'établissement gestionnaire des fonds de la cohorte	
Intitulé de la cohorte	
Type de financements (appels à projets, industrie, …)	
Existence d'un lien avec RADICO	□ Oui □ Non
Nom et prénom du responsable de la cohorte	
Année de création de la cohorte	
Type de cohorte (patients, matériel biologique, images, etc)	
Pathologie(s) concernées	
Structure(s)en charge de la préparation, conservation, mise à disposition des ressources biologiques	
Rattachement à un établissement de santé	□ Oui □ Non
Liste des études ancillaires utilisant la cohorte	
Nombre de publications basées sur l'exploitation de la cohorte	

Exposé du ou des programme(s) de recherche du site constitutif

500 mots maximum

Mission d'enseignement-formation

Le site constitutif a-t-il mis en place des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) au cours des 5 dernières années.

□ Oui

Si oui, précisez :

Intitulé	Date de création	En cours en 2016
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

□ Non

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2015 par le site constitutif.

Intitulé	Public concerné	Nombre d'heure/an

Le site constitutif a-t-il accueilli des étudiants au cours des 5 dernières années, en lien avec une unité de recherche ?

□ Oui

Si oui, indiquez le nombre d'étudiants accueillis par niveau :

Etudiants en master

Etudiants en doctorat

Etudiants en post-doctorat

□ Non

Le site constitutif a-t-il organisé des congrès nationaux, européens ou internationaux au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

Si oui, précisez.

	Titre	Année	Lieu	Acte
Congrès national				
Congrès européen				
Congrès international				

□ Non

Le site constitutif du CRMR candidat a-t-il réalisé des communications au cours des 5 dernières années ?

□ Oui

Si oui, précisez.

Titre de la conférence	Année	Lieu	Qualité de l'intervenant	Portée
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale

□ Non

Texte libre relatif à la candidature du site constitutif (le cas échéant, développez les actions d'enseignement-formation autres, par exemple à destination des associations)

500 mots maximum

Avis du directeur de l'établissement de santé siège du site constitutif du CRMR candidat *(à joindre)*

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

ANNEXE 4 - VOLET DE PRESENTATION « CCMR[1] »

Nom du CRMR[2] candidat :

Nom du CCMR candidat

Etablissement de santé siège du CCMR (ex. AP-HP, CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

[1] CCMR : centre de compétences maladies rares
[2] CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

Pôle de rattachement du CCMR.

Service de rattachement du CCMR.

Identification du CCMR comme unité fonctionnelle[3] ou de gestion.

□ Oui

□ Non

Responsable médical du CCMR.

Statut :

□ PU-PH[4]
□ PH[5]
□ MCU-PH[6]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre Précisez :

Spécialité médicale exercée :

[3] « L'unité fonctionnelle est la plus petite entité de l'établissement à partir de laquelle la collecte des informations (activités et/ ou économique) peut être réalisée et utilisée dans les fichiers informatiques. » DGOS, Guide méthodologique de comptabilité analytique hospitalière, 2012

[4] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier

[5] PH : praticien hospitalier

[6] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme site coordonnateur

Nom du CRMR :

□ Oui, comme site constitutif

Nom du CRMR :

□ Oui, comme CCMR[7]

Nom du CRMR :

□ Non

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e)en charge par le CCMR.

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[8].

[7] CCMR : centre de compétences maladies rares

[8] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 maximum)

Nature du CCMR.

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

Description de l'équipe du CCMR candidat.

250 mots maximum

La prise en charge par le CCMR nécessite des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques ou soins de suite et réadaptation). Description de l'organisation du CCMR à ce titre.

500 mots maximum

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du site coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, certains items sont à renseigner également par un CCMR candidat (ci-dessous).

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné).

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CCMR pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets. *500 mots maximum*

Participation des associations de personnes malades.

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active[9] du CCMR.

2013	2014	2015

Nombre de consultations médicales réalisées par le CCMR [10]

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation de jour réalisés par le CCMR.

2013	2014	2015

Nombre de séjours en hospitalisation complète réalisées par le CCMR.

2013	2014	2015

Nombre de consultations avancées ou téléconsultations réalisées par le CCMR.

2013	2014	2015

Pourcentage de patients hors-région

[9] La file active correspond au nombre de patients vus en consultation ou en hospitalisation de jour au moins une fois dans l'année.

[10] Les activités de téléconsultations ou consultations avancées sont à renseigner dans un item ultérieur.

Le CCMR réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le CCMR

Le CCMR a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[11] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le CCMR :

[11] AMM : autorisation de mise sur le marché

Collecte de données

Des actions sont-elles engagées par le CCMR pour collecter des données dans le BNDMR[12] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, saisissez-vous des données dans CEMARA?

□ Oui

□ Non

Avez-vous débuté la saisie des données dans BAMARA ?

□ Oui

□ Non

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR ?

□ Oui

□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données, la date de sa déclaration à la CNIL[13] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

[12] BNDMR : banque nationale de données maladies rares

[13] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés

Texte libre relatif au CCMR (recherche, enseignement…)

500 mots maximum

Avis du directeur de l'établissement de santé siège du CCMR *(à joindre)*

ANNEXE 5 - RAPPEL DU CADRE NATIONAL

Centres de référence maladies rares (CRMR)

Définition des CRMR

Un centre de référence pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares (CRMR) regroupe des compétences pluridisciplinaires hospitalières organisées autour d'équipes médicales hautement spécialisées ayant une expertise avérée pour ces maladies dans les domaines des soins, de la recherche et de la formation. Il intègre des savoir-faire et des compétences pluri professionnelles dans les domaines paramédicaux et sociaux.

C'est un réseau exerçant une attraction régionale, interrégionale, nationale, voire internationale, en fonction de la rareté de la maladie avec un objectif d'équité en termes d'accès au diagnostic, au traitement et à la prise en charge globale des personnes malades.

Un CRMR peut être mono-site (ce site unique est site coordonnateur) ou multi-sites (comprenant un site coordonnateur et un ou plusieurs sites constitutifs). Le pilotage de chaque CRMR est assuré par le responsable du site coordonnateur désigné pour 5 ans. Chaque site constitutif a également un responsable, désigné pour 5 ans. Toutes les actions du CRMR sont organisées, déployées et conduites en étroite coordination avec les actions de sa FSMR de rattachement.

NB Un site coordonnateur d'un CRMR peut également être site constitutif d'un ou plusieurs autres CRMR. Un site constitutif peut également être site constitutif de plus d'un CRMR. Un CCMR peut être rattaché à plusieurs CRMR.

Missions des CRMR

Les missions des CRMR sont au nombre de 5 et doivent toutes être remplies par chaque CRMR.

- **Mission de coordination**

Le CRMR, et plus particulièrement son site coordonnateur, structure la gouvernance du CRMR en associant un représentant de chacun des acteurs de sa filière de soins. Il élabore un plan d'actions pluriannuel sur 5 ans, cohérent avec celui de la FSMR de rattachement.

Il identifie, coordonne et anime sa filière de soins (structures d'amont et d'aval) à la fois dans son bassin de santé et au-delà selon le périmètre de sa mission de recours. Il assure l'animation et la coordination des structures qu'il regroupe (CCMR, réseaux de correspondants et structures hospitalières, professionnels des secteurs social, médico-social et éducatif). Il intègre les associations de personnes malades dans les activités du CRMR et les associe à la définition de ses objectifs. Il définit des actions d'information et de communication.

- **Mission d'expertise**

Cette mission, en lien avec la prise en charge clinique de recours, implique l'organisation de réunions de synthèse ou de concertation pluridisciplinaires (RCP), l'élaboration et la diffusion de recommandations et de protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS), le recueil épidémiologique régulier (en priorité la mise à jour régulière de la BNDMR), la mise en place de démarche et procédures qualité en lien avec celles de l'établissement de santé du CRMR.

- **Mission de recours**

Du fait de la rareté de la/des maladie(s) rare(s) prise(s) en charge, du faible nombre des experts et de l'expertise avérée du CRMR, le CRMR exerce une attraction (régionale, interrégionale, nationale, voire internationale) au-delà du bassin de santé de son site d'implantation, et assure une prise en charge pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle diagnostique, thérapeutique et de suivi. Selon les cas, le CRMR assure lui-même cette prise en charge globale ou l'organise au sein de sa filière de soins.

- **Mission de recherche**

Le CRMR promeut, anime ou participe à la recherche fondamentale, translationnelle et clinique. Les publications réalisées traduisent cette activité régulière du CRMR et contribuent à la reconnaissance de son expertise.

- **Mission d'enseignement et de formation**

Le CRMR promeut, anime ou participe à des enseignements universitaires, postuniversitaires et extra-universitaires dans le domaine de la maladie rare ou du groupe de maladies rares concernés.

Centres de compétences pour la prise en charge des maladies rares (CCMR)

Définition

Les CCMR ont vocation à coordonner la prise en charge et le suivi des patients au plus proche de leur domicile. Un même CCMR peut être rattaché à un ou plusieurs CRMR.
Les CRMR, qui sont des centres de recours, n'ont en effet pas vocation à prendre en charge toutes les personnes atteintes de maladies rares.

Missions

Les CCMR participent au diagnostic des maladies rares, mettent en œuvre la thérapeutique lorsqu'elle est disponible et organisent la prise en charge des patients en lien avec les CRMR auxquels ils sont rattachés et l'ensemble des acteurs concourant à la prise en charge de proximité, identifiés. Les CCMR suivent les recommandations et protocoles existants des CRMR auxquels ils sont rattachés. Ils ont recours à l'expertise des CRMR en tant que de besoin. Les CCMR ont l'obligation de renseigner la BNDMR. Ils peuvent participer à l'ensemble des autres missions des CRMR.

Filières de santé maladies rares (FSMR)

Définition des FSMR

Une filière de santé maladies rares est une organisation qui coordonne en réseau un ensemble associant des CRMR, des laboratoires de diagnostic et de recherche, des structures sociales et médico-sociales, des universités, des associations, voire tout autre partenaire ou institution apportant une expertise complémentaire au champ des maladies rares concerné.

Elle couvre un champ large et cohérent de maladies rares, soit proches dans leurs manifestations, leurs conséquences ou leur prise en charge, soit responsables d'une atteinte d'un même organe ou système.

Une FSMR est un lieu de mise en réseau et d'échanges privilégié entre les différents acteurs professionnels et associatifs. Sa vocation est essentiellement d'animer leurs relations et de coordonner leurs actions.

Les deux objectifs principaux sont de :

- **Favoriser la lisibilité** de l'organisation mise en place pour la prise en charges des maladies rares et de faciliter ainsi l'orientation des patients et des professionnels ;

- **Décloisonner** cette organisation pour coordonner l'expertise et créer un *continuum* d'action entre les structures et les acteurs sanitaires, sociaux, médico-sociaux et de l'accompagnement pour une meilleure prise en charge globale des patients.

Missions des FSMR

Une FSMR a trois missions principales :

- **L'amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares.** Une FSMR renforce, mutualise, coordonne voire impulse des actions visant à rendre plus lisible et plus accessible l'organisation en place et à améliorer la prise en charge globale et la diffusion de l'expertise et des connaissances dans un objectif d'équité sur le territoire national. La FSMR n'organise pas la prise en charge individuelle des patients qui reste du ressort des CRMR qui leur sont rattachés.

- **Le développement de la recherche translationnelle, clinique et fondamentale.**

  Une FSMR dispose de toute l'information utile sur les bases de données, le réseau des laboratoires de diagnostic et de recherche, les projets et travaux de recherche en cours, les programmes centrés sur l'innovation diagnostique et thérapeutique, etc. Elle favorise et valorise ainsi le continuum entre la recherche fondamentale, translationnelle et clinique.

- **Le développement de l'enseignement, de la formation et de l'information.** Une FSMR dispose de toute l'information utile sur les initiatives déjà prises et suscite des programmes d'enseignement et la création de diplômes interuniversitaires. Elle organise toute action, voire met en place, le ou les dispositifs pouvant contribuer à une meilleure information de ses membres et des autres acteurs impliqués de la FSMR et en dehors.