



Filnemus

Filière Neuromusculaire

Charte de fonctionnement De la filière Filnemus

Version 4, 8 Avril 2024

ABREVIATIONS

Alliance-Neuro	Alliance Française des Associations de Patients Atteints de Neuropathies Périphériques
AFCA	Association Française Contre l’Amylose
AFG	Association Francophone des Glycogénoses
AFM-Téléthon	Association Française contre les Myopathies
AFNP	Association Française contre les Neuropathies Périphériques
AMMI	Association contre les Maladies Mitochondriales
ANPGM	Association Nationale des Praticiens de Génétique Moléculaire
AOC	Aquitaine Occitanie Caraïbe
AP-HM	Assistance publique-Hôpitaux de Marseille
CALISSON	Centre de référence pour les maladies mitochondriales de l’enfant à l’adulte (sud)
CARAMEL	Centre de référence pour les maladies mitochondriales de l’enfant à l’adulte (nord)
CCMR	Centre de Compétences Maladies Rares
CERAMIC	Centre de Référence Neuropathies Rares & Amyloïdes Ile-de-France Caraïbes
CHU	Centre Hospitalier Universitaire
CMT-France	Association Charcot-Marie-Tooth-France
COPIL	Comité de pilotage
CPMS	Clinical Patient Management System
CRM	Centre de Référence Maladies Rares
DGOS	Direction Générale de l’Offre de Soins
ECLAS	Association Ensemble Contre L’amyotrophie Spinale de Type I
ERN	European Reference Network
Euro-NMD	European Reference Network for rare Neuromuscular Diseases
FSMA	Familles SMA France
FSMR	Filière de Santé Maladies Rares
GFEMM	Groupe Français d’Etude sur des Maladies du Motoneurone
LAMA2 France	Association Française pour les personnes atteintes de dystrophie musculaire congénitale par déficit en laminine-alpha 2
MIG	Mission d’Intérêt Général
PACARARE	PACA Rhône Alpes Réunion
PNDS	Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins
PNMR	Plan National Maladies Rares
SF-ENMG	Société Française d’ElectroNeuroMyoGraphie
SFM	Société Française de Myologie
SFN	Société Française de Neurologie
SFNP	Société Française de Neurologie Pédiatrique
SFNP	Société Francophone du Nerf Périphérique
UF	Unité fonctionnelle

Table des matières

PREAMBULE	5
LE PERIMETRE D’ACTION DE FILNEMUS	6
TITRE 1 : OBJET – TEXTES DE REFERENCE - ACTEURS - SIEGE - DUREE	6
ARTICLE 1. OBJET DE LA CHARTE	6
ARTICLE 2. TEXTES DE REFERENCE.....	6
ARTICLE 3. SIEGE	7
ARTICLE 4. DUREE.....	7
TITRE 2 : STRUCTURATION DE LA FILIERE.....	7
ARTICLE 5. LES ACTEURS DE FILNEMUS	7
ARTICLE 5.1 Définitions des acteurs de FILNEMUS.....	7
ARTICLE 5.2 Modalités de demande de rattachement à la Filière FILNEMUS.....	9
TITRE 3 : RESSOURCES DE LA FILIERE.....	10
ARTICLE 6. RESSOURCES	10
TITRE 4 : FONCTIONNEMENT DE LA FILIERE.....	10
ARTICLE 7. LE BUREAU DE FILNEMUS.....	10
ARTICLE 7.1 Composition.....	10
ARTICLE 7.2 Le coordonnateur de la Filière.....	10
ARTICLE 7.3 Le chef de projet.....	10
ARTICLE 7.4 Le chargé de mission du bureau.....	11
ARTICLE 7.5 Missions	11
ARTICLE 7.6 Fonctionnement du bureau.....	12
ARTICLE 8. LE COMITE DE PILOTAGE (COPIL) DE FILNEMUS	12
ARTICLE 8.1 Composition.....	12
ARTICLE 8.2 Missions	12
ARTICLE 8.3 Fonctionnement du comité de pilotage	12
ARTICLE 9. LE COMITE DE COORDINATION DE FILNEMUS.....	12
ARTICLE 9.1 Composition.....	12
ARTICLE 9.2 Missions	12
ARTICLE 9.3 Fonctionnement du comité de coordination.....	12
ARTICLE 10 : AUTRES MODALITES DE FONCTIONNEMENT	13
ARTICLE 10.1 Réunions avec la direction de l’AP-HM	13
ARTICLE 10.2 Réunions inter-filières entre les chefs de projet des FSMR.....	13
ARTICLE 10.3 Collaboration de la filière avec les partenaires privés.....	13
ARTICLE 11. PARTICIPATION DES ACTEURS.....	13
ARTICLE 12. LES COMMISSIONS DE FILNEMUS	14

ARTICLE 12.1 Composition.....	14
ARTICLE 12.2 Missions	14
ARTICLE 13. RECRUTEMENT DE PERSONNEL.....	14
TITRE 5 : MISSIONS ET OBJECTIFS DE FILNEMUS	14
ARTICLE 13. MISSIONS ET OBJECTIFS	14
ARTICLE 14. ENGAGEMENT DES CRMV ET CCMV	15
ARTICLE 15. LES ACTIVITES DE COMMUNICATION	15
ARTICLE 15.1 Le site internet de la Filière	15
ARTICLE 15.2 Rédaction et diffusion de l'infolettre.....	16
ARTICLE 15.3 Billet du lundi.....	16
ARTICLE 16. LA JOURNEE ANNUELLE DE FILNEMUS	16
TITRE 6 : COMPTES ET GESTION.....	16
ARTICLE 17. ORGANISME GESTIONNAIRE	16
ARTICLE 18. BUDGET	16
ARTICLE 19. COMPTE DE RESULTATS ET CONTROLE DE GESTION	16
TITRE 7 : MODIFICATION – DISSOLUTION – DATE ET MODALITES D'EFFET	17
ARTICLE 20. MODIFICATION	17
ARTICLE 21. DISSOLUTION	17
ARTICLE 22. DATE ET MODALITES D'EFFET	17
ANNEXES.....	19
Annexe 1 : Cartographie de la Filière et liste des centres	19
Annexe 2 : Les commissions de la Filière et leurs missions respectives	22

PREAMBULE

Le premier plan national maladies rares 2005-2008 a permis d'améliorer l'accès au diagnostic et à la prise en charge des personnes atteintes de maladie rare, grâce à la mise en place de 131 centres de référence maladies rares labellisés (CRMR). Le dispositif a été complété par l'identification de plus de 500 centres de compétences rattachés aux CRMR et offrant un appui pour la prise en charge de proximité.

Le second plan national maladies rares 2011-2014, prolongé jusqu'en 2016, a abouti à la labellisation de 23 filières de santé maladies rares dont la Filière FILNEMUS. Les Filières de Santé Maladies Rares (FSMR) sont des dispositifs qui ont pour vocation d'animer et de coordonner les actions entre les acteurs impliqués dans la prise en charge des patients atteints de maladie rares, que sont :

- Les centres de références Maladies Rares (CRMR), multisites, chaque CRMR étant constitué d'un centre coordonnateur et d'un ou plusieurs centres constitutifs ;
- Les centres de compétences Maladies Rares (CCMR), sont rattachés à un CRMR coordonnateur ;
- Les professionnels et les structures des secteurs médico-social et social ;
- Les spécialités médicales ayant une expertise dans le champ d'action de la Filière ;
- Les professionnels du domicile ;
- Les réseaux de soins dédiés ou d'accompagnement ;
- Les associations de patients ;
- Les laboratoires de diagnostic ;
- Les équipes de recherche.

Les principaux objectifs de ces filières sont :

- Diminuer le délai d'errance diagnostique et thérapeutique en améliorant la lisibilité du maillage territorial, en aidant les médecins traitants pour le diagnostic et la prise en charge de leurs patients atteints d'une maladie rare, en facilitant l'orientation dans le système de santé des personnes atteintes d'une maladie rare ;
- Décloisonner en améliorant le continuum entre les acteurs impliqués dans la prise en charge médicale et l'interface avec le secteur médico-social et social, les innovations diagnostiques et thérapeutiques, la recherche clinique et fondamentale.

Les missions de la filière Filnemus, telles que définies dans le 3^e plan national maladies rares (PNMR3), s'articulent autour de trois grands axes : améliorer la prise en charge des patients atteints de maladies rares ; dynamiser la recherche ; développer l'enseignement, la formation et l'information.

Afin d'optimiser la prise en charge globale des patients atteints de maladies rares, Filnemus anime et coordonne les actions visant à optimiser l'offre diagnostique et de soins, à améliorer le continuum entre les professionnels impliqués dans la prise en charge médicale et ceux des secteurs éducatifs, médico-sociaux et sociaux dans les maladies rares et, favoriser les partenariats avec les associations de patients.

En ce qui concerne la mission recherche, Filnemus soutient et coordonne les projets de recherche - fondamentale, translationnelle et clinique – de ses centres et favorise la visibilité de ces projets au niveau international.

Dans le but de développer l'enseignement et la formation, Filnemus recense de manière exhaustive les enseignements et formations existants sur le territoire national et encourage la création de diplômes universitaires ou interuniversitaires dédiés aux maladies rares neuromusculaires. Filnemus assure la diffusion des informations auprès des professionnels de santé, des associations de patients, des patients et de leur entourage.

En 2019, dans le cadre la dernière campagne de labellisation des filières de santé maladies rares, Filnemus a proposé son **plan d'actions sur 4 ans** validé par la Direction Générale de l'Offre de Soins (DGOS). Il comprend **quatre axes et 30 actions concrètes**, lesquelles sont **coordonnées par dix commissions de travail**.

Ces axes sont les suivants :

1. Amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares
2. Coordination de la recherche fondamentale, translationnelle, clinique et organisationnelle
3. Développement de l'enseignement, de la formation et de l'information
4. Coordination au niveau européen et international

LE PERIMETRE D'ACTION DE FILNEMUS

Les maladies neuromusculaires constituent un vaste ensemble de maladies rares le plus souvent d'origine génétique ou auto-immune, touchant aussi bien l'enfant que l'adulte, avec une sévérité très variable d'un individu à l'autre. Très longtemps réputées incurables et caractérisées par leur grande variété (près de 400 formes différentes sont répertoriées à ce jour), les maladies neuromusculaires concernent environ 60.000 personnes en France. La Filière de Santé Maladies Rares FILNEMUS est dédiée à la prise en charge des maladies neuromusculaires. Les maladies couvertes par la Filière sont les pathologies de l'unité motrice. D'un point de vue anatomo-clinique, celles-ci comprennent :

- **Les affections du muscle** : dystrophies musculaires, myopathies congénitales, myopathies métaboliques, myopathies inflammatoires, canalopathies musculaires, etc.
- **Les maladies de la jonction neuromusculaire** : myasthénie et syndromes myasthéniques),
- **Les maladies rares du nerf périphérique** (neuropathies amyloïdes familiales, neuropathies dysimmunitaires rares, maladie de Charcot-Marie-Tooth, etc.
- **Certaines maladies du motoneurone** : amyotrophies spinales héréditaires SMN. Il a été convenu avec la Filière FILSLAN que les amyotrophies spinales liées au gène SMN, rentraient dans le champ d'expertise de FILNEMUS.
- **Les pathologies mitochondriales** ont une expression multisystémique mais le plus souvent prédominante sur le système neuromusculaire. Depuis l'année 2015, les deux CRMIR prenant en charge ces maladies ont rejoint la Filière FILNEMUS.

Les pathologies neurodégénératives frontalières comme les paraparésies spastiques héréditaires et les cardiomyopathies primitives sont exclues du champ de la Filière Filnemus et sont rattachées respectivement aux FSMR Brain-Team et Cardiogen.

La Filière FILNEMUS est aussi partie prenante du réseau européen de référence *ERN Euro-NMD* qui a été labellisé officiellement en janvier 2017. Ce réseau inclut les pathologies du motoneurone, du nerf périphérique, de la jonction neuromusculaire, du muscle et de la mitochondrie. Sept CRMIR et/ou regroupements/consortium appartenant à la Filière FILNEMUS sont labellisés : CHU Pitié-Salpêtrière, CHU Raymond-Poincaré, CHU de La Timone, CHU de Limoges, CHU de Nice, CHU de Nantes, CHU de Saint-Etienne, CHU de Bordeaux et CHU de Strasbourg. La coordination de l'ERN est basée à l'Institut de Myologie à Paris.

TITRE 1 : OBJET – TEXTES DE REFERENCE - ACTEURS - SIEGE - DUREE

ARTICLE 1. OBJET DE LA CHARTE

La présente charte a pour objet de fixer les modalités de fonctionnement de la Filière Filnemus. La Filière rassemble tous les acteurs impliqués dans la prise en charge des maladies neuromusculaires afin de faciliter le parcours de soins du patient atteint, assurer la formation et l'information, coordonner et structurer la recherche.

ARTICLE 2. TEXTES DE REFERENCE

La filière maladies rares neuromusculaires Filnemus est constituée sous la forme d'une filière de santé maladie rares nationale. Elle est régie par la législation française en vigueur :

1^{er} Plan National Maladies Rares (PNMR) 2005-2008, précisant notamment les modalités de mise en place des CRMR et CCMR.

Instruction DGOS/PF2/2013/306 du 29 juillet 2013 relative à la structuration des filières de santé maladies rares prévues dans le plan national maladies rares 2011-2014

2^{ème} PNMR 2011- 2014, prolongé jusqu'en 2016, précisant notamment les modalités de mise en place des FSMR.

Instruction DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence, des centres de compétence et des filières de santé dans le domaine des maladies rares.

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)

ARRETE DU 9 MAI 2017 portant sur la labellisation des centres de références pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares

ARRETE DU 8 AOÛT 2017 portant labellisation des réseaux des centres de référence prenant en charge les maladies rares

ARRETE du 25 novembre 2017 Portant labellisation des réseaux des centres de référence prenant en charge les maladies rares

3^{ème} PNMR 2018-2022, prolongé jusqu'en 2024, priorise la lutte contre l'errance et l'impasse diagnostique avec un objectif qualifié réduit à 1 an et renforce le rôle des filières dans la coordination des acteurs de « l'écosystème maladies rares ».

NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares

NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/224 du 28 septembre 2018 relative à l'appel à projet national pour la 2^{ème} campagne de labellisation des filières de santé maladies rares

NOTE D'INFORMATION N° DGOS/maladies rares/2019/51 du 11 mars 2019 relative à l'appel à projets 2019 pour la production de protocoles nationaux de diagnostics et de soins (PNDS) pour les maladies rares

ARTICLE 3. SIEGE

Le siège de la coordination de la Filière est basé à l'AP-HM Hôpital de la Timone à Marseille. Selon les modalités de relabélisation de la Filière défini par le comité de coordination de la Filière et avec l'approbation de la DGOS, le siège de la Filière pourra être transféré dans l'établissement d'appartenance du nouveau coordonnateur désigné pour le mandat suivant.

ARTICLE 4. DUREE

La Filière FILNEMUS a été constituée en mars 2014 (notification budgétaire reçue en novembre 2014) pour une durée de cinq ans. Elle a été re-labellisée en 2019 par la DGOS pour la période 2019-2022. Son renouvellement sera prononcé par la DGOS, dans le cadre d'une campagne de labellisation des filières en 2024.

TITRE 2 : STRUCTURATION DE LA FILIERE

ARTICLE 5. LES ACTEURS DE FILNEMUS

ARTICLE 5.1 Définitions des acteurs de FILNEMUS

FILNEMUS a pour vocation d'animer les relations professionnelles entre les différents acteurs:

- les CRMR coordonnateurs et constitutifs relevant du périmètre de FILNEMUS
- les CCMR relevant du périmètre de FILNEMUS
- les associations représentant les patients atteints de maladies neuromusculaires et/ou mitochondriales
- les sociétés savantes relevant du périmètre de FILNEMUS
- les professionnels et les structures du secteur médicosocial, social et éducatif dans le champ de la Filière qui adhèrent à ses objectifs et orientations
- les équipes de recherche fondamentale, translationnelle et clinique travaillant dans le champ des maladies rares de la Filière
- les laboratoires ou plateformes de diagnostic approfondi prenant en charge ces groupes de maladies
- les spécialités transversales ayant développé une expertise dans les maladies rares de la Filière
- les réseaux notamment de soins travaillant en lien avec les CRMR et les CCMR.

Le nombre des membres est illimité. La liste des membres de FILNEMUS a été établie sur la base de la liste des CRMR, CCMR, des laboratoires impliqués dans FILNEMUS, les associations de patients, la liste des chercheurs communiquée par les sociétés savantes. Cette liste a été mise à jour lors de chaque journée annuelle de FILNEMUS ou sur sollicitation individuelle via le bureau de FILNEMUS ou le site internet.

La Filière FILNEMUS bénéficie d'un maillage territorial satisfaisant y compris dans les départements et collectivités d'outre-mer. Elle s'appuie pour cela sur:

1) Les centres de référence coordonnateurs et constitutifs (CRMR) et de compétences (CCMR) (Annexe 1):

- 8 CRMR Coordonnateurs
 - 3 CRMR Coordonnateurs maladies neuromusculaires
 - 2 CRMR Coordonnateurs maladies mitochondriales
 - 1 CRMR Coordonnateur neuropathies rares et amyloïdes
 - 1 CRMR Coordonnateur myopathies inflammatoires
 - 1 CRMR Coordonnateur canalopathies musculaires
- 30 CRMR Constitutifs
 - 23 CRMR Constitutifs maladies neuromusculaires
 - 5 CRMR Constitutifs maladies mitochondriales
 - 2 CRMR constitutif neuropathies rares et amyloïdes
- 30 CCMR
 - 20 CCMR maladies neuromusculaires
 - 7 CCMR maladies mitochondriales
 - 3 CCMR neuropathies rares et inflammatoires

2) Les laboratoires ou plateaux techniques participant au diagnostic :

- a. Anatomopathologie
- b. Biologie moléculaire

- c. Immunologie
 - d. Neurophysiologie clinique
 - e. Imagerie
- 3) Les laboratoires de recherche
 - 4) Les acteurs du secteur médico-social
 - 5) Les sociétés savantes : Société Française de Myologie (SFM), Société Francophone du Nerf Périphérique (SFNP), Société Française de Neurologie (SFN), Société Française de Neurologie Pédiatrique (SFNP), Société Française d'ElectroNeuroMyoGraphie (SF-ENMG), Société Française de NeuroPathologie (SFNP), Groupe Français d'Etude des Maladies du Motoneurone (GFEMM), L' Association Nationale des Praticiens de Génétique Moléculaire (ANPGM)
 - 6) Dix associations de patients sont présentes dans la Filière : l'Association Française contre les Myopathies (AFM-téléthon), l'Association Charcot-Marie-Tooth-France (CMT-France), l'Association Française contre les Neuropathies Périphériques (AFNP), l'Association Française contre l'Amylose (AFCA), l'Association contre les Maladies Mitochondriales (AMMI), Familles SMA France (FSMA), Alliance Française des associations de patients atteints de Neuropathies Périphériques (ALLIANCE-NEURO), Association Francophone des Glycogénoses (AFG), Association Française pour les personnes atteintes de dystrophie musculaires congénitale par déficit en laminine-alpha 2 (LAMA2 France), l'Association Ensembles Contre L'amyotrophie Spinale de Type I (ECLAS).

L'Alliance-Neuro a été fondée par trois associations de patients - CMT-France, AFNP et AFCA - qui œuvrent dans le domaine des neuropathies périphériques. L'Alliance-Neuro a pour objectif de faciliter la participation des patients à la gouvernance de la Filière, dans le domaine des neuropathies périphériques. Il est important de noter que l'Alliance-Neuro n'a pas vocation à se substituer aux associations membres de cette alliance qui par ailleurs restent totalement indépendantes et conservent leurs domaines d'expertises et d'interventions initiales en particulier pour contribuer aux travaux de l'ensemble des commissions de la Filière.

ARTICLE 5.2 Modalités de demande de rattachement à la Filière FILNEMUS

CRMR ou CCMR

Selon l'addendum de la DGOS, le CRMR ou CCMR souhaitant faire une demande de rattachement à une FSMR doit remplir les conditions suivantes :

- Disposer d'un document attestant de labellisation et précisant son domaine d'expertise.
- Le coordonnateur du CRMR/CCMR adresse au coordonnateur de la FSMR un dossier incluant :
 - o Une lettre de motivation pour sa demande de rattachement à la FSMR, avec engagement sur la participation aux travaux de la FSMR ;
 - o Un accord de chacun des responsables des sites constitutifs qui lui sont éventuellement rattachés ;
 - o La liste de maladies rares ou groupe de MR dont il a la charge.

L'ensemble du dossier et l'avis favorable visé par le coordonnateur de la FSMR, après consultation de son comité de coordination sont adressés au directeur général de la DGOS.

Le directeur de la DGOS notifie au coordonnateur de la FSMR l'intégration de ce nouveau CRMR/CCMR.

Sociétés savantes et Associations de patients

La société savante ou l'association de patients, souhaitant devenir membre d'une FSMR, doit déposer une demande écrite au bureau de FILNEMUS comprenant :

- Une lettre de motivation
- La liste des maladies rares relevant de son périmètre

Un avis favorable est donné après consultation du comité de coordination.

TITRE 3 : RESSOURCES DE LA FILIERE

ARTICLE 6. RESSOURCES

Les ressources annuelles de la Filière sont exclusivement des dotations MIG notifiées selon les circulaires de la DGOS et actuellement gérées par la Direction des Affaires Financière de l'AP-HM. Une part fixe en 1^{ère} circulaire budgétaire (frais de personnels, site Web, Journées de la Filière, prestation de conseil, actions de communication et de formations) et une part variable en 2^{nde} circulaire, en fonction de la validation des propositions formulées dans un plan d'actions remis annuellement par la Filière à la DGOS.

TITRE 4 : FONCTIONNEMENT DE LA FILIERE

ARTICLE 7. LE BUREAU DE FILNEMUS

ARTICLE 7.1 Composition

Le bureau est composé du coordinateur, d'un.e à deux chef.fes de projet, d'un.e secrétaire et des chargé.es de mission.

ARTICLE 7.2 Le coordonnateur de la Filière

Le coordonnateur est nommé par le Comité de Pilotage de la DGOS pour un mandat de cinq années. Il représente la Filière et reçoit de ce Comité une délégation de pouvoirs pour assurer la gestion de la Filière et la représenter auprès des tiers et des pouvoirs publics.

ARTICLE 7.3 Le chef de projet

L'animateur de la Filière nomme un ou deux chef(s) de projet qui assure le fonctionnement de la Filière sous l'autorité du coordonnateur de la Filière. Le chef de projet assure l'animation et la coordination de l'ensemble des thématiques transversales définies pour les centres de référence et de compétence des maladies neuromusculaires sur le territoire national.

Il réalisera notamment les missions suivantes :

- Assurer le lien avec les centres de référence et de compétence de la Filière FILNEMUS (mais aussi les services hospitaliers, les laboratoires, les unités de recherche, etc...),
- Assurer le lien entre les membres de la Filière,
- Développer les partenariats régionaux avec le secteur médicosocial, la MDPH en assurant le relais des actions proposées au niveau national,
- Développer les partenariats avec les associations locales de patients concernés,
- Participer à la mise en place des réseaux locaux et régionaux de professionnels participant à l'accompagnement des personnes handicapées : constitution, information, formation.
- Assurer le relais de toute action en lien avec une des thématiques de la Filière
- Organiser des journées de formation
- Organiser les journées de la Filière
- Développer les supports d'information sur la thématique, des colloques...
- Recenser les projets de recherche

- Assurer le développement et l'alimentation d'un site internet dédié à la Filière et à ses partenaires et la réalisation d'une infolettre
- Suivre et contrôler le budget de la filière de santé Filnemus, en lien avec le responsable financier de la direction générale hospitalière qui gère le financement de la DGOS
- Rendre compte des activités devant le comité de coordination.

ARTICLE 7.4 Le chargé de mission du bureau

Le chargé de mission du bureau doit :

- Assister le coordonnateur de la Filière dans ses tâches d'animation, de gestion et de représentation
- En lien avec le chef de projet, instruire chaque demande de renseignements parvenant au bureau de la Filière
- Superviser chacun les travaux de neufs commissions ou groupes de travail de Filnemus
- Alimenter le site internet et autres outils de communication (infolettre, autres) en informations pertinentes et utiles pour l'ensemble de la Filière.

ARTICLE 7.5 Missions

Le bureau a pour mission :

- De définir un plan d'actions de la Filière conforme aux missions DGOS en collaboration avec un comité de coordination présidé par le responsable de la Filière, notamment dans les axes de l'amélioration du parcours de soins, la recherche, la formation et l'information.
- De définir les groupes de travail et leur pilotage et d'établir le calendrier de travail de la Filière ;
- D'assurer la mise en place et le suivi des actions portées par la Filière et la production des groupes de travail ;
- De coordonner les actions des centres et de mettre en place les procédures du parcours de soins;
- De réaliser les différentes enquêtes permettant un suivi de l'état des lieux nécessaires à la mise en place des actions de la Filière ;
- De diffuser les informations nécessaires à la coordination d'actions des centres, de leurs partenaires, des équipes impliquées dans le diagnostic, la recherche et l'enseignement.
- De mettre en œuvre la coopération de l'ensemble des acteurs participants à la thématique, du sanitaire au médico-social en incluant les laboratoires diagnostiques et de recherche, les associations et organisme professionnels prestataires de soins ainsi qu'avec les agences et organismes nationaux financeurs ou tutélaires.
- De rédiger le rapport d'activité annuel de la Filière pour la DGOS
- De présenter un rapport d'activité annuel de la Filière à une assemblée générale des responsables des CRC nationaux et de recueillir leurs avis.
- De préparer et veiller à l'exécution du budget de la Filière.
- D'actualiser le site web de la Filière;
- De rédiger et diffuser l'infolettre.

ARTICLE 7.6 Fonctionnement du bureau

Le bureau se réunit de manière hebdomadaire. Ces réunions ont pour but de discuter des besoins de la Filière, de suivre les actions en cours et d'accompagner leur réalisation, de répondre aux demandes des membres de la Filière, d'assurer la gestion du budget de la Filière en concertation avec les représentants de l'administration hospitalière de l'AP-HM en charge de cette mission.

ARTICLE 8. LE COMITE DE PILOTAGE (COPIL) DE FILNEMUS

ARTICLE 8.1 Composition

Le COPIL est composé du bureau et de 8 experts (médecins et chercheurs) dans les maladies rares neuromusculaires. Il se réunit une fois par semaine.

ARTICLE 8.2 Missions

Les missions du comité de pilotage consistent à :

- Echanger sur les besoins de la filière
- Répondre aux demandes des membres de la filière
- Suivre les actions en cours et accompagner leur réalisation

ARTICLE 8.3 Fonctionnement du comité de pilotage

Le comité de pilotage se réunit chaque mardi matin à 8h15. Les réunions sont organisées sous forme de visioconférence du fait de la dispersion géographique des membres du comité.

ARTICLE 9. LE COMITE DE COORDINATION DE FILNEMUS

ARTICLE 9.1 Composition

La gouvernance de FILNEMUS est assurée par un comité de coordination comprenant les membres du Comité de pilotage (bureau et experts), les responsables des 8 CRMR coordinateurs, les responsables des commissions de travail de la filière, les responsables des associations de patients et le référent administratif de la DRCI de l'AP-HM.

ARTICLE 9.2 Missions

La gouvernance de la Filière est l'instance décisionnaire de la Filière qui assure son animation. Elle a pour mission de :

- Définir la politique générale et la stratégie de la Filière ;
- Définir les orientations des groupes de travail, les objectifs annuels et les indicateurs de suivi ;
- Contribuer à la mise en place des actions et leur suivi ;
- Proposer la répartition des moyens à mettre en œuvre pour répondre au plan d'action.

Plusieurs commissions garantissent le dynamisme de la Filière et la collégialité des propositions, force de propositions, de choix stratégiques et de prises de décisions.

ARTICLE 9.3 Fonctionnement du comité de coordination

Le comité de coordination se réunit avec une périodicité qui varie selon l'échéancier de l'activité de la Filière (2 à 3 fois par an en moyenne). Le choix de la date est l'objet d'une concertation des membres du comité de coordination afin de réunir le plus grand nombre. Les réunions sont organisées sous forme de visioconférence du fait de la dispersion géographique des membres du comité. Ces réunions sont destinées à informer et à discuter de l'orientation globale de la Filière, de l'avancement des actions de la Filière et des travaux de chacune des dix commissions, et de l'établissement annuel du plan d'action. Chaque réunion fait l'objet d'un compte-rendu écrit diffusé aux membres dudit comité et dans lequel figure la liste des membres présents. La validité des décisions du comité de coordination ne nécessite pas de quorum.

ARTICLE 10 : AUTRES MODALITES DE FONCTIONNEMENT

La Filière a mis en place plusieurs types de réunions afin de pouvoir mieux coordonner les actions de la Filière :

ARTICLE 10.1 Réunions avec la direction de l'AP-HM

Un directeur référent et un référent administratif ont été identifiés au sein de la Direction Générale de l'AP-HM. Ces agents en charge de la gestion budgétaire de Filnemus appartiennent à la « Direction de la recherche clinique et de l'innovation ». Des réunions entre le bureau de Filnemus et les responsables administratifs de l'AP-HM sont régulièrement organisées. Elles ont pour but de définir les engagements financiers des actions entreprises selon le plan d'action et de mettre en place les procédures pour l'utilisation du budget alloué. Lorsque le porteur de l'action appartient à un autre établissement hospitalier que l'AP-HM, le transfert budgétaire fait l'objet d'une convention budgétaire inter-établissements. L'établissement est également en charge de réaliser les appels d'offre concernant les sociétés prestataires. Pour la gestion des frais de déplacement et leur remboursement, une procédure a été mise en place conjointement entre le chef de projet et le responsable administratif.

ARTICLE 10.2 Réunions inter-filières entre les chefs de projet des FSMR

Les réunions entre chefs de projet des FSMR permettent de discuter et d'échanger sur des thématiques communes, d'organiser des actions inter-filières, de partager des connaissances et expériences sur des domaines spécifiques. Ces réunions sont organisées une fois par mois par téléconférence ou en présentiel à l'occasion des réunions du COPIL des FSMR au Ministère de la Santé.

ARTICLE 10.3 Collaboration de la filière avec les partenaires privés

Exemples: livrets explicatifs, matériel pédagogique, recommandations, enquêtes...

Dans le contexte de projets de collaboration avec des partenaires privés, pour lesquels l'association de la filière est souhaitée ; les projets doivent être soumis à la filière en amont du projet afin d'en étudier :

- Son intérêt pour la filière et les patients
- Les conditions juridiques, éthiques et scientifiques
- Apporter les modifications que la filière jugerait utiles

Une fois ces critères évalués, la filière se réserve le droit de valider, ou non, les propositions de projet.

Tout projet de collaboration impliquant un partenaire privé proposé à la filière doit obligatoirement remplir l'ensemble des conditions suivantes :

- Le projet doit avoir une dimension nationale, impliquant plusieurs centres (au moins deux et par exemple pour un travail de relecture) et s'inscrivant dans les actions de la filière
- Les centres porteurs du projet doivent compléter un « formulaire de demande de collaboration », disponible en ligne sur le site de la filière ([LIEN](#)) ou en sollicitant la filière à l'adresse FiliereFILNEMUS@ap-hm.fr
- Les projets sont soumis à la validation du Comité de Pilotage et/ou du Comité de Coordination de la filière, avec possibilité pour la filière d'y apporter des modifications
- La filière Filnemus tout comme le partenaire conservera un droit de reproduction et de diffusion gratuit sur le produit final

Toute demande de collaboration de la filière concernant un projet n'ayant pas impliqué la filière dès la conception sera *de facto* refusée.

ARTICLE 11. PARTICIPATION DES ACTEURS

L'ensemble des acteurs de la filière FILNEMUS est invité à participer à une journée annuelle. Cette réunion permet de diffuser l'ensemble des informations sur le fonctionnement et les actions de la Filière.

Ils sont informés du plan d'actions rédigé annuellement par la Filière, sollicités pour sa rédaction. Ils sont incités et appelés à participer au travail des commissions de travail et veillent son application et au respect de son

déroulement. Les acteurs de la Filière reçoivent régulièrement des informations actualisées sur les actions, enjeux, projets nationaux et collaboratifs principalement par mails, à travers l'infolettre et les informations mises en ligne sur le site. Ils sont consultés à l'occasion des décisions d'actions collectives et participent à toutes les enquêtes réalisées au nom de la Filière.

ARTICLE 12. LES COMMISSIONS DE FILNEMUS

ARTICLE 12.1 Composition

Plusieurs commissions, ou groupes de travail, ont été mises en place par la Filière afin d'avancer concrètement sur le développement des actions. La composition de ces commissions est ouverte et ne dépend que de l'implication volontaire des acteurs participants. Les responsables des commissions sont désignés par le coordinateur de la Filière après consultation des acteurs impliqués et du comité de coordination, en fonction de leurs compétences professionnelles diverses et d'origine géographique différente afin de représenter au mieux les objectifs de chacune des commissions et la complémentarité des différentes constituantes de Filnemus. Lorsqu'il y a plusieurs responsables de commissions, un seul participe statutairement au comité de coordination. Les réunions sont organisées avec une périodicité variable selon le besoin et les avancements des travaux de la commission. Les membres du bureau essaient autant que possible de participer aux réunions de travail de toutes les commissions. Ils rendent compte, oralement ou par écrit, des travaux des dites commissions aux autres membres du bureau.

ARTICLE 12.2 Missions

Chaque commission travaille indépendamment sur des missions fixées et est accompagnée par la Filière qui met à disposition des moyens techniques de communication, des recueils d'information, d'aide à la rédaction des synthèses et la finalisation et mise en place des actions qui en découlent. Ces groupes de travail ont chacun pour champ d'intervention l'un des axes prioritaires de la Filière. Leur feuille de route est définie au sein du plan d'action de la Filière.

Les missions de chaque commission sont en annexe 2.

ARTICLE 13. RECRUTEMENT DE PERSONNEL

Pour couvrir ses besoins en personnel par des profils de compétence adaptés à ses travaux, la Filière peut procéder à des recrutements de chargé(s) de mission(s). Ces personnels seront recrutés par contrat de travail de droit public par le CHU hébergeur du responsable de l'action définie par la Filière. Les chargés de projet sont placés sous la responsabilité hiérarchique du coordonnateur de la Filière et du chef de projet et la responsabilité fonctionnelle du (des) coordinateur(s) de la commission correspondante. Si le responsable de l'action n'appartient pas à l'AP-HM une convention inter hospitalière sera établie et validée par les autorités administratives de l'AP-HM et de l'établissement hospitalier d'accueil. Chaque recrutement donne lieu à l'établissement d'une fiche de poste spécifique.

TITRE 5 : MISSIONS ET OBJECTIFS DE FILNEMUS

ARTICLE 13. MISSIONS ET OBJECTIFS

FILNEMUS a comme objectifs et missions de :

- Animer, coordonner et favoriser les échanges entre les différents acteurs de la Filière. Prévoir des rencontres interprofessionnelles régulières. Mieux baliser le parcours de soins pour les malades et les médecins généralistes. Identifier les situations extrêmes (dont font partie les urgences). Rendre plus lisibles les avancées et réalisations du réseau neuromusculaire. Animer et coordonner les actions entre les différents acteurs impliqués dans le diagnostic, le soin et la prise en charge des patients atteints de maladie neuromusculaire.

- Valoriser l'exploitation des bases de données. Valoriser les travaux de recherche clinique. La valorisation des savoir-faire passe aussi par l'établissement de recommandations (type Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins (PNDS)).
- Mutualiser : mutualisation des moyens de communication vis-à-vis des malades et de leurs familles et des professionnels (sites web, infolettres, plaquettes, autres). Dialogue avec les tutelles (hospitalières ou ARS) et les MDPH. Mutualisation sous la forme d'un réseau français des demandes lors des appels d'offres (projets de recherche communs). Mutualisation à favoriser aussi avec les FSMR voisines.
- Porter une stratégie partagée (aussi bien pour l'organisation de l'offre de soins en pathologie neuromusculaire, que pour les orientations en matière de recherche). Cela passe par l'élaboration d'un programme d'action annuel définissant les objectifs et priorités de FILNEMUS, et par une participation active aux groupes de travail ministériels en particulier inter-filières, aux différents conseils scientifiques et CA des sociétés savantes et/ou des groupes de travail concernés.
- Obtenir des moyens. Aider les acteurs de Filnemus dans leur demande visant à une meilleure adéquation de leurs moyens avec leurs besoins : soutien dans les appels d'offres, aide méthodologique, etc... Le label Filnemus constitue dès à présent une valeur ajoutée.
- Peser à l'international. Filnemus, de par sa dimension nationale, est appelée à être l'interlocuteur privilégié dans le domaine des essais cliniques multicentriques, qu'ils soient à promotion industrielle ou académique. L'autre enjeu fort est celui de la labellisation conférée par l'appartenance au Réseau Européen de Référence (ERN) neuromusculaire EURO-NMD.

ARTICLE 14. ENGAGEMENT DES CRMR ET CCMR

Les responsables et médecins des CRMR et CCMR ont acté les missions et objectifs clés de la Filière.

Ils s'engagent :

- **à participer aux actions de la Filière** dans le cadre des différentes missions qui lui sont confiées principalement dans l'amélioration du parcours de soins, la recherche, la formation et l'information.
- **à participer au recueil des données d'activité de leur centre dans la BNDMR** et aux actions transversales de la Filière dans le cadre des commissions de la Filière ;
- **à participer aux actions de formation des personnels de santé affectés à leur centre** et notamment à les faire participer autant que faire se peut aux Journées Annuelle de la Filière ;
- **à veiller à l'application dans leur centre des procédures et recommandations** de soins établies en commun, au respect des règles de bonnes pratiques et d'éthique partagées, dans la prise en charge diagnostique, le suivi et la coordination du parcours de soins, les propositions thérapeutiques pour les personnes atteinte des maladies du neurone moteur et notamment dans l'application des Protocoles Nationaux de Diagnostic et des Soins (PNDS) établis dans le cadre de la Filière ;
- **à interagir en bonne harmonie avec le tissu associatif.**

ARTICLE 15. LES ACTIVITES DE COMMUNICATION

ARTICLE 15.1 Le site internet de la Filière

Le site de la Filière FILNEMUS est accessible à l'adresse suivante : <http://www.Filnemus.fr/>. Ce site, créé en 2016, comporte un espace «patients » et un espace « professionnels». L'espace patients est une plateforme de communication ayant pour ambition de faire connaître la Filière et ses acteurs, de présenter les actions prioritaires, de rapprocher les patients des centres de soins, de donner des informations sur les maladies rares neuromusculaires, de promouvoir et faciliter la recherche clinique et de mieux suivre les actualités et les événements dans le domaine des maladies neuromusculaires au niveau national et international. L'espace

professionnels est utilisé comme un espace de travail pour le passage d'information et de documents avec la possibilité de téléchargement.

ARTICLE 15.2 Rédaction et diffusion de l'infolettre

La Filière rédige deux fois par an une infolettre qu'elle diffuse à l'ensemble des membres de FILNEMUS (professionnels des centres et partenaires associés). Les informations concernent notamment : les actualités de la Filière, les avancements des travaux des commissions, le retour des Journées de la Filière, l'agenda, etc...

ARTICLE 15.3 Billet du lundi

La filière diffuse à ses membres chaque semaine « le Billet du lundi » visant à informer sur les actualités et événements de la filière, agenda, webinaires, avec des focus hebdomadaires sur ses actions.

RTICLE 16. LA JOURNEE ANNUELLE DE FILNEMUS

Cette journée annuelle est organisée en fin d'année, habituellement à Paris afin de faciliter l'accès aux acteurs de Filnemus venant de l'ensemble du territoire français. Elles sont coordonnées par le bureau de la filière. Le programme comporte une information sur les principales actions menées par Filnemus au cours de l'année précédente et les perspectives de la filière, un point thématique sur des actions spécifiques ainsi qu'un compte rendu des travaux réalisés par les commissions.

TITRE 6 : COMPTES ET GESTION

ARTICLE 17. ORGANISME GESTIONNAIRE

L'AP-HM est l'établissement gestionnaire de Filnemus pour la durée de son quinquennat. Aussi, les dotations allouées par la DGOS dans le cadre des missions d'intérêt général (MIG) des Filières de Santé Maladies Rares sont versées directement à l'AP-HM sur une unité fonctionnelle (UF) dédiée. L'AP-HM prélève sur cette enveloppe budgétaire des frais de structure.

L'exécution de chaque dépense doit respecter les bonnes pratiques de la dépense publique, le CHU étant l'ordonnateur.

Chaque achat ou prestation donne lieu à une imputation comptable dépendant d'une direction. L'exécution de la commande et de la dépense sont sous la responsabilité de la direction en charge de l'achat concerné.

ARTICLE 18. BUDGET

Le budget annuel comprend une part fixe qui permet de couvrir les salaires du personnel du bureau, la maintenance du site internet de la filière, l'organisation de la Journée Annuelle, les frais de missions, les frais de communication. Une part variable est allouée en fonction de la proposition d'un plan d'action évalué annuellement par la DGOS.

ARTICLE 19. COMPTE DE RESULTATS ET CONTROLE DE GESTION

L'AP-HM est l'établissement gestionnaire de la filière Filnemus pour la durée de son mandat. A ce titre, elle réalise, en lien avec le coordonnateur de Filnemus et le chef de projet, les actes de gestion nécessaires au fonctionnement financier de la filière.

Le budget annuel est approuvé par le comité de coordination au moment de l'élaboration du plan d'actions annuel.

Le budget annuel pour sa part fixe comprend le montant prévisionnel des dépenses de fonctionnement et d'investissement, et des recettes. Il permet de couvrir les salaires du personnel, la maintenance du site internet, l'organisation de la journée annuelle, les frais de gestion administrative et les frais de déplacements et d'impressions liés à l'activité de la filière.

Le budget annuel pour sa part variable dépend des actions transmises à la DGOS au travers du plan d'actions annuel de Filnemus.

La dotation de la DGOS est déléguée à l'AP-HM. Le coordonnateur est le gestionnaire de l'ensemble des financements.

Ces financements ont pour but de pourvoir à différents types de dépenses :

- Dépenses annuelles de salaires et de fonctionnement (frais de mission récurrents,...)
- Dépenses ponctuelles d'investissement (achats d'ordinateur,...) ou de fonctionnement (prestations extérieures, organisation de réunions ponctuelles, frais de mission,...).

Des financements seront reversés à d'autres établissements hospitaliers lorsque l'action financée est pilotée par un membre de la filière hébergé par cet établissement hospitalier. Une convention bipartite de partenariat et de reversement de financement sera mise en place entre l'AP-HM et chacun des centres hospitaliers concernés pour une durée déterminée renouvelable en fonction du plan d'actions de Filnemus.

L'exercice comptable/budgétaire de la filière a une durée de douze mois. Il débute le 1er janvier et s'achève le 31 décembre. En fonction des besoins, l'AP-HM reversera aux différents établissements hospitaliers partenaires (liés par convention bipartite dédiée) les financements correspondant aux dépenses engagées au cours de l'exercice. Cependant, si ces crédits ne sont pas engagés par l'établissement receveur, celui-ci s'engage à reverser au terme de l'exercice annuel, la somme reversée. Les reversements seront effectués sur présentation de factures conformes.

Il est tenu une comptabilité régulière des opérations effectuées par la filière conformément aux règles du plan comptable général. Ces comptes sont sous la responsabilité de l'agent comptable de la direction de la stratégie et de la coopération territoriale de l'AP-HM, organisme gestionnaire de la filière Filnemus.

L'AP-HM étant l'établissement gestionnaire de la filière Filnemus pour la durée de son quinquennat (cf. supra), une UF (Unité Fonctionnelle) et un centre de coûts dédiés à la filière Filnemus ont été créés au sein de l'AP-HM afin d'isoler tous flux financiers dédiés.

Il est tenu une comptabilité régulière des opérations effectuées par la filière conformément aux règles du plan comptable général. Ces comptes sont sous la responsabilité de l'agent comptable.

La Direction de l'AP-HM est chargée du suivi budgétaire sur la base du budget prévisionnel validé conjointement avec le coordonnateur de la filière en début d'année.

TITRE 7 : MODIFICATION – DISSOLUTION – DATE ET MODALITES D'EFFET

ARTICLE 20. MODIFICATION

Les modifications de la présente charte seront établies sous forme d'avenants qui seront approuvés par les signataires de la charte sur proposition du comité de coordination.

ARTICLE 21. DISSOLUTION

La filière peut être dissoute de plein droit seulement sur décision de la DGOS.

ARTICLE 22. DATE ET MODALITES D'EFFET

Les modifications de la présente charte seront établies sous forme d'avenants qui seront approuvés par décision du comité de coordination.

La filière Filnemus peut être dissoute de plein droit seulement par décision du ministère de la santé.

Le présent texte est adopté comme charte de la filière Filnemus par le comité de coordination dûment convoqué le 14/12/2023. A ce titre, l'ensemble des partenaires souhaitant participer à la Filière s'engagent à respecter ses dispositions.

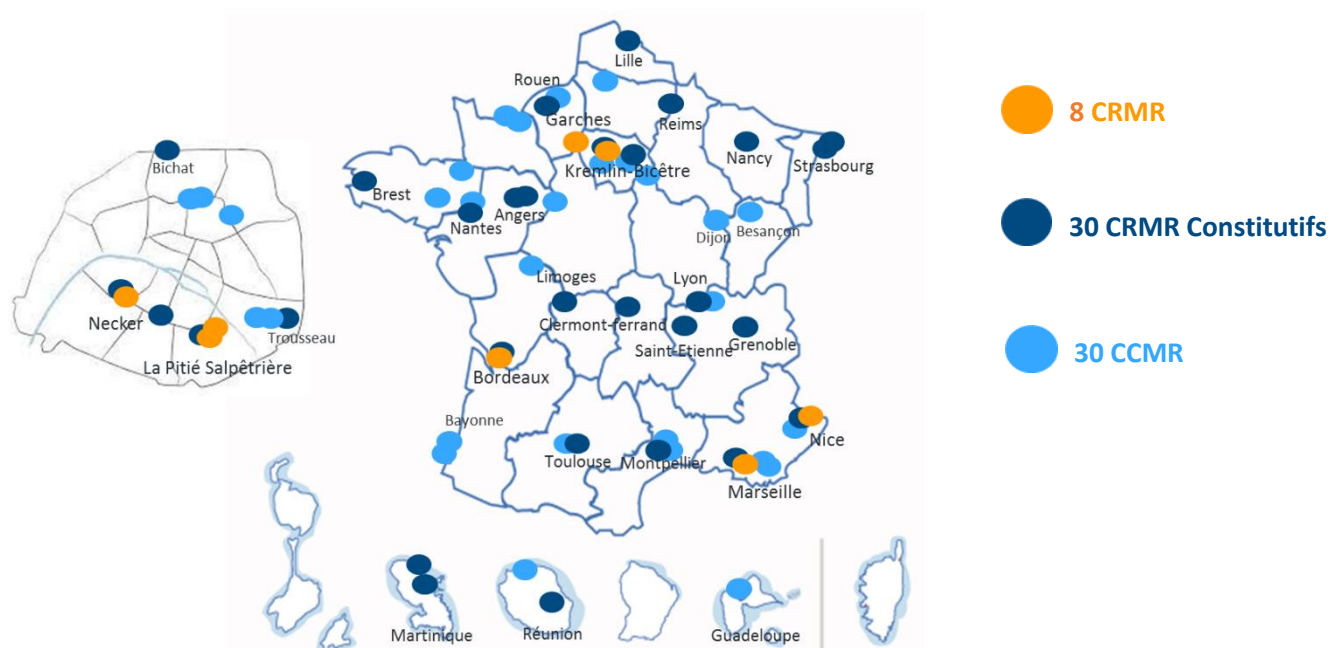
La charte prend effet à la date de signature par le coordonnateur de la filière.

Fait à Marseille, le 15/01/2024

Professeur Shahram ATTARIAN

ANNEXES

Annexe 1 : Cartographie de la Filière et liste des centres



1. Centre de référence des maladies neuromusculaires PACA-Réunion-Rhône Alpes

Site coordonnateur : AP-HM Hôpital de La Timone Marseille (Pr Shahram Attarian)

Sites constitutifs CRMR :

- 1) CHU de La Réunion (Dr Ariane Choumert)
- 2) HCL Lyon (Pr Carole Vuillerot)
- 3) CHU de Saint-Etienne (Pr Léonard Féasson)
- 4) CHU de Nice (Pr Sabrina Sacconi)
- 5) CHU de Clermont-Ferrand (Dr Catherine Sarret)
- 6) CHU de Grenoble Alpes (Dr Klaus Dieterich)

Centres de compétences CCMR :

- 1) Hôpital d'Enfants de St Denis La Réunion (Dr Anne Pervillé)
- 2) AVODD Toulon – Site Hôpital d'Instruction des Armées (HIA) Ste Anne (Pr Anthony Faivre)
- 3) CH de Grasse (Dr Pierre-Yves Dides)
- 4) CHI Toulon La Seyne-sur-mer (Dr Anke Marguery Rietveld)

2. Centre de référence des maladies neuromusculaires Nord/Est/Ile de France

Site coordonnateur : APHP- GHU Saclay- Site Raymond Poincaré Garches (Pr Pascal Laforêt)

Sites constitutifs CRMR :

- 1) APHP- GHU Sorbonne - Site Trousseau Paris 12 (Dr Arnaud Isapof)
- 2) APHP- GHU Sorbonne - Site Pitié Salpêtrière Paris 13 (Dr Tanya Stojkovic)
- 3) APHP- GHU Centre – Site Necker Enfants malades Paris 15 (Pr Isabelle Desguerre)
- 4) APHP- GHU Centre – Site Cochin Paris 14 (Pr Karim Wahbi)
- 5) APHP- GHU Mondor – Site Henri Mondor Créteil (Pr François Jérôme Authier)
- 6) CHU de Lille (Dr Céline Tard)
- 7) Hôp. Universit. de Strasbourg (Dr Aleksandra Nadaj-Pakleza)
- 8) CHU de Nancy (Dr Maud Michaud)

- 9) CHU de Reims (**Pr François Constant Boyer**)
- 10) CHU de Rouen- Hôpital Charles Nicolle (**Dr Ivana Dabaj**)

Centres de compétences CCMR :

- 1) APHP- GHU Sorbonne – Site Rothschild Paris 12 (**Dr Michèle Mane**)
- 2) APHP- Hôpital Marin de Hendaye (**Dr Brigitte Soudrie**)
- 3) CH Sud Seine et Marne (**Pr Marc Sorel**)
- 4) Fondation Adolphe de Rothchild (**Dr Antoine Gueguen**)
- 5) CHRU de Tours (**Dr Sybille Pellieux**)
- 6) CHU de Caen Normandie (**Dr Nathalie Bach**)
- 7) CHU d'Amiens Picardie (**Dr Philippe-Edouard Merle**)
- 8) CHU de Dijon Bourgogne (**Dr Agnès Jacquin-Piques**)
- 9) CHU de Besançon (**Pr Laurent Tatu**)

3. Centre de référence des canalopathies musculaires et maladies apparentées

Site coordonnateur : APHP- GHU Sorbonne - Site Pitié Salpêtrière Paris 13 (**Pr Bertrand Fontaine**)

4. Centre de référence des maladies neuromusculaires Atlantique Occitanie Caraïbe (AOC)

Site coordonnateur : CHU de Bordeaux (**Dr Guilhem Solé**)

Sites constitutifs CRM :

- 1) CHU de Toulouse (**Dr Claude Cancès**)
- 2) CHU de Montpellier (**Dr Ulrike Walther Louvier**)
- 3) CHU de Nantes (**Pr Yann Péréon**)
- 4) CHU d'Angers (**Dr Marco Spinazzi**)
- 5) CHRU de Brest (**Dr Juliette Ropars**)
- 6) CHU de la Martinique (**Dr Elisabeth Sarrazin**)
- 7) CHU de Limoges (**Pr Laurent Magy**)

Centres de compétences CCMR :

- 1) CHU de la Guadeloupe Pointe à Pitre/ Abymes (**Dr Hugo Chaumont**)
- 2) CH de la Côte Basque Bayonne (**Dr Olivier Flabeau**)
- 3) ESEAN_établissement de santé pour enfants et adolescents de la région nantaise (**Dr Capucine de Lattre**)
- 4) CHU de Nîmes (**Dr Dimitri Renard**)
- 5) CHU de Rennes (**Dr Mélanie Fradin**)
- 6) CH Bretagne Atlantique – Vannes (**Dr Florence Demurger**)
- 7) CHU de Poitiers (**Dr Mathilde Devaluez-Peyret**)

5. CERAMIC (Centre de Référence des Neuropathies Rares et Amyloïdes Ile-de-France Caraïbes)

Site coordonnateur : APHP- GHU Saclay – Site Kremlin Bicêtre (**Pr Andoni Echaniz-Laguna**)

Sites constitutifs CRM :

- 1) APHP- GHU Nord – Site Bichat Paris 18 (**Dr Vincent Algarrondo**)
- 2) CHU de Martinique Fort-de-France (**Dr Jocelyn Inamo**)

Centres de compétences CCMR :

- 1) APHP- GHU Saclay – Site Paul Brousse (**Dr Ilias Kounis**)
- 2) APHP- GHU Nord – Site Lariboisière (**Dr Pierre Lozeron**)
- 3) APHP- GHU Sorbonne – Site Rothschild Paris 12 (**Dr Michèle Mane**)

6. Centre de référence des Myopathies inflammatoires

Site coordonnateur : APHP – GHU Sorbonne – Site Pitié Salpêtrière (**Pr Olivier Benveniste**)

7. Centre de référence pour les maladies mitochondriales de l'enfant à l'adulte (CALISSON)

Site coordonnateur : CHU de Nice (**Dr Cécile Rouzier**)

Site constitutif CRM :

- 1) AP-HM Marseille (Pr Brigitte Chabrol)

Centres de compétences CCMR :

- 1) CHU de Toulouse (Dr Olivier Patat)
- 2) HCL Lyon (Dr Nathalie Guffon-Fouilhoux)
- 3) CHU de Montpellier (Dr Cécilia Marelli)

8. Centre de référence pour les maladies mitochondriales de l'enfant à l'adulte (CARAMMEL)

Site coordonnateur : APHP- GHU Centre – Site Necker Enfants Malades (Pr Manuel Schiff)

Sites constitutifs CRM :

- 1) CHU d'Angers (Pr Dominique Bonneau)
- 2) CHU de Bordeaux (Dr Aurélien Trimouille)
- 3) APHP- GHU Saclay – Site Kremlin Bicêtre, Paris 04 (Pr Emmanuel Gonzales)
- 4) Hôpitaux Universitaires de Strasbourg (Dr Marie-Thérèse Abi Warde)

Centres de compétences CCMR :

- 1) CHU de Rouen (Dr Alice Goldenberg)
- 2) CHU de Caen Normandie (Dr Aline Vincent-Devulder)
- 3) APHP- GHU Mondor – Site Henri Mondor Créteil (Pr Benoît Funalot)
- 4) APHP- GHU Nord – Site Lariboisière Paris 10 (Dr Tiphaine VIDAL-TRECAN)

Annexe 2 : Les commissions de la Filière et leurs missions respectives

Nom de la commission	Missions
Essais thérapeutiques	- Informer sur les essais en cours - Faciliter la circulation de l'information - Partager les compétences méthodologiques, techniques et logistiques pour la réalisation des essais thérapeutiques - Identifier précisément le potentiel et les domaines d'expertise partagés et/ou spécifiques de chaque équipe - Favoriser la visibilité de la Filière et faciliter le dialogue avec les investigateurs institutionnels et industriels - Faciliter le recrutement des patients - Permettre le déroulement des essais au plus près des patients et de leur prise en charge sur l'ensemble du territoire - Renforcer la continuité entre prise en charge et essais pour éviter les ruptures - Développer des partenariats européens et internationaux
Recherche	- Identifier les différents partenaires recherche de la filière - Recenser les centres impliqués dans la recherche des maladies neuromusculaires - Rédaction d'un annuaire des laboratoires de recherche qui travaillent sur les maladies du neuromusculaires - Favoriser les actions de recherche, proposer les thèmes - Animation des groupes de travail recherche
Outils diagnostiques : - Génétique moléculaire - Imagerie - Anapath - Immunologie - ENMG	- Proposer une cartographie des gènes impliqués dans les maladies neuromusculaires - Actualiser les arbres décisionnels - Redéfinir les missions des laboratoires experts - Organiser à l'échelon national les plateaux techniques de microscopie - Recenser les laboratoires et les dosages d'autoanticorps disponibles en France en routine et rendre l'information disponible aux médecins sur le site internet de Filnemus - poursuivre l'élaboration des recommandations sur l'exploration électrophysiologique des pathologies neuromusculaires - poursuivre l'évaluation des pratiques en imagerie neuromusculaire
Base de données	- aide au déploiement de BaMaRa - Objectifs épidémiologiques : Formulés par le ministère dans le plan maladies rares visant à recenser les patients qui sont atteints de ces maladies afin de mieux apprécier les besoins de santé publique. - Objectifs scientifiques qui sont de plusieurs natures : - o Mieux connaître l'histoire naturelle de chacune de ces maladies - o Corréler cette histoire naturelle avec des anomalies génétiques dans les maladies neuromusculaires héréditaires. - o Identifier de nouvelles entités - o Identifier les patients éligibles aux essais thérapeutiques Ces bases peuvent être aussi de nature différente selon le type de données recueillies et leur objectif: - bases de données avec recueil de données cliniques exhaustif,

Nom de la commission	Missions
	- bases de données avec recueil de données essentiellement biologiques (en particulier génétiques) qui souvent ne sont pas totalement articulées entre elles. - bases dédiées à une seule maladie (génétique ou non) - bases de données multithématiques
Enseignement et Formation	- Recenser les formations universitaires et professionnelles existantes sur les pathologies neuromusculaires - Harmonisation et diffusion nationale de l'enseignement des maladies neuromusculaires - Améliorer la communication avec les CRMR ultramarins (cf RCP, numérisation des DIU)
Réseaux internationaux	- Informer sur la mise en place des réseaux européens de référence (ERN) - Aide méthodologique aux CRMR français souhaitant rejoindre l'ERN Euro-NMD - Participation au board executif, au board élargi et aux réunions de commissions - Participation au projet solve-RD - Sensibiliser à l'intérêt du CPMS (Clinical Patient Management System) - Faciliter/accompagner/Renforcer la mobilisation de la France et de son expertise dans le concert européen
Accompagnement du patient dans son parcours de santé	- Poursuite de l'implication dans les groupes de travail mis en place par la CNSA, en particulier le dossier MDPH et l'éducation nationale - Améliorer la transition enfant-adulte - Evaluer l'impact de l'accompagnement sur les personnes malades - Colliger les supports de documentation existants (destinés entre autres à alimenter la rubrique documentation du site internet de Filnemus) // Lien avec la commission enseignement et formation - Mise en place des ETP dans le domaine des maladies neuromusculaires - S'intéresser aux sujets transdisciplinaires / Douleur, fatigue, santé intégrative
PNDS	- Actualiser les PNDS existants - Proposer la rédaction de nouveaux PNDS et animer les rédactions - Constituer et coordonner les groupes de rédacteurs/relecteurs PNDS
Ethique	- Réflexion partagée selon les grands principes de bioéthique - Questionnement éthique dans les différentes étapes du parcours de vie du patient : - o Annonce du diagnostic, - o Dépistage néonatal, - o Accompagnement, - o Transition enfants-adultes, - o Prise en charge et de traitement, - o Mise en place de soins palliatifs

Nom de la commission	Missions
	○ Accompagnement de fin de vie - Constitution d'un groupe de réflexion au sein de Filnemus - mise en place d'un lieu de réflexion partagée mais aussi d'enseignement