

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
- 2^{ème} 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, 2^{ème} 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 orphelin¹.

La clarification de la structuration de la prise en charge des maladies rares en France constitue un enjeu majeur du 2^{ème} Plan national maladies rares (PNMR), contribuant à la pérennisation de l'excellence française dans ce domaine, et servira de socle au 3^{ème} 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 clinique³, 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 proposée⁴.

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 active⁵ 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

Pour la ministre et par délégation

signé

signe

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

Pierre RICORDEAU Secrétaire général des ministères chargés des affaires sociales

Pour la ministre et par délégation

Pour la ministre et par délégation



signé

Benoît VALLET
Directeur général de la santé

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



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.

Courri	iel professionnel.		
Télép	hone.		
FSMF	R de rattachement ³ du CR	MR candidat.	
-			
Existe	-t-il un site internet dédié a	à l'activité du CRMR candidat ?	
Existe		à l'activité du CRMR candidat ?	
	e-t-il un site internet dédié a	à l'activité du CRMR candidat ?	
		à l'activité du CRMR candidat ?	
□ Si oui	Oui	à l'activité du CRMR candidat ?	
	Oui , adresse web.	à l'activité du CRMR candidat ?	
□ Si oui	Oui , adresse web. Non	à l'activité du CRMR candidat ?	
□ Si oui	Oui , adresse web. Non		
□ Si oui	Oui , adresse web. Non -t-il un numéro d'urgence		

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

	DMD PL
Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e)en charge par le CF	RIVIR candidat.
	-
Liste détaillée des maladies rares ou regroupement de maladies pris	es en charge ⁵ , avec leur
prévalence ⁶ .	
Description du parcours de soins le plus fréquent pour la maladie rar	e la plus fréquemment
prise en charge dans le CRMR candidat.	
•	
500 mats maximum	
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.

500 mots maximum

Nom	Responsable médical	Etablissement de santé

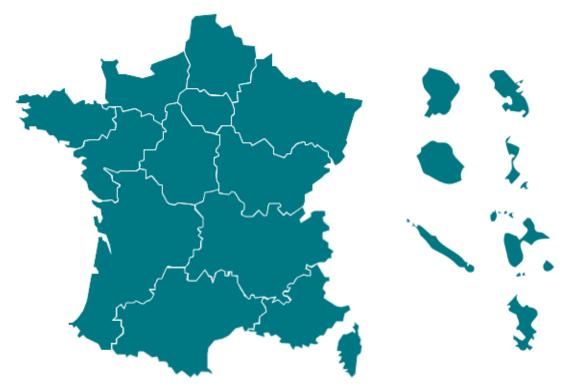
Justifie	z la candidature du CRMR candidat sous la forme d'un CRMR multi-sites :
	Le site constitutif apporte une complémentarité d'expertise, de recours, de recherche ou de formation pour une ou des maladie(s)rare(s) ou une forme phénotypique particulière d'une maladie rare du périmètre du CRMR.
	Le 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 (RMR candidat n'a pas de site(s) constitutif(s), cochez la case ci-contre :
Justifie	z la structuration du CRMR.

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 cicontre : $\ \ \Box$

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, organisation et outils mis en place par le CRMR pour accompagner les pat dans les démarches médico-sociales ou projets.	
500 mots maximum	
Mission d'expertise	
Liste des PNDS élaborés par le CRMR candidat ces 5 dernières ann	iées.
Titre	Date de publication
Liste des guides de bonnes pratiques français, européens ou interna CRMR candidat ou auxquels il a participé ces 5 dernières années.	ationaux élaborés par le
Titre	Date de publication

Le CRMR candidat a-t-il engagé des actions pour collecter des donn	ées dans la BNDMR ⁸ ?
□ Oui	
□ Non	
Le CRMR candidat organise-t-il des RCP ⁹ ?	
□ Oui	
Participants (regroupement par type de RCP)	Fréquence
□ Non	
□ Non	
Mission de recours	
Mission de recours	
10 1 0015	
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

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

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-).

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'Outremer ?
□ Oui □ Non

Mission de recherche

la télémédecine

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)



ANNEXE 2 - VOLET DE PRESENTATION « SITE COORDONNATEUR »

Nom du CRMR¹ 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) :

 $^{^{\}rm 1}$ CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

Pôle de rattachement du site coordonnateur :						
Occident de cette de cesta de cité de cette de c						
Service de rattachement du site coordonnateur :						
Identification	du site coordonnateur comm	e unité fonctionn	nelle ² ou de gestion :			
□ Oui						
□ Non						
Dagnanashla						
Responsable	médical du site coordonnate	eur :				
Statut :						
	PU-PH ³					
	PH⁴ MCU-PH⁵					
	Autre	Précisez :				
Quotité de te	mps travaillée au sein de l'é	tablissement :				
	Temps plein Autre	Précisez :				
	Aulie	1 10036Z.				
_ ,						
Spécialité mé	édicale 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

□ Oui, comme site constitutif
Nom du CRMR :
Nom du Crivir .
□ Oui, comme CCMR ⁶
Nom du CRMR :
□ Non
Avez-vous candidaté à un RER ⁷ ?
□ Oui, comme site coordonnateur de ce RER
□ Oui, comme site coordonnateur de ce RER Nom du RER :
Nom du RER :
Nom du RER :
Nom du RER : □ Oui, comme membre de ce RER
Nom du RER : □ Oui, comme membre de ce RER
Nom du RER : □ Oui, comme membre de ce RER
Nom du RER : □ Oui, comme membre de ce RER

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 re	cherche:				
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 :						
comple	émentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médiet réadaptation). Sont-elles dans le même établissement d	-					
	Oui						
	liste des spécialités actuellement disponibles (précisez les e site coordonnateur : même site, même pôle, même service						
							
	Non						
	, quelles sont les alternatives ? (établissements ou professinisation).	onnels partenaires,					
		1					
		+					

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

O ! (!	-I - I -	!	- 1	/ .!!	:	/-:	1
Organisation	ne ia	nrise en	cnarde	medico-	SUCISIE	ISI CON	CATHAL
Cigariisation	ac ia	PHISC CH	criarge	medico	Sociale		cciric).

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 pa	ar le si	te coordo	nnateur ces
dernières années.			
Titre		Date de	publication
PNDS en cours d'élaboration (ou participation à l'élaboration)	par le	site coord	onnateur.
Titre			
PNDS à réaliser ou à actualiser.			
Titre			
	- A o	ctualiser	□ A réaliser
		ctualiser	
		ctualiser	
Elaboration (ou participation à l'élaboration) de guides de bor	nes pra	atiques na	tionaux,
européens et internationaux par le site coordonnateur au cou	-	•	
Titre		Data da	nublication
Title		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 d	lans 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				es sur les
	40 14 0400		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

Utilise	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				
Partic	cipants (regroupement par type de RCP)	Fréquence			
-					
	Non				
Si non	, prévoyez-vous d'en organiser ?				
	Oui				
	Non				

DPI: dossier patient informatisé

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

RCP: réunion de concertation pluridisciplinaire

http://www.has-sante.fr/portail/upload/docs/application/pdf/201302/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 cons	ultations médicales réalisées	par le site coordonnateur ²⁰ .	
2013	2014	2015	
Nombre de séjou	ırs en hospitalisation de jour	réalisés par le site coordonnateur.	
2013	2014	2015	
Manakara da a 22 a.			
	irs en nospitalisation complet	e réalisées par le site coordonnateur.	
2013	2014	2015	
Pourcentage de patients hors-région			

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

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 ?					

Idem

n° 2010-1929 Décret télémédecine du 19 octobre 2010 relatif à la $\frac{\text{https://www.legifrance.gouv.fr/affichTexte.do?cidTexte=JORFTEXT000022932449}}{\text{Idem}}$

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 médican	nents hors-AMM ²³				
□ Oui					
□ Non					
Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le site coo	ordonnateur				
Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le site cooling l'ARS ces 5 dernières années.	ordonnateur et autorisés par				
N					
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-m	er?
□ Oui Si oui, précisez.	
300 mots maximum	

Non

Mission de recherche

Investigations : recensement des projets de recherche du site coordonnateur du CRMR candidat²⁴²⁵ 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		sai clinique sai thérapeut re	iique	

_

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,).

	ations : recensement des principales pu es ²⁶ (au format Pubmed)	blications publiées sur les 5 dernières
N I = I-		27
Nomb	re de points SIGAPS du site coordonnat	eur".
En 20	15	
	20	
Sur le	s 5 dernières années ²⁸	
		<u> </u>
Locita	a coordonnatour du CPMP candidat a t	il déposé des brevets au cours des 5 dernières
année		il depose des bievels au cours des 5 defilleres
aririee	55 :	
	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.

²⁸ Il s'agit de la somme cumulée des points sur 5 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	e recherche du site coordonna	teur
500 mots maximum		
	_	
Mission d'enseignement-formation	on	
Le site coordonnateur a-t-il mis e interuniversitaires (DIU) au cours d		rsitaires (DU) ou diplômes
□ Oui		
Si oui, précisez.		
Intitulé	Date de création	En cours en 2016
		□ Oui □ Non

Non

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisée	es
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	J.
Etudia	ints en master	
Etudia	ints en doctorat	
Etudia	ints en post-doctorat	
П	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 dernières années ?	candidat	a-t-il réalisé d	des communicati	ions au cours des 5
□ Oui				
Si oui, précisez :				
Titre de la conférence	Année	Lieu	Qualité de l'intervenant	Portée
				□ nationale□ internationale
				□ nationale
				□ internationale
				□ nationale
	<u> </u>	<u> </u>		□ internationale
Texte libre relatif à la candidature actions d'enseignement-formatio				
500 mots maximum				

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



ANNEXE 3 - VOLET DE PRESENTATION « SITE CONSTITUTIF »

Nom du CRMR¹ 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) :

 $^{^{\}rm 1}$ CRMR : centre de référence pour la prise en charge des maladies rares

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 :
Nom du Ortivire :
Out some $OOMD^7$
□ Oui, comme CCMR ⁷
Nom du CRMR :
Niere
□ 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 re	cherche:				
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)

Natur	e du site constitutif.			
	Plutôt une unité de consultation			
	Plutôt une unité d'hospitalisation de jour			
	Plutôt une unité d'hospitalisation c	omplète		
	Autre	Précisez :		
suite	prise en charge par le lémentaires (médicales, chirurgica et réadaptation). Sont-elles dans le eaux)?		-techniques ou soins de	
	Oui			
	i, liste des spécialités actuellement d le site constitutif : même site, même	• ••	odalités de rattachement	
	Non			
	n, quelles sont les alternatives ? (éta disation).	ablissements ou profession	nels partenaires,	

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 sant soutien psychologique, autre)		Modalités de diffusion de l'information auprès des associations par le site constitutif
Mission d'expertise Elaboration (ou particiannées.	pation à l'élaboration) d	e PNDS ¹³ par le site co	onstitutif ces 5 dernières
Titre			Date de publication
PNDS en cours d'élab	oration (ou participation	à l'élaboration) par le s	site constitutif.
Titre			
1			

¹³ PNDS : protocoles nationaux de diagnostic et de soins

PNDS à réaliser ou à actualiser.				
Titre				
		□ A ao	ctualiser er	□ А
		□ A actualiser □ A réaliser		□ A
		□ A ao réalise	ctualiser r	□ A
	ration (ou participation à l'élaboration) de guides de bor éens et internationaux par le site constitutif au cours de	-	•	
Titre			Date de p	ublication
Titre Des a	par le site constitutif (ou à laquelle il participe). ctions sont-elles engagées par le site constitutif pour co	llecter o	des donnée	s dans le
BNDN	/IR [™] ?			
	Oui			
	Non			
Si oui	, saisissez-vous des données dans CEMARA?			
	Oui			
	Non			
Avez-vous débuté la saisie des données dans BAMARA ?				
	Oui			
	Non			

	cipez-vous à la collecte des donné es que la BNDMR ¹⁵ ?	es dans des bases nationale	s et/ou internati	onales
	Oui Non			
	ui, indiquez le nom de la base de de sez si elle comprend ou non des d			
Nor	n de la base	Date de déclaration	Données su médicament prescrits	S
			□ Oui □ Oui	□ Non □ Non
			□ Oui	□ Non
			•	
Utilis	ez-vous un DPI ¹⁷ ?			
	Oui Non			
Si ou	ii, est-il compatible avec la BNDMF	R ¹⁸ ?		
	Oui Non			
Le si	te constitutif organise-t-il des RCP	^{19 20} ?		
	Oui			
Par	ticipants (regroupement par type d	e RCP)	Fréquence	
	Non			
Si no	on, prévoyez-vous d'en organiser ?			
	Oui	□ No	n	
¹⁷ DPI ¹⁸ Le [¹⁹ RCF ²⁰ htt	L : commission nationale de l'informatiqu : dossier patient informatisé DPI est compatible avec la BNDMR s'il intè : réunion de concertation pluridisciplinai p://www.has-sante.fr/portail/upload/doc union_de_concertation_pluridisciplinaire	egre le minimum data set ire cs/application/pdf/2013-		

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active ²¹ du site constitutif.			
2013	2014	2015	
Nombro do consult	ations médicales réalisées	par la sita constitutif ²²	
2013	2014	2015	
Namabra da akiaura	an bassitalisation de issue	váslisás nov la sita sometitutif	
Nombre de sejours	en nospitalisation de jour	réalisés par le site constitutif.	
2013	2014	2015	
Nombre de séjours	en hospitalisation complè	te réalisées par le site constitutif.	
2013	2014	2015	
Pourcentage de par	tients hors-région		

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

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

□ 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 ?		

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

Oui

Idem

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

Le site constitutif réalise-t-il des prescriptions initiales de médicame orphelins?	nts désignés comme			
□ Oui □ Non				
Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits p	ar le site constitutif :			
Le site constitutif a-t-il recours à la prescription de médicaments hor	s-AMM ²⁵			
□ Oui □ Non				
Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le site constitu	utif:			
Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le site constitutif et autorisés par l'ARS ces 5 dernières années.				
Nombre de programmes				
	1			
Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme			
	. 5			

²⁵ AMM : autorisation de mise sur le marché

Le site constitutif organise-t-il des consultations avancées ?
□ Oui
Si oui, lieu et fréquence :
n 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 candidat²⁶²⁷ 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	□ Es	ssai clinique ssai thérape utre		

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.

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					

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

□ Non

Si oui, précisez :

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisée	S
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 :					
Etudia	nts en master					
Etudia	Etudiants en doctorat					
Etudia	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	
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)



ANNEXE 4 - VOLET DE PRESENTATION « CCMR¹ »

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 ra	ttachement du CCN	MR.		
Identification	du CCMR comme ι	unité fonctionnelle ³ ou d	e gestion.	
□ Oui				
□ Non				
Responsable	médical du CCMR	.		
Statut :				
	PU-PH ⁴			
	PH⁵ MCU-PH ⁶		Г	
	Autre	Précisez :		
Quotité de ter	mps travaillée au s	ein de l'établissement :		
	Temps plein	5 / .	Г	
	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.
Maladie fare ou groupe de maladies fares pris(e)en orialige par le celviix.
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)

Natui	re du CCMR.		
	Plutôt une unité de co	nsultation	
	Plutôt une unité d'hos	pitalisation de jour	
	Plutôt une unité d'hos	pitalisation complète	
	Autre	Précisez :	
Desc	ription de l'équipe du CC	CMR candidat.	
250	mots maximum		
250	mots тихнпин		
chiru		médico-techniques ou	ialités complémentaires (médicales soins de suite et réadaptation).
	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 (ו בר	nrica an	charge	médico-social	اء) م	i concarná	١
Organisation	7C 10	ı piise eii	unanye	IIIEulco-sociai	C (3)	CONCERNE	,

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 active9 du CC	MR.	
2013	2014	2015	
Nombre de consulta	ations 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 complèt	e réalisées par le CCMR.	
2013	2014	2015	
Nombre de consultations avancées ou téléconsultations réalisées par le CCMR.			
2013	2014	2015	
Pourcentage de pat	ients 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 CC	CMR 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 CC	CMR 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 a	ctions sont-elles engagées par le IR ¹² ?	CCMR pour collecter des d	lonnées dans le	
	Oui			
	Non			
Si oui,	saisissez-vous des données dan	s CEMARA?		
	Oui			
	Non			
Avez-	ous débuté la saisie des donnée	s dans BAMARA ?		
	Oui			
	Non			
	Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR ?			
	Oui			
	Non			
	, indiquez le nom de la base de ez si elle comprend ou non des d			
Nom	de la base	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits	
			□ Oui □ Non □ Oui □ Non	
			□ Oui □ Non	
<u> </u>			-	

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		
See mets 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, médicosocial 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.