

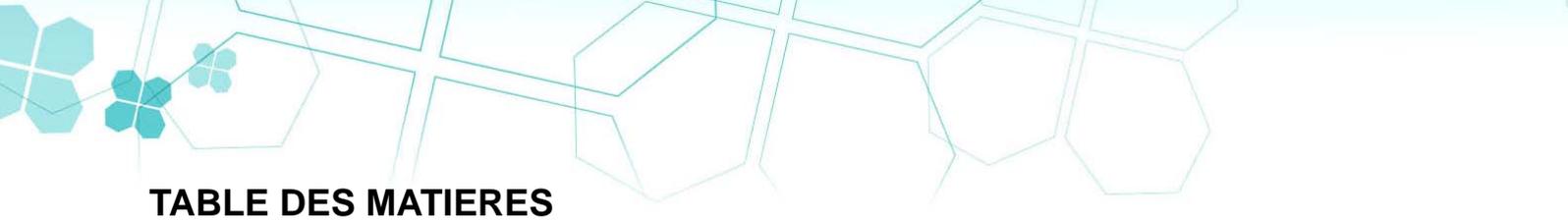
# CHARTRE D'ORGANISATION ET DE FONCTIONNEMENT

## Historique du document :

- v0.1 : 30 juin 2016, présenté au bureau FIRENDO
- v0.2 : 15 juillet 2016, relu par bureau et la BNDMR ;  
envoyé au collège de direction FIRENDO
- v0.3 : 5 octobre 2016, présenté au collège de direction FIRENDO
- v0.4 : 17 novembre 2016, relu par le collège FIRENDO ;  
diffusée pour commentaire à l'ensemble des coordinateurs de  
CRMR et CCMR
- v0.5 : 28 décembre 2016, relu par les coordinateurs des CRMR et CCMR ;  
envoyé pour relecture à la Direction d'Affaires Juridiques de l'APHP
- v0.6 : 19 janvier 2017, relu par la Direction d'Affaires Juridiques de l'APHP

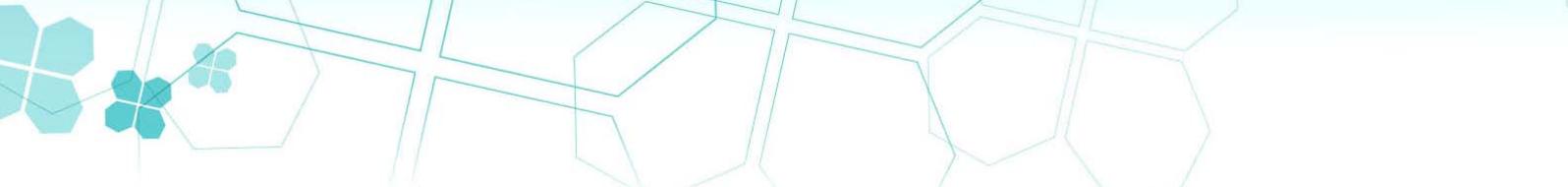
## LISTE DES SIGLES ET ACRONYMES

AP-HP	Assistance Publique – Hôpitaux de Paris
ARC	Attaché de Recherche Clinique
ARS	Autorité régionale de santé
BaMaRa	BAse MALadies RAres
BNDMR	Banque Nationale des Données Maladies Rares
CCMR ou CC	Centre de Compétence
CdM	Chargé de Mission
CEMARA	Base de données du Réseau des CEntres des MALadiesRAres
CNIL	Commission Nationale d’Informatique et de Libertés
CNSA	Caisse Nationale de Solidarité pour l’Autonomie
COPIL	Comité de pilotage des FSMR
CR DSD	Centre de Référence Anomalies du Développement Sexuel
CRMERC	Centre de Référence Maladies Endocriniennes Rares de la Croissance
CRM R DEFHY	Centre de Référence Maladies Rares d’Origine Hypophysaire
CRM R ou CR	Centre de Référence
CRM R PGR	Centre de référence Pathologies Gynécologiques Rares
CRMRS	Centre de Référence Maladies Rares des Surrénales
DGOS	Délégation générale de l’offre des soins
ETP	Equivalent temps plein
FSMR	Filières Santé Maladies Rares
GH	Groupe hospitalier
GT	Groupe de Travail
HAS	Haute Autorité de Santé
HUPC	Hôpitaux Universitaires Paris Centre
LD	Laboratoire de diagnostic
MDPH	Maison Départementale des Personnes Handicapées
MR	Maladie Rare
PH	Praticien hospitalier
PHRC	Programme hospitalier de recherche clinique
TEC	Technicien d’Etudes Cliniques



# TABLE DES MATIERES

<b>LISTE DES SIGLES ET ACRONYMES .....</b>	<b>1</b>
<b>TABLE DES MATIERES.....</b>	<b>3</b>
<b>FILIERES SANTE MALADIES RARES.....</b>	<b>5</b>
<b>FORME – DENOMINATION – OBJET – SIEGE - DUREE .....</b>	<b>7</b>
ARTICLE 1 : Forme .....	7
ARTICLE 2 : Dénomination .....	7
ARTICLE 3 : Domaine d’expertise .....	7
ARTICLE 4 : Objectifs .....	7
ARTICLE 5 : Durée.....	8
ARTICLE 6 : Siège de l’animation .....	8
ARTICLE 7 : Dissolution .....	8
<b>FONCTIONNEMENT DE LA FILIERE .....</b>	<b>9</b>
ARTICLE 8 : Dispositions générales.....	9
ARTICLE 9 : Personnel de la filiere.....	9
A. Animateur de la filière .....	9
B. Chef de projet de la filière .....	10
C. Chargés de mission opérationnelle en région .....	10
ARTICLE 10 : Représentation .....	11
<b>STRUCTURATION ET GOUVERNANCE.....</b>	<b>12</b>
ARTICLE 11 : Membres et structuration .....	12
ARTICLE 12 : Gouvernance.....	12
A. Bureau .....	13
B. Collège de direction .....	13
C. Groupes de travail.....	15
D. Equipe d’animation .....	16
<b>COMPTES ET GESTION.....</b>	<b>17</b>
ARTICLE 13 : Organisme gestionnaire de la filière.....	17
ARTICLE 14 : Dispositions générales.....	17
ARTICLE 15 : CRédits fléchés « FSMR » de la DGOS .....	18
ARTICLE 16 : Autres financements .....	18
ARTICLE 17 : Comptes de résultats.....	19
ARTICLE 18 : Contrôle de gestion .....	19
<b>RESSOURCES .....</b>	<b>20</b>
ARTICLE 19 : Modalités de communication au sein de la filière .....	20
ARTICLE 20 : Modalités d’animation de la filière .....	20
<b>REGLES D’UTILISATION DE LA BASE DE DONNEES CHOISIE PAR FIRENDO .....</b>	<b>21</b>
ARTICLE 21 : CONDITIONS d’UTILISATION.....	21
ARTICLE 22 : accès aux données : généralités de CEMARA.....	22
A. Qui peut participer à la base de données CEMARA ? .....	22
B. Comment participer à CEMARA ? .....	22
C. Annuaire des médecins dans CEMARA du site et annuaire des personnes ayant accès à CEMARA par site.....	23



D. Information des patients figurant dans CEMARA .....	23
ARTICLE 23 : accès aux données : spécificités de FIREENDO .....	24
A. Qui peut prétendre à l'aide à la saisie dans CEMARA proposée par FIREENDO ? .....	24
B. Bonnes pratiques des chargés de mission FIREENDO en région lors de la saisie dans CEMARA .....	24
ARTICLE 24 : REGLES D'OBTENTION D'ACCORD POUR des projets d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA .....	25
A. À des fins de recherche : .....	25
B. À des fins administratives : .....	28
ARTICLE 25 : Formalisation de l'accord et suivi de projet .....	28
A. Formalisation de l'accord entre FIREENDO et le responsable du projet d'exploitation des données CEMARA .....	28
B. Suivi du projet .....	29
ARTICLE 26 : Règles de publication .....	29
A. Publications scientifiques .....	30
B. Diffusion auprès des patients et du public .....	31
ARTICLE 27 : Articulation avec une future Plate-forme européenne des maladies rares .....	31
<b>MODIFICATION DE LA CHARTE – DATE ET MODALITES D'EFFET .....</b>	<b>33</b>
ARTICLE 28 : Modification de la charte .....	33
ARTICLE 29 : Date et modalité d'effet de la charte .....	33

## FILIERES SANTE MALADIES RARES

---

Le premier plan national maladie rare (PNMR1), 2005-2008, a permis de structurer l'organisation des soins pour les patients atteints de maladies endocriniennes rares, avec la création des Centres de Référence Maladies Rares (CRMR) et des centres de compétences (CCMR) répartis sur tout le territoire, et l'identification de tous les acteurs associés : laboratoires de diagnostic et de recherche, professionnels des secteurs médico-sociaux, et associations de patients. Le second plan national maladies rares 2011-2014 prévoit la constitution de Filières de Santé Maladies Rares (FSMR), instituées par la Circulaire du Ministère des Affaires Sociales et de la Santé N° DGOS/PF2/2013/308 du 29 juillet 2013.

Vingt-trois filières de santé ont été créées en 2014 avec pour missions principales d'être le lieu d'échanges privilégié entre les différents acteurs qui y interviennent pour améliorer la qualité de la prise en charge des personnes atteintes de maladie rare, pour favoriser la recherche fondamentale, clinique et translationnelle et pour développer l'enseignement et la formation.

**Une filière de santé maladies rares (FSMR)** est une organisation qui coordonne en réseau un ensemble associant des CRMR et des CCMR, des laboratoires de diagnostic et de recherche, des structures sociales et médico-sociales, 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 filière de santé maladies rares est un lieu de mise en réseau et d'échanges privilégié entre les 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 charge 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.

**Les trois missions principales des FSMR sont :**

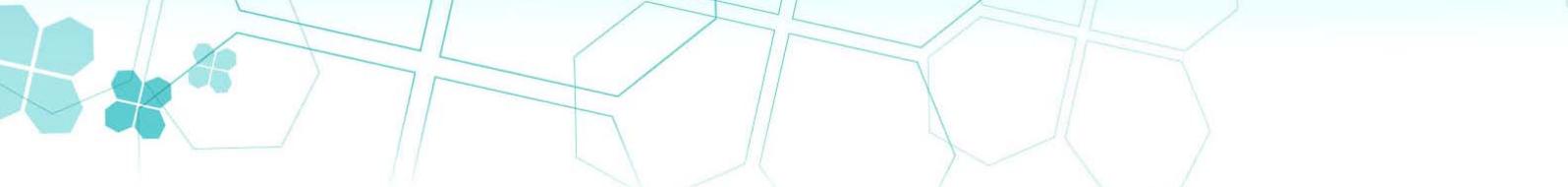
### **1. L'amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares**

Une FSMR renforce, mutualise, coordonne voire impulse des actions visant à rendre plus lisible et plus accessible l'organisation en place pour 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 et des CCMR qui leur sont rattachés.

### **2. Le développement de la recherche translationnelle, clinique et organisationnelle**

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, translationnelle et clinique et organisationnelle.

### **3. 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 des acteurs de la FSMR et en dehors.

## FORME – DENOMINATION – OBJET – SIEGE - DUREE

---

### ARTICLE 1 : FORME

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

- [Plan National Maladies Rares 2 \(PNMR2\) 2011-2014](#), objectif A-1-1 : « Structurer des filières maladies rares » ;
- [INSTRUCTION N° DGOS/PF2/2013/ 306 du 29 juillet 2013](#) relative à la structuration des filières de santé maladies rares prévues par le plan national maladies rares 2011-2014 ;
- [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016](#) relative aux missions et périmètres des centres de référence, centres de compétences et des filières de santé dans le domaine des maladies rares.

ainsi que par la présente charte de fonctionnement.

Depuis sa création, la filière FIREENDO est organisée en consortium indépendant à but non-lucratif. La filière FIREENDO ne dispose d'aucun statut juridique particulier (association, fondation, groupement d'intérêt public). De ce fait, la filière FIREENDO ne peut pas se présenter en promoteur d'une étude ni lever des fonds d'autres natures que les crédits fléchés « FSMR » octroyés pas par la Direction Générale de l'Offre des Soins (DGOS) du Ministère de la Santé.

Les opinions de la filière FIREENDO n'engagent que l'animateur de la filière et son personnel. Les opinions de la filière FIREENDO ne reflètent pas forcément les positions des institutions et établissements auxquels les membres de la filière FIREENDO sont rattachés.

### ARTICLE 2 : DÉNOMINATION

La dénomination de la filière de santé est : Filière Maladies Rares Endocriniennes, communément appelée FIREENDO.

### ARTICLE 3 : DOMAINE D'EXPERTISE

Les pathologies concernées par FIREENDO sont les atteintes rares des glandes endocrines et/ou des mécanoïdes d'action des hormones - par exemple : hypophyse, surrénales, gonades, thyroïde et du système reproductif féminin et masculin ainsi que les pathologies de la croissance. Ces pathologies ont pour la plupart en commun un dérèglement de la sécrétion hormonale ou de l'action des hormones. Ce dérèglement va donc entraîner un excès ou déficit hormonal ou une altération de la sensibilité à l'hormone conduisant à la morbidité par la perturbation du message hormonal transmis aux tissus cibles.

Ces pathologies correspondent aux domaines d'expertise des centres de référence (CRMR) de la filière. Le périmètre est susceptible d'évoluer en fonction de l'évolution des centres de référence, des pathologies touchant d'autres systèmes endocriniens pouvant intégrer à terme la filière. Cette liste n'est donc ni figée ni limitative.

### ARTICLE 4 : OBJECTIFS

Les objectifs de la filière FIREENDO se déclinent sur trois axes principaux que la filière a définis lors de sa création et sur lesquels elle développe ses actions :

**1- L'information sur les maladies rares endocriniennes.** Ces actions visent à informer les patients et leurs familles, les différents professionnels de santé, les étudiants médicaux et paramédicaux, et les instances sur les



maladies rares endocriniennes et les structures de leur prise en charge.

**2- L'amélioration du parcours du patient.** Cette animation vise à stimuler la coordination de l'expertise pluridisciplinaire sur les maladies rares endocriniennes par différentes approches (PNDS, référentiels, documents d'éducation, référencement des expertises des laboratoires de diagnostic...).

**3- La veille épidémiologique et la recherche.** Cette action utilisant les outils développés par la BNDMR a pour but de fournir des données pouvant aider à améliorer le parcours patients et stimuler la recherche sur les maladies rares endocriniennes.

## **ARTICLE 5 : DURÉE**

La filière FIRENDO est constituée à compter de du 1<sup>er</sup> octobre 2014 pour une durée de cinq années (2014-2019)<sup>1</sup>. Son renouvellement sera prononcé par le ministère de la santé au terme de son mandat.

## **ARTICLE 6 : SIÈGE DE L'ANIMATION**

Le siège de l'animation d'une filière maladie rare est lié à l'établissement d'affiliation (hôpital, CHU) de l'animateur de la filière, du fait que les crédits fléchés « FSMR » de la DGOS suivent le parcours de la comptabilité financière et sont gérés par l'établissement hospitalier auquel appartient les animateurs.

Le siège d'animation de la filière FIRENDO est fixé à Paris à l'hôpital Cochin, groupement hospitalier Hôpitaux Universitaires Paris Centre (HUPC) pour les 5 premières années du mandat (2014-2019).

Il pourra être transféré ailleurs sur le territoire français à l'issue du quinquennat selon les modalités de renouvellement de la filière FIRENDO par la DGOS du ministère de la santé et avec approbation du collège de direction.

## **ARTICLE 7 : DISSOLUTION**

La filière FIRENDO peut être dissoute de plein droit seulement par décision du Ministère de la santé.

---

<sup>1</sup> [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence, centres de compétences et des filières de santé dans le domaine des maladies rares, Annexe 1, page 6, chapitre C. d\)](#)

## FONCTIONNEMENT DE LA FILIERE

---

### ARTICLE 8 : DISPOSITIONS GÉNÉRALES

Les filières maladies rares élaborent un plan d'actions pour chaque année de leur mandat définissant les objectifs à suivre et précisant les actions à réaliser. L'articulation de ce dernier avec les plans d'actions des centres de référence maladies rares qui la constituent est précisée.<sup>2</sup>

Sur la base des plans d'actions déposés, les animateurs des FSMR communiqueront au ministère de la santé, à la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) un rapport annuel d'activité à chaque fin d'année dès 2016. Ceux-ci pourront le cas échéant donner lieu à une révision des périmètres des FSMR.<sup>3</sup>

### ARTICLE 9 : PERSONNEL DE LA FILIERE

#### **A. ANIMATEUR DE LA FILIÈRE**

Le pilotage des FSMR est assuré par un « animateur » désigné en son sein par les instances de gouvernance de la FSMR. Son mandat est de 5 ans correspondant à la durée d'autorisation des FSMR. L'animateur informe de sa désignation (voire de la succession) le directeur de son établissement, l'ARS et la DGOS. La désignation du successeur est assurée dans les mêmes conditions.<sup>4</sup>

Pr Jérôme Bertherat, chef de service d'Endocrinologie de l'hôpital Cochin et coordinateur du Centre de Référence Maladies Rares de la Surrénale a été désigné animateur de la filière FIRENDO pour la durée 2014-2019. L'animateur de la filière est élu parmi les coordonateurs des centres de référence coordonateurs membres de la filière.

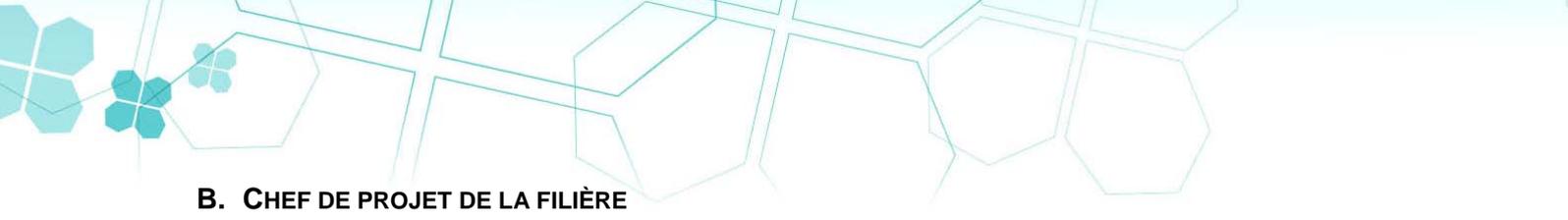
Afin d'assurer une représentation équilibrée entre les médecins d'adulte et les pédiatres, un co-animateur est reconnu en interne sur la filière et se doit d'être un pédiatre lorsque l'animateur est un médecin d'adulte et vice versa. Ce statut de co-animateur n'est pas reconnu par le Ministère pour lequel seul l'animateur porte la responsabilité de la filière. Il est cependant considéré comme important en interne que les actions de la filière soient discutées entre l'animateur et le co-animateur. Le co-animateur de la filière est choisi sur la base du volontariat parmi les coordonateurs des centres de référence coordonateurs membres de la filière.

---

<sup>2</sup> [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence, centres de compétences et des filières de santé dans le domaine des maladies rares, Annexe 1, page 6, chapitre C. d\)](#)

<sup>3</sup> [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence, centres de compétences et des filières de santé dans le domaine des maladies rares, Annexe 2, page 1, chapitre 2. A](#)

<sup>4</sup> [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016 relative aux missions et périmètres des centres de référence, centres de compétences et des filières de santé dans le domaine des maladies rares, Annexe 3, page 3, chapitre 5](#)



## B. CHEF DE PROJET DE LA FILIÈRE

L'animateur de la filière nomme un (e) chef de projet opérationnel (le) qui peut être ou non un membre de la filière.

Le chef de projet assure le fonctionnement de la filière sous l'autorité de l'animateur de FIREENDO. Il est recruté sur un poste à temps plein au siège de l'animation de la filière FIREENDO. Il assurera notamment les missions suivantes :

1. Organisation de la filière FIREENDO :

- Suivre toutes les étapes de lancement et de poursuite du plan d'action
- Organiser les réunions de la filière FIREENDO (réunions du bureau et collège, Journée Annuelle, ...);
- Animer et encadrer le personnel de la filière. A cet effet, il réalisera régulièrement des entretiens téléphoniques avec le personnel recruté pour assurer les missions de la filière pour le suivi des actions à mettre en place pour chaque axe ;
- Suivre et contrôler le budget de la filière FIREENDO, en lien avec le contrôleur de gestion du GH dont dépend l'animateur, et participer éventuellement à la recherche des financements nécessaires au fonctionnement de la filière;
- Assurer les relations avec les organismes partenaires et les agences de valorisation en France et au niveau international ;
- Rendre compte des activités devant le bureau et le collège.

2. Activités de communication :

- Mettre en place et maintenir tous les systèmes de communication de la filière : site internet, réseaux sociaux...
- Promouvoir la filière FIREENDO auprès des tiers et des instances publiques
- Mettre en place des stratégies de communication

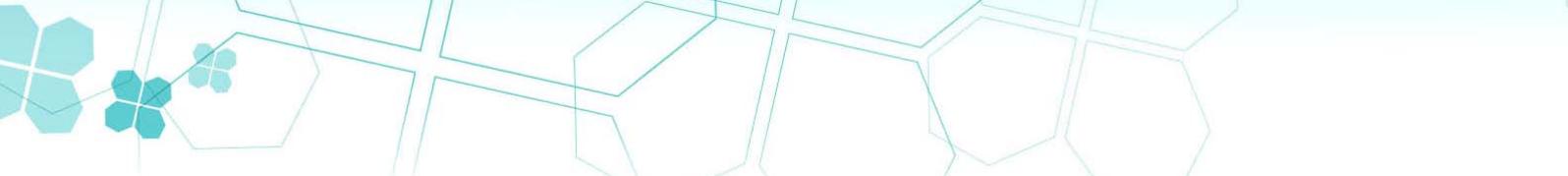
A cet effet, il peut recevoir délégation du coordonnateur pour :

- Signer les convocations du bureau et du collège de direction,
- Signer les convocations des différentes réunions opérationnelles avec chaque axe de la filière,
- Représenter la filière dans les rapports avec les tiers.

## C. CHARGÉS DE MISSION OPÉRATIONNELLE EN RÉGION

Le plan d'action de FIREENDO a précisé les besoins en personnels pour remplir les différentes missions (chargés de mission opérationnelle FIREENDO en région ou chargé de mission régional). Les professionnels de santé - membres de filière sont les responsables directs de ce personnel et ils se chargent de leur recrutement au niveau local. Ces agents sont recrutés par contrat de travail de droit public sur des postes à temps plein et à durée déterminée de 12 mois renouvelables annuellement. Leur rémunération est versée au CHU d'attachement à travers une convention bipartite de versement qui inclut également les frais de déplacement et d'hébergement de l'agent et comporte également une description de poste de travail.

Les chargés de mission FIREENDO en région sont placés sous l'autorité hiérarchique de leur responsable local et du chef de projet de FIREENDO en lien avec l'animateur de la filière FIREENDO. Ils bénéficient d'une journée



« nouveaux entrants » pendant laquelle le fonctionnement de la filière FIREENDO et de la base de données utilisée par les membres leur sont présentés. Cette formation est assurée par l'animateur et le chef de projet de la filière FIREENDO. Dès leur arrivée, ils sont tenus à signer et respecter la charte de la base de données CEMARA afin d'obtenir l'accès à la base.

En plus de la masse salariale et frais de déplacement et fonctionnement du poste, la filière FIREENDO s'engage à fournir aux chargés de mission :

- les cartes de visite FIREENDO,
- les supports de communication FIREENDO (plaquette, posters, kakemono, portoirs),
- le matériel informatique (ordinateur portable et clé internet 3G) ,
- une adresse électronique personnelle se terminant par @firendo.fr et sa boîte à lettre correspondante, accessible depuis le site <https://webmail.gandi.net/> ;
- et l'accès à la plate-forme collaborative Wimi.

Les responsables locaux (les coordinateurs des centres de référence ou compétence) sont tenus de fournir aux chargés de mission de FIREENDO :

- un espace de travail,
- accès au réseau internet et téléphone de l'établissement,
- et une assistance informatique et administrative.

Les responsabilités des chargés de mission FIREENDO en région sont les suivantes :

- Faire office de relais régional pour toutes les actions de communications de la filière FIREENDO, mais aussi remonter les données du terrain.
- Participer à un ou deux groupes de travail, orientés en particulier vers la mise en œuvre opérationnelle des pistes issues de la réflexion de ces groupes (voir la section 3, article 9C).
- Recueillir les données épidémiologiques des patients de passage dans les centres experts de la région (voir la section 6, article 23).

L'identité des chargés de mission de FIREENDO est signalée sur leurs lettres de mission, sur les papiers avec un en-tête de FIREENDO et sur leurs cartes de visite, et régulièrement mise à jour sur le site internet de la filière et autres supports de communication de la filière (plaquette, posters, kakémons, etc).

## **ARTICLE 10 : REPRÉSENTATION**

L'animateur représente la filière FIREENDO. Il peut donner délégation au co-animateur de la filière, chef de projet ou membres du bureau de la filière dans les conditions qui sont fixées par le bureau.

## STRUCTURATION ET GOUVERNANCE

---

### ARTICLE 11 : MEMBRES ET STRUCTURATION

La Filière de Santé Maladies Rares Endocriniennes (FIRENDO) s'est constituée autour de 6 Centres de Références Maladies Rares couvrant des domaines complémentaires des maladies endocriniennes à la date du 23 mars 2017. Trois sont coordonnés par des médecins d'adultes et trois par des pédiatres :

- CRMERC : CRMR maladies endocriniennes rares de la Croissance (Pr J Léger, Paris)
- CRMR DEFHY : CRMR maladies rares d'origine hypophysaire (Pr T Brue, Marseille)
- CRMR DSD : CRMR anomalies du développement sexuel (Pr P Mouriquand, Lyon)
- CRMR PGR : CRMR des pathologies gynécologiques rares (Pr M Polak, Paris)
- CRMR PRH : CRMR pathologies rares de la réceptivité hormonale (Pr P Rodien, Angers)
- CRMRS : CRMR maladies rares de la surrénale (Pr J Bertherat, Paris)

Les Centres de Référence membres de la filière FIRENDO peuvent évoluer en fonction des résultats des futures campagnes de labellisation lancées par le Ministère de la Santé.

Peuvent être membres de la filière FIRENDO:

- l'ensemble des professionnels de santé (médecins spécialistes, généticiens cliniciens, biologistes moléculaires, infirmières), qui œuvrent par leurs activités dans le champ de la filière et adhèrent tant à ses objectifs et orientations ;
- l'ensemble des professionnels du secteur psycho-médico-social (assistantes sociales, psychologues, coordinateurs du soin), qui œuvrent par leurs activités dans le champ de la filière et adhèrent tant à ses objectifs et orientations ;
- les représentants d'association de malades dans le champ des maladies rares endocriniennes.

Le nombre des membres est illimité. La liste des membres de la filière sera établie au cours de la première année après sa création puis mise à jour de manière continue depuis l'Annuaire interactif du site internet de la filière FIRENDO.

Les membres sont regroupés en 5 types de structures:

- les centres de référence et de compétence maladies rares,
- laboratoires de diagnostic,
- unités de recherche,
- associations de patients,
- secteur psycho-médico-social.

### ARTICLE 12 : GOUVERNANCE

La filière FIRENDO est animée par un animateur - coordonateur de Centre de Référence, un co-animateur et un chef de projet qui se sont assurés de la mise en place du dispositif de gouvernance dont les principes avaient été définis dans le dossier de candidature de la filière FIRENDO. Le dispositif de gouvernance de la filière repose sur un bureau et un collège décideurs dans les orientations des activités de la filière sur les propositions de l'ensemble des membres de la filière et en particulier des groupes de travail.

## A. BUREAU

**Missions** : Le bureau suit plus particulièrement les activités de la filière et des groupes de travail :

- Fixer le cadre de l'animation de la filière en se basant sur les objectifs définis ;
- Suivre la progression de l'animation dans le domaine des soins, de la recherche et de l'enseignement ;
- Valider les bilans d'activité annuels ;
- Etre l'interlocuteur privilégié des différents acteurs composant la filière ;
- Aider à prendre les décisions en matière de choix scientifiques, notamment sur le choix des projets de recherche et leur contenu nécessitant une extraction des données des patients à partir de la base de données de la filière FIREENDO (CEMARA et à terme BaMaRa). Le cas échéant, il prend en compte les éventuels conflits d'intérêt entre chercheurs responsables de projets en lien avec les données recueillies par les centres membres de FIREENDO.

**Composition** : le bureau est présidé par l'animateur de la filière FIREENDO. La composition du bureau est la suivante (les noms inscrits sont ceux des membres en 2014, à la date de création de la filière) :

<b>représentants de chaque CRMR (6 sièges)</b>	J Leger, M Polak, P Rodien, T Brue, P Mouriquand/C Bouvattier, J Bertherat
<b>représentants élus de CCMR (3 sièges)</b>	H Bony, B Delemer, V Kerlan
<b>chef de projet (1 siège)</b>	M Givony

**Fonctionnement** : Le bureau se réunit physiquement tous les 6 mois (janvier et juin) pour assurer la bonne marche de la filière. Il peut être sollicité par les différents acteurs en dehors de ces réunions.

Pour prendre une décision liée au choix des projets scientifiques nécessitant une extraction des données des patients à partir de la base de données CEMARA (BaMaRa à terme), le bureau est autorisé de travailler à distance par la voie électronique (Wimi, mail) ou de se réunir en téléconférence (Lync).

Les convocations sont faites par e-mail dans un délai d'au moins 1 mois avant la date fixée pour la réunion. La convocation mentionne l'ordre du jour et est accompagné de tout document utile.

La validité des décisions du bureau ne nécessite pas de quorum. Les décisions sont prises à la majorité simple des membres présents et représentés par pouvoir. En cas d'égalité de voix, la voix de l'animateur de la filière FIREENDO est prépondérante.

Les décisions du bureau sont consignées dans un compte-rendu de séance, établi par le chef de projet et l'animateur de la filière. Il est tenu, lors de chaque séance du bureau, une feuille de présence émargée par chacun des membres présents. Une copie du compte-rendu de séance est envoyée à l'ensemble des membres du bureau dans 1 mois à l'issue de chaque séance. Les membres du bureau doivent communiquer les propositions de modification au moins 7 jours avant la tenue de la séance suivante, au début de laquelle la version finale du compte-rendu est adoptée.

## B. COLLÈGE DE DIRECTION

**Missions** : le collège définit les grandes orientations et participe aussi au suivi des activités. Le collège réunissant des représentants de chaque catégorie des membres de la filière est aussi une structure importante pour que

toutes les composantes de la filière s'expriment sur les orientations et activités de FIREENDO. Il valide également les décisions prises par le bureau concernant les autorisations à procéder à une extraction des données des patients recueillies par les centres membres de FIREENDO dans la base des données de la filière (CEMARA et à terme BaMaRa).

**Composition** : le collège de direction est présidé par l'animateur de la filière FIREENDO. La composition du collège est la suivante (les noms inscrits sont ceux des membres en 2014, à la date de création de la filière) :

<b>représentant de chaque CRMR (6 sièges)</b>	J Leger, M Polak, P Rodien, T Brue, P Mouriquand/C Bouvattier, J Bertherat
<b>représentants des sites CRMR multi-site (3 sièges)</b>	P Touraine (PGR), S Christin-Maître (CRMERC)
<b>représentants élus de CCMR (3 sièges)</b>	H Bony, B Delemer, V Kerlan
<b>représentants élus des associations des patients (3 sièges)</b>	par rotation: Association MAIA, Association ASSYMCAL, Association Surrénales, Association Grandir
<b>représentants de laboratoires de diagnostic (2 sièges)</b>	A Barlier (génétique), M Piketty (hormonologie)
<b>représentants des unités de recherche (2 sièges)</b>	par rotation: S Amselem, A Martinez, I Netchine, M Lombès
<b>représentant du personnel chargé de mission de la filière (1 siège)</b>	par rotation : F Minime, E Fortes Lopes, M Provost, T Lelekov-Boissard, D Le Verger, S Ghenim, H Rahabi
<b>chef de projet (1 siège)</b>	M Givony

Sur 21 centres de compétence en 2014, la filière FIREENDO leur réserve 3 sièges au collège de direction. Les trois représentants des centres de compétence ont été élus par les coordinateurs de tous les centres de référence de la filière FIREENDO sur la base d'un vote électronique lancé en 2014 par l'animateur de la filière FIREENDO. Leur mandat est fixé à 5 ans.

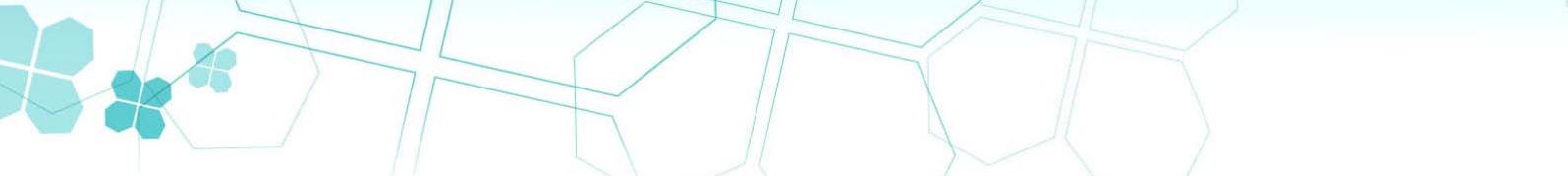
Sur 14 associations de patients en 2016, la filière FIREENDO leur réserve 3 sièges au collège de direction. Les quatre représentants des associations de patients ont été nommés sur la base de volontariat après un appel à candidatures lancé en 2015 par l'animateur de la filière FIREENDO. Leur mandat est fixé à 5 ans.

Sur 37 laboratoires de diagnostic en 2014, la filière FIREENDO leur réserve 2 sièges au collège de direction. Les deux représentants des laboratoires de diagnostic ont été nommés sur la base de volontariat après un appel à candidatures lancé en 2014 par l'animateur de la filière FIREENDO. Leur mandat est fixé à 5 ans.

Sur 18 unités de recherche en 2014, la filière FIREENDO leur réserve 2 sièges au collège de direction. Les quatre représentants des unités de recherche ont été nommés sur la base de volontariat après un appel à candidatures lancé en 2014 par l'animateur de la filière FIREENDO. Leur mandat est fixé à 5 ans.

Le représentant des chargés de mission FIREENDO en région est choisi par rotation avant chaque réunion du collège de direction lors d'une réunion en téléconférence avec le chef de projet de la filière.

**Fonctionnement** : Le collège de direction se réunit physiquement tous les 6 mois (mars et octobre) sur convocation de l'animateur ou à la demande de la moitié de ses membres. Il peut être sollicité par les différents acteurs en dehors de ces réunions.



Les convocations sont faites par e-mail dans un délai d'au moins 1 mois avant la date fixée pour la réunion. La convocation mentionne l'ordre du jour et est accompagnée de tout document utile.

La validité des décisions du collège de direction ne nécessite pas de quorum. Les décisions sont prises à la majorité simple des membres présents et représentés par pouvoir. En cas d'égalité de voix, la voix de l'animateur de la filière FIRENDO est prépondérante.

Les décisions du collège de direction sont consignées dans un compte-rendu de séance, établi par le chef de projet et l'animateur de la filière. Il est tenu, lors de chaque séance du collège, une feuille de présence émarginée par chacun des membres présents. Une copie du compte-rendu de séance est envoyée à l'ensemble des membres du collège de direction dans 1 mois à l'issue de chaque séance. Les membres du collège doivent communiquer les propositions de modification au moins 7 jours avant la tenue de la séance suivante, au début de laquelle la version finale du compte-rendu est adoptée.

En absence de l'Espace membre du site internet de la filière, il est attendu des membres du collège de diffuser ce compte-rendu auprès de l'ensemble des membres de la filière qu'ils représentent. Dès la mise en place de l'Espace membre du site internet de la filière, le compte rendu sera mis en ligne dans le mois qui suit la date de la réunion du collège.

### C. GROUPES DE TRAVAIL

Pour progresser sur les 3 axes généraux de FIRENDO, la filière a organisé ses activités en 9 groupes de travail qui couvrent le champ des actions de la filière.

**Composition** : chaque groupe de travail est piloté par un binôme coordinateur, désignés par le collège de direction de la filière FIRENDO sur la base de volontariat. L'animateur de la filière échange une fois par an avec le binôme coordinateur de chaque groupe de travail par le moyen de téléconférence afin de faire un bilan et recentrer les missions du groupe. Le binôme coordinateur est tenu de présenter les avancées du groupe à la Journée Annuelle de la filière FIRENDO.

Un membre de la filière devient le membre d'un groupe de travail suite à un sondage d'opinion électronique lui permettant de désigner plusieurs groupes de son choix. L'appel à participation aux groupes de travail est ouvert de façon permanente et repose sur le principe du volontariat. La filière FIRENDO privilégie la participation à un groupe par personne, même si les dérogations peuvent être faites au cas par cas.

**Fonctionnement** : les groupes se réunissent tous les un à deux mois, privilégiant les modalités à distance sur le présentiel. La filière FIRENDO prend en charge le coût de communication en mode web-conférence (système Lync) et les déplacements des membres du groupe hors Paris dans la limite de deux réunions par an au maximum. Un référent de télécommunication (affilié à l'APHP) est désigné par groupe de travail et il peut bénéficier d'un profil d'organisateur de réunion Lync.

La plate-forme en ligne Wimi est mise à disposition pour tous les membres d'un groupe afin de collaborer à distance sur les documents de travail. Seulement les membres d'un même groupe peuvent y avoir accès pour préserver le caractère confidentiel de la version de travail.

Les versions finalisées et officielles de ces documents seront mis en ligne dans l'Espace membre du site internet de la filière FIRENDO.

Un chargé de mission est fortement encouragé à participer à une ou deux groupes de travail en fonction de ses préférences pour le sujet du groupe. Son rôle principal est d'offrir le support logistique (organisation des réunions, rédaction des comptes-rendus, fiches actions et autres documents découlant du travail du groupe, gestion des mailings et enquêtes sur le site internet de la filière, entretien de l'espace du travail Wimi dédié à son groupe) mais aussi de contribuer activement aux réflexions du groupe. Toutefois, il ne peut pas être garanti que



chaque groupe de travail puisse compter sur un chargé de mission.

## **D. EQUIPE D'ANIMATION**

**Composition** : l'équipe d'animation est composé de :

- animateur de la filière,
- chef de projet,
- chargés de mission de la filière.

**Missions** : L'équipe d'animation répond au téléphone, entretient les actualités et les enquêtes du site internet de la filière, rédige les courriers de groupe et répond aux sollicitations en provenance du formulaire de contact en ligne. À cet objectif, une adresse générique [contact@firendo.fr](mailto:contact@firendo.fr) est mise en place à laquelle tous les membres de l'équipe d'animation ont accès. De plus, tous les membres parisiens de l'équipe d'animation (animateur de la filière, chef de projet, chargée de mission Île-de-France) possèdent les profils d'organisateur des réunions en audio- et visio-conférence grâce à la solution informatique (Lync) de l'Assistance Publique-Hôpitaux de Paris (APHP).

## COMPTES ET GESTION

---

### ARTICLE 13 : ORGANISME GESTIONNAIRE DE LA FILIÈRE

L'hôpital dont dépend l'animateur de la filière est l'établissement gestionnaire de FIRENDO. Cet hôpital a seul qualité pour opérer tout manquement de fonds et de valeurs. Il est responsable de leur conservation et de la sincérité des écritures.

A ce titre, l'hôpital de rattachement de l'animateur de la filière réalise, en lien avec l'animateur de la filière FIRENDO, les actes de gestion nécessaires au fonctionnement financier de la filière.

### ARTICLE 14 : DISPOSITIONS GÉNÉRALES

La mise en place des FSMR s'est accompagnée dès 2013 de délégation de crédits sur le fonds d'intervention régional (FIR), ceux-ci ayant été repartis forfaitairement en tenant compte du nombre de centres de référence maladies rares (CRMR) par FSMR en l'absence d'autres critères de répartition. La gestion de cette enveloppe a été transférée en 2015 vers les missions d'intérêt général (MIG) et fera l'objet d'une mission d'enseignement, de recherche, de référence et d'innovation (MERRI) spécifique gérée du niveau national.<sup>5</sup>

À partir de 2015, le financement des filières maladies rares inclut une part fixe et une part variable.

La part fixe inclut les postes de dépenses suivants :

- Personnel : secrétariat, chef de projet et temps animateur
- Frais concernant la réalisation des états des lieux y compris la poursuite de ceux-ci dans le temps
- Frais logistiques et de déplacement, ce poste de dépense couvrant ces frais pour l'ensemble des actions du plan
- Communication, site internet, journée nationale de la filière, etc.

La part variable ne peut inclure que d'autres postes de dépenses fonction de la déclinaison des actions retenues dans le plan d'actions et donc limités dans le temps nonobstant le caractère pluriannuel de certaines actions qui sera pris en compte.<sup>6</sup>

L'attribution des crédits est annuelle. Les budgets destinés aux filières santé maladies rares sont attribués en deux délégations :

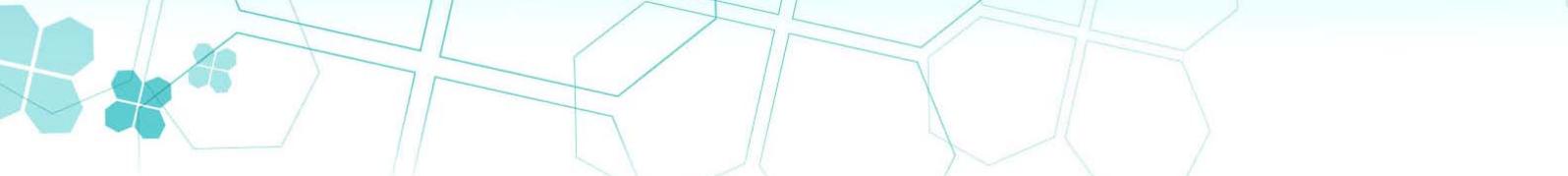
- Une part fixe sera déléguée dans le cadre de la 1<sup>ère</sup> circulaire budgétaire. À partir de 2016, cette part fixe ne tient plus compte de la taille de la filière (nombre de centres de référence et de centres de compétences qui la composent) : elle a été d'un montant identique pour toutes les filières maladies rares.
- Une part variable fera l'objet d'une délégation en 2<sup>ème</sup> circulaire budgétaire tenant compte du plan d'action qu'elle aura proposé.<sup>5</sup>

Le budget annuel fixe le montant prévisionnel des dépenses et des recettes. Les prévisions de budget sont présentées annuellement au ministère de la santé au sein du plan d'action.

---

<sup>5</sup> [Lettre de M. Jean Debeaupuis, Directeur général de l'Offre de Soins datant du 17 avril 2015 ayant pour l'objet « Financement des filières de santé maladies rares - appel à projets/plan d'actions »](#)

<sup>6</sup> [Document « Socle commun » par Mme Dominique Péton-Klein et Mme Marie-Laure Bellengier et diffusé avec le compte-rendu du COPIL des FSMR du 12 janvier 2016](#)



Le budget annuel est présenté par l'animateur aux membres du bureau pour approbation. En cours d'année, l'animateur peut proposer au vote du bureau de la filière des décisions modificatrices du budget.

## **ARTICLE 15 : CRÉDITS FLÉCHÉS « FSMR » DE LA DGOS**

Les crédits fléchés « Filières Santé Maladies Rares » de la DGOS étant délégués à l'ARS Ile de France puis versés exclusivement à l'hôpital d'affiliation de l'animateur de la filière FIREENDO, ce dernier est gestionnaire de l'ensemble des financements.

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

- dépenses annuelles de salaires et de fonctionnements (frais de mission récurrents, ...)
- dépenses ponctuelles d'investissement (achats d'ordinateur, de clés 3G ...) ou de fonctionnement (prestations extérieures, organisation de réunions ponctuelles, frais de mission, ...)

La gestion et le paiement des dépenses ponctuelles seront effectués par l'organisme gestionnaire de l'hôpital d'affiliation de l'animateur.

Une convention bipartite de partenariat et de reversement de financement est mise en place entre le GH de l'animateur (à la création de la filière FIREENDO en 2014 il s'agit donc de GH HUPC) et chacun des CHU concernés par un recrutement de chargé de mission (pour la période 2015-2017 il s'agit de : Assistance publique – Hôpitaux de Marseille, CHU Amiens, CHU Angers, CHU Bordeaux, CHU Reims, Hospices Civils de Lyon). Elle est valable jusqu'au 31 décembre 2017 pour tous les CHUs et pourrait être renouvelable en fonction du rapport d'activité et évolution du dispositif des filières maladies rares et de leur financements.

L'exercice de la filière a une durée de 6 mois. Il débute le 1er janvier et le 1<sup>er</sup> juillet et s'achève le 30 juin et 31 décembre. A la fin de chaque exercice, le GH d'affiliation de l'animateur de FIREENDO reversera aux différents CHU partenaires (liés par convention bipartite dédiée) les financements correspondant aux dépenses engagées au cours de l'exercice : rémunérations, formations, déplacements, fournitures, reprographie. Cependant, ces crédits ne pourront être reversés aux CHU partenaires que si le GH gestionnaire de FIREENDO (GH d'affiliation de l'animateur) reçoit le crédit fléché « FSMR » annoncée par la DGOS. Ces reversements seront effectués sur présentation de factures conformes. Par ailleurs, quelques soient les dépenses engagées par les CHU partenaires, les financements reversés n'excéderont pas le budget annuel inscrit dans les conventions bipartites et votés en collège de direction de la filière FIREENDO<sup>7</sup>. Un rapport de trésorerie sera présenté annuellement au bureau et au collège dans le cadre d'un rapport d'activité rédigé en fin d'année.

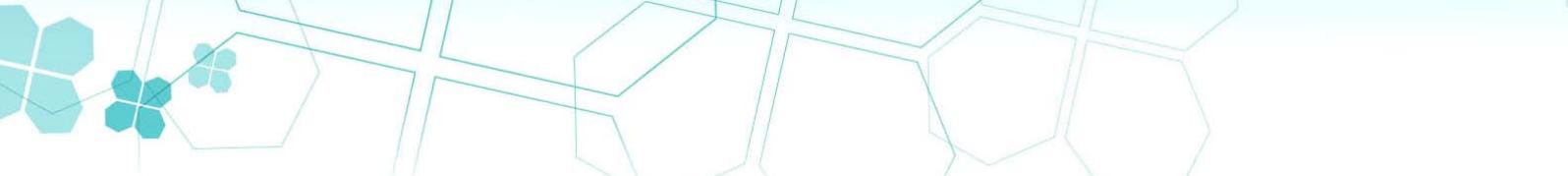
## **ARTICLE 16 : AUTRES FINANCEMENTS**

Du fait d'absence d'un statut juridique, la filière FIREENDO ne peut pas lever des fonds d'autres natures que les crédits fléchés « FSMR » octroyés par la Direction Générale de l'Offre des Soins (DGOS) du Ministère de la Santé. Les structures membres (CRMR, CCMR, équipes de recherche) peuvent décider de contribuer aux frais de fonctionnement de la filière FIREENDO grâce aux autres financements constitués de :

1. de dotations et/ou subventions complémentaires de l'Etat, des collectivités et leurs groupements,
2. de dotations et/ou subventions d'organismes territoriaux, nationaux, européens ou internationaux,
3. de dons et legs,
4. toute autre ressource autorisée par les textes législatifs ou réglementaires.

---

<sup>7</sup> [Consulter la convention-type relative à l'embauche d'un chargé de mission responsable de l'animation en région de la filière FIREENDO](#)



Ces financements sont perçus et gérés par les établissements d'affiliation des structures membres de la filière FIRENDO (GH, INSERM, CNRS ...) qui ont été à l'initiative de leur attribution (CCMR, CRMR, équipes de recherche).

### **ARTICLE 17 : COMPTES DE RÉSULTATS**

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 du l'hôpital d'affiliation de l'animateur de FIRENDO, organisme gestionnaire de la filière FIRENDO.

### **ARTICLE 18 : CONTRÔLE DE GESTION**

Il convient de créer un centre financier dédié à la filière FIRENDO au sein de l'hôpital d'affiliation de l'animateur de FIRENDO pour la durée de son quinquennat, afin d'isoler tous les flux financiers dédiés.

## RESSOURCES

---

### ARTICLE 19 : MODALITÉS DE COMMUNICATION AU SEIN DE LA FILIÈRE

La communication se fait :

1. via le site internet de la filière, modéré par l'équipe d'animation. Les activités éditoriales, les images et les illustrations, les frais de conception et maintenance du site sont pris en charge par la filière FIRENDO ;
2. via la plate-forme collaborative Wimi, modéré par le chef de projet et les chargés de mission en fonction de leur affiliation à un groupe de travail ;
3. via le système de téléconférence/ visioconférence Lync, dont les frais de fonctionnement sont pris en charge par la filière FIRENDO et l'AP-HP ;
4. via la messagerie électronique. Trois types de messagerie électronique sont utilisés : la messagerie des adresses se terminant par @firendo.fr (entretenu par GANDI, le fournisseur du nom de domaine firendo.fr) ; la messagerie professionnelle classique de l'établissement hospitalier et la messagerie cryptée (API-Crypt au sein de l'APHP exclusivement et à terme, MS Santé).

### ARTICLE 20 : MODALITÉS D'ANIMATION DE LA FILIÈRE

L'animation au sein de la filière passe par les canaux suivants :

1. via le site internet de la filière, modéré par l'équipe d'animation. Les activités éditoriales, les images et les illustrations, les frais de conception et maintenance du site sont pris en charge par la filière FIRENDO ;
2. via la newsletter à destination de tous les membres et abonnés sur le site internet, éditée et diffusée par mail tous les 4 mois ;
3. via la plate-forme collaborative Wimi, modérée par le chef de projet et les chargés de mission en fonction de leur affiliation à un groupe de travail ;
4. grâce à la Journée Annuelle FIRENDO, qui rassemble les représentants de toutes les structures membres de la filière en décembre tous les ans ;
5. à travers les réunions des groupes de travail (2-6 réunions par an par groupe), à distance ou en présentiel ;
6. à travers les réunions du bureau (2 sessions par an) et du collège de direction de la filière (2 sessions par an) ;
7. à travers les réunions du chef de projet avec les chargés de mission (2 sessions par an en présentiel, 8 sessions mensuelles en téléconférence) ;
8. à travers les réunions hebdomadaires entre le chef de projet et l'animateur de la filière ;
9. à travers les réunions mensuelles entre les chargés de mission et les responsables des centres de compétence situés dans le périmètre de leur région.

## RÈGLES D'UTILISATION DE LA BASE DE DONNÉES CHOISIE PAR FIRENDO

### ARTICLE 21 : CONDITIONS D'UTILISATION

Consciente de la nécessité de faciliter la lisibilité des maladies rares endocriniennes et de son rôle épidémiologique, la filière FIRENDO a opté pour l'utilisation de la base de données nominatives à application CEMARA<sup>8</sup> gérée par la BNDMR (Banque Nationale des Données Maladies Rares, [www.bndmr.fr](http://www.bndmr.fr), qui est financée par le Ministère de la Santé). Les données sont saisies via un site Internet sécurisé ([www.CEMARA.org](http://www.CEMARA.org)) dans une base de données de production où elles seront stockées. La base de données CEMARA existe depuis 2006. Les données autorisées dans le traitement et les catégories de personnes pouvant y avoir accès ont été autorisées par la CNIL en 2007<sup>9</sup>. Les données de CEMARA sont hébergées physiquement par l'APHP (en qualité de « maîtrise d'oeuvre »)<sup>10</sup>.

La base de données CEMARA est un système d'information pérenne, disposant de l'expertise médicale, épidémiologique, biostatistique et informatique nécessaire pour dénombrer l'ensemble des patients pris en charge pour les maladies rares en France, avec pour objectifs :

- Fournir des statistiques descriptives des maladies rares et de leur prise en charge ;
- Etre un outil d'évaluation et d'aide à la décision en matière de santé publique ;
- Etre un outil pour la recherche clinique, épidémiologique et en économie de santé ;
- Permettre d'évaluer : La qualité et l'efficacité des soins en termes de morbidité et de survie et les conséquences médico-économiques des pratiques de soin ;
- Evaluer les caractéristiques socio-démographiques des patients selon le centre de référence ;
- Rendre visible l'activité médicale des centres au niveau national et mieux comptabiliser l'activité sur les maladies rares.

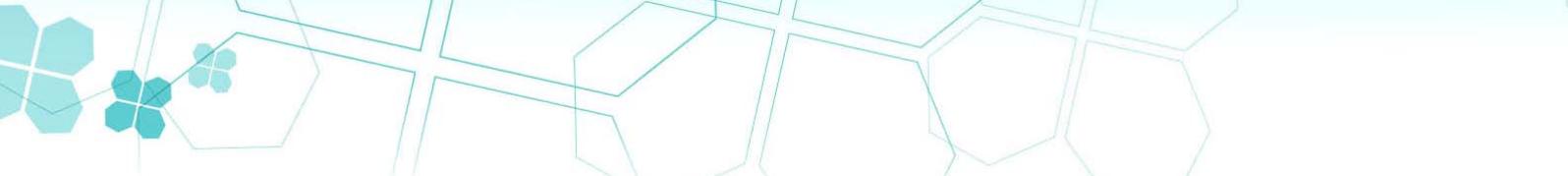
La BNDMR va lancer l'application Web BaMaRa, développée et maintenue par l'AP-HP<sup>10</sup>, qui remplacera progressivement la base de données CEMARA (<http://www.bndmr.fr/services/bamara/>). L'objectif de BaMaRa reste le recueil dans le cadre du soin d'un set minimum de données administratives, cliniques puis à terme biologiques et thérapeutiques pour les patients atteints de maladies rares. Les données du tronc commun de CEMARA seront migrées vers BaMaRa, hôpital par hôpital, site par site tout au long de l'année 2017 et 2018, suite à la signature d'une convention individuelle entre l'AP-HP et l'hôpital partenaire. Cette dernière prévoit que

---

<sup>8</sup> [Charte du Réseau CEMARA \(Réseau des CEntres MALadies RAres\) – version 27/04/2006](#)

<sup>9</sup> [Notification d'autorisation N°1187326 relative à un traitement de données à caractère personnel](#) ayant pour finalité CEMARA - programme d'aide à la décision en santé publique pour les Maladies rares : description des cas, approche diagnostique, Modalités de prise en charge et suivi médical

<sup>10</sup> [Convention entre le ministère des affaires sociales, de la santé et des droits des femmes et 1' Assistance Publique- Hôpitaux de Paris \(APHP\) relative à la conception et la mise en oeuvre d'une banque nationale de données concernant les maladies rares \(BNDMR\) – septembre 2015](#)



chaque hôpital soit responsable du traitement de ses données dans BaMaRa.

De part l'utilisation de l'application CEMARA puis BaMaRa, la filière FIREENDO participe de fait à l'entrepôt national maladies rares (BNDMR), comme demandé par le ministère via l'instruction INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016.<sup>11</sup>

L' AP-HP assure le développement, le déploiement et la maintenance de BaMaRa.<sup>12</sup> A ce titre, l' AP-HP est le responsable de traitement des données personnelles de santé renseignées dans BaMaRa et la BNDMR. Dans ce cadre, elle s'engage à respecter les dispositions de l'article L.1111-8 du code de la santé publique et en particulier à ce que le traitement et les données de santé associées soient hébergés chez un hébergeur agréé et à ce qu'une contractualisation (convention) soit conclue entre elle et les autres établissements de santé. Cette convention définira notamment les modalités d'hébergement, les règles d'habilitation à la base et à son traitement, les formalités à accomplir auprès de la CNIL, mais également les notices d'information et les consentements à obtenir auprès des patients concernés, les règles de sécurité et de confidentialité à mettre en place, les modalités de maintenance et de maintien de la BNDMR en condition opérationnelle.

La BNDMR et BaMaRa sont désormais dotées d'un conseil scientifique qui a un rôle de contrôle, de consultation et de proposition concernant les exploitations de données effectuées au sein de la BNDMR l'entrepôt. Il émettra un avis sur la charte de fonctionnement de BaMaRa qui est en cours de rédaction et sera saisi pour donner son avis sur les demandes externes d'exploitation de données.

## **ARTICLE 22 : ACCÈS AUX DONNÉES : GÉNÉRALITÉS DE CEMARA**

### **A. QUI PEUT PARTICIPER À LA BASE DE DONNÉES CEMARA ?**

Tous les services, départements ou unités fonctionnelles d'un hôpital peuvent participer à la base de données CEMARA. Dans la charte CEMARA, ils sont communément dénomés « site » et sont liés à une localité spécifique (une seule adresse physique, par exemple).

### **B. COMMENT PARTICIPER À CEMARA ?**

Pour qu'un centre et ses sites puissent adhérer à CEMARA, le coordinateur du centre est tenu de faire une demande par email à l'équipe en charge de la base de données CEMARA ([contact.bndmr.nck@aphp.fr](mailto:contact.bndmr.nck@aphp.fr)). Il y indiquera la liste des sites du centre (hôpital et services concernés) ainsi que les coordonnateurs de sites.

Dans le cadre de cette demande, le coordinateur du centre doit signer la charte CEMARA. Celle-ci doit être envoyée scannée par email à l'équipe en charge de la base de données CEMARA ([contact.bndmr.nck@aphp.fr](mailto:contact.bndmr.nck@aphp.fr)). Suite au traitement de la demande, les identifiants personnels d'accès à CEMARA sont envoyés directement à l'adresse mail professionnelle du professionnel, telle qu'elle a été signalée dans la charte<sup>13</sup>.

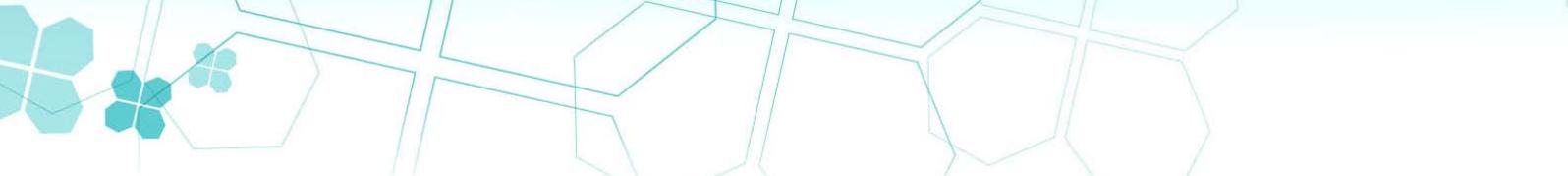
Tout personnel (médecins, attachés de recherche clinique, psychologues, infirmières, secrétaires, ...) de ces sites souhaitant entrer les données patients ou avoir accès aux données nominatives des patients vus sur le site doit

---

<sup>11</sup> [INSTRUCTION N° DGOS/PF4/2016/11 du 11 janvier 2016](#)

<sup>12</sup> [Convention entre le ministère des affaires sociales, de la santé et des droits des femmes et 1' Assistance Publique- Hôpitaux de Paris \(APHP\) relative à la conception et la mise en oeuvre d'une banque nationale de données concernant les maladies rares \(BNDMR\) – septembre 2015](#)

<sup>13</sup> [Charte du Réseau CEMARA \(Réseau des CEntres MALadies RAres\) – version 27/04/2006](#)



être le signataire de la charte CEMARA qui est contre-signée par le coordinateur du site. Celle-ci doit être envoyée scannée par email à l'équipe en charge de la base de données CEMARA ([contact.bndmr.nck@aphp.fr](mailto:contact.bndmr.nck@aphp.fr)). Suite au traitement de la demande, les identifiants personnels d'accès à CEMARA sont envoyés directement à l'adresse mail professionnelle du professionnel, telle qu'elle a été signalée dans la charte<sup>14</sup>.

Si nécessaire, le coordinateur du site clinique peut fixer le type de droits d'accès (lecture seule ou lecture/écriture) . La liste de ces personnes est visible à tout moment depuis l'annuaire en ligne de CEMARA ([www.cemara.org](http://www.cemara.org)) et peut être modifié à la demande écrite du coordinateur du site hospitalier.

### **C. ANNUAIRE DES MÉDECINS DANS CEMARA DU SITE ET ANNUAIRE DES PERSONNES AYANT ACCÈS À CEMARA PAR SITE**

Tout personnel de ce site souhaitant entrer les données du patient ou avoir accès aux données nominatives du patient vus sur le site doit être le signataire de la charte CEMARA qui est contre-signée par le coordinateur du site. Si nécessaire, le coordinateur du site clinique peut établir à l'avance une liste des professionnels autres que les médecins (attachés de recherche clinique, psychologues, infirmières, secrétaires, ...) habilités et fixer leur type de droits d'accès aux données nominatives moyennant leur signature de la charte CEMARA. La liste de ces personnes est visible à tout moment depuis l'annuaire en ligne de CEMARA ([www.cemara.org](http://www.cemara.org)) et peut être modifiée à la demande écrite du coordinateur du site hospitalier.

À l'occasion de la création d'un nouveau site dans la base CEMARA, un annuaire des médecins consultant pour les maladies rares au sein de ce site hospitalier doit être constitué (le nom du médecin, sa qualité au sein du service, le(s) service(s) au(x)quel(s) il appartient, son adresse mail professionnelle et son numéro de téléphone). À défaut d'une adresse mail portant le nom du serveur de l'établissement hospitalier, une adresse mail MS-Santé ([www.mssante.fr](http://www.mssante.fr)) peut être fournie (toute personne inscrite à l'ordre national des médecins en dispose). Cet annuaire doit être communiqué à CEMARA dans les meilleurs délais. Le but de cet annuaire est de faire figurer les noms des médecins dans les champs correspondant au médecin réalisant l'activité et à celui en charge du dossier dans le bordereau de CEMARA. Les médecins repertoriés dans cet annuaire ne sont pas tenus de signer la charte CEMARA<sup>15</sup>, sauf s'ils souhaitent saisir eux-mêmes ou consulter eux-mêmes les données nominatives des patients saisies par une tierce personne pour ce site CEMARA.

### **D. INFORMATION DES PATIENTS FIGURANT DANS CEMARA**

Les patients doivent être informés du recueil et du traitement informatisé des données les concernant (identification, modalités de contact avec le centre maladies rares, diagnostic de l'affection) par l'unité de soin qui les prend en charge ou par affichage de la note d'information de la Commission Nationale Informatique et Liberté (CNIL).<sup>16</sup>

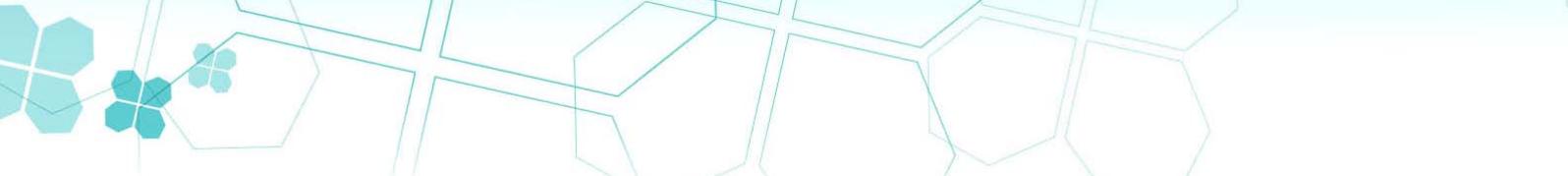
Les données individuelles d'un patient sont accessibles par ce patient sur sa demande. S'il s'agit d'un enfant mineur ou d'un patient sous tutelle, les informations sont accessibles à ses parents ou représentants légaux. En application du chapitre V de la loi n°78-17 du 6 janvier 1978, le patient peut, après avoir justifié de son identité, exercer son droit d'accès et de rectification auprès du médecin qui le prend en charge ou auprès du médecin de

---

<sup>14</sup> [Charte du Réseau CEMARA \(Réseau des CEntres MAIadies RAres\) – version 27/04/2006](#)

<sup>15</sup> [Correspondance écrite du 18/06/2016 entre Maria Givony et l'équipe en charge de la base de données CEMARA](#)

<sup>16</sup> [Note d'information CNIL à destination des patients concernant la collecte de leurs informations dans CEMARA](#)



la cellule de coordination du centre. Le patient peut également exercer son droit d'opposition conformément aux dispositions prévues dans le chapitre IX de la loi Informatique et Libertés 78-17.

## **ARTICLE 23 : ACCÈS AUX DONNÉES : SPÉCIFICITES DE FIRENDO**

Les informations sur les patients présentant une maladie rare prise en charge dans ces sites à l'échelle nationale sont collectées de façon systématique et continue. Ce recueil est réalisé soit par les chargés de mission régionaux FIRENDO ou par le personnel habilité du site. La saisie est réalisée à partir de fiches patients FIRENDO mises à disposition des médecins ou directement à partir des dossiers patients en fonction de l'organisation mise en place dans le site hospitalier.

### **A. QUI PEUT PRÉTENDRE À L'AIDE À LA SAISIE DANS CEMARA PROPOSÉE PAR FIRENDO ?**

Seuls les services hospitaliers et les unités de soin (synonyme : site) faisant partie d'un centre de référence ou d'un centre de compétences labélisé pour les maladies rares endocriniennes peuvent prétendre à une aide logistique par un chargé de mission régional FIRENDO pour la saisie des données patients dans la base de données CEMARA.

Si le site hospitalier faisant partie d'un CCMR ou CRMR maladies rares endocriniennes accepte l'aide logistique du chargé de mission FIRENDO en région, son coordinateur doit :

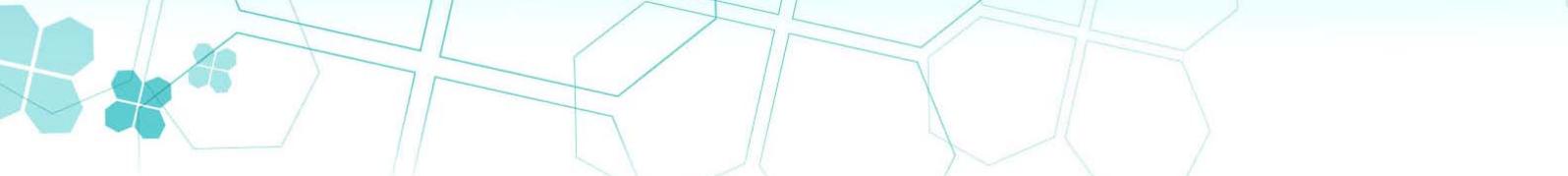
- signer la présente charte,
- signer la charte CEMARA s'il ne figure pas déjà dans CEMARA et qu'il souhaite accéder à l'application,
- envoyer ou se faire aider par le chargé de mission FIRENDO pour envoyer à CEMARA une liste des médecins consultant pour les maladies rares et une liste des personnes habilitées à avoir accès aux données nominatives du site. Si le site hospitalier figure déjà dans CEMARA, il s'agit de réviser cette liste accessible depuis l'annuaire CEMARA et de la mettre à jour. Le chargé de mission FIRENDO ayant déjà signé la charte CEMARA préalablement, il obtient accès aux données nominatives du site grâce au simple (r)envoi de la liste des personnes habilitées du site parmi lesquelles il figure.

Si le médecin d'un CCMR/CRMR se déplace pour effectuer une consultation concernant une maladie rare endocrinienne ailleurs que dans son site de rattachement (consultations dites « avancées »), les données de ce patient seront comptabilisées pour son site de rattachement en indiquant le vrai lieu de consultation dans l'item : « Lieu de consultation » du dossier patient dans CEMARA.

### **B. BONNES PRATIQUES DES CHARGÉS DE MISSION FIRENDO EN RÉGION LORS DE LA SAISIE DANS CEMARA**

Les données du patient deviennent associées à un site X aux trois moments clés lors de la saisie :

- Item « Nom du site » (menu déroulant tout en haut, entre le logo CEMARA et le nom d'utilisateur connecté) : la personne en charge de saisie se doit de choisir le site hospitalier où le patient s'est rendu physiquement s'assurer d'avoir sélectionné le site correspondant à l'équipe prenant en charge du patient ; dans le cas d'une consultation avancée, voir paragraphe précédent.
- Item « Médecin en charge du dossier » : le nom choisi depuis la liste déroulante doit être celui qui prend en charge le patient pour le site concerné, en concordance avec le site sélectionné préalablement ;
- Items « Enregistrer ce dossier » et « Activité comptabilisée pour » : deux cas de figure se présentent concernant les sites hospitaliers membres de FIRENDO :
  1. Pour les patients qui ont consulté un site labélisé centre de compétences, la case « Pour un Centre de Compétence Maladies endocriniennes rares (CCMER) » sera cochée



systématiquement. Les chargés de mission FIREENDO s'engagent à ne pas cocher d'autres cases en même temps.

Tous les sites labélisés « centre de compétences maladies rares endocriniennes » sont regroupés dans une seule entité dans CEMARA (nommée Centre de Compétence Maladies endocriniennes rares (CCMER)). Le gestionnaire de CEMARA (Claude Messiaen) garantit qu'aucune personne ne se trouve en tête de cette large entité et que par conséquent aucun professionnel de santé n'a accès aux données de tous les sites dans cette entité<sup>17</sup>. Les données des dossiers pour lesquels la case « Pour un Centre de Compétence Maladies endocriniennes rares (CCMER) » est cochée ne restent visibles que par les médecins signataires de la charte CEMARA pour le site clinique où sont enregistrées les données lors du passage du patient.

2. Pour les patients qui ont consulté un centre de référence X, deux options se présentent au moment de création de leur dossier :
  - la case « Pour le Centre de Référence X » sera cochée si le patient est diagnostiqué d'une pathologie pour laquelle le centre de référence est labélisé par le Ministère de la Santé;
  - la case « Pour un Centre de Compétence Maladies endocriniennes rares (CCMER) » sera cochée si le patient est diagnostiqué d'une pathologie relevant de champ de l'expertise de FIREENDO pour laquelle le centre de référence n'a pas été labélisé par le Ministère de la Santé mais est reconnu comme centre de compétence.

Un chargé de mission FIREENDO en région aura plusieurs sites hospitaliers dans CEMARA sous sa tutelle. Il aura donc accès aux données nominatives de chaque site hospitalier ayant donné son accord pour l'aide logistique de FIREENDO dans le périmètre de sa région. Toutefois, du fait de l'architecture de CEMARA et des recommandations de la CNIL, le chargé de mission FIREENDO ne peut visualiser ou extraire les données nominatives des patients que d'un site à la fois. Le chargé de mission FIREENDO en région est tenu par le secret médical et professionnel ainsi que par la signature de cette charte, de ne pas agréger les données de plusieurs sites après l'extraction que suite à l'accord préalable des médecins coordinateur de chaque site et l'accord écrit émanant du collège de direction FIREENDO.

Les règles de recueil et de saisie CEMARA indiquées ci-dessus n'engagent que les chargés de mission régionaux recrutés par la filière FIREENDO. FIREENDO ne peut pas être tenue responsable pour les pratiques qui peuvent émaner du personnel de la recherche clinique missionné directement par les centres de référence ou centres de compétences membres de FIREENDO (recrutements locaux, PHRC, etc).

## **ARTICLE 24 : REGLES D'OBTENTION D'ACCORD POUR DES PROJETS D'EXPLOITATION DES DONNÉES FIREENDO DANS CEMARA**

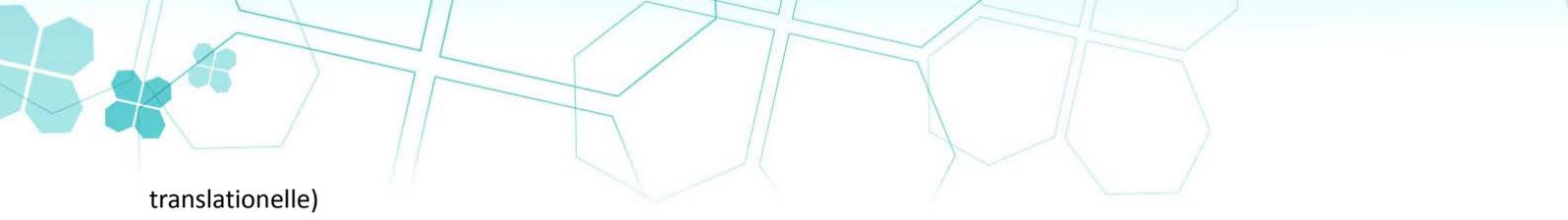
Plusieurs cas de figure se présentent en fonction des finalités qui peuvent motiver une demande d'extraction des données des patients saisis au sein de sites hospitaliers membres de FIREENDO. Le demandeur est désigné plus loin dans le texte comme le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA :

### **A. À DES FINS DE RECHERCHE :**

(e.g. dans l'optique de poursuivre une étude épidémiologique ou un projet de recherche clinique ou

---

<sup>17</sup> [Correspondance écrite avec l'équipe en charge de la base de données CEMARA datant du 25 novembre 2015.](#)



translationnelle)

**SCÉNARIO N°1 A** : le médecin désigné coordinateur d'un site hospitalier membre de FIREENDO veut obtenir les données nominatives ou anonymes de son site. Une extraction peut être faite par lui-même s'il dispose des identifiants CEMARA, par le chargé de mission régional de FIREENDO qui est en charge de son centre ou par un data manager de CEMARA après une demande écrite. Il n'y a aucune démarche à effectuer auprès du bureau de la filière FIREENDO car seules les données du site sont analysées.

**SCÉNARIO N°1 B** : le médecin d'un site hospitalier membre de FIREENDO, autre que le coordinateur du site, veut obtenir les données nominatives ou anonymes de tous les patients de son centre. Une extraction ne peut être faite par lui-même, il doit la demander à son chargé de mission régional de FIREENDO qui est en charge de son centre ou au data manager de CEMARA après une demande écrite. Un accord de l'ensemble des médecins en charge des patients concernés par cette demande est préalablement requis. Il n'y a aucune démarche à effectuer auprès du bureau de la filière FIREENDO.

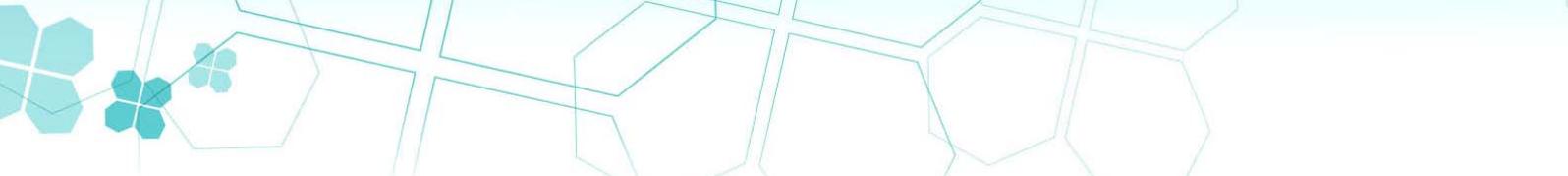
**SCÉNARIO N°1 B** : le médecin d'un site constitutif d'un centre de référence membre de FIREENDO veut obtenir les données nominatives ou anonymes des patients de l'ensemble des sites dudit centre de référence sur les pathologies rares pour lesquelles le CRMR a été labellisé. Une extraction ne peut être faite par lui-même, il doit la demander au data manager de CEMARA après une demande écrite. Un accord de l'ensemble des médecins en charge des sites constitutifs concernés par cette demande est préalablement requis. Il n'y a aucune démarche à effectuer auprès du bureau de la filière FIREENDO.

**SCÉNARIO N°2** : un professionnel de santé ou un chercheur membre X de FIREENDO, ayant pour but de poursuivre une étude épidémiologique, veut extraire de CEMARA les données anonymisées recueillies par un centre Y, membre de FIREENDO. Un accord de l'ensemble des médecins en charge des patients concernés par cette demande est préalablement requis. Cet accord peut être délivré par écrit ou par la voie électronique. Une extraction de données anonymisées peut alors être réalisée par le chargé de mission régional de FIREENDO ou par un data manager de CEMARA après une demande écrite. Les données doivent être dé-identifiées autant pour le patient que pour le clinicien en charge du patient. Il n'y a aucune démarche à effectuer auprès du bureau de la filière FIREENDO.

**SCÉNARIO N°3** : un professionnel de santé ou un chercheur membre de FIREENDO souhaite extraire de CEMARA des données anonymisées sur plusieurs centres membres de FIREENDO dans l'optique d'un projet de recherche (soit pour étudier la faisabilité d'un projet de recherche en fonction de la fréquence et géographie d'une pathologie, soit pour un projet de recherche à part entière). Cette demande doit être dûment justifiée par un dossier de présentation du projet (voir plus loin Section 6, article 25 : FORMALISATION DE L'ACCORD ET SUIVI DE PROJET). Ce dossier devra décrire les aspects scientifiques et méthodologiques du projet, ses éventuelles implications concernant la confidentialité, l'éthique et la déontologie, ainsi que son financement et un calendrier prévisionnel de réalisation des investigations à compter du début de l'étude. Si le projet peut conduire éventuellement à une publication la politique de publication et de représentation des auteurs doit être précisée. Le dossier doit être déposé auprès du bureau de la filière FIREENDO (voir plus loin Section 6, article 26 : RÈGLES DE PUBLICATION).

L'instruction du dossier comporte les étapes suivantes :

1. **Examen par le bureau de la filière FIREENDO.** Les modalités de cet examen sont les suivantes :
  - a. Critères d'évaluation : qualité scientifique et méthodologique du projet ; qualité scientifique de l'équipe demandeuse ; concurrence avec un projet déjà en cours ou prévu ; pertinence des projets au regard de la cohérence générale de la population couverte par FIREENDO sur le long



terme (solicitation des enquêtes, redondance de certains projets/questionnaires en cours ou récents, etc.) ; aspects éthiques, faisabilité, financement.

b. Projets déjà évalués positivement dans le cadre d'un AAP national ou international : le bureau ne procède pas à un second examen et transmet directement au collège de direction de la filière, sauf dans le cas où l'équipe BNDMR émettrait des doutes sur la faisabilité scientifique et technique, ou considérerait que le projet pourrait avoir un impact négatif sur la stratégie globale de la filière FIREENDO (étape 3).

c. Procédure d'examen de dossier : au moins deux membres du bureau de FIREENDO procèdent à l'analyse de chaque projet ; ils peuvent solliciter en cas de besoin des avis extérieurs. Après discussion, un avis est ensuite pris en réunion des membres du bureau à distance (mail ou téléconférence) et transmis au collège de direction.

2. **Autorisation par le collège de direction** : les remarques de nature technique, méthodologique, scientifique et, le cas échéant, éthiques sont transmises au collège de direction de la filière FIREENDO qui rendra un avis favorable ou défavorable au porteur de projet et qui informe le demandeur de sa décision.

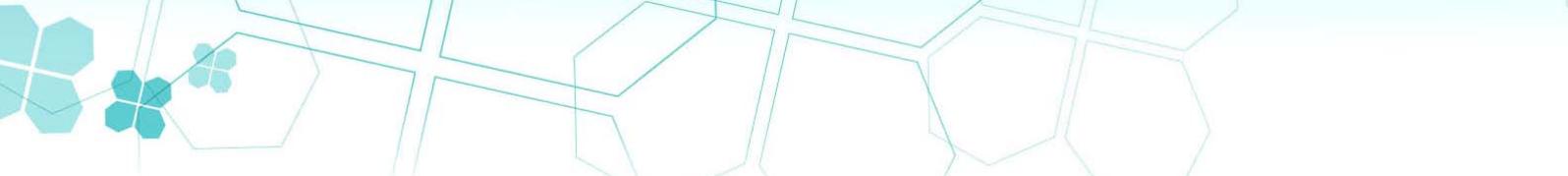
Le délai maximum pour le respect des étapes 1 à 2 de cette procédure ne doit pas excéder 3 mois à partir de la date de la soumission du projet au bureau de la filière FIREENDO. Ce délai peut être dépassé en cas de demande d'informations complémentaires de la part de l'animateur de la filière FIREENDO, du bureau ou du collège de direction. Si le projet proposé comporte des éléments pouvant nécessiter l'avis d'un Comité d'éthique ou d'un Comité de protection des personnes, le demandeur doit solliciter l'avis de ce Comité, et joindre au dossier de demande l'avis rendu.

3. **Examen technique par la BNDMR** : en cas d'avis favorable du collège de direction, une demande d'examen technique doit être adressée à la BNDMR. L'examen technique (faisabilité, confidentialité, cohérence, etc...) est réalisé par le conseil scientifique de la BNDMR. Les conclusions de l'examen technique sont transmises au collège de la filière FIREENDO, qu'elles soient positives ou négatives.
4. **Obtention de l'accord du ou des médecins coordinateurs des sites concernés**. Cet accord peut être obtenu à travers un formulaire électronique accessible depuis Espace membre du site de la filière FIREENDO, ce qui oblige les médecins coordinateurs des sites concernés (CRMR et CCMR) de s'authentifier au préalable avant de donner son accord en cochant une case du formulaire. Cet accord est indispensable pour que les données entrées par le centre puissent être extraites pour le projet.
5. **Accord CNIL** : il est possible que certaines démarches additionnelles soient à poursuivre auprès de la CNIL, en fonction de la nature de la demande.

Un bilan des demandes et des réponses apportées est établi une fois par an, et porté à la connaissance du collège de direction.

**SCÉNARIO N°4 A** : Demandes externes d'interrogation des données FIREENDO dans CEMARA pour obtenir des données anonymisées : le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA est un professionnel de santé affilié à une structure qui n'est pas membre de FIREENDO. Il doit obtenir l'accord préalable de la filière (Scénario n°3, étapes 1-5). Les extractions des données ou constitutions d'indicateurs relatifs à la filière ne peuvent être envisagés sans accord préalable de la filière.

**SCÉNARIO N°4 B** : Demandes externes d'interrogation des données FIREENDO hors CEMARA : des professionnels



affiliés à une structure qui n'est pas membre de FIRENDO (« acteurs étrangers » à la filière, e.g. épidémiologistes APHP) n'ont pas le droit d'extraire depuis les logiciels métiers (e.g. ORBIS dans APHP) les données informatiques des patients, nominatives ou anonymisées, suivis dans un centre membre de FIRENDO sans prévenir le centre prenant en charge ces patients. Si la demande d'extraction concerne plusieurs centres membres de FIRENDO, un accord préalable doit être demandé à la filière FIRENDO (Scénario n°3, étapes 1-5).

## **B. À DES FINS ADMINISTRATIVES :**

**SCÉNARIO N°5 : demande d'extraction des données anonymisées faite par le bureau de FIRENDO** : le bureau auto-valide sa demande et l'envoie pour validation au collège de direction de la filière FIRENDO. Suite à la validation du collège de direction de la filière, une demande d'extraction est adressée au conseil scientifique de la BNDMR en explicitant les critères d'extraction et le but ultime de visualisation des données extraites ;

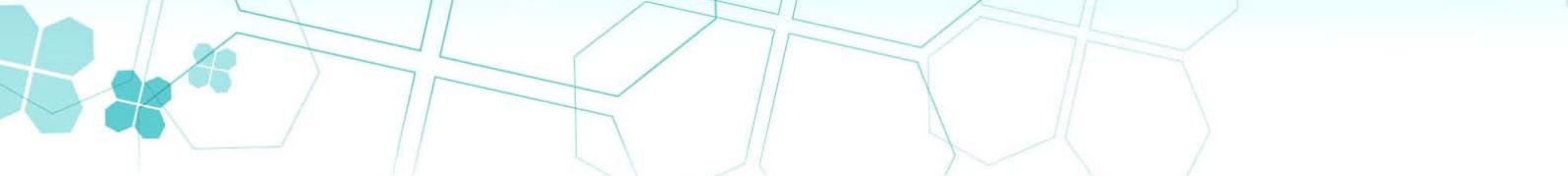
**SCÉNARIO N°6** : demande d'extraction des données anonymisées faite à un ou plusieurs CCMR par un CRMR en vue d'une campagne de labélisation ou relabélisation par le Ministère de la Santé. La procédure à suivre est équivalente au Scénario 1B de la section « À des fins de recherche ». Il n'y a aucune démarche à effectuer auprès du bureau de la filière FIRENDO, le CRMR s'adressant directement au CCMR qui est dépositaire de ses données.

## **ARTICLE 25 : FORMALISATION DE L'ACCORD ET SUIVI DE PROJET**

### **A. FORMALISATION DE L'ACCORD ENTRE FIRENDO ET LE RESPONSABLE DU PROJET D'EXPLOITATION DES DONNÉES CEMARA**

Lorsqu'un projet nécessitant l'extraction des données sur les maladies rares endocriniennes est accepté, les modalités spécifiques de la collaboration entre l'équipe responsable de CEMARA/BaMaRa (BNDMR) et celle du responsable du projet d'exploitation des données FIRENDO dans CEMARA doivent être formalisées sous forme d'un document qui doit être transmis au bureau de la filière FIRENDO. Ce document précise notamment les points suivants :

- définition de l'échantillon concerné ;
- liste des variables à transmettre (mise à disposition par l'équipe responsable de CEMARA/BaMaRa d'un set minimal des données) ;
- périodicité et modalités de transfert (nom et coordonnées du destinataire) ;
- procédures de protection des données ;
- clauses de confidentialité ;
- si pertinent, clauses d'exclusivité d'exploitation ;
- modalités de suivi du projet, incluant la possibilité d'un arrêt du projet avant qu'il soit terminé du fait de l'investigateur ou par décision du collège de direction sur avis du bureau et/ou du Comité d'éthique et l'obligation de transmission d'éventuelles données originales recueillies par l'investigateur sur demande du collège de direction ;
- modalités de communication des résultats ;
- règles de publication ;
- clauses financières ;
- annexes : copie des avis et autorisations réglementaires ; copie de l'avis du bureau de la filière FIRENDO



et du Comité d'éthique le cas échéant; déclaration d'acceptation de la charte d'utilisation CEMARA.

L'équipe gestionnaire de CEMARA prépare, en collaboration avec le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA, les données sélectionnées et les fournit sous la forme la plus adéquate selon les possibilités techniques du moment. Les données doivent être anonymes déidentifiées autant pour le patient que pour le clinicien en charge du patient. En cas de doublons, les deux (ou plus si nécessaire) centres ayant inclus le patient seront contactés et le patient sera comptabilisé sur l'un ou l'autre site après accord avec les investigateurs. Le centre sur lequel est comptabilisé le patient devra assurer le suivi annuel.

Seul le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA est habilité à faire des demandes de données auprès de l'équipe gestionnaire de CEMARA, sauf accord préalable explicite. Les analyses doivent porter uniquement sur ce qui a été déclaré dans le dossier de demande du projet. Par conséquent, seules les données prévues dans le dossier peuvent être demandées à l'équipe gestionnaire de CEMARA. En cas d'extension majeure du projet initial, un nouveau dossier doit être déposé.

La cession des données, fournies par l'équipe gestionnaire de CEMARA, à toute personne autre que celle(s) prévue(s) dans la demande de projet est interdite. Au terme de l'étude, le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA s'interdira toute utilisation ultérieure du fichier de données qui lui aura été remis par l'équipe gestionnaire de CEMARA. L'extraction doit être détruite, sous l'autorité du responsable de projet. Un dépassement de la date prévue pour la fin de l'étude pourra être accepté par le collège de direction FIREENDO sous réserve que ce retard ait été justifié.

## **B. SUIVI DU PROJET**

Des rapports d'avancement des projets doivent être fournis de façon régulière par le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA. La forme et la périodicité de ces rapports sont précisées dans le document cité au début de cet article. Ils peuvent être transmis au bureau de FIREENDO et/ou au Comité d'éthique, qui peuvent le cas échéant recommander au collège de direction de mettre fin au projet avant qu'il soit terminé.

L'utilisation et la valorisation des données fera appel à l'aide d'un juriste spécialisé (CHU, APHP) afin de mieux protéger les données émanant de la filière en ce qui concerne la protection intellectuelle des données et un éventuel dépôt de brevet.

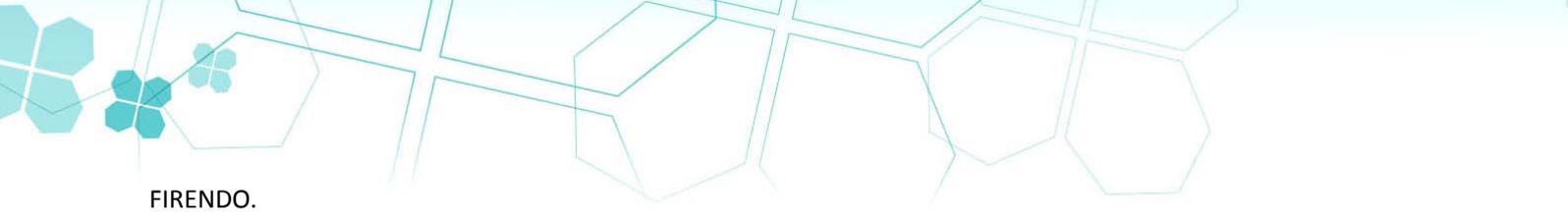
## **ARTICLE 26 : RÈGLES DE PUBLICATION**

Tout projet de communication écrite ou orale sur les données des patients atteints des maladies rares endocriniennes remplissant tous les critères suivants :

- 1) données recueillies par les chargés de mission de FIREENDO dans la base de données CEMARA,
- 2) et concernant au moins deux centres membres de FIREENDO (plusieurs investigateurs)

devra recevoir l'accord des sites ayant fourni ces données et l'accord préalable du collège de direction FIREENDO. Ce projet de communication doit faire l'objet du respect des règles de Vancouver. Pour obtenir ces accords :

- la liste avec l'ordre des auteurs de cette future publication doit préalablement être soumise à l'approbation des responsables desdits sites ayant fourni les données,
- un document qui comprend au minimum un résumé du projet de communication rédigé en français ou en anglais et la liste des auteurs prévus avec un investigateur principal doit être soumis au collège de direction



FIRENDO.

Les membres du collège de direction FIRENDO disposeront d'un délai de deux mois pour transmettre leurs remarques à l'auteur correspondant.

## A. PUBLICATIONS SCIENTIFIQUES

Toute publication ou communication scientifique issue des données recueillis par le personnel de la filière FIRENDO dans les centres membres de FIRENDO devra :

- Préciser une liste principale des auteurs et une liste de collaborateurs.

Dans la liste principale des auteurs il s'agit de mentionner tous le(s) nom(s) du (des) médecin(s) coordinateur(s) des centre(s) participant à l'étude, ainsi que l' (les) affiliation(s) à leur CHU/CRM/CCMR. En fonction des études le médecin coordinateur pourra de lui même désigner un autre médecin de son centre comme co-auteur à sa place. En fonction des études et lorsque le nombre de patient inclus le justifie, plusieurs médecins d'un même centre pourront aussi être co-auteurs.

Le 1er et le dernier auteur de la liste seront ceux qui auront réalisé et écrit le travail publié. Ensuite apparaîtront les autres auteurs avec une limite supérieure allant de 12 à 20 auteurs en fonction des quotas de la revue dans laquelle le travail sera soumis. En fonction des projets, la part de chaque centre dans les auteurs pourra être modulée par le nombre de patients inclus, la nature de la recherche, et la part dans les résultats de l'étude représentée par les données extraites de la base. Si la part d'un centre dans les résultats de l'étude représentée par les données extraites de la base est minoritaire, les médecins coordinateurs ne figurant pas dans les auteurs devront être cités dans une liste de collaborateurs de façon ensuite à être identifiable pour les revues indexées dans les bases de publications type Pubmed.

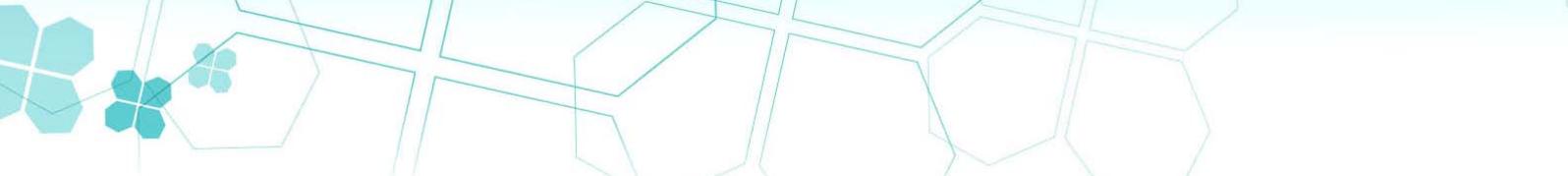
La décision sur la mention du(des) nom(s) du (des) chargé(s) de mission FIRENDO ayant saisi les données dans CEMARA parmi les co-auteurs de la publication ou communication, ainsi que FIRENDO en tant que son affiliation, se fera au cas par cas. Si la contribution du personnel de la filière FIRENDO est considérée comme significative et si la politique éditoriale du journal le permet, il est recommandé de conclure la liste des auteurs avec la déclaration « in conjunction with the the French National Network for Rare Endocrine Diseases FIRENDO\* ». L'asterisque doit faire référence à l'adresse du site internet de la filière maladies rares FIRENDO dans la note en bas de la première page du manuscrit ([www.firendo.fr](http://www.firendo.fr)).

Les sponsors, si existants, seront mentionnés dans la publication dans un ordre à hauteur de leur contribution financière respective.

- Mentionner au niveau de la section « Methodes » l'utilisation de CEMARA ([www.CEMARA.org](http://www.CEMARA.org)) pour la collecte et gestion des données utilisées dans le projet,
- Mentionner la Filière Maladies Rares Endocriniennes FIRENDO dans les « Remerciements » :

« Les auteurs remercient la filière santé maladies rares endocriniennes FIRENDO ([www.firendo.fr](http://www.firendo.fr)), bénéficiant de financements de la Direction générale de l'offre des soins, Ministère des Affaires Sociales, de la Santé et du Droit de Femmes dans le cadre du Plan National Maladies Rares II (2011-2014). »

“The authors would like to thank the French National Network for Rare Endocrine Diseases FIRENDO ([www.firendo.fr](http://www.firendo.fr)), supported by the Ministry of Health as part of the 2<sup>nd</sup> National Plan for Rare Diseases (2011-2014). “

- 
- Remercier l'équipe gestionnaire de CEMARA (le gestionnaire Claude Messiaen et la data manager Amélie Ruel, en fonction du service fourni) dans les « Remerciements » et mentionner que le projet CEMARA/BaMaRa est soutenu par l'APHP.

Ces règles sont susceptibles de modifications en fonction de la nature de chaque projet sur proposition des coordonnateurs et soumission à l'approbation du collège de direction FIREENDO.

L'auteur correspondant est tenu de communiquer à l'animateur de la filière FIREENDO une copie des manuscrits au moment de la soumission ; l'animateur de la filière FIREENDO peut demander l'insertion dans le manuscrit d'une déclaration déclinant sa responsabilité concernant l'analyse des données ou l'interprétation des résultats.

L'auteur correspondant ou l'animateur de filière communiquent à l'équipe responsable de CEMARA la publication.

## **B. DIFFUSION AUPRÈS DES PATIENTS ET DU PUBLIC**

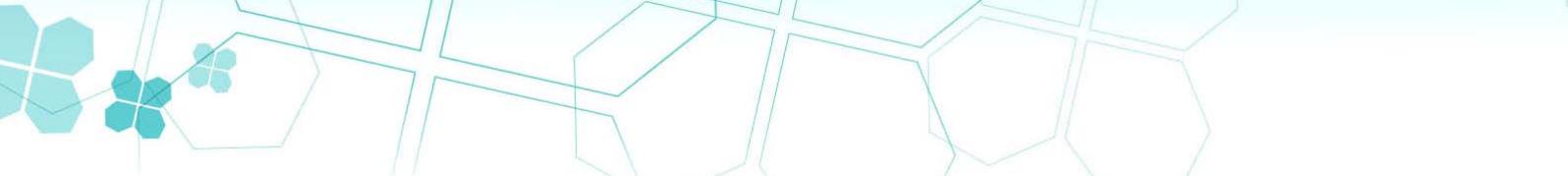
Le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA est tenu de préparer, en liaison avec l'équipe gestionnaire de CEMARA et l'équipe d'animation FIREENDO, une documentation destinée à la diffusion des résultats auprès de la communauté des patients atteints par des maladies rares endocriniennes, et pour un public médical et non médical, notamment par l'intermédiaire du site Web de la filière FIREENDO. Sur demande du bureau ou l'animateur de FIREENDO, il est également tenu de présenter l'avancement et les résultats de ses travaux lors des Journées annuelles de la filière FIREENDO. Aucune utilisation de ces résultats à des fins commerciales, par le responsable du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA ou par ses partenaires financiers éventuels, ne pourra être faite sans l'accord écrit de l'animateur de la filière FIREENDO, après autorisation du collège de direction FIREENDO.

Dans le cadre du site web de la filière FIREENDO, certaines informations concernant les responsables du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA pourront être diffusées. Il s'agit de renseignements relatifs au projet (titre, description, mots-clés, publications,...) et également le nom et les coordonnées postales des participants au projet. Aux termes de la loi Informatique et Libertés, les responsables du projet d'exploitation des données FIREENDO dans CEMARA disposent d'un droit d'accès, de modification, de rectification et de suppression des données qui les concernent. Compte tenu des caractéristiques du réseau Internet que sont la libre captation des informations diffusées et la difficulté, voire l'impossibilité de contrôler l'utilisation qui peut en être faite par des tiers, les responsables de projets peuvent s'opposer à la diffusion de données à caractère personnel (noms, numéros de téléphone...).

## **ARTICLE 27 : ARTICULATION AVEC UNE FUTURE PLATE-FORME EUROPÉENNE DES MALADIES RARES**

L'Europe travaille actuellement à la mise en place d'une plateforme européenne des registres maladies rares (European Platform for the Registration of Rare Diseases Patients) qui sera financée par la Commission Européenne et abrité physiquement par le Joint Research Council de la Commission Européenne à Ispra, en Italie. Elle a pour but :

- d'appliquer et disséminer les recommandations européennes (EUCERD - European Union Committee of Experts on Rare Diseases) en matière de codage et collection des données des patients atteints par des maladies rares,
- d'aider à l'implémentation d'un set minimal des données,

- 
- de renforcer une inter-opérabilité des registres et bases des données existantes et émergentes à travers des outils informatiques de collection et d'analyse. Les données restent hébergées par les états membres, qui en demeurent propriétaires ;
  - d'agir un tant que hub en rendant visible tous les registres et bases de données maladies rares existantes en Europe.

L'initiative française autour du set de données minimum national maladies rares français sera intégrée dans les futurs recueils de données de la plateforme européenne des maladies rares. La BNDMR fait partie d'un groupe de travail qui collabore sur les modalités d'articulation des initiatives nationales des bases de données maladies rares avec cette plate-forme européenne.

Le bureau de la filière FIREENDO reste attentif à l'évolution de cette collaboration et s'engage à examiner toute proposition écrite qui détaille plus cette articulation dans le temps à venir.

## MODIFICATION DE LA CHARTE – DATE ET MODALITÉS D’EFFET

### ARTICLE 28 : MODIFICATION DE LA CHARTE

Les modifications de la présente charte seront établies sous forme d’avenants qui seront approuvés par décision du collège de direction, sur proposition du bureau de la filière FIREENDO. La délibération concernant la modification de la présente charte est prise par décision des membres présents.

### ARTICLE 29 : DATE ET MODALITÉ D’EFFET DE LA CHARTE

Cette charte a été élaborée par l’animateur de la filière FIREENDO en concertation avec le chef de projet et chargés de mission suivants :

- Maria Givony,
- Marion Provost,
- Haïfa Rahabi-Layachi.

Cette charte a été discutée et amendée par le bureau de la filière et le collège de direction de la filière, puis avant finalisation diffusée pour commentaire à l’ensemble des coordonateurs de CRMR et CCMR de la filière, aux représentants de la Banque Nationale Données Maladies Rares (BNDMR) et à la Direction des Affaires Juridiques d’APHP.

Toute modification de la charte aura lieu dans les mêmes conditions et fera l’objet d’une information de l’ensemble des équipes impliquées dans la prise en charge des patients.

Le présent texte est adopté comme charte de la filière FIREENDO par le collège de direction dument convoquée le 23 mars 2017, et dont le procès-verbal est placé en annexe. 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 l’animateur de la filière.

Date 23.03.2017

Animateur de la filière,  
Pr Jérôme Bertherat

**Le coordinateur ou un seul représentant d’une structure membre de la filière FIREENDO s’engage à signer le bulletin d’adhésion à la charte de fonctionnement (voir la dernière page de cette charte) et à adhérer aux missions et objectifs de la filière FIREENDO.**

Le bulletin signé doit être numérisé et envoyé par courrier électronique au chef de projet de la filière FIREENDO [charte@firendo.fr](mailto:charte@firendo.fr).es candidatures seront examinées et approuvées lors des réunions du collège de direction. La nouvelle structure - membre sera visible depuis l’annuaire du site de la filière FIREENDO. Son représentant/coordonateur obtiendra par mail les codes d’accès à l’Espace membre de la filière FIREENDO, où tous les comptes-rendus du collège de direction, rapports d’activité, plans d’actions, newsletters internes et actualités seront disponibles.

# BULLETIN D'ADHESION A LA CHARTE DE FONCTIONNEMENT

SIGNER CE BULLETIN, LE NUMERISER ET ENVOYER PAR MAIL À CHARTE@FIRENDO.FR

Nom et prénom du demandeur : .....

Qualité :

Président/représentant d'une association de patients

Coordinateur d'un site d'un centre de référence

Coordinateur d'un centre de compétence en pédiatrie/endocrinologie adulte

Représentant d'un laboratoire de diagnostic

Directeur de recherche représentant d'une unité de recherche

Représentant d'une structure médico-sociale (MDPH, ERHR, CNSA ...)

Affiliation : .....

Adresse : .....

E-mail : .....

Tel : .....

Présentation de votre activité en 2-3 lignes :

Si vous disposez déjà d'une photo numérique (de vous-même pour un trombinoscope), merci de nous la faire parvenir à l'adresse e-mail suivante : [charte@firendo.fr](mailto:charte@firendo.fr)

## Note d'information :

Les informations recueillies sont nécessaires pour votre adhésion. Elles font l'objet d'un traitement informatique et sont destinées à l'équipe d'animation de la filière pour la mise à jour de l'annuaire. En application de l'article 34 de la loi du 6 janvier 1978, vous bénéficiez d'un droit d'accès et de rectification aux informations qui vous concernent. Si vous souhaitez exercer ce droit et obtenir communication des informations, veuillez-vous adresser au chef de projet de la filière FIRENDO au 01 58 41 33 77 ou en écrivant à [contact@firendo.fr](mailto:contact@firendo.fr).

Je reconnais avoir reçu un exemplaire des statuts, du règlement intérieur et de la charte de fonctionnement FIRENDO, en avoir pris connaissance et les avoir signés ce jour.

Je m'engage à respecter le règlement intérieur et la charte de fonctionnement.

Fait à....., le.....

Mention « Bon pour accord »

Signature