

Filnemus
Filière Neuromusculaire

Commission RIRE
« Relations Internationales et
Réseaux Européens »
bilan d'activités 2015-2016

J. Andoni URTIZBEREA
Susana QUIJANO-ROY
Bruno EYMARD



European
Reference
Networks



Éléments de contexte

- dernier étage de la fusée européenne Maladies Rares
- projet ancien, cadre légal datant de 2014
- projet porté par la Commission Européenne (UE)
- et s'inscrivant dans les directives soins transfrontaliers
- importants travaux préparatoires (EUCERD)
- objectif **d'accès à des soins d'excellence**
- dans un contexte **d'équité**
- mais marche en ordre dispersé
 - entre structures très abouties (PNMR, CRMR, etc.)
 - et des pays où il n'y a rien ou presque
- pour les MNM, on ne part pas de rien



European
Reference
Networks



Activités 2016

- janvier 2016
- Workshop préparatoire à Newcastle
- poser les fondations du projet EURO-NMD
- représentation française conséquente
 - D. Adams, J.A. Urtizberea (FILNEMUS)
 - C. Desnuelle (Filière FILSLAN)
 - G. Bonne (Société Française de Myologie)
 - K. Wahbi (Institut de Myologie)
- réponse à l'appel d'offres en juin 2016



European
Reference
Networks



Activités 2016

- dépôt d'un dossier unique
- 61 centres européens neuromusculaires impliqués
- dont 8 CRMR ou consortiums français
- pas de projet NMD concurrent
- critères assez souples pour participer
 - files actives, plateaux techniques, recherche...
- mais beaucoup d'éléments de preuve à apporter
 - gros travail administratif de compilation
 - en lien avec les administrations locales
- avec plusieurs filtres exercés par:
 - institutions locales, Filnemus, DGOS, Newcastle, EU...



European
Reference
Networks

8 participants français / Euro-NMD



– consortiums

- APHP
 - Paris-Est, Canalopathies, et SLA
 - GNMH + CARAMMEL
- Nice
 - Muscle, SLA, mitochondries (CALISSON)
- Limoges-Tours
 - Muscle et SLA
- Marseille
 - Muscle, SLA
- Rhône-Alpes
 - Muscle, SLA

– CRMR

- APHP : Bicêtre
- Nantes



European
Reference
Networks



Les aspects positifs

- procédure très structurante
- y compris au niveau national
- redéfinition (partielle) des périmètres
- apport de la Filière (activités de conseil et de veille)

Les aspects moins positifs

- un rapport coût-bénéfice pour l'instant très peu favorable
- pas de filtre vraiment exercé au niveau de Newcastle
- sur-représentation, non justifiée, de certains pays (Benelux, Italie)
- crainte d'une nouvelle usine à gaz / monstre administratif

What are European Reference Networks?

Imagine if the **best specialists** from across Europe could join their efforts to tackle **complex or rare medical conditions** that require **highly specialised healthcare** and a concentration of knowledge and resources.

That's the purpose of **the European Reference Networks** and it's becoming a reality.

Share and enhance your expertise. Talk with your colleagues. **Be ready to prepare a proposal and join a network.** The European Commission will launch a **call for Networks in 2016.**

European Reference Networks (ERNs), which are expected to be operational by 2016, will bring together highly specialised healthcare providers from different EU Member States in areas where expertise is rare.

By pooling knowledge and expertise across the EU, they will facilitate access to diagnosis, treatment and provision of affordable, high-quality and cost-effective healthcare in these areas. ERNs will also serve as focal points for medical training and research, information dissemination and healthcare evaluation.

The intention is not to create new providers, but rather to link existing highly specialised providers.

CHALLENGES

- To engage, attract, identify the right Networks and healthcare providers
- To establish a Network model with useful platforms and tools
- To foster commitment by Member States and ensure sustainability of established Networks
- To avoid fragmentation and/or duplication of efforts
- To develop and use standardised tools (clinical guidelines, registries, patient pathways, interoperable IT systems)
- To involve healthcare professionals, health authorities, managers and patients in a common project for the implementation of ERNs

Why are European Reference Networks needed?

It is often difficult for the 28 health systems of the EU to provide patients with rare or low prevalence complex diseases or conditions with the treatment they need. Therefore the European institutions and the Member States, have decided to implement ERNs to help address this difficulty.

The aim is to benefit patients by improving high-quality specialised care, through better co-operation and greater economies of scale.

BENEFITS

- Improve high-quality specialised care, for patients with rare or low prevalence complex diseases or conditions
- Improve European cooperation and economy of scale on highly specialised healthcare
- Pool knowledge on certain diseases or treatments
- Improve diagnosis and treatment capacities where expertise is rare by developing and sharing clinical guidelines and patient pathways
- Help Member States enhance the provision of highly specialised care
- Maximise the speed and scale of incorporating innovation in medical science and health technologies
- Serve as focal points for medical training and research

There are also obvious benefits to health systems, in improving and optimising their ability to provide such highly specialised care.

There will be other benefits as well. The pooling of knowledge and expertise will allow for the development of more evidence-based clinical tools and treatment. Networks should help maximise the speed and scale at which innovation in medical science and health technologies is incorporated into healthcare provision. They will serve as focal points for medical training and research and for the dissemination of information to other parts of the health system. And they will offer capacity for translational research, clinical trials, Health Technology Assessments, and more.

The providers involved in the Networks will obviously benefit from this pooling of knowledge with other specialists and will be recognised as leaders in their area of expertise.

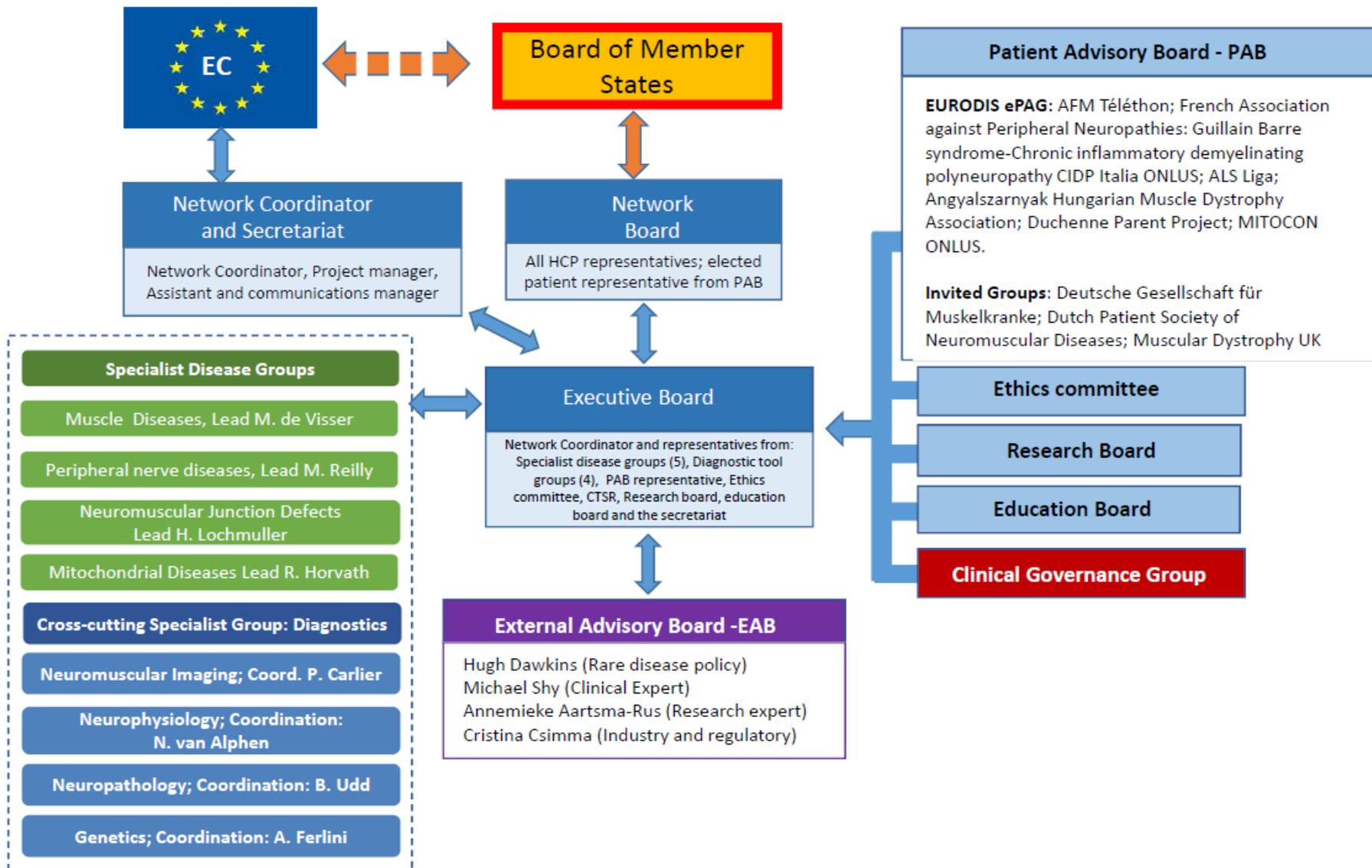


European
Reference
Networks



EURO-NMD (Gouvernance)

- projet bien avancé de Gouvernance
- ERN officiellement coordonné par Newcastle
- Kate Bushby : coordinatrice mais empêchée depuis plusieurs mois
- Hans Lochmüller : vice-coordonateur
- pas d'incidence du Brexit au moins pour les 5 prochaines années
- sous-commissions
 - par groupes de pathologies (muscle, nerf, jonction...)
 - ou par outils (imagerie, histologie, génétique, ...)
 - ou thématiques (éducation, éthique)
- phase de cooptation des animateurs en cours
- représentation des patients effective (via e-PAG et autres)
- Board élargi (61) et un board restreint (~ 15)





European
Reference
Networks



EURO-NMD (calendrier)

- juin 2016 : remise des dossiers
- septembre-octobre 2016 : évaluation des projets
 - évaluation de 8 centres parmi les 61 dont Newcastle
 - sur site ou sur dossier
 - NB : pas de centres français audités
- Expert mandaté par Bruxelles (Agence Qualité Andalousie)
- tous les dossiers jugés recevables
- Octobre 2016 : séminaire des coordinateurs futurs ERN (23)
- 15 décembre 2016
 - publication officielle des résultats
- mars 2016 (Vilnius, Lituanie)
 - cérémonie de remise des prix aux heureux gagnants

Minimum size: 52 mm



European Reference Network

for rare or low prevalence
complex diseases

⚙ **Network**

Congenital Malformations
and Intellectual Disability
(ITHACA)

● **Member**

Hospital Clínico
de Asturias — Spain

■ Protection area

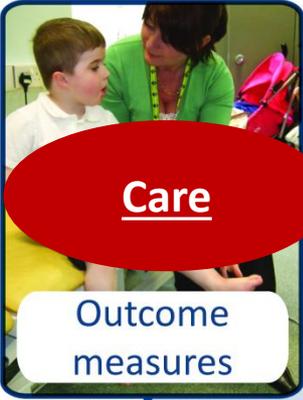


European
Reference
Networks



EURO-NMD (retombées attendues)

- obtention du LOGO
 - mais pour le seul établissement porteur
 - donc pénalisant pour les CR organisés en consortiums
- standardisation des procédures de saisine
- standardisation des consentements patients
- plateforme électronique d'échanges (e-médecine)
- outils de mesure de l'activité du réseau
- harmonisation des codages (Orphanet, autres)
- valorisation (pas encore)



Care

Outcome measures



Training

Training and education



Research

Clinical Trial Coordination Centre



Trials/ Research Registries

Global patient registries



Communication infrastructure



Regulatory information



TREAT-NMD
Neuromuscular Network



Trials/ Research TACT

Advisory committee for therapeutics



Care and trials CTSR

Care and trial site registry



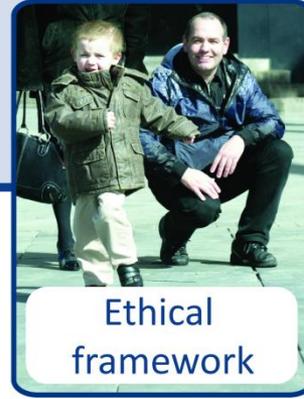
Research

Standards for animal assessment



Care

Care standards



Ethical framework



Research

EuroBioBank

TREAT-NMD

- Relations mieux suivies
- nouveau président : K. Flanigan (USA)
- participation française au Comité Exécutif
 - octobre 2016 : élection de J.A. Urtizbera au Board
 - comme représentant de Filnemus
- réunions du TGDOC, du TACT...
- sujets de préoccupation du moment
 - pérennisation des ressources (sec. du TGDOC)
 - contrôle-qualité des databases
 - participation française aux BDD partagés (au coup par coup)
 - organisation du colloque de Freiburg (novembre 2017)

Thématique OUTRE-MER

- staffs médicaux en télé-médecine
 - Ile de La Réunion, notamment
 - suivi de dossiers avec Calédonie
 - pas de missions sur place pour l'instant
- Enseignement Formation MNM
 - Réunion, et bientôt aux Antilles (DIU)
 - Journées Caraibéennes Maladies Rares (Martinique)
- travail inter-filières (avec Multi-FAVA)
 - cf. présentation de J. Pariente

Autres

- cours ENMG Alger (novembre 2016)
- projet DIU ‘myo’ conjoint France et Emirats
- participation aux Ecoles d’Eté
 - EVELAM (Punta del Este)
 - Master Class Euro-Russe
- collaborations avec l’Iran
 - colloque génétique, septembre 2016
 - colloque neuromusculaire, décembre 2016
- réseau ROAMY (Afrique de l’Ouest)
- préparation (intensive) de la WMS 2017
 - St Malo
 - octobre 2017