

2011 - 2016

## Plan National Maladies Rares

Qualité de la prise  
en charge,  
Recherche, Europe :  
une ambition  
renouvelée

# Bilan d'exploitation des rapports annuels d'activité 2014

Comité de suivi et de prospective

21 Janvier 2016



Liberté • Égalité • Fraternité  
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

MINISTÈRE  
DES AFFAIRES SOCIALES,  
DE LA SANTÉ  
ET DES DROITS DES FEMMES

# SOMMAIRE

<b>PREAMBULE .....</b>	<b>5</b>
<b>I- INTRODUCTION .....</b>	<b>6</b>
A-Éléments de contexte/Méthodologie .....	6
B-Plateforme PIRAMIG.....	6
C-Objectifs généraux.....	6
D-Structures enquêtées.....	7
1) Les CRMR .....	7
2) Les CRCM, CRCSLA et CRCH .....	8
<b>II- ANALYSE GENERALE DES RAPPORTS D'ACTIVITE.....</b>	<b>9</b>
A- Méthode .....	9
B- Remarques générales .....	9
1) Implantation des CRMR .....	9
2) Taux de réponse au dispositif déployé .....	9
3) Structuration des CRMR.....	10
4) Identification des CRMR au sein des établissements.....	11
C- Profil moyen des sites coordonnateurs et constitutifs .....	12
1) Profil moyen global .....	12
a) Sites coordonnateurs.....	13
b) Sites constitutifs .....	14
2) Profil moyen de l'activité clinique .....	16
D-Profil des patients .....	18
1) File active.....	18
2) Nouveaux patients.....	19
E- Modalités de prise en charge des patients.....	20
1) Activité de consultation.....	21
2) Activité d'expertise .....	22
3) Education thérapeutique du patient (ETP) .....	23
4) Hospitalisation.....	24
<b>III- ANALYSES THEMATIQUES .....</b>	<b>27</b>
A- Moyens financiers .....	27
1) Dotation MIG des CRMR .....	27

2) Produits et charges .....	28
B- Moyens humains.....	29
Moyens humains et structure des équipes .....	30
C- Activités de coordination et d'information.....	31
1) Coordination.....	31
2) Information.....	32
D- Bases de données et guides de bonnes pratiques.....	33
1) Disponibilité de bases de données à vocation épidémiologique .....	33
2) Contribution à l'élaboration de protocoles et guides de bonnes pratiques.....	34
F- Activité de formation.....	34
G- Activité de recherche.....	36
1) Mesure de l'activité de recherche des CRMR.....	36
2) Analyse des quatre items identifiés.....	38
<b>CONCLUSION.....</b>	<b>43</b>
ANNEXE I.....	44
ANNEXE II.....	45
ANNEXE III.....	49
ANNEXE IV .....	50
ANNEXE V.....	51
ANNEXE VI.....	52
ANNEXE VII.....	53
<b>GLOSSAIRE.....</b>	<b>54</b>



## PREAMBULE

La mise en place d'un rapport annuel d'activité pour tous les centres de référence maladies rares (CRM) s'inscrit dans l'axe « améliorer la qualité de la prise en charge du patient » du second plan national maladies rares (PNMR 2) rendu public le 28 février 2011.

Le rapport annuel d'activité a pour objectif principal de mieux appréhender l'activité des centres de référence maladies rares au regard des dotations budgétaires allouées. Ces données permettent également d'avoir une meilleure visibilité des actions portant sur la recherche, la formation et l'information.

Par contre ce rapport n'a pas d'objectif épidémiologique ce qui sera le rôle de la BNDMR même si ces données y contribueront.

L'année 2014 est la seconde année de recueil et ce rapport s'inscrit dans la continuité des premières analyses conduites sur les données 2013.

Le principe retenu pour 2014 repose sur une même grille de recueil de données intégrant quelques modifications tenant compte des observations des professionnels de terrain.

Le suivi de ce dossier a été confié en 2015 à l'ATIH.

Nous remercions l'ensemble des établissements de santé concernés pour leur forte mobilisation. De même, le travail d'analyse de ces données n'aurait pas été possible sans la contribution déterminante de Guillaume Deshays, stagiaire auprès de la direction projet.

Cette seconde année de recueil permet de confirmer ou d'infirmer certains constats établis en 2014 mais également de pouvoir d'ores et déjà établir des comparaisons sur l'évolution de certaines de ces données.

Il convient enfin de souligner une nouvelle fois que ce travail a permis sans conteste un rapprochement des équipes médicales et administratives ne pouvant être que bénéfique aux CRM et à leur évolution.

# I- INTRODUCTION

## A-Éléments de contexte/Méthodologie

Le ministère de la santé disposait jusqu'à présent de peu de données d'activité des CRMR mis en place entre 2004 et 2008.

Un travail a été conduit sur l'élaboration d'une base de recueil de données commune à tous.

Une grille de recueil des données d'activité des CRMR a été finalisée en octobre 2013. Les données d'activité correspondent aux données enregistrées du 1<sup>er</sup> janvier au 31 décembre de l'année « n » concernée. Elles sont enregistrées et validées au cours de l'année « n+1 ». C'est un cadre minimum requis qui n'obère en rien la possibilité pour les établissements de santé, qui le souhaitent, de le compléter en interne par d'autres items.

Cette grille intègre des données portant sur les moyens humains et financiers, sur l'activité clinique des CRMR, sur leurs modalités de fonctionnement en interne et en externe, sur leurs activités de formation et de recherche.

Cette grille a été actualisée pour le recueil des données 2014 certains items devant être mieux explicités d'autres étant in fine difficilement exploitables donc devant être reformulés. Le système de recueil en place est une remontée en ligne sur une plateforme dénommée PIRAMIG, commune à l'analyse d'autres activités financées sur le même type de dotation MIG.

## B-Plateforme PIRAMIG

PIRAMIG est une plateforme internet sécurisée, [www.piramig.fr](http://www.piramig.fr), où est recensé en ligne par les établissements de santé un ensemble de données relatives à ces structures. L'accès à cet espace est autorisé par un mot de passe et un code d'accès. Cette plateforme permet le partage d'informations entre les établissements de santé, les agences régionales de santé (ARS) et l'administration centrale.

## C-Objectifs généraux

Les objectifs sont notamment de permettre :

- aux ministres et aux directeurs d'administration centrale de communiquer sur l'évolution des moyens mis en œuvre au sein de ces structures ;
- aux directions d'administration centrale (DGS, DGOS, DSS) d'adapter les organisations, les politiques de soins et les moyens financiers attribués ;
- aux établissements de santé d'avoir des éléments de comparaisons et de pouvoir réajuster leur projet médical et les moyens affectés.

## D-Structures enquêtées

Les structures enquêtées incluent des centres bénéficiant d'un financement MIG : 133 CRMR, 45 Centres de ressources et de compétence pour la mucoviscidose (CRCM), 15 Centres de ressources et de compétence pour la sclérose latérale amyotrophique (CRCSLA) et, pour la première fois en 2014, les 27 centres régionaux de traitement de l'hémophilie (CRTH) renommés à partir de 2016 « centres de ressources et de compétence de l'hémophilie » (CRCH) (cf. annexe I).

Les centres de compétence maladies rares (CCMR) au nombre officiellement de 501, ne recevant pas de financement MIG ne sont pas intégrés à cette enquête.

### 1) Les CRMR

La prise en charge des maladies rares représentant plus de 7 000 maladies est organisée autour de 133 CRMR labellisés par le ministère de la santé dans le cadre du 1<sup>er</sup> plan national maladies rares, entre 2004 et 2008, en réponse à quatre appels à projet.

Les CRMR peuvent être mono ou multi-sites incluant pour tous un site coordonnateur (133 sites) et pour les multi-sites un à plusieurs sites constitutifs (247 sites constitutifs au total). Un site constitutif apporte une expertise complémentaire au site coordonnateur.

Le nombre de CRMR (sites coordonnateurs) augmente de 2 en 2014 du fait de l'accord provisoire de création de deux centres dont les activités étaient totalement différentes des centres de rattachement d'origine.

Il s'agit d'un CRMR maladies métaboliques à Lyon (précédemment rattaché au CRMR maladies rénales rares de Lyon) et pour le second d'un CRMR dermatoses bulleuses acquises auto-immunes à Avicenne (précédemment rattaché au CRMR neurofibromatoses à Henri Mondor). Ces 2 CRMR sont mono sites.

Quatre sites constitutifs ont été supprimés en raison d'une absence d'activité.

La mise en place des rapports annuels d'activité a nécessité d'actualiser l'annuaire des différents sites des CRMR dès 2014 (pour le recueil des données 2013).

Cette actualisation a conduit au constat d'un nombre de sites coordonnateurs identiques au nombre de CRMR labellisés dans les années 2000, soit 131, mais à un nombre de sites constitutifs bien supérieur 251 ayant été identifiés en 2013 et 247 en 2014 contre 105 officiellement reconnus, soit un différentiel de 152. Ces sites non labellisés dont 64% sont financés, sont, pour moitié, abrités dans des ETS de l'APHP (53%). 36%, soit 54, ne sont pas financés.

Néanmoins comme pour 2013 le parti a été pris de prendre en compte l'ensemble de ces sites dans les analyses de ce rapport.

## 2) Les CRCM, CRCSLA et CRCH

Trois réseaux ont précédé le 1<sup>er</sup> Plan National Maladies Rares présentant une organisation différente en Centres de ressources et de compétence (CRC) tous financés d'où leur inclusion dans l'enquête réalisée en 2015.

- Un arrêté en date du 16 janvier 2014 liste les 45 CRCM
- 15 CRCSLA ont été identifiés en 2002<sup>1</sup> également coordonnés par deux sites coordonnateurs inclus dans les 131 CRMR
- 27 Centre régionaux de traitement de l'hémophilie (CRTH) ont été identifiés en 1997 (circulaire du 24 février 1997<sup>2</sup>)

Au total, 467 sites maladies rares ont été enquêtés dont

- 133 sites coordonnateurs de CRMR (cf. cartes en annexes III et IV) ;
- 247 sites constitutifs de CRMR ;
- 45 CRCM (cf. carte en annexe V qui représente les 45 CRCM de l'arrêté de janvier 2014 ; pour certains CRCM mixtes, ont été identifiées les activités adultes et pédiatriques. C'est donc 54 CRCM qui ont été enquêtés) ;
- 15 CRCSLA (cf. carte en annexe VI) ;
- 27 CRCH. (cf. carte annexe VII)

---

<sup>1</sup> Circulaire N°DHOS/O/DGS/SD5D/DGAS/2002/229 du 17 avril 2002 relative à l'organisation des soins pour la prise en charge des patients souffrant de sclérose latérale amyotrophique (ou malaie de Charcot) et comportant un appel d'offres pour les premiers centres de compétence ou de référence dans le cadre d'une enveloppe exceptionnelle de 1,5 millions d'euros (10 millions de francs)

<sup>2</sup> Circulaire DGS/DH/DSS n°097-142 du 24 février 1997 relative à l'organisation des soins aux hémophiles et aux patients atteints d'autres troubles héréditaires de la coagulation

## II- ANALYSE GENERALE DES RAPPORTS D'ACTIVITE

### A- Méthode

Les données exploitées dans ce rapport concernent les 133 CRMR incluant les sites coordonnateurs (133) et constitutifs (247), soit 380 sites au total.

Les CRCM, les CRCH et les CRCSLA compte tenu de leur spécificité propre ont été analysés séparément.

L'analyse des items retenus a pris en compte les résultats globaux de l'ensemble des sites (380) et, dans un second temps les résultats des sites coordonnateurs (133) et des sites constitutifs (247).

Les analyses 2015 ont été conduites sur les mêmes bases qu'en 2014, établissant un profil des sites et portant sur les grandes thématiques structurant ce rapport : activité clinique, moyens financiers et humains, mission de coordination et d'information, expertise, formation et recherche.

### B- Remarques générales

#### 1) Implantation des CRMR

Des cartes disponibles en annexe (annexes III, IV, V, VI, VII) montrent l'implantation sur le territoire français des CRMR ainsi

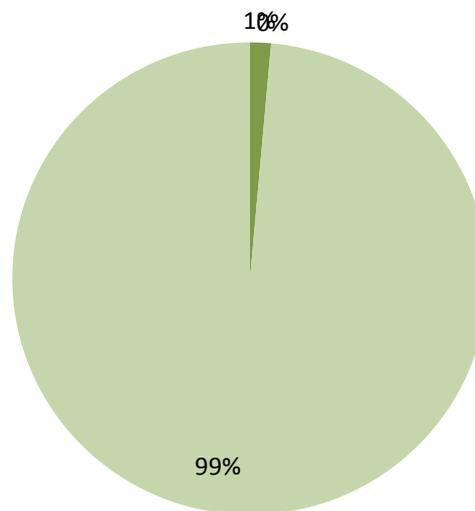
- 55% des sites coordonnateurs (soit 72 sites) sont situés en Ile de France (54% à l'APHP et 1% à l'hôpital Saint-Maurice)
- 93% des CRMR sont situés dans des CHU
- 94% des CHU accueillent des sites coordonnateurs ou des sites constitutifs. Seuls les CHR d'Orléans et Metz n'ont aucune structure de ce type
- Pour information 94% des CCMR sont implantés dans des CHU

#### 2) Taux de réponse au dispositif déployé

96% des sites coordonnateurs et constitutifs ont renseigné intégralement leur rapport, 3% l'ont complété partiellement et seul 1% des sites ne s'est pas connecté à PIRAMIG. C'est un excellent résultat.

## Taux de réponse des centres coordonnateurs et constitutifs

■ Non commencé ■ Non terminé ■ Complété



### Comparaison des données 2013/2014

**Il ressort que plus de sites se sont connectés à PIRAMIG (99% contre 97% en 2013) et qu'une part supérieure a complété entièrement son rapport (96% contre 94% en 2013).**

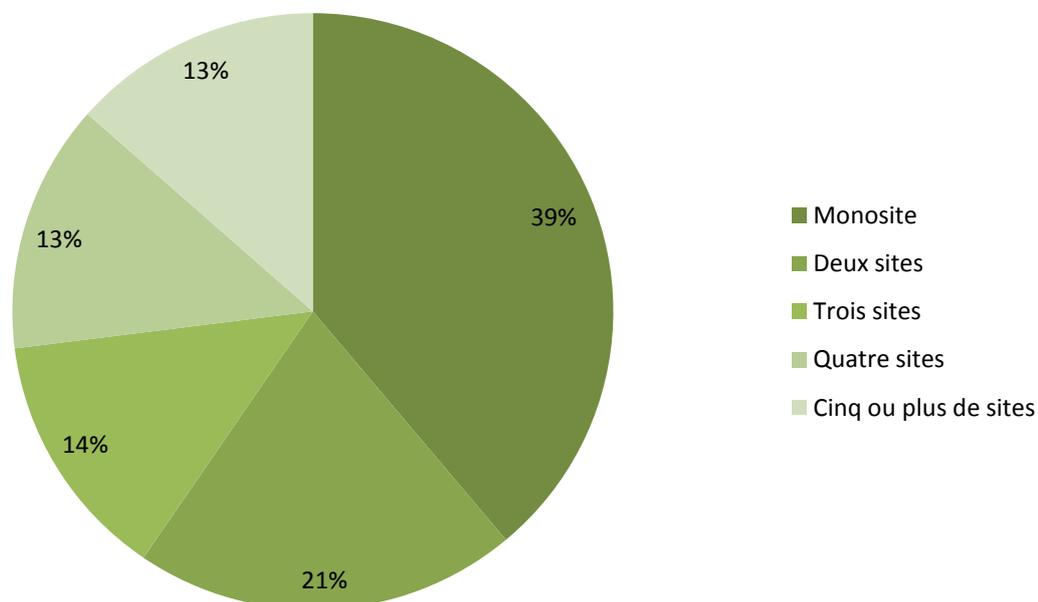
### 3) Structuration des CRMR

La majorité des 133 CRMR (60%) est soit mono-site, soit comprend deux sites (un site coordonnateur et un seul site constitutif). A l'inverse, 13% des CRMR ont plus de cinq sites (un site coordonnateur et quatre sites constitutifs ou plus).

### Comparaison des données 2013/2014

**Une part moins importante des sites (20% en 2013 contre 13% en 2014) disposent de plus de 5 sites. En revanche, le nombre de centres mono- ou bi-sites a progressé de 55% à 60%. Cette différence tient à la suppression de sites non officiels et sans activité entre les deux enquêtes PIRAMIG.**

## Répartition des CRMR selon leurs sites constitutifs

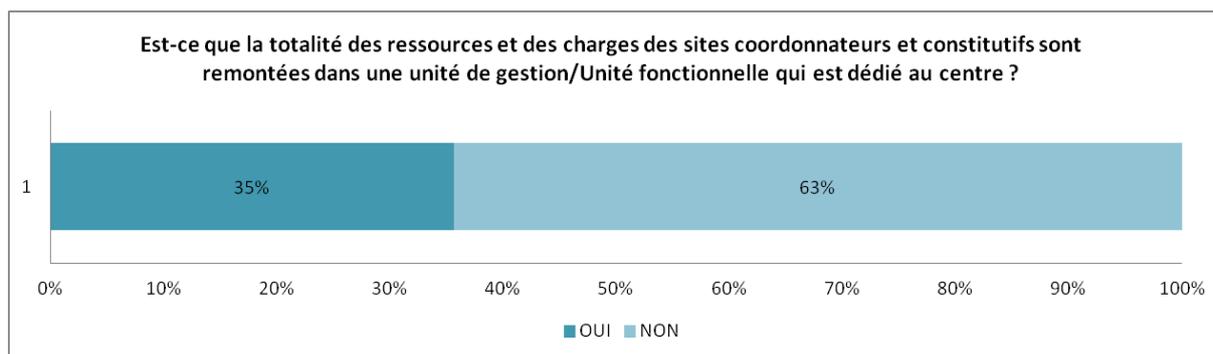


*NB :  $n$  sites = 1 site coordonnateur +  $(n-1)$  sites constitutifs*

### 4) Identification des CRMR au sein des établissements

Une des questions portait sur l'identification des CRMR au sein des établissements et notamment leur reconnaissance comme unité fonctionnelle (ou unité de gestion, terme usité à l'APHP). Cette reconnaissance permet en effet d'identifier formellement l'activité de ces unités, donc des CRMR.

35% des sites des CRMR (au lieu de 32% en 2013) (47% des sites coordonnateurs et 28% des sites constitutifs) ont le statut d'unité fonctionnelle (ou de gestion).



**Est-ce que la totalité des ressources et des charges des sites coordonnateurs et constitutifs EST REMONTEE dans une unité de gestion/ unité fonctionnelle qui est dédiéE au centre ?**

### Comparaison des données 2013/2014

Les recommandations auprès des ETS ont été peu suivies : seul 2% en plus de CRMR ayant été reconnus comme UF.

L'identification de tous les sites de CRMR comme unité fonctionnelle (ou de gestion) permettrait d'améliorer et de faciliter le recueil des données d'activité et financières.

## C- Profil moyen des sites coordonnateurs et constitutifs

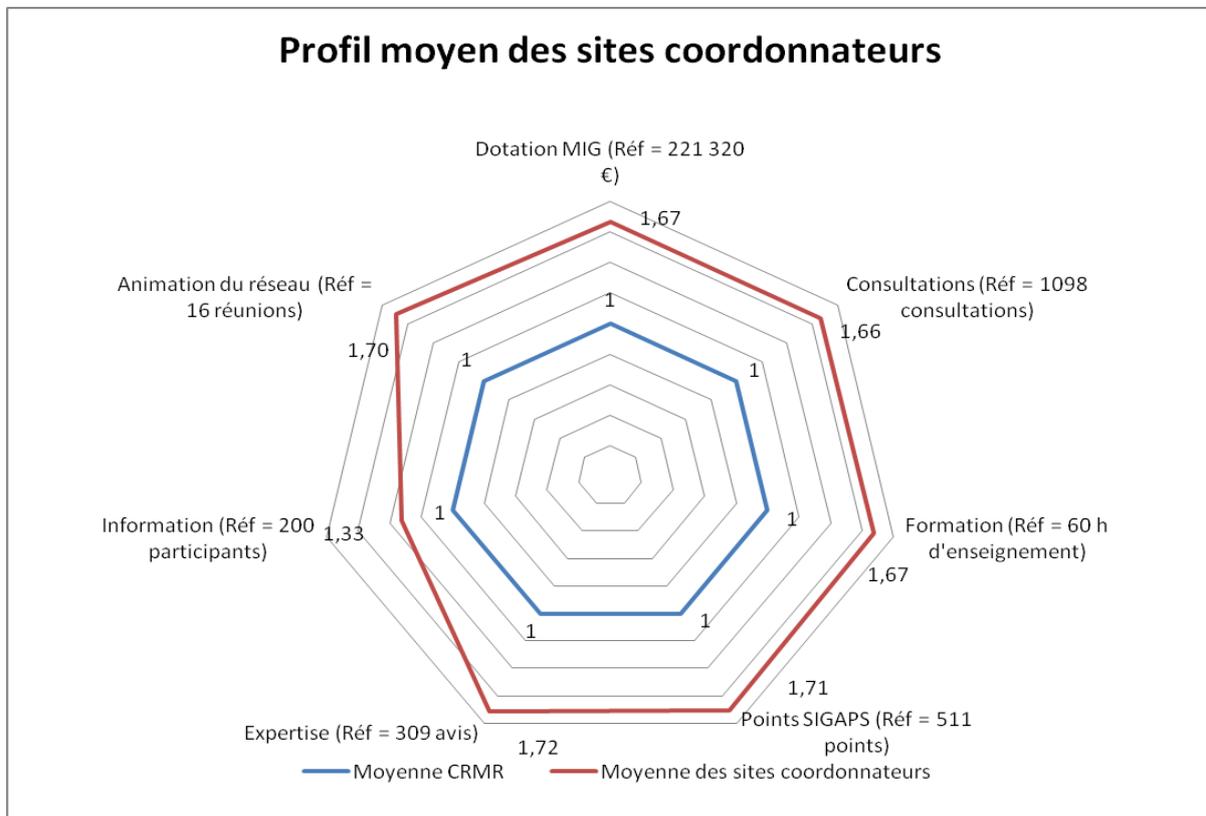
### 1) Profil moyen global

Sept indicateurs ont été retenus pour établir des profils moyens de l'ensemble des sites (sites coordonnateurs et constitutifs) :

- la moyenne de la dotation MIG déclarée dans PIRAMIG ;
- la moyenne des consultations médicales et des consultations réalisées par d'autres professionnels (abrégées en « consultations non médicales ») ;
- la moyenne des nombres d'heures d'enseignements en lien avec les thématiques du centre ;
- la moyenne des points SIGAPS calculée sur quatre ans (2011-2014) pour l'ensemble des professionnels du site ;
- La moyenne des points SIGREC calculée sur trois ans (2012-2014)
- la moyenne des deux catégories d'avis d'expertise retenues par le questionnaire (Nombre de réunions de concertations pluridisciplinaires et nombre d'avis d'expertise rendus sur dossier médical) ;
- la médiane des participants aux actions d'information à destination des personnes extérieures au Centre (séminaires, congrès...) ;
- la moyenne des réunions d'animation du réseau réalisées par le site (nombre de réunions internes au CRMR et nombre de réunions avec les centres de compétence rattachés au CRMR).

## a) Sites coordonnateurs

Un premier profil peut être établi en comparant les sites coordonnateurs à un heptagone régulier calculé en prenant en compte la moyenne des 380 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



*Exemple de lecture : les 133 sites coordonnateurs ont, en moyenne, un nombre de points SIGAPS 1,71 fois supérieur à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 469 points.*

Principaux constats pour les sites coordonnateurs :

- 1) une dotation MIG déclarée 1,67 fois supérieure à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 221 320€ ;
- 2) une activité de consultation 1,66 fois supérieure à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 1098 consultations ;
- 3) une activité d'expertise 1,72 fois supérieure à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 309 avis ;
- 4) une activité de formation 1,67 fois supérieure à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 60 heures d'enseignements dispensés ;

5) un nombre de points SIGAPS 1,71 fois supérieur à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 511 points ;

6) une activité d'animation du réseau 1,71 fois supérieure à la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 16 réunions annuelles ;

7) une activité d'information 1,33 fois supérieure à la médiane des 380 sites des CRMR. La médiane des 380 sites des CRMR s'établit à 200 participants.

#### **Comparaison des données 2013/2014**

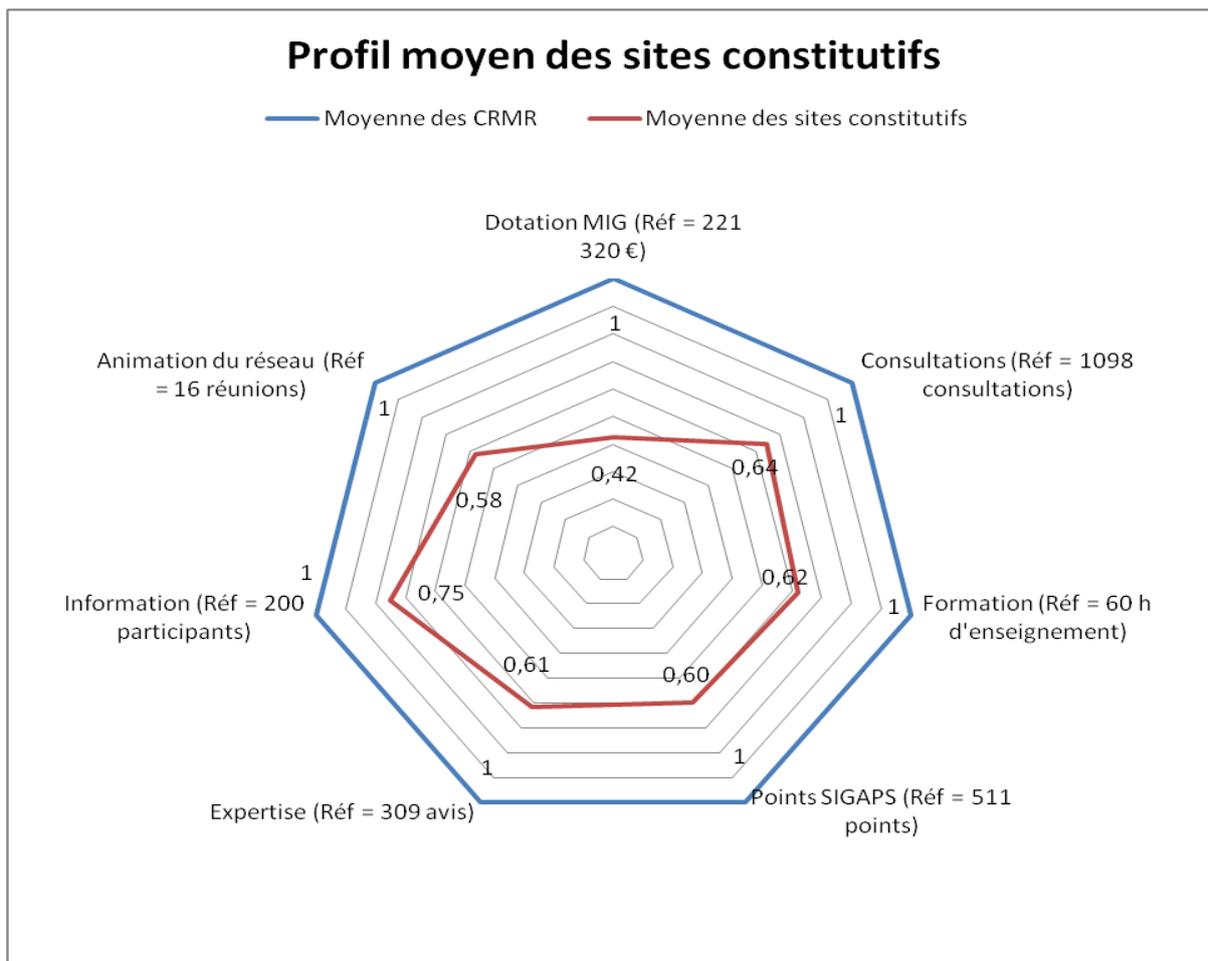
**Les données 2014 corroborent celles de 2013. Les sites coordonnateurs ont une activité en tout point supérieure à la moyenne de l'ensemble des sites des CRMR et équilibrée, pour chacun, des indicateurs à une moyenne supérieure se situant à 1.7.**

#### **Quelques observations**

- **Certains intitulés de questions ont changé en 2014 (notamment l'expertise),**
- **L'activité d'information est mesurée au regard de la médiane et non de la moyenne en raison d'un écart-type trop important dans les données recueillies en 2015,**
- **Le nombre de points SIGAPS est calculé sur les quatre dernières années alors qu'il ne l'était que sur les trois dernières en 2013. Les variations ne peuvent donc être interprétées.**

#### **b) Sites constitutifs**

Un second profil peut être établi en comparant les sites constitutifs à un heptagone régulier qui est calculé avec la moyenne des 380 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



*Exemple de lecture : les 247 sites constitutifs ont, en moyenne, un nombre de points SIGAPS 0,60 fois inférieur à la moyenne des points des 382 sites des CRMR qui s'établit à 511 points.*

De façon logique, il ressort que les sites constitutifs ont une activité en tout point inférieure à celle de la moyenne de l'ensemble des sites des CRMR. La dotation MIG est particulièrement en retrait.

#### Comparaison des données 2013/2014

Sous réserve des mêmes remarques que pour les sites coordonnateurs, la tendance est conservée entre 2013 et 2014. L'activité d'information des sites constitutifs qui s'établissait à 0,4 fois le nombre de participants moyen des centres est passé à 0,75, notamment en raison du changement de calcul (du calcul de la moyenne en 2013 au calcul de la médiane en 2014). Les autres indicateurs ont tendance à diminuer, en particulier l'activité de formation des sites constitutifs qui passe de 0,8 à 0,6 par rapport à la moyenne des centres.

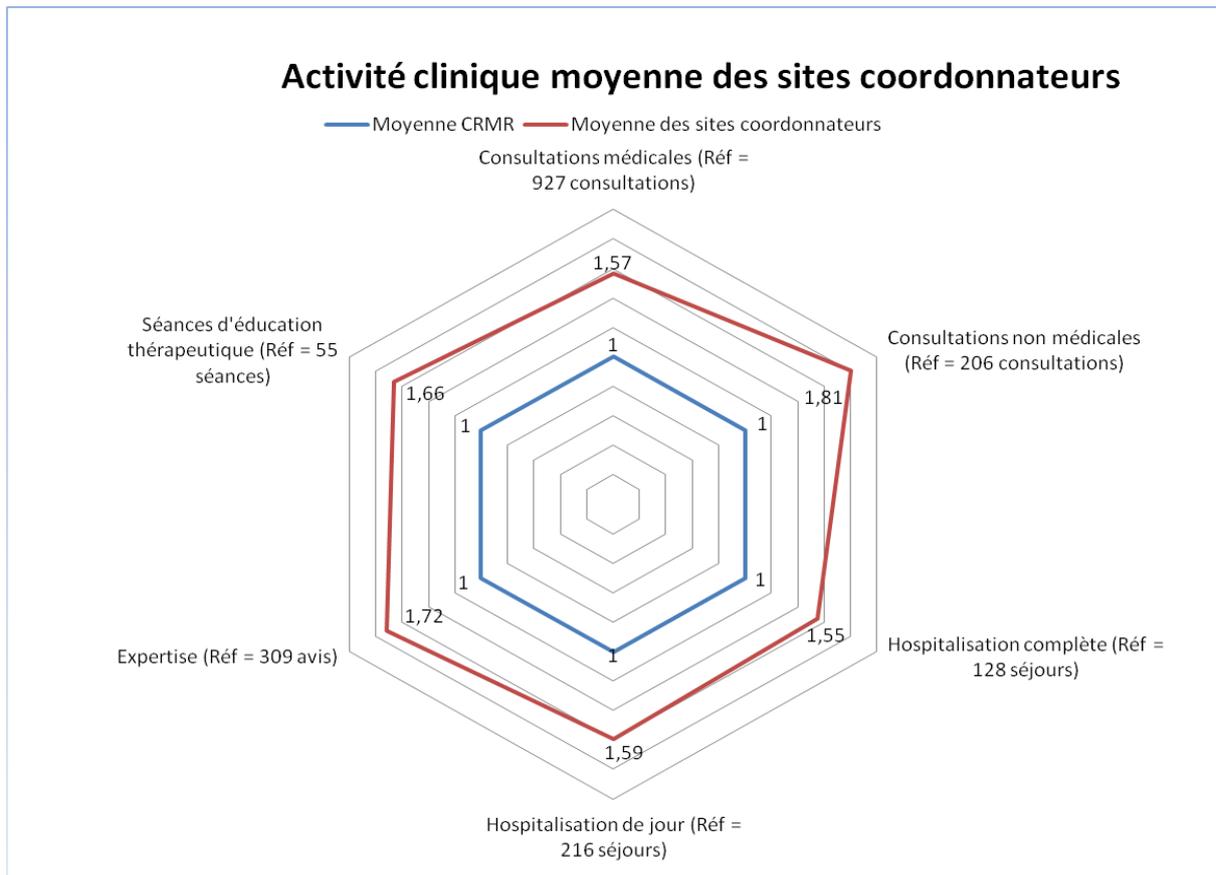
## 2) Profil moyen de l'activité clinique

Selon la même méthode, des profils moyens concernant l'activité clinique des 380 sites des CRMV ont été calculés. Six indicateurs ont été retenus :

- La moyenne du nombre de consultations médicales ;
- La moyenne du nombre de consultations réalisées par d'autres professionnels (abrégées en « consultations non médicales ») ;
- La moyenne du nombre de séjours d'hospitalisation complète ;
- La moyenne du nombre de séjours d'hospitalisation de jour ;
- la moyenne des deux catégories d'avis d'expertise retenues par le questionnaire (Nombre de réunions de concertations pluridisciplinaires et nombre d'avis d'expertise rendus sur dossier médical) ;
- La moyenne du nombre de séances d'éducation thérapeutique réalisées.

### a) Sites coordonnateurs

Un premier profil a été établi en comparant les sites coordonnateurs à un hexagone régulier qui est calculé avec la moyenne des 380 sites des CRMV (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



*Exemple de lecture : les sites coordonnateurs réalisent environ 1,6 fois plus d'hospitalisation de jour que la moyenne des 380 sites des CRMR qui s'établit à 216 séjours par an.*

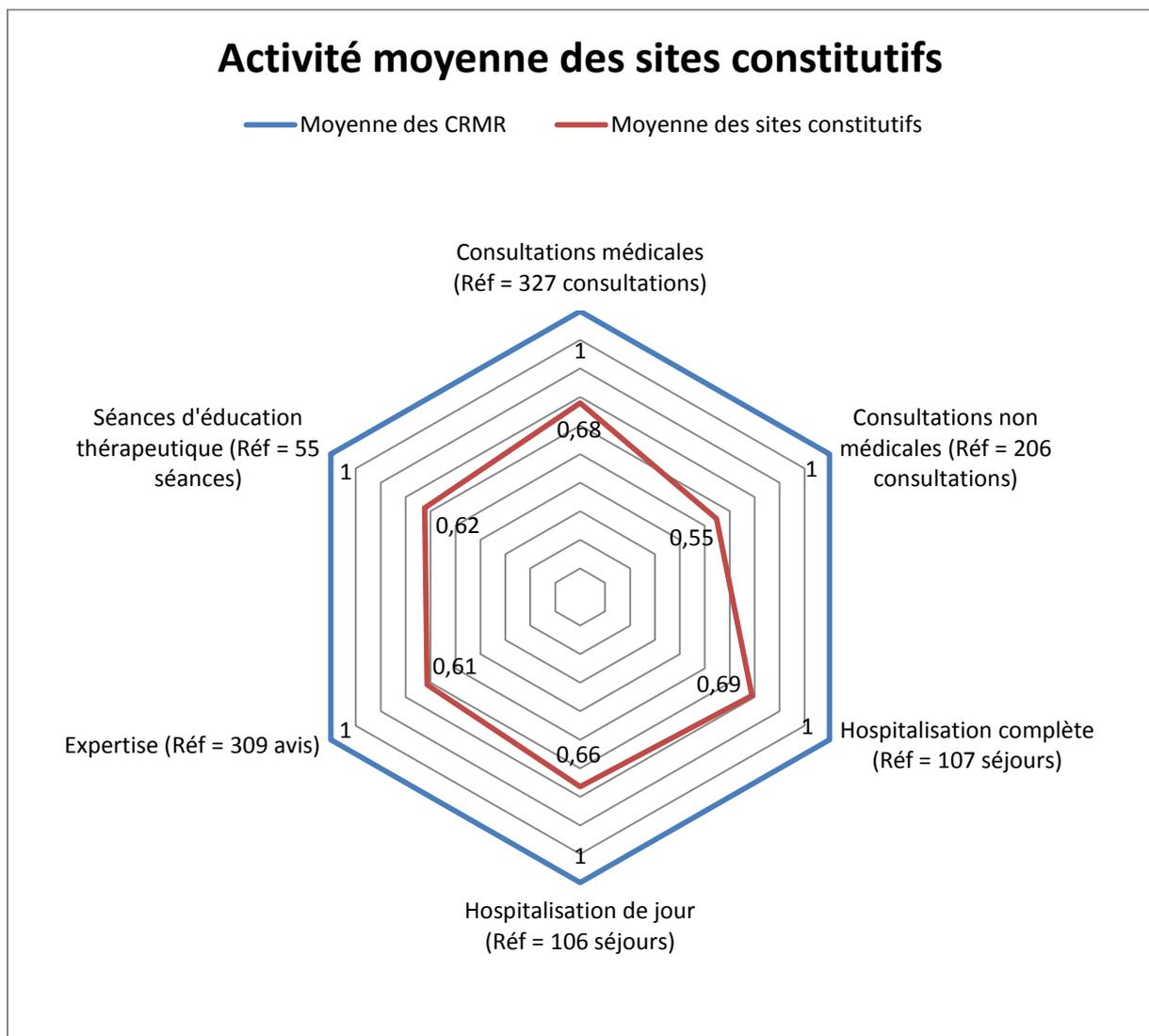
Les sites coordonnateurs ont une activité en tout point supérieure à celle des CRMR en particulier concernant l'activité d'expertise et les consultations non médicales

### Comparaison des données 2013/2014

**Hormis l'activité d'expertise, les indicateurs mesurés sont les mêmes que pour 2013. La tendance générale reste la même entre 2013 et 2014, notant néanmoins une augmentation générale des indicateurs au regard de la moyenne des centres. En particulier les consultations non médicales passent de 1,4 à 1,81 fois le nombre de consultations non médicales moyen des centres.**

#### b) Sites constitutifs

Un second profil est établi en comparant les sites constitutifs à un heptagone régulier toujours calculé avec la moyenne des 380 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



*Exemple de lecture : La moyenne du nombre de consultations médicales des sites constitutifs est égale à 0,68 fois celle des CRMR.*

Les sites constitutifs ont une activité en tout point inférieure à celle des 380 sites des CRMR en particulier en ce qui concerne les consultations non médicales.

### **Comparaison des données 2013/2014**

**Sous réserve de la modification des questions concernant l'expertise, on constate que les sites constitutifs persistent dans une activité clinique moindre que les sites coordonnateurs. Pris séparément les autres indicateurs accusent la même tendance.**

## **D-Profil des patients**

### **1) File active**

Un des items porte sur la file active correspondant au « nombre total de patients différents vus par le site au cours de l'année ». C'est une donnée d'activité importante.

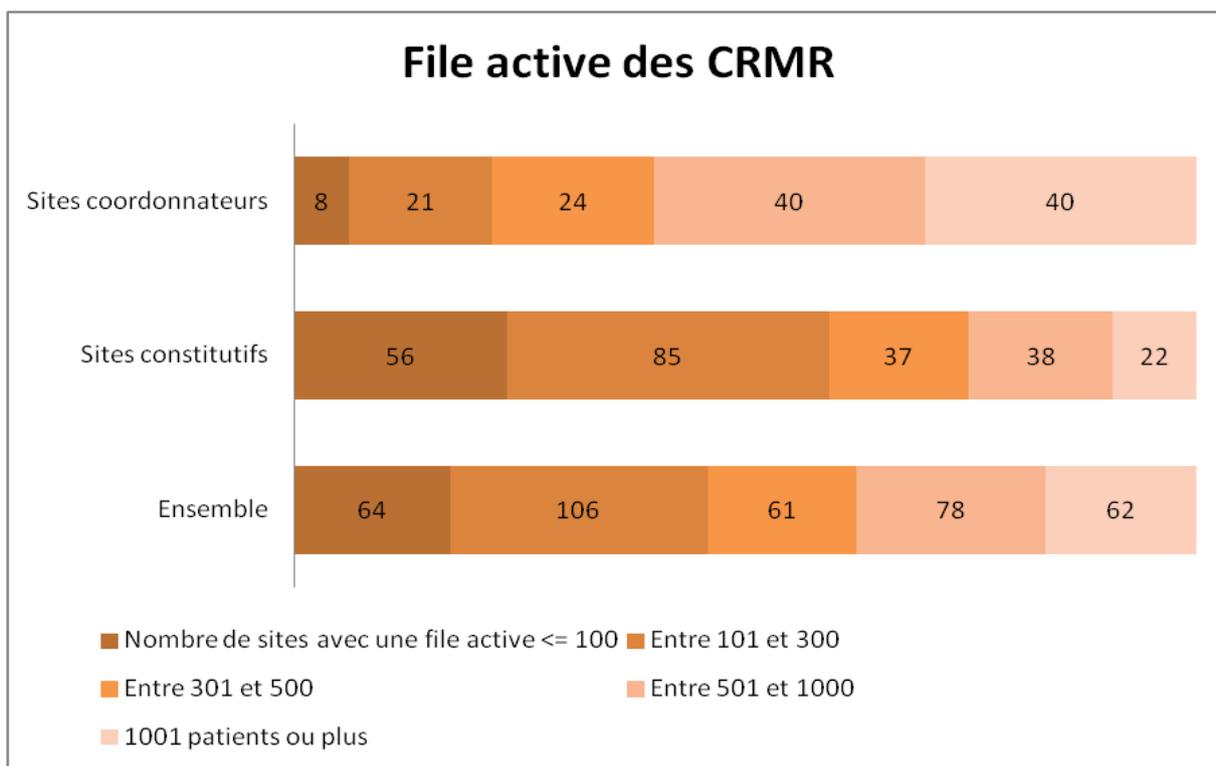
Les CRMR déclarent avoir vu au total 231 201 patients différents au cours de l'année 2014 dont 129 244 patients (soit 56% du total) par les seuls sites coordonnateurs qui représentent 35% des sites déclarés.

Ce chiffre est à relativiser quant à son interprétation notamment sur le nombre de patients suivis dans sa globalité. Des patients ne sont en effet pas nécessairement vus tous les ans dans un CRMR, voire sont vus ou suivis par des CCMR ou des services hospitaliers spécialisés pour lesquels on ne dispose pas aujourd'hui de données d'activités.

La moyenne de la file active des CRMR s'établit à 623 patients par an. La médiane se situe à 335 patients par an. Une différence importante apparaît entre le 1<sup>er</sup> quartile (inférieur à 143 patients par an) et le 3<sup>e</sup> quartile (supérieur à 812 patients). A noter que 16% des sites voient plus de 1 000 patients par an ce qui démontre une forte activité clinique. A contrario 64 sites (16%) voient moins de 100 patients par an dont 35 (9%) moins de 50.

**La file active des seuls sites coordonnateurs** est plus importante avec une moyenne à 972 patients et une médiane à 609 patients. La forte activité clinique des CRMR est donc supportée principalement par les sites coordonnateurs ; le 3<sup>e</sup> quartile des sites coordonnateurs s'établit à 1184 patients par an. Le minimum se situant à 22 patients.

File active des sites des CRMR							
	Total	moyenne	min	1Q	médiane	3Q	max
Sites coordonnateurs	129 244	972	22	323	609	1 184	7 500
Sites constitutifs	101 957	428	0	109	225	508	4 028
Ensemble des sites des CRMR	231 201	623	0	143	335	813	7 500



*Exemple de lecture : 8 sites coordonnateurs ont une file active inférieure à 100 patients vus par an, ce qui représente moins de 6% du total des sites coordonnateurs.*

#### Comparaison des données 2013/2014

**La file active a augmenté de 7% en 2014, cette augmentation se répartissant équitablement entre les sites constitutifs et coordonnateurs.**

**Le nombre de sites prenant en charge moins de 100 patients a diminué de 6 (70 à 64).**

#### 2) Nouveaux patients

Un second indicateur porte sur le « nombre de patients vus pour la première fois au cours de l'année », permettant d'approcher l'activité de premier recours des CRMR : 37% des patients vus dans l'année par les CRMR sont de nouveaux patients dont 39% pour les sites coordonnateurs.

Part des nouveaux patients dans la file active des CRMR	
Sites coordonnateurs	39%
Sites constitutifs	33%
Ensemble des sites des CRMR	37%

Le renouvellement de la file active se calcule en établissant le pourcentage de nouveaux patients parmi le nombre de patients vus dans l'année.

- Le dernier quartile des sites coordonnateurs a ainsi renouvelé sa file active de plus 48%.
- 50% des sites constitutifs ont renouvelé leur file active de plus de 27%.

Taux de renouvellement de la file active						
	Minimum	1Q	Médiane	3Q	Maximum	Moyenne
Coordonnateurs	3%	25%	35%	48%	100%	39%
Constitutifs	0%	15%	27%	47%	107%	33%
Ensemble	0%	20 %	30%	49%	107%	37%

*Lecture : 25% des sites constitutifs ont renouvelé leur file active de 15% en 2014.*

### Comparaison des données 2013/2014

**Le renouvellement des files actives des sites coordonnateurs a légèrement diminué en passant de 37% à 39% en moyenne. Celui des sites constitutifs a baissé de 1 point (34% en 2013 contre 33% en 2014). Au total, toutefois, la moyenne des sites des CRMR a augmenté de 2 points (35% en 2013 contre 37% en 2014).**

### E- Modalités de prise en charge des patients

Le tableau de synthèse des données prises en compte pour la construction des profils est présenté ci-dessous :

Activité moyenne des structures maladies rares mesurée en nombre moyen de :							
	Hospitalisation complète (HC)	Hospitalisation de jour (HJ)	Consultations médicales	Consultations non médicales	Avis d'expertise	Séances ETP	Séances ETP des centres en pratiquant
Sites coordonnateurs	198	345	1452	372	531	92	266
Sites constitutifs	79	144	629	113	190	355	137
CRMR	128	216	927	206	309	55	194

*Exemple de lecture : les sites coordonnateurs comptabilisent, en moyenne, 198 séjours d'hospitalisation complète en 2014.*

### Comparaison des données 2013/2014

**Diminution du nombre d'HC (166 en 2013 contre 128 en 2014) et d'HJ (235 en 2013 contre 216) en 2014 pour les CRMR.**

**Augmentation du nombre de consultations médicales (840 en 2013 contre 927 en 2014,) et de consultations non médicales (183 en 2013 contre 206 en 2014)**

**Augmentation du nombre de séances d'éducation thérapeutique (ETP) la moyenne passant de 44 à 55 pour l'ensemble des sites,**

## 1) Activité de consultation

Le graphique ci-dessous montre la répartition de l'activité de consultation entre les CRMR.

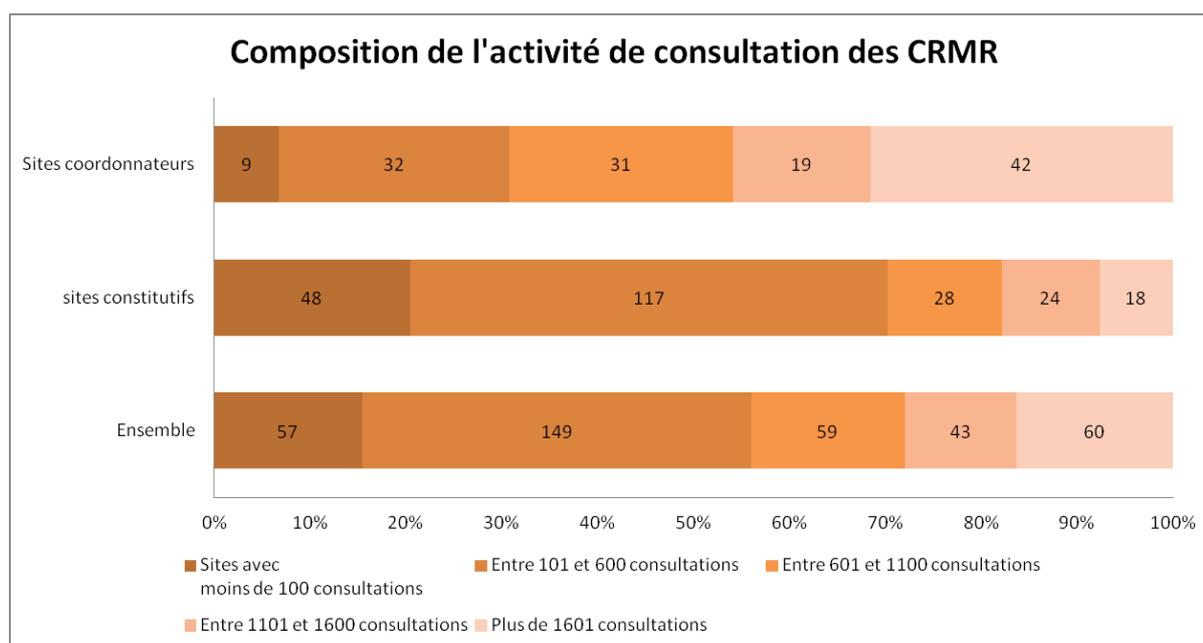
### Constat :

Les sites coordonnateurs concentrent l'activité la plus importante : 56% des sites coordonnateurs réalisent plus de 1100 consultations par an contre 19% pour les sites constitutifs

### Quelques repères

- 7% des sites coordonnateurs ont une activité de consultations annuelle inférieure à 100
- 20% de sites constitutifs ont une activité de consultations annuelle inférieure à 100
- 8% des sites constitutifs déclarent un nombre de consultations supérieur à 1601

Ces résultats sont probablement corrélés à la prévalence de la pathologie, prévalence qui n'est pas toujours bien connue.



*Exemple de lecture : 9 sites coordonnateurs font moins de 100 consultations par an ce qui représente environ 7% du total des sites coordonnateurs*

### Comparaison des données 2013/2014

**Il ressort une diminution du nombre de sites réalisant moins de 100 consultations par an (72 en 2013 contre 57 en 2014). Le nombre de sites coordonnateurs déclarant une file de moins de 100 patients passe 10 à 9. Le nombre de sites constitutifs affichant moins de 100 patients diminue de 62 à 48. Ce constat est concomitant d'une augmentation statistique du nombre de sites dont l'activité de consultations se situe entre 101 et 600**

**consultations et d'une baisse statistique du nombre de sites dont le nombre de consultations excède les 1600.**

## 2) Activité d'expertise

Le questionnaire PIRAMIG inclut deux questions distinctes sur le rôle d'expertise des CRMR :

- Le nombre de réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP)
- Le nombre d'avis d'expertise rendus sur dossier médical

L'indicateur retenu (appelé « avis d'expertise ») pour mesurer l'activité d'expertise globale des CRMR est égal à la somme des réponses à ces 2 questions.

La médiane pour l'ensemble des sites des CRMR se situe à 114 avis, la moyenne est à 309 avis. Une majorité de sites ont une activité d'expertise inférieure à 114 avis par an, avec un premier quartile qui s'établit à 40 avis par an. A l'inverse certains sites ont une très forte activité d'expertise : 25% des CRMR rendent plus de 312 avis d'expertise par an.

La dispersion observée pour les sites coordonnateurs et constitutifs est forte. Ce sont principalement les sites coordonnateurs qui ont une forte activité d'expertise (le troisième quartile de l'activité d'expertise des sites coordonnateurs se situe à 644 avis contre 214 avis pour les sites constitutifs).

Activité d'expertise des CRMR						
	moyenne	min	1 <sup>er</sup> quartile	médiane	3 <sup>e</sup> quartile	max
Sites coordonnateurs	531	17	95	235	644	4630
Sites constitutifs	190	0	22	77	214	2775
Ensemble des sites des CRMR	309	0	40	114	312	4630

Une première analyse montre que les sites coordonnateurs ont une activité d'expertise effectivement supérieure à celle des sites constitutifs.

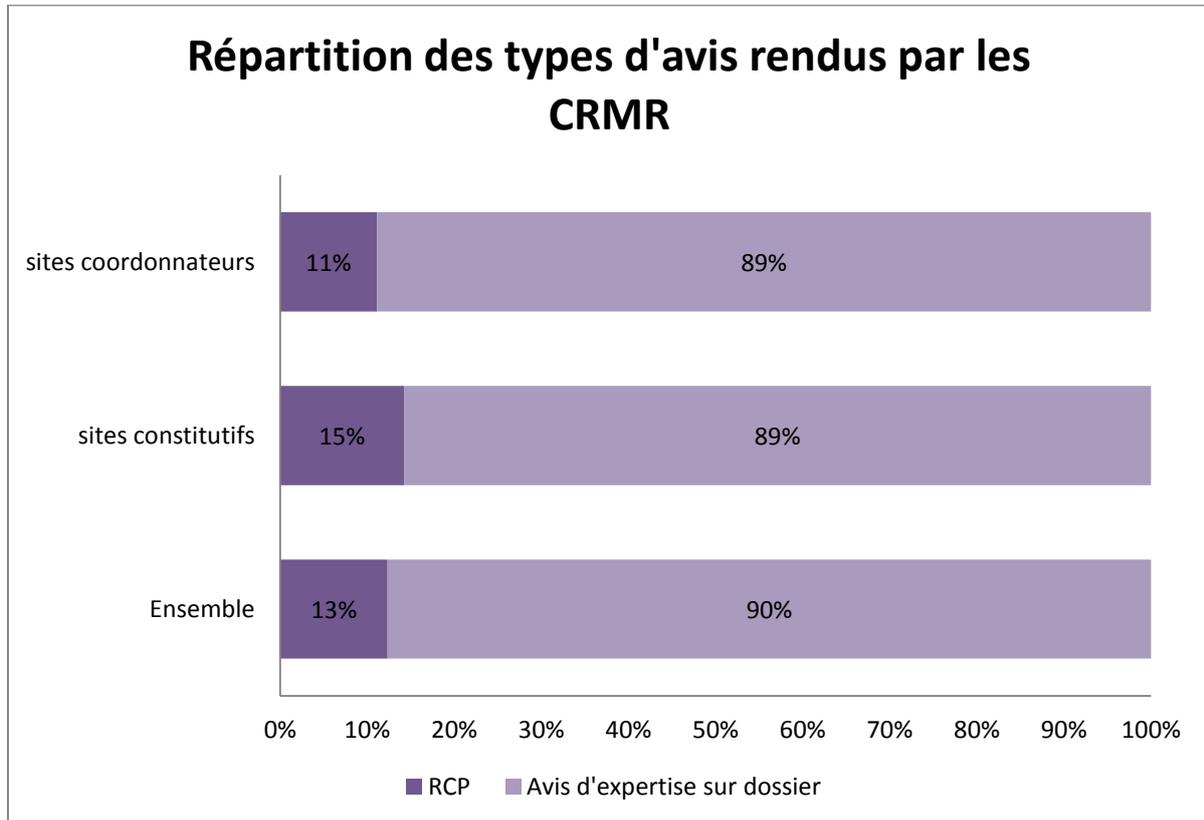
Si l'on établit un ratio expertise/consultation, on note que les CRMR ont, majoritairement, une activité de consultation clinique supérieure à l'activité d'expertise. En effet, seuls 75% des CRMR rendent moins de 0,54 avis d'expertise pour une consultation réalisée. La répartition expertise/consultation est similaire entre les sites constitutifs et les sites coordonnateurs.

Ratio expertise/consultation des CRMR				
	1 <sup>er</sup> quartile	médiane	3e quartile	max
Sites coordonnateurs	0,11	0,29	0,74	12,46
Sites constitutifs	0,07	0,23	0,53	10,43
CRMR	0,08	0,25	0,54	12,46

*Exemple de lecture : 50% des sites coordonnateurs rendent, pour une consultation, moins de 0,29 avis d'expertise sur dossier médicale ou RCP.*

L'analyse peut être affinée en subdivisant l'activité d'expertise selon les deux questions posées.

Les avis RCP au sein d'une même discipline sont moins nombreux comparativement au nombre d'avis d'expertise sur dossier. Les sites coordonnateurs ont une part en moyenne moins importante que (le « que » ne devrait pas disparaître ?) d'avis pris en RCP que les sites constitutifs.



*Exemple de lecture : 11% des avis d'expertise des sites coordonnateurs sont pris lors de RCP.*

**Les questions concernant l'expertise ayant été modifiées en 2014 il n'est pas possible d'établir des comparaisons avec 2013.**

### 3) Education thérapeutique du patient (ETP)

L'éducation thérapeutique est un indicateur important de mesure de l'activité clinique. Les constats de l'année 2014 sont les suivants :

- Les CRMR ont réalisé, en moyenne, 55 séances d'éducation thérapeutique équivalent à une moyenne de 92 séances pour les sites coordonnateurs et 35 pour les sites constitutifs.
- 262 sites ne réalisent pas de séances d'éducation thérapeutique : 175 sites constitutifs et 87 sites coordonnateurs.

Parmi les sites ayant organisé des séances d'éducation thérapeutique :

- les sites coordonnateurs réalisent une moyenne de 266 séances
- Les sites constitutifs une moyenne de 137 séances

#### **Comparaison des données 2013/2014**

**Constat d'une augmentation du nombre moyen de séances d'éducation thérapeutique : 44 séances en 2013 contre 55 en 2014. Le nombre de sites n'ayant programmé aucune séance d'ETP est pratiquement identique (264 en 2013 (dont 185 sites coordonnateurs et 79 sites constitutifs) contre 262 en 2014).**

**Pour les sites programmant des séances d'éducation thérapeutique, le nombre moyen de séances des sites coordonnateurs (189 en 2013 contre 266 en 2014) et des sites constitutifs (131 en 2013 contre 137 en 2014) est en augmentation.**

#### **4) Hospitalisation**

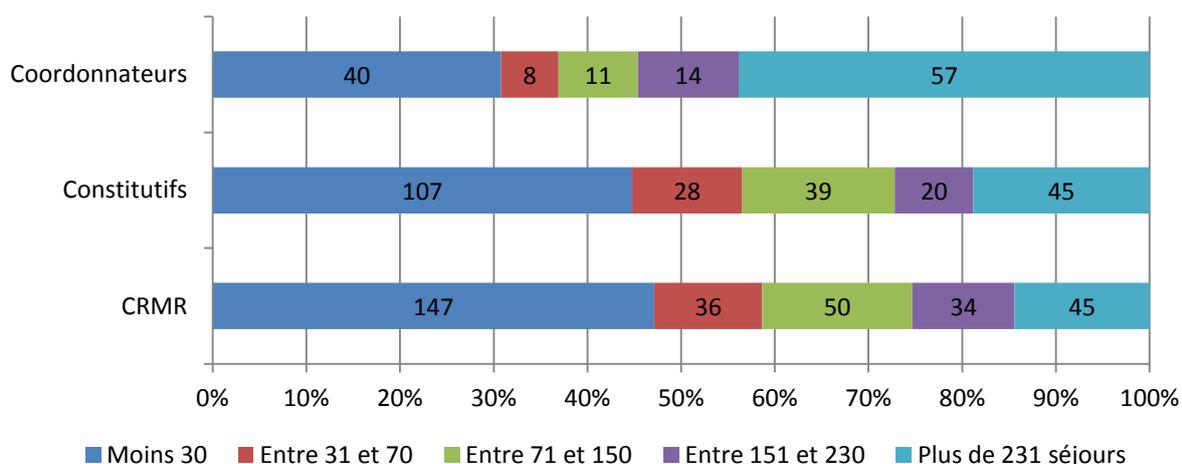
Le nombre de séjours d'hospitalisation de jour (HJ) est le dernier indicateur de prise en charge analysé dans ce rapport. Cette partie ne figurant pas dans le précédent rapport, les graphiques de 2013 sont rajoutés ici pour établir la comparaison 2013/2014.

##### **a) Hospitalisation de jour**

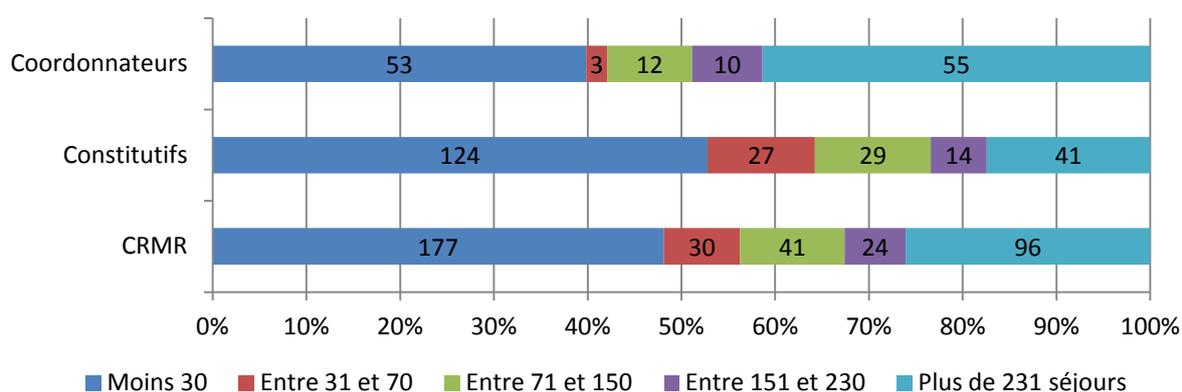
En 2014, l'ensemble des sites déclare une moyenne de 216 séjours d'HJ, cette moyenne étant de 345 séjours pour les sites coordonnateurs contre 124 pour les sites constitutifs.

L'analyse de la répartition du nombre de ces séjours montre des valeurs importantes se situant aux extrêmes : Ainsi les sites coordonnateurs sont 53 (soit 40%) à déclarer un nombre d'HJ inférieur à 30, et une part équivalente (55 soit 41%) à en déclarer plus de 231. Le constat est similaire pour les sites constitutifs : 53% déclarent moins de 30 séjours contre 17% en déclarant plus de 231.

## Répartition du nombre de séjours d'hospitalisation de jour des CRMR (2013)



## Répartition du nombre de séjours d'hospitalisation de jour des CRMR (2014)



### Comparaison des données 2013/2014

On constate une diminution de la moyenne du nombre d'HJ déclarées pour les CRMR (235 en 2013 contre 216 en 2014) se répartissant comme tel ;

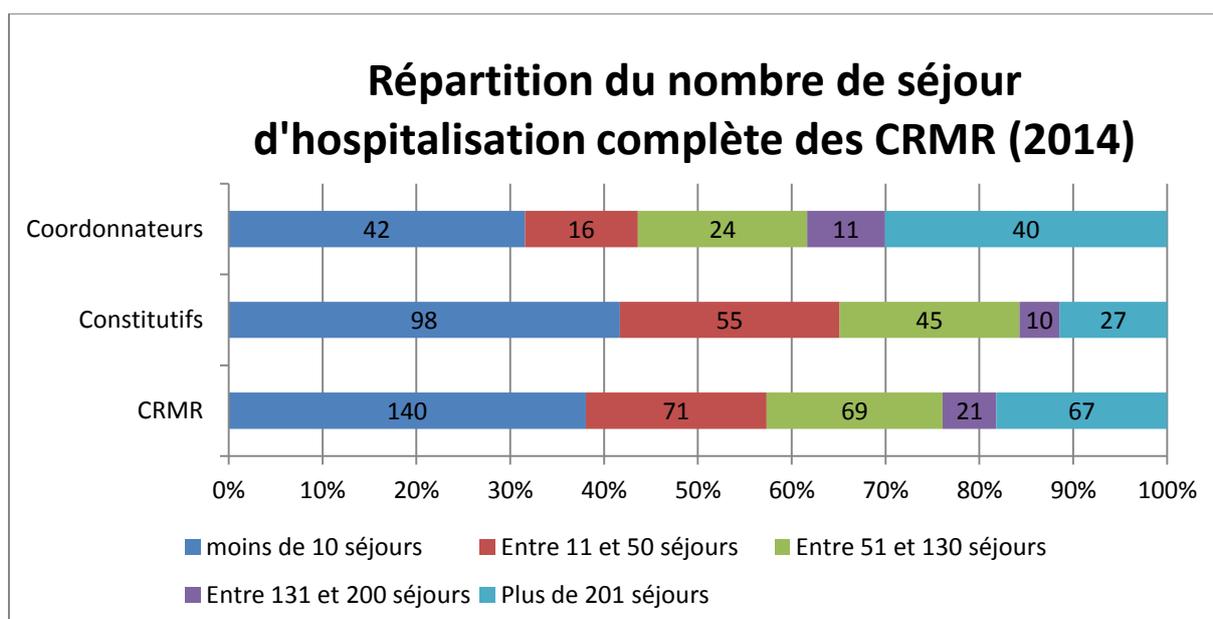
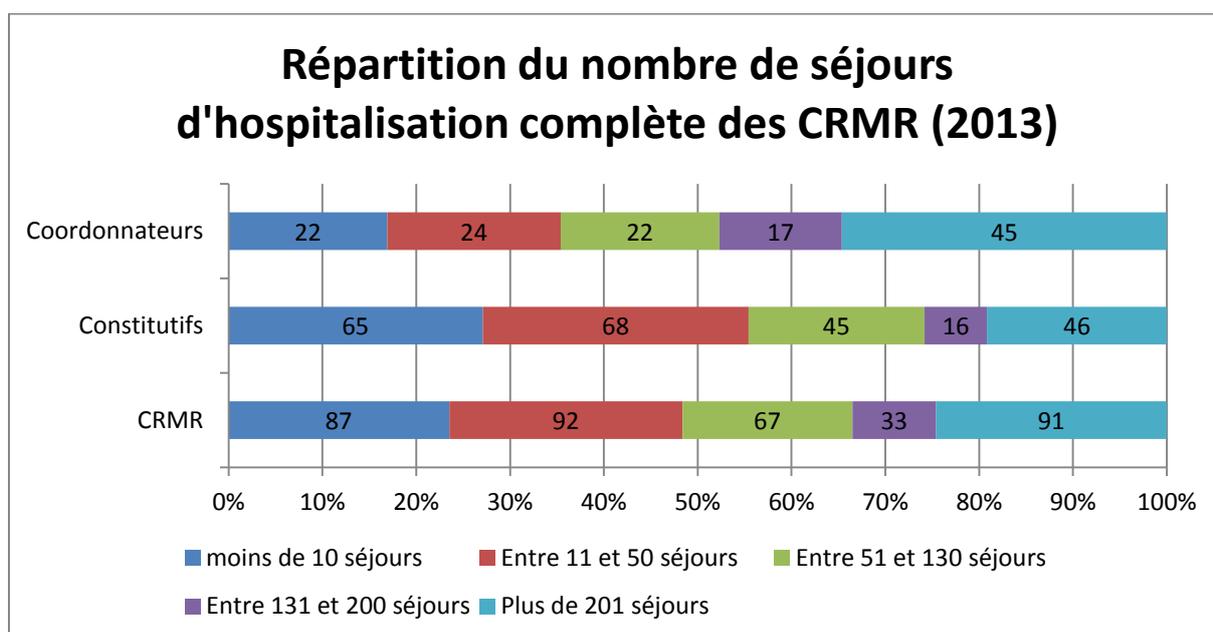
- Pour les sites coordonnateurs 365 en 2013 contre 345 en 2014
- Pour les sites constitutifs 164 en 2013 contre 124 en 2014).

La structure de la répartition du nombre de séjours est cependant similaire. Les sites coordonnateurs se situent plutôt dans les extrêmes : 40 sites, soit 31%, déclarent moins de 30 séjours et 44%, soit 57, plus de 231. Les sites constitutifs affichent, pour 45% d'entre eux, moins de 30 séjours, et pour 19% d'entre eux, plus de 231 séjours. Pour les deux années analysées, les sites coordonnateurs supportent une grande partie de l'activité d'hospitalisation de jour.

## b) hospitalisation complète (HC).

En 2014, l'ensemble des sites déclare une moyenne de 128 séjours d'HC cette moyenne étant de 198 séjours pour les sites coordonnateurs contre 89 pour les sites constitutifs.

Des données déclarées il ressort qu'une grande partie des HC est réalisée au sein des établissements de santé abritant des sites coordonnateurs (30% des sites coordonnateurs déclarent plus de 201 séjours contre seulement 11% des sites constitutifs, 42% des sites constitutifs déclarent moins de 10 séjours contre seulement 32% pour les sites coordonnateurs.)



## Comparaison des données 2013/2014

Constat d'une diminution des moyennes de nombre de séjours d'HC (166 en 2013 contre 128 en 2014 pour l'ensemble des sites et 244 en 2013 contre 198 en 2014 pour les sites coordonnateurs).

De même 35% des sites coordonnateurs (30% en 2014) affichent plus de 201 séjours contre seulement 19% des sites constitutifs (11% en 2014).

## III- ANALYSES THEMATIQUES

### A- Moyens financiers

La partie « moyens » du questionnaire PIRAMIG a été renseignée par les directions des affaires financières des établissements de santé abritant les sites des CRM.

#### 1) Dotation MIG des CRM

La dotation MIG globale déclarée dans PIRAMIG s'élève à 82 654 184 € pour une moyenne qui s'établit à 256 690 €. A noter que 47 des 380 sites (12%) déclarent ne pas recevoir de dotation MIG et que 11 sites (3%) n'ont pas renseigné cet item : Tous sont des sites constitutifs qui ne sont pas pris en compte dans les calculs qui suivent.

Pour les 133 sites coordonnateurs, la dotation MIG globale est de 56 972 242€ pour une moyenne à 428 363€. Pour les sites constitutifs la dotation MIG globale s'établit à : 25 681 942 € avec une moyenne qui s'établit à 135 883€.

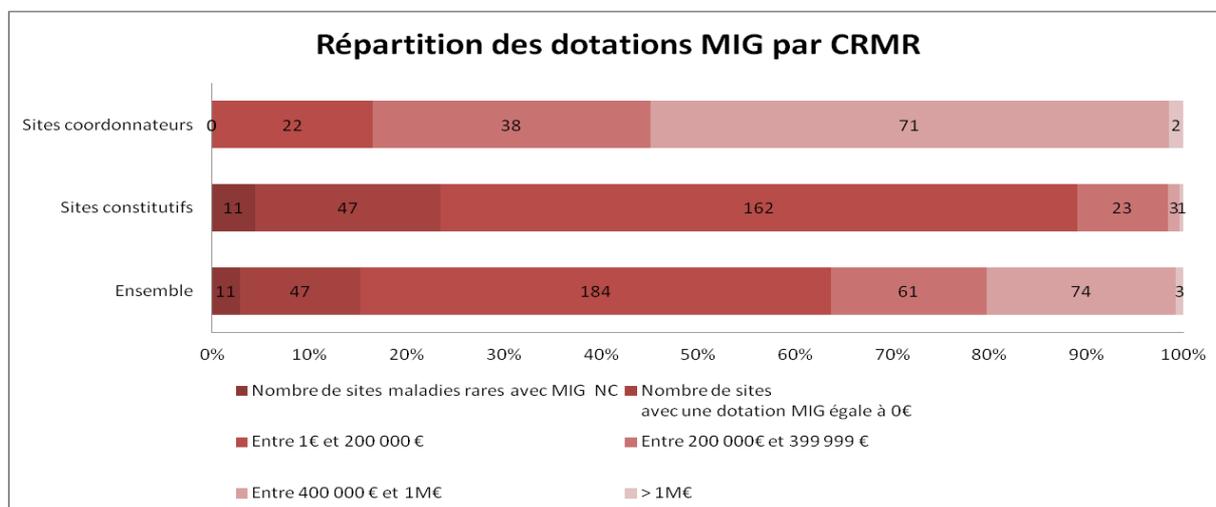
Dotation MIG des CRM							
	Dotation Globale	moyenne	min	1 er quartile	médiane	3e quartile	max
Sites coordonnateurs	56 972 242	428363	76 371	225 664	451 25	556 547	2 010 253
Sites constitutifs	25 681 942	135 883	15 000	80 652	105 534	156 596	1 092 303
Ensemble	82 654 184	256 690	15 000	90 770	160 466	364 450	2 010 253

## Comparaison des données 2013/2014

Les ordres de grandeur entre 2013 et 2014 sont les mêmes. La dotation des sites coordonnateurs augmente de 9% celle des sites constitutifs diminue de 9%. 65% des CRM ont une dotation MIG inférieure à 200 000 € dont seulement 7 % sont des sites coordonnateurs. Le constat est inversé pour les dotations MIG les plus importantes : 50% des sites coordonnateurs reçoivent plus de 400 000€ contre moins de 10% des sites constitutifs. Ces proportions sont identiques à celles de 2013. A noter qu'un site

**constitutif déclare une dotation supérieure à 1M€ et 3 déclarent une dotation se situant entre 400 000€ et un million d'euros.**

Les sites coordonnateurs, qui représentent 35% de l'ensemble des sites, reçoivent plus de 69% de la dotation MIG.

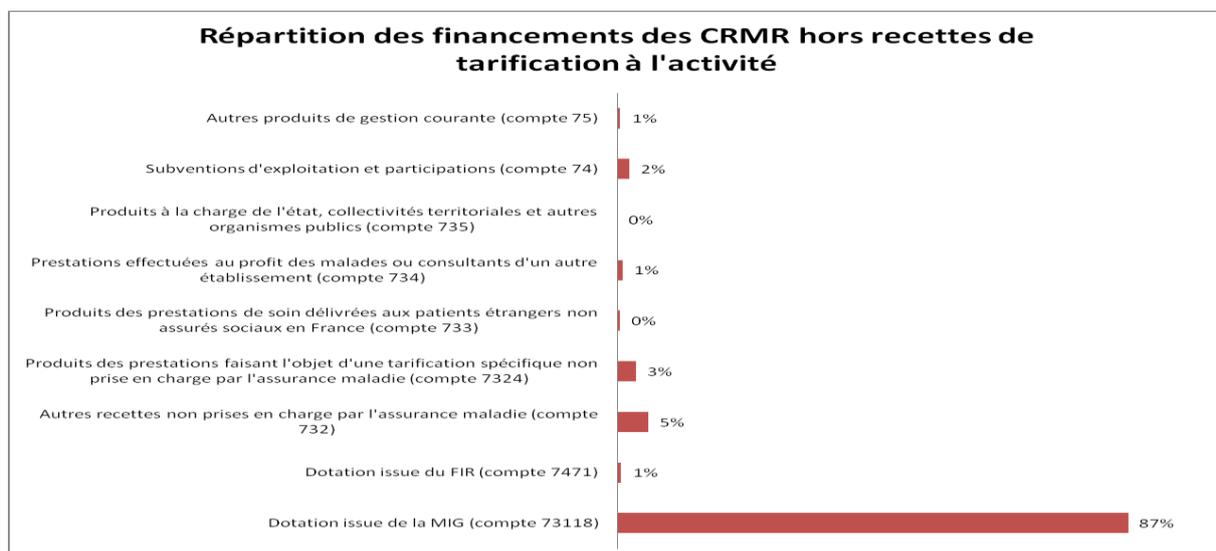


*Exemple de lecture : 47 sites constitutifs déclarent ne pas recevoir de dotation MIG, ce qui représente environ 19% du total des sites constitutif. Par ailleurs 11 sites constitutifs (4% d'entre eux) n'ont pas renseigné cet item.*

## 2) Produits et charges

Le questionnaire PIRAMIG ne demandait pas de renseigner les produits issus de la tarification à l'activité.

Le graphique ci-dessous représente donc la part des produits dans le financement total des sites maladies rares hors recettes de tarification à l'activité.

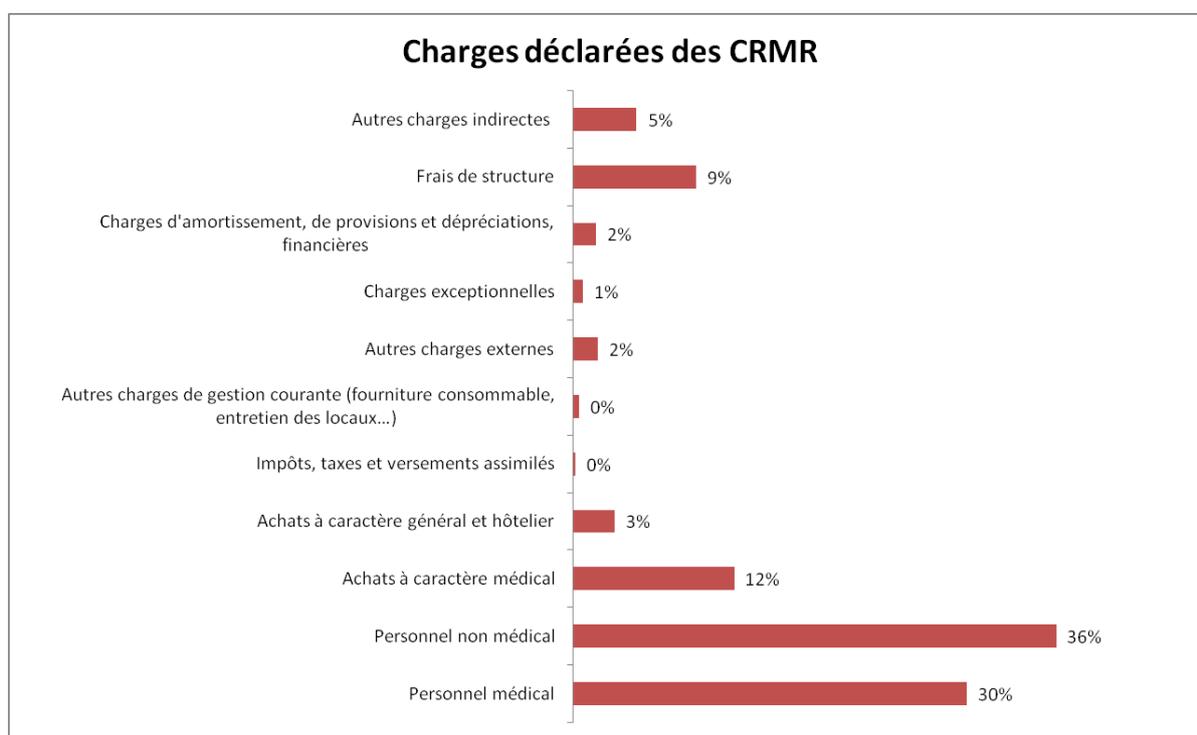


Le poids de la dotation MIG est majeur dans les produits des sites des CRMR (elle pèse 87%) hors recettes de tarification à l'activité.

### Comparaison des données 2013/2014

**On note une faible diminution de la part de la dotation MIG dans la composition des financements hors recettes de la tarification à l'activité (89,8% en 2013 contre 87% en 2014). La part des « autres recettes non prises en charge par l'assurance maladie évolue de 3% en 2013 à 5% en 2014. Les parts des autres sources de financement sont restées constantes ou ont légèrement diminué de 2013 à 2014.**

A contrario la part des charges représentées ci-dessous est calculée par rapport à l'ensemble des charges pesant sur le CRMR.



La part des charges de personnel (66% de l'ensemble des charges) pesant sur les sites des CRMR est prépondérante.

### Comparaison des données 2013/2014

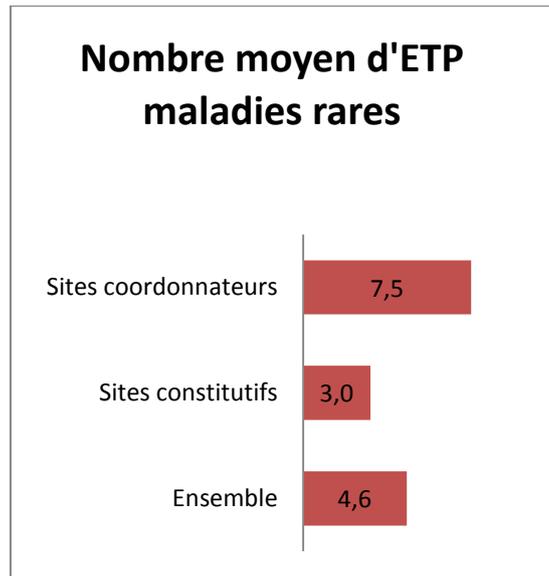
**Les frais de structure ont augmenté de 6 à 9% entre 2013 et 2014, les autres charges indirectes ayant diminué de 8 à 5%. Les autres catégories sont restées stables.**

## B- Moyens humains

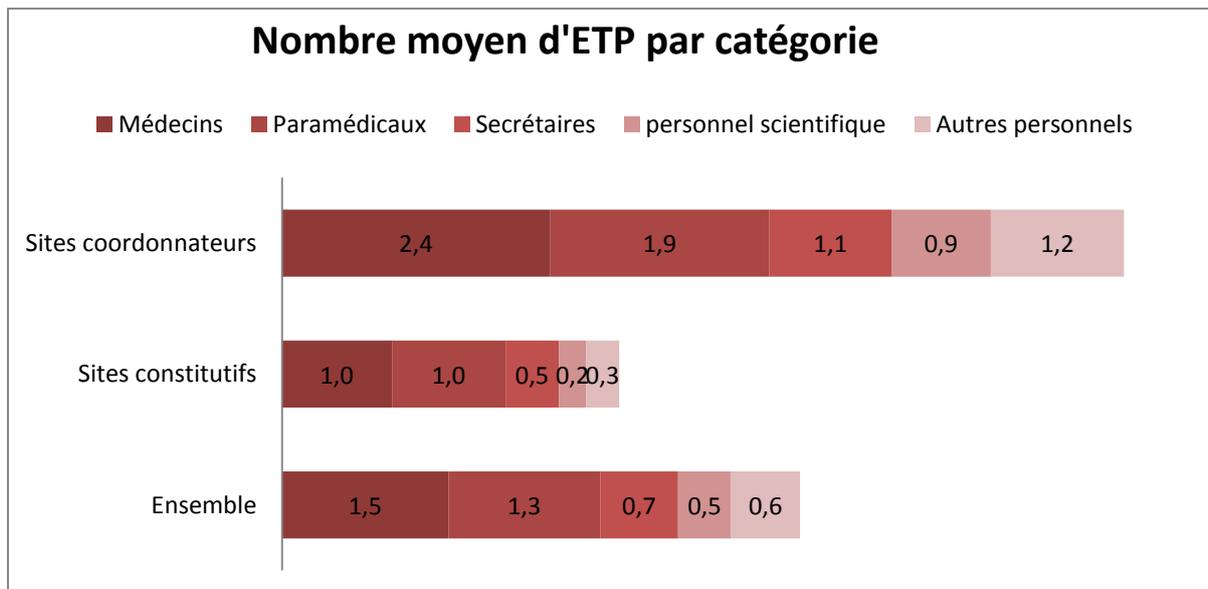
## Moyens humains et structure des équipes

Les résultats concernent l'ensemble des moyens humains mobilisés par les sites des CRM pour répondre à leurs missions, ne limitant pas ce décompte aux seuls moyens humains pouvant dépendre de la MIG tel que notifiée dans les années 2000.

Les équipes des CRM (sites coordonnateurs et sites constitutifs) comptent, en moyenne, 4,6 ETP, elles sont plus importantes dans les sites coordonnateurs avec 7,48 ETP contre 3 ETP pour les sites constitutifs.



Structuration de la composition des équipes:



Le pourcentage des différentes catégories professionnelles des équipes est calculé en prenant en compte la part du nombre d'ETP déclaré d'une profession au regard de la somme des ETP

déclarés. Les médecins représentent 32% des ETP, les paramédicaux 29% les secrétaires étant le troisième groupe de professionnels le plus représenté.

La présence de personnel scientifique (techniciens d'études cliniques, attachés de recherche clinique, ingénieurs, etc.), à hauteur de 10% des équipes, est justifiée par les activités de recherche attendues des CRMR.

A noter la difficulté d'exploitation des réponses déclarées pour la catégorie « autre personnel ». Le questionnaire précisait le type de personnel concerné mais les réponses apportées n'ont pu être exploitées.

#### **Comparaison des données 2013/2014**

**Les constats 2014 rejoignent ceux de 2013 sur la répartition des catégories professionnels notant cependant un nombre d'ETP de personnel scientifique en diminution.**

**Le « volume » des équipes est en augmentation quelque soit les sites, coordonnateurs ou constitutifs.**

**Le taux d'ETP augmente de 6,8 ETP à 7,5 ETP entre 2013 et 2014 pour les sites coordonnateurs et de 2,7 ETP à 3 ETP pour les seconds.**

**Cette augmentation reflète, pour les sites coordonnateurs, une augmentation de 0,3 ETP médecins et de 0,3 ETP paramédicaux de 2013 à 2014. Pour les sites constitutifs, l'augmentation est de 0,1 ETP médecins et de 0,3 ETP paramédicaux.**

### **C- Activités de coordination et d'information**

La mission de coordination du « réseau maladies rares » des CRMR est une mission essentielle pour ces sites. Cette mission est dévolue aux sites coordonnateurs. Le réseau maladies rares inclut toutes les structures participant au fonctionnement du CRMR (sites constitutifs, centres de compétence, laboratoires, structures médico-sociales, etc.) et contribuant à un maillage territorial de la prise en charge.

#### **1) Coordination**

L'analyse de l'activité de coordination souligne le rôle des sites coordonnateurs à qui l'organisation de cette mission est dévolue. Ces derniers supportent en effet la majorité des réunions internes au CRMR (22 pour les sites coordonnateurs contre 7 pour les sites constitutifs dont la mission est de participer à ces réunions de coordination).

La différence est néanmoins moins forte au niveau des moyennes du nombre de réunions avec les centres de compétence : les sites coordonnateurs se plaçant à en moyenne 4 réunions pour l'année 2014 contre 2 pour les sites constitutifs. Cette donnée interroge sur le rôle des sites dont surtout des sites coordonnateurs.

Activité de coordination			
	Moyenne du nombre de réunion avec les centres de compétences rattachés au CRM	Moyenne du nombre de réunions internes au CRM	Animation du réseau
Coordonnateurs	4	22	26
Constitutifs	2	7	9
Ensemble	3	13	16

**Les intitulés des questions de l'enquête PIRAMIG concernant la coordination ont changé entre la campagne de 2014 et celle de 2015 : une comparaison entre les deux années est donc impossible.**

## 2) Information

Le nombre moyen d'actions d'information montre que les sites coordonnateurs sont plus actifs que les sites constitutifs : 16 actions d'information en moyenne sont réalisées par les sites coordonnateurs contre 7 pour les sites constitutifs.

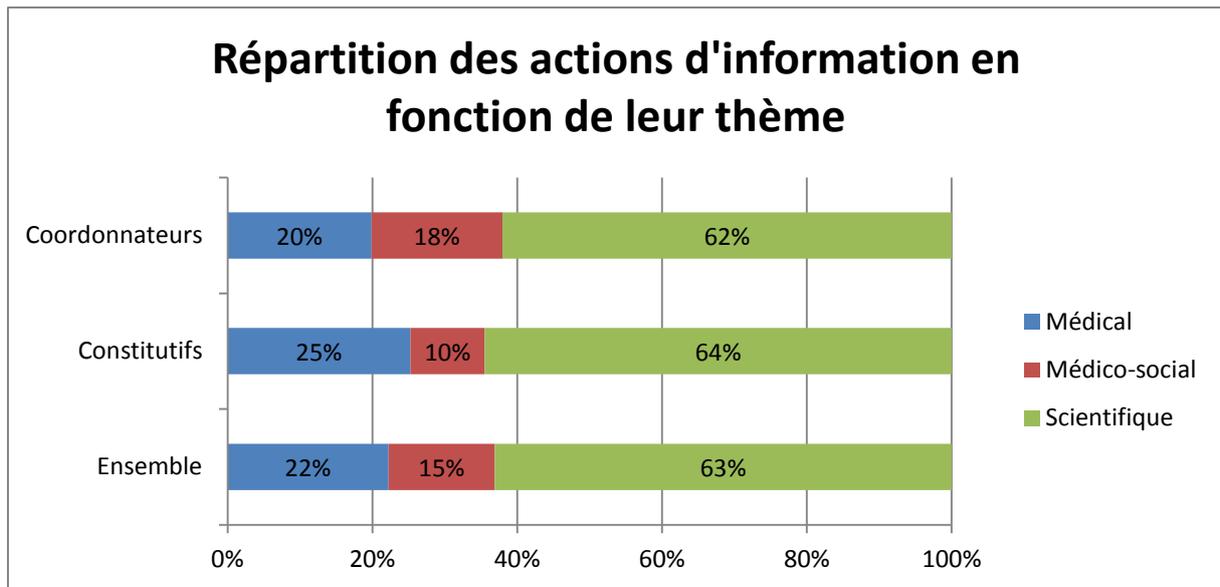
- **A noter que la très grande majorité de ces actions d'information sont destinées aux associations de patients et familles ainsi qu'au secteur médico-social.**

En effet, sur l'ensemble des sites, le secteur médico-social a été l'objet d'une moyenne de cinq actions, contre seulement deux pour les médicaux et une pour les paramédicaux, les actions d'information à destination des associations de patients et familles sont en moyenne au nombre 3. Ces moyennes sont cependant à analyser avec beaucoup de précaution, les données de 2014 présentant une dispersion très importante.

Nombre moyen des actions d'information à destination d'un public :				
	Médical	Paramédical	Associations de patients et familles	secteur médico-social
Coordonnateurs	2	2	5	7
Constitutifs	1	1	1	3
Ensemble	2	1	3	5

*Exemple de lecture : les sites coordonnateurs ont organisé, en moyenne, 3 actions à destination des associations de patients et familles.*

Les actions se répartissent également en fonction de leur thème. Ainsi, 62% et 64% des actions respectivement des sites coordonnateurs et des sites constitutifs sont sur un thème scientifique. Seules 22% des actions de l'ensemble des sites sont consacrées à un thème médical. En 2014, les thèmes les moins traités, quel que soit le type de site, sont les thèmes médico-sociaux, en effet, seules 18% des actions des sites coordonnateurs et 10% de celles de sites constitutifs portent sur un thème médico-social.



*Exemple de lecture : 20% des actions d'information des sites coordonnateurs ont pour thème un thème médical.*

**Les intitulés des questions de l'enquête PIRAMIG concernant l'activité d'information ont changé entre la campagne de 2014 et celle de 2015 : une comparaison entre les deux années est donc impossible.**

## D- Bases de données et guides de bonnes pratiques

Les missions des CRMR portent également sur l'amélioration des connaissances et des pratiques professionnelles. Trois items identifiés dans le rapport PIRAMIG ont été analysés : L'utilisation de la base de données CeMaRa, l'existence d'une base de données autre que CeMaRa susceptible de permettre de suivre les patients et la participation du site à l'élaboration ou à l'actualisation de protocoles et guides de bonnes pratiques.

### 1) Disponibilité de bases de données à vocation épidémiologique

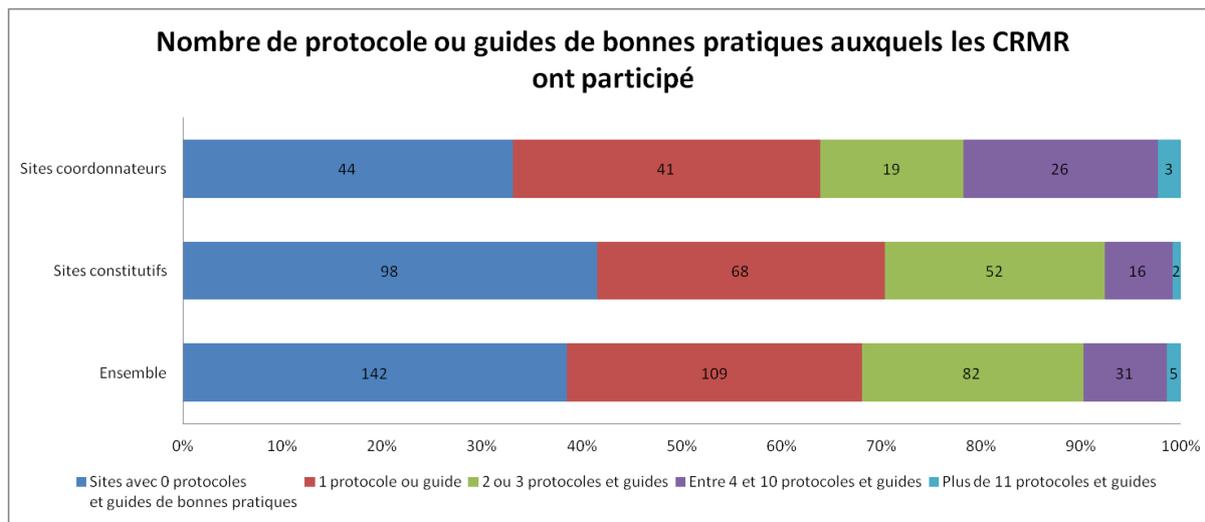
Les réponses aux questions concernant les bases de données à vocation épidémiologique dont disposent les sites des CRMR mettent en évidence que :

- 334 sites déclarent avoir une base de données (CeMaRa ou autre) ;
- 2% des sites coordonnateurs et 15% des sites constitutifs n'ont pas de bases de données ;
- Parmi les sites disposant de base de données, 56 sites coordonnateurs (42%) et 147 sites constitutifs (40%) renseignent CeMaRa

## 2) Contribution à l'élaboration de protocoles et guides de bonnes pratiques

Le questionnaire demandait si les sites avaient participé à l'élaboration et à la diffusion de protocoles et guides de bonnes pratiques au cours de l'année 2014.

Constat : **38% des sites déclarent n'avoir participé à aucun protocoles et guides de bonnes pratiques, soit 33% des sites coordonnateurs et 42% des sites constitutifs.**



*Exemple de lecture : 44 sites coordonnateurs déclarent n'avoir pas participé à l'élaboration et la diffusion d'un protocole ou guide de bonnes pratiques au cours de l'année 2014.*

### Comparaison des données 2013/2014

**Le nombre de sites n'ayant pas participé à l'élaboration de guides ou protocoles de bonnes pratiques a augmenté entre 2013 et 2014 en passant de 33% à 38% pour l'ensemble des sites et respectivement pour les sites coordonnateurs et les sites constitutifs de 23% à 33% et de 40% à 42%.**

**Ce résultat est à confronter au fait que seulement 52 PNDS ont été réalisés depuis le 1<sup>er</sup> plan national. Il conviendra de préciser la question ultérieurement pour bien identifier cette activité de production de PNDS, qui relève principalement des sites coordonnateurs.**

## F- Activité de formation

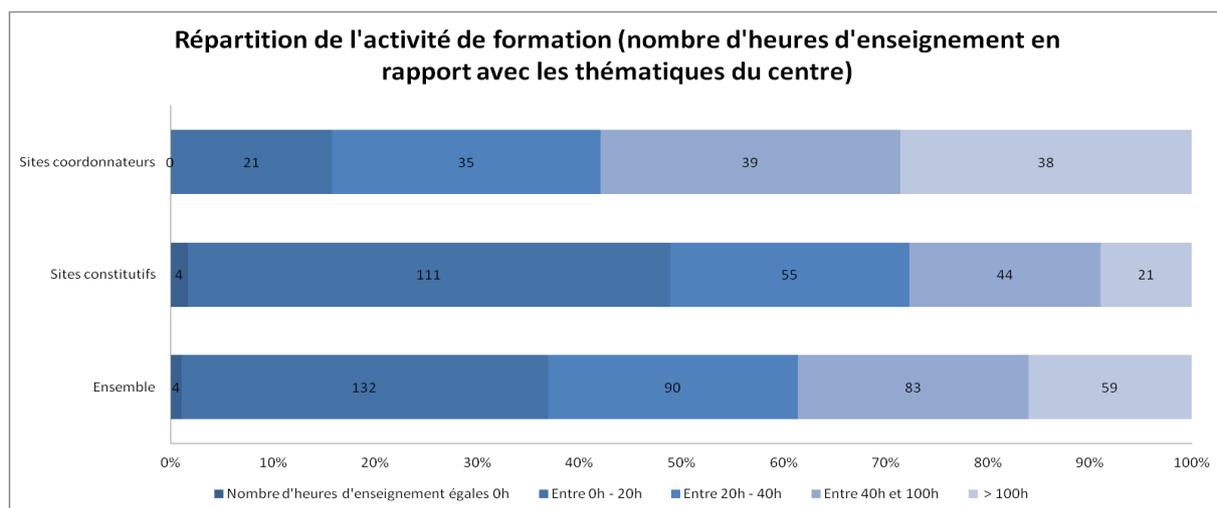
Parmi les missions des CRMR, et notamment des sites coordonnateurs, figure l'activité de formation. Cette activité est appréciée au regard du nombre d'heures d'enseignement en lien avec les thématiques du centre.

La moyenne du temps d'enseignement des CRMR observée est de 60 heures mais présente une grande dispersion : 25% des CRMR comptabilisent moins de 12 heures de formation dispensées contre 25% des CRMR qui comptabilisent plus de 61 heures.

Pour les seuls sites coordonnateurs, la moyenne est plus élevée (100 heures) mais présente également une dispersion importante avec une médiane à 50 heures, 25% des sites coordonnateurs réalisant plus de 112 heures de formation.

Certains sites constitutifs ont une activité de formation importante : 25% des sites constitutifs dispensent plus de 46 heures d'enseignements.

Nombre d'heures d'enseignements universitaires et de formation continue des CRMR						
	Moyenne	Min	1er quartile	Médiane	3e quartile	Maximum
Coordonnateurs	100	5	25	50	112	805
Constitutifs	37	0	9	20	46	300
Ensemble	60	0	12	28	61	805



*Exemple de lecture : 4 sites constitutifs ne dispensent aucune heure d'enseignement, ce qui représente moins de 2% des 235 sites constitutifs ayant répondu à la question.*

### Comparaison des données 2013/2014

Un constat notable de l'année 2014 par rapport à 2013 est qu'il n'existe plus de sites coordonnateurs n'ayant aucune activité de formation : en 2013, 5 sites étaient dans ce cas. Le nombre de sites dispensant plus de 100 heures de formation par an a diminué (59 en 2014 pour l'ensemble des sites contre 71 en 2013), ce qui explique la baisse statistique du nombre de sites constitutifs dispensant plus de 100 heures (21 en 2014 contre 34 en 2013). De manière générale, le nombre de sites constitutifs et de sites coordonnateurs dispensant entre 20 et 40 heures de formation par an a augmenté, le nombre de sites dispensant entre 0 et 20 heures et entre 40 et 100 heures étant en diminution.

## G- Activité de recherche

L'activité de recherche est une des cinq missions des CRMR.

### 1) Mesure de l'activité de recherche des CRMR

Un profil moyen a été défini en se basant sur cinq indicateurs :

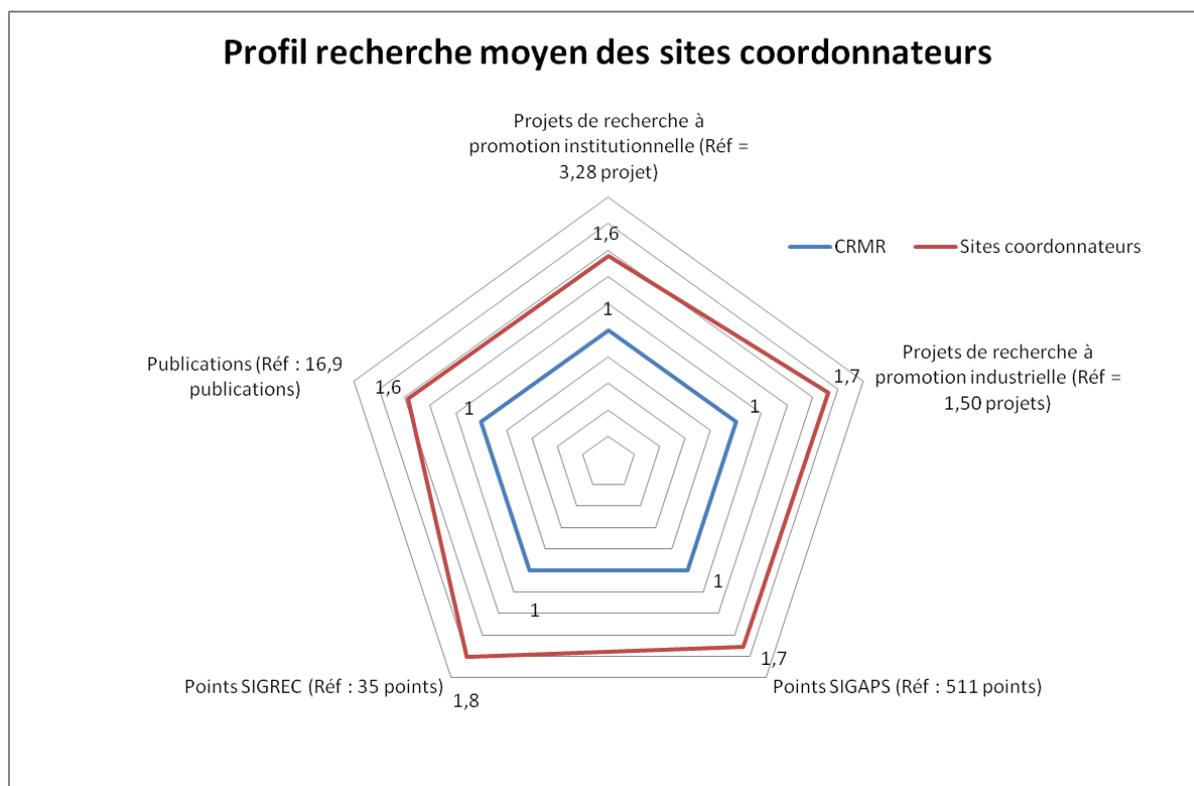
- La moyenne du nombre de projets de recherche à promotion institutionnelle en cours
- La moyenne du nombre de projet de recherche industrielle en cours;
- La moyenne du nombre de publications en lien avec les thématiques du centre ;
- La moyenne du nombre de points SIGAPS sur quatre ans (2011-2014);
- La moyenne du nombre de points SIGREC (essais cliniques)

Comme établi précédemment, un profil a été réalisé sur la base de ces cinq critères permettant de situer les sites coordonnateurs et constitutifs par rapport aux 380 sites des CRMR.

Les points SIGAPS et SIGREC ont fait l'objet d'une méthode concertée entre partenaires compte tenu des difficultés de calculs de ceux-ci.

#### a) Profil des sites coordonnateurs

Un premier profil peut être présenté en comparant les sites coordonnateurs à un pentagone dont les extrémités représentent la moyenne des 380 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



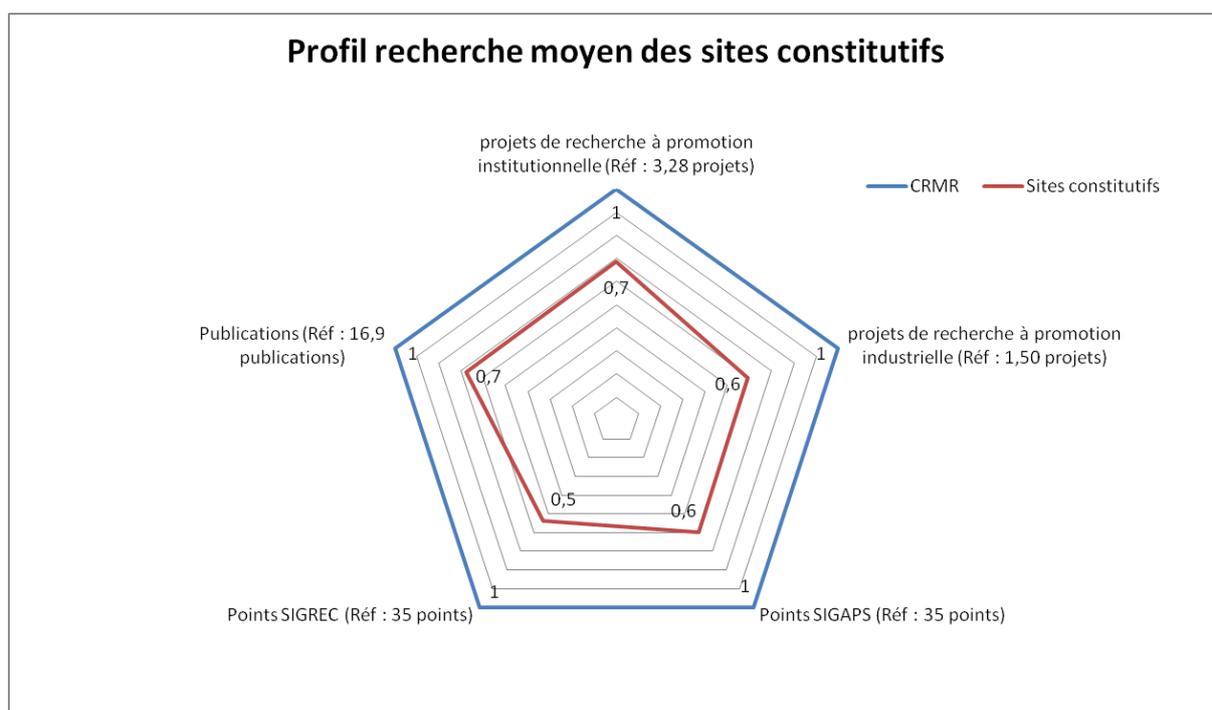
*Exemple de lecture : les sites coordonnateurs réalisent 1,6 fois plus de publications que la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 16,9 publications par an.*

**Constat :** les sites coordonnateurs ont une activité de recherche en tout point supérieure à celle de l'ensemble des CRMR.

### *b) Profil des sites constitutifs*

Un second profil a été établi pour les sites constitutifs sur le même principe que les sites coordonnateurs.

Ce profil montre une activité de recherche moindre par rapport à la moyenne, ce qui est justifié par le fait que les sites constitutifs apportent une expertise complémentaire aux sites coordonnateurs.



*Exemple de lecture : les sites constitutifs réalisent 0,7 fois moins de publications que la moyenne des 380 sites des CRMR. La moyenne des 380 sites des CRMR s'établit à 16.9 publications par an.*

Tableau de synthèse des données présentées ci-dessus :

Activité moyenne de recherche des CRMR					
	Projet de recherche à promotion institutionnelle	Projet de recherche à promotion industrielle	Points SIGREC	Points SIGAPS	Publications
Coordonnateurs	5	3	871	63	27
Constitutifs	2	1	306	19	11

Ensemble	3	2	511	35	17
----------	---	---	-----	----	----

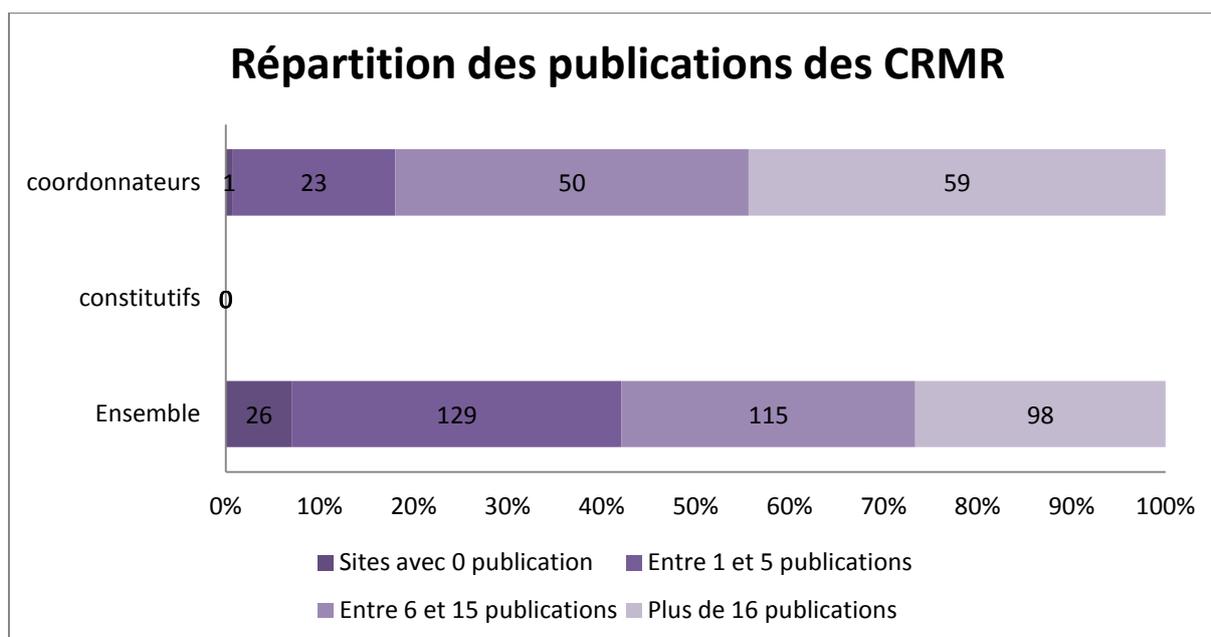
## 2) Analyse des quatre items identifiés

### a) Publications et points SIGAPS

#### Publications

La grande majorité des 380 sites des CRMRR ont une activité de publication, seuls 11% des sites constitutifs et un site coordonnateur ne déclarent aucune publication en 2014.

L'activité de publication la plus forte est essentiellement supportée par les sites coordonnateurs (27 publications en moyenne contre 11 pour les sites constitutifs). Enfin, 44% des coordonnateurs déclarent rédiger plus de 16 publications en 2014 contre 17% pour les sites constitutifs.



#### **Comparaison des données 2013/2014**

**Les données 2014 sont très peu différentes de celles de 2013.**

#### Points SIGAPS

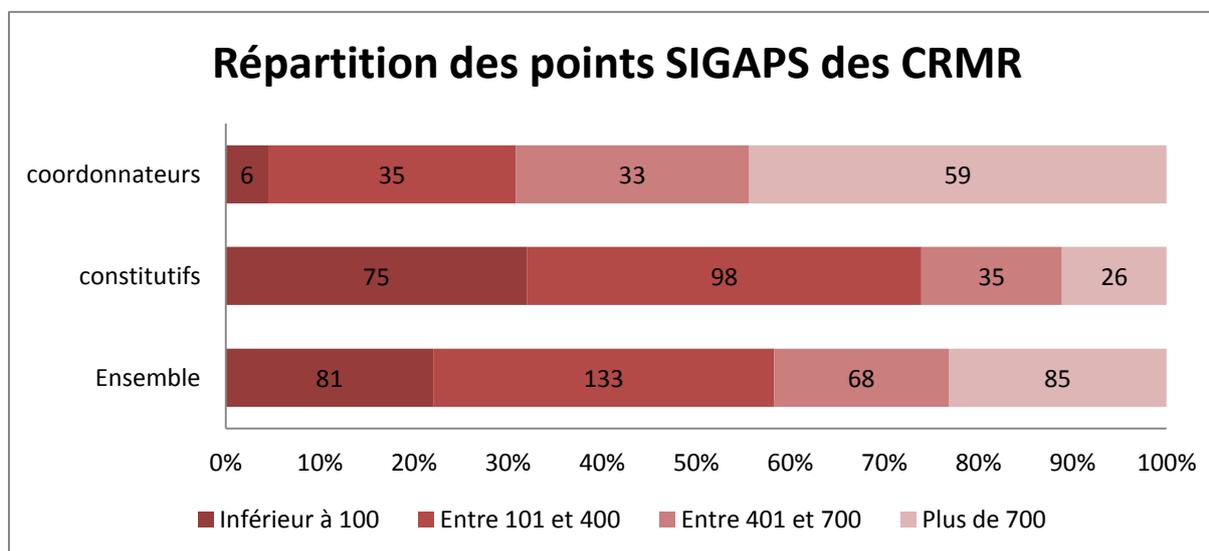
Selon les déclarations des sites la moyenne des points SIGAPS des centres maladies rares s'établit à 511 points (306 pour les sites constitutifs et 871 pour les sites coordonnateurs).

A noter par ailleurs que :

- 32% des sites constitutifs ont obtenu moins de 100 points SIGAPS
- 5% des sites coordonnateurs ont obtenu moins de 100 points SIGAPS
- moins de 11% des sites constitutifs obtiennent plus de 700 points SIGAPS
- 44% des sites coordonnateurs déclarent plus de 700 points SIGAPS

**Constat :** la recherche est surtout portée par les sites coordonnateurs.

Points SIGAPS sur quatre ans des CRMR						
	Moyenne	Min	1er quartile	Médiane	3e quartile	Maximum
Coordonnateurs	871	60	346	629	1006	4989
Constitutifs	306	0	65	170	412	2938
Ensemble	511	0	120	292	664	4989



*Exemple de lecture : 6 sites coordonnateurs comptabilisent moins de 100 points SIGAPS, ce qui représente 5% des 131 sites coordonnateurs.*

### Comparaison des données 2013/2014

**On constate une augmentation de la moyenne des points SIGAPS pour l'ensemble des sites : 469 points en 2013 contre 511 en 2014. Compte tenu du changement du mode de calcul (prise en compte de quatre années et non plus trois comme en 2013), l'augmentation de la moyenne des points SIGAPS est, au moins en partie, mécanique. La moyenne des points SIGAPS des sites constitutifs est en légère baisse (322 en 2013 contre 306 en 2014). A l'inverse, celle des sites coordonnateurs augmentent substantiellement en passant de 736 à 871.**

**La répartition des points SIGAPS des sites coordonnateurs varie aux extrêmes : le part de sites déclarant moins de 100 points SIGAPS était de 9% en 2013, elle passe à 5% en 2014. De même, celle des sites affichant plus de 700 points augmente de 34% en 2013 à 44% en 2014. On constate des variations de moindre ampleur pour les sites constitutifs :**

parmi ces derniers, la part de sites déclarant entre 401 et 700 points SIGAPS augmente de 13% à 15% en 2014.

## b) Points SIGREC et projets de recherche

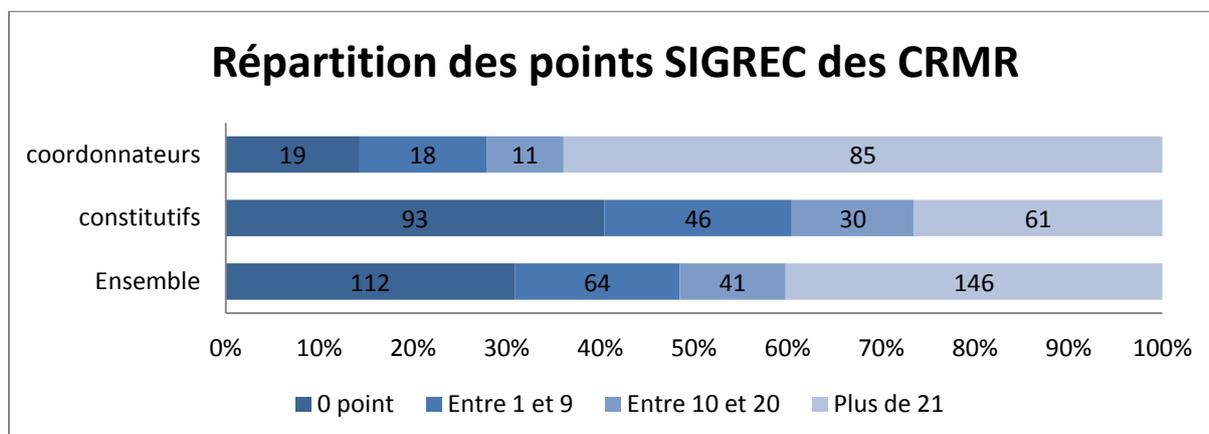
Deux autres items ont été intégrés dans les RAA 2014 pour mesurer l'activité de recherche: les points SIGREC (qui évaluent les essais cliniques) et les projets de recherche triés selon le type de promotion, institutionnelle ou industrielle.

Constats:

- Les sites coordonnateurs déclarent une moyenne 63 points SIGREC
- Les sites constitutifs déclarent une moyenne de 19 points SIGREC
- les sites coordonnateurs sont investigateurs principaux dans, en moyenne, 3 projets de recherche, contre 1,7 pour l'ensemble des CRMR.

### Points SIGREC

Les points SIGREC ont été collectés pour la première fois en 2014. Compte tenu du nombre d'interrogations sur les modalités de cette collecte, celles-ci feront l'objet pour la campagne 2016 (données 2015) de directives plus précises. En conséquence ces résultats déclaratifs sont communiqués sans commentaires.



31% de l'ensemble des sites déclarent ne participer à aucun essai clinique, ces 31% correspondant à 19 sites coordonnateurs et 93 sites constitutifs.

Par contre 64% des sites coordonnateurs, soit 85, déclarent plus de 21 points SIGREC. Dans l'ensemble, 67% des centres ont soit une activité nulle ou soit très importante (supérieure à 21 points SIGREC).

Points SIGREC des CRM						
	Moyenne	Min	1er quartile	Médiane	3e quartile	Maximum
Sites coordonnateurs	63	0	6	33	66	1741
Sites constitutifs	19	0	0	3	21	359
CRM	35	0	0	11	47,5	1741

### Projets de recherche

Les projets de recherche ont été analysés au regard de trois variables :

- Le type de promotion : industrielle ou institutionnelle
- La qualité d'investigateur coordonnateur ou non

Plusieurs constats

Les sites coordonnateurs participent à plus de projet de recherche que les sites constitutifs. La moyenne des projets de recherche à promotion institutionnelle s'établit à 5,11 pour les sites coordonnateurs contre 2,25 pour les sites constitutifs ; ces moyennes passent respectivement à 2,58 et 0,89 pour les projets de recherche à promotion industrielle. Les projets de recherche sont en majorité à promotion institutionnelle (69%). La part des projets de recherche à promotion institutionnelle déclarée est plus élevée pour les sites constitutifs (72% contre 66% pour les sites coordonnateurs).

Enfin, les sites coordonnateurs sont plus souvent investigateur principal que les sites constitutifs : parmi les projets de recherche à promotion institutionnelle, une majorité de sites coordonnateurs à la qualité d'investigateur coordonnateur (52% versus 36% pour les sites constitutifs). Il en va de même pour les projets de recherche à promotion industrielle dont les sites coordonnateurs et constitutifs sont investigateurs coordonnateurs à hauteur, respectivement, de 50% et 28%. Sur l'ensemble des sites, la part des projets de recherche, quel que soit le type de promotion, dont le site est investigateur principal s'établit à 44%.

Les chiffres présentés sont résumés dans le tableau suivant :

Composition des projets de recherche des CRM			
	Coordonnateurs	Constitutifs	Ensemble
Projet de recherche à promotion institutionnelle	5,11 (66%)	2,25 (72%)	3,28 (69%)
→ Dont le site est investigateur coordonnateur	2,68 (52%)	0,82 (36%)	1,49 (45%)
Projet de recherche à promotion industrielle	2,58 (34%)	0,89 (28%)	1,50 (31%)
→ Dont le site est investigateur coordonnateur	1,28 (50%)	0,25 (28%)	0,62 (42%)
Projet de recherche dont le centre est investigateur coordonnateur	51%	34%	44%

*Note : le pourcentage de projets de recherche à promotion institutionnelle/industrielle est rapporté à l'ensemble des projets. Le pourcentage de projets de recherche dont le site est investigateur coordonnateur est rapporté aux PR du type de promotion concerné.*

*Lecture : Les sites coordonnateurs participent en moyenne à 5,11 projets de recherche, ce qui équivaut à 66% de l'ensemble des projets de recherche des CRMR.*

**Les intitulés des questions de l'enquête PIRAMIG 2014 concernant les projets de recherche ont été modifiés aussi une comparaison entre les deux années est impossible.**

## CONCLUSION

Les analyses issues de cette seconde année de recueil de données d'activité des sites des CRMR, des CRCM, des CRCSLA et pour la 1<sup>ère</sup> année des CRCH permettent de conforter une grande partie des observations faites à l'issue de celles conduites sur les données de 2013.

### Observations générales

Un nombre de réponses des sites enquêtés important à hauteur de 99% (Seul 5 sites constitutifs n'ont pas répondu du tout répondu).

Une complétude des réponses à hauteur de 100% pour 96% des sites

Un différentiel entre les sites coordonnateurs et constitutifs qui se confirme, répondant à une certaine logique au regard des missions de ces deux sites.

Des données extrêmes observées pour certains items comme les données d'activités cliniques, la formation, la recherche, les nombre de bases de données, indiquant des différentiels d'activité importants entre CRMR non corrélées, à tout le moins selon les données remontées, aux dotations budgétaires déclarées. Les données 2014 confirment ces constats pour la plupart des sites concernés en 2013.

L'analyse sera conduite individuellement par établissement de santé.

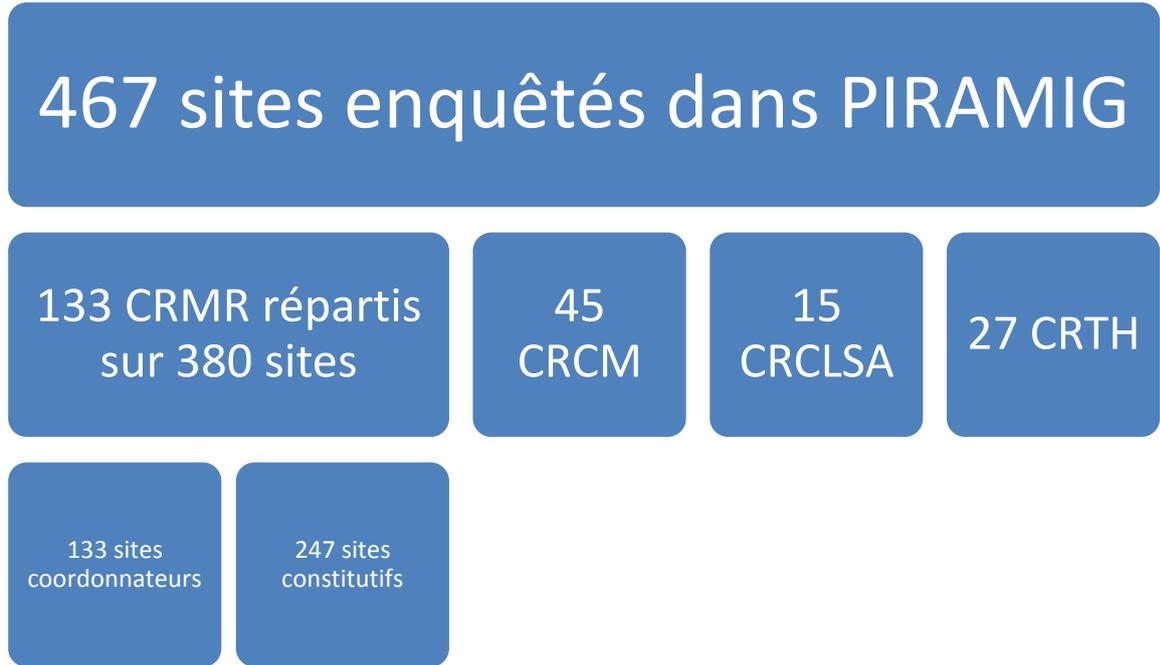
Plus de 64% de CRMR ne sont toujours pas érigés en unité fonctionnelle (ou unité de gestion terme usité à l'APHP) ce qui conduit à des difficultés de recensement des données d'activités et financières. Ces difficultés ne peuvent que conduire à recommander l'identification systématique des sites des CRMR comme unité fonctionnelle (ou de gestion).

La situation des sites constitutifs non labellisés sera étudiée dès 2016 tenant compte des données d'activité et des dotations déclarées par ces sites.

Cette situation sera en tout état de cause réévaluée lors du lancement de l'appel à projet devant intervenir au cours du second trimestre 2016 où tous les CRMR existants devront redéposer un dossier.

## ANNEXE I

### Structures enquêtées<sup>3</sup>



<sup>3</sup> Il y avait 49 CRCM en 2013 et 45 suite à un arrêté de janvier 2014

## ANNEXE II

### CENTRES DE REFERENCE MALADIES RARES (CRMR)

#### a) Définition des CRMR

Une maladie rare est une affection touchant un nombre restreint de personnes, à savoir moins d'une personne sur 2000 en population générale selon le seuil défini en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin<sup>4</sup>.

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

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

**Les schémas régionaux, voire interrégionaux, précisent l'offre de soins sur leur territoire.**

#### b) Missions des CRMR

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

##### 1- Mission de coordination

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

---

<sup>4</sup> Règlement (CE) no 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins

*Toutes les actions du CRMR sont organisées, déployées et conduites en étroite coordination avec les actions de sa filière de santé maladies rares (FSMR) de rattachement.*

## **2- Mission d'expertise**

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

## **3- Mission de recours**

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

## **4- Mission de recherche**

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

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

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

Les « sites constitutifs » des CRMR multi-sites participent à l'ensemble des missions du CRMR. Le plan d'actions précise l'implication des différents sites.

### **c) Organisation des CRMR**

Les CRMR peuvent être mono-sites (et ce site unique est « site coordonnateur ») ou multi-sites (comprenant un « site coordonnateur » et un ou plusieurs « sites constitutifs »).

Etant précisé que seule la nécessaire complémentarité à apporter aux activités du « site coordonnateur » justifie la création d'un « site constitutif », un site constitutif peut répondre à trois besoins pour assurer les missions d'un CRMR :

- ✓ Soit le site constitutif apporte une complémentarité d'expertise, de recours, de recherche ou de formation pour une ou des maladie(s) rare(s) ou une forme phénotypique particulière d'une maladie rare du périmètre du CRMR.
- ✓ Soit le site constitutif permet d'assurer la prise en charge pédiatrique et adulte et de structurer la liaison pédiatrie-adulte.
- ✓ Soit le site constitutif a les mêmes activités d'expertise, de recours, de recherche ou de formation que le site coordonnateur si la prévalence, l'organisation territoriale ou la diversité des maladies rares concernées le justifient.

La description du CRMR précise les spécificités de chaque site et leur complémentarité, et le plan d'actions précise les activités de chaque site.

Les 5 missions ci-dessus énumérées sont à mettre en place obligatoirement par les CRMR, précisant :

- Que chaque site d'un CRMR doit être une unité fonctionnelle exerçant une activité clinique, au minimum de consultation ;
- Qu'un laboratoire ou un plateau technique d'imagerie médicale ne peut être site reconnu d'un CRMR, sauf cas particulier ;
- Que chaque site d'un CRMR doit être organisé autour d'une équipe hospitalière permettant une prise en charge pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle, qui assure la continuité des soins.

Un CRMR peut demander la contribution d'experts ou de services spécialisés (hors sites constitutifs) pour assurer ses missions. Il en établit la liste et précise leurs rôles.

Les CRMR sont labellisés pour 5 ans. Ils élaborent un plan d'actions pour cette durée définissant leurs objectifs et leurs actions à réaliser. L'articulation de ce dernier avec le plan d'actions de la FSMR de rattachement est précisée.

Le pilotage de chaque CRMR est assuré par un « coordonnateur » désigné pour 5 ans, qui est l'interlocuteur privilégié de l'administration centrale pour le CRMR. La désignation du coordonnateur ou sa succession au cours des 5 ans font l'objet d'une procédure spécifique décrite ci-après. Un « responsable » est identifié pour chaque site constitutif. Il est garant du fonctionnement du site constitutif concerné.

Les CRMR (le site coordonnateur et les sites constitutifs éventuels) ont l'obligation de :

- Renseigner la banque nationale de données maladies rares ;

→ Renseigner un rapport annuel d'activité (RAA).

***Point particulier concernant la demande de délocalisation d'un CRMR (site coordonnateur ou constitutif)***

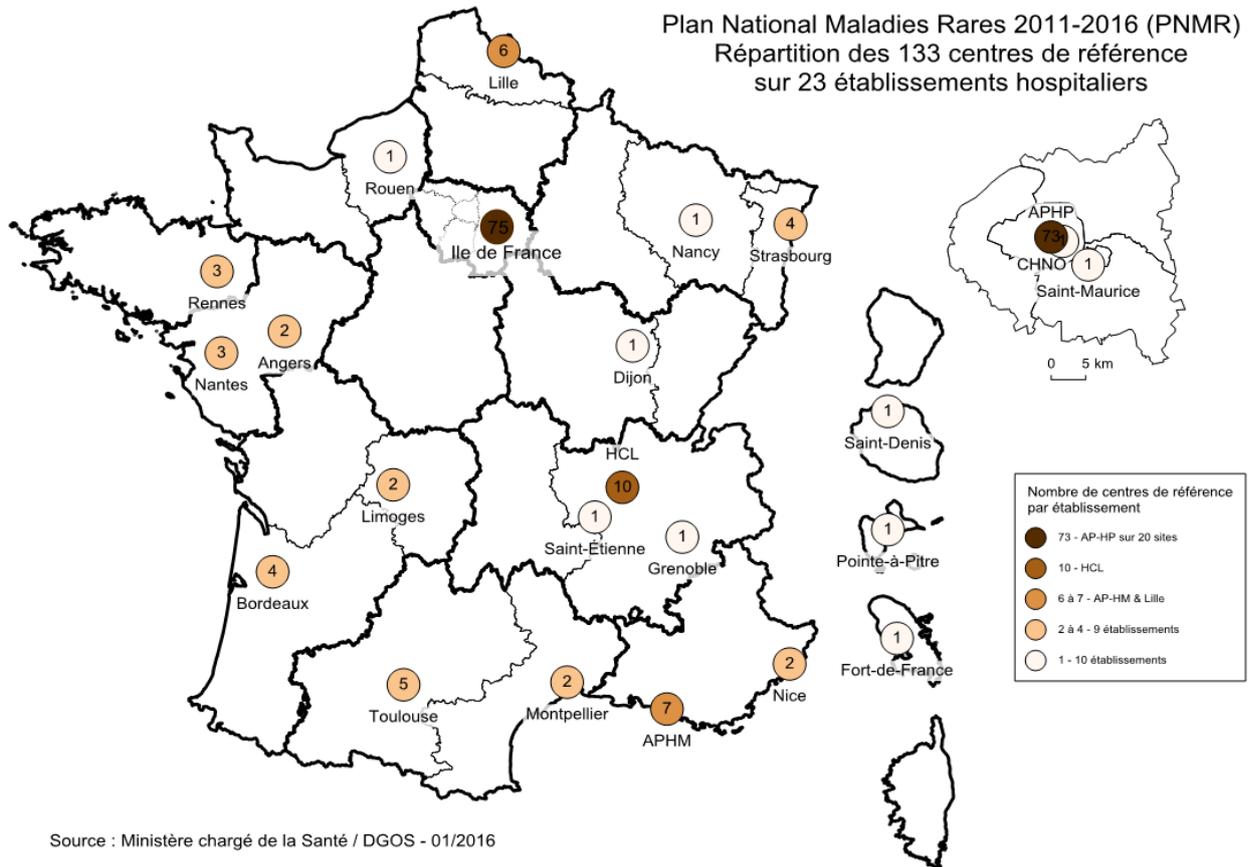
Certaines circonstances comme la mutation ou affectation d'un responsable de site dans un nouvel établissement de santé peuvent conduire celui-ci à demander le transfert du site dont il assure la coordination dans son nouvel établissement d'affectation.

Une demande devra être formulée auprès de la direction de son établissement et de l'établissement d'accueil.

Un avis des deux directeurs et des deux directoires sera transmis à la DGOS pour validation.

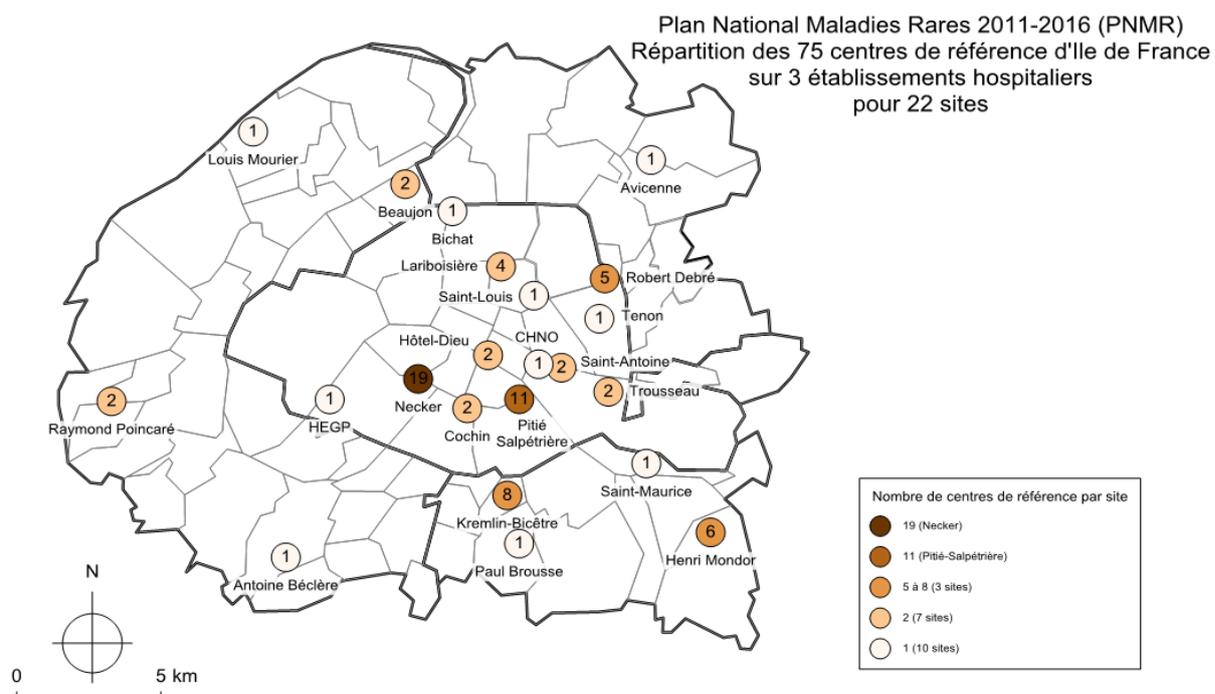
# ANNEXE III

## Répartition des 133 CRMR



## ANNEXE IV

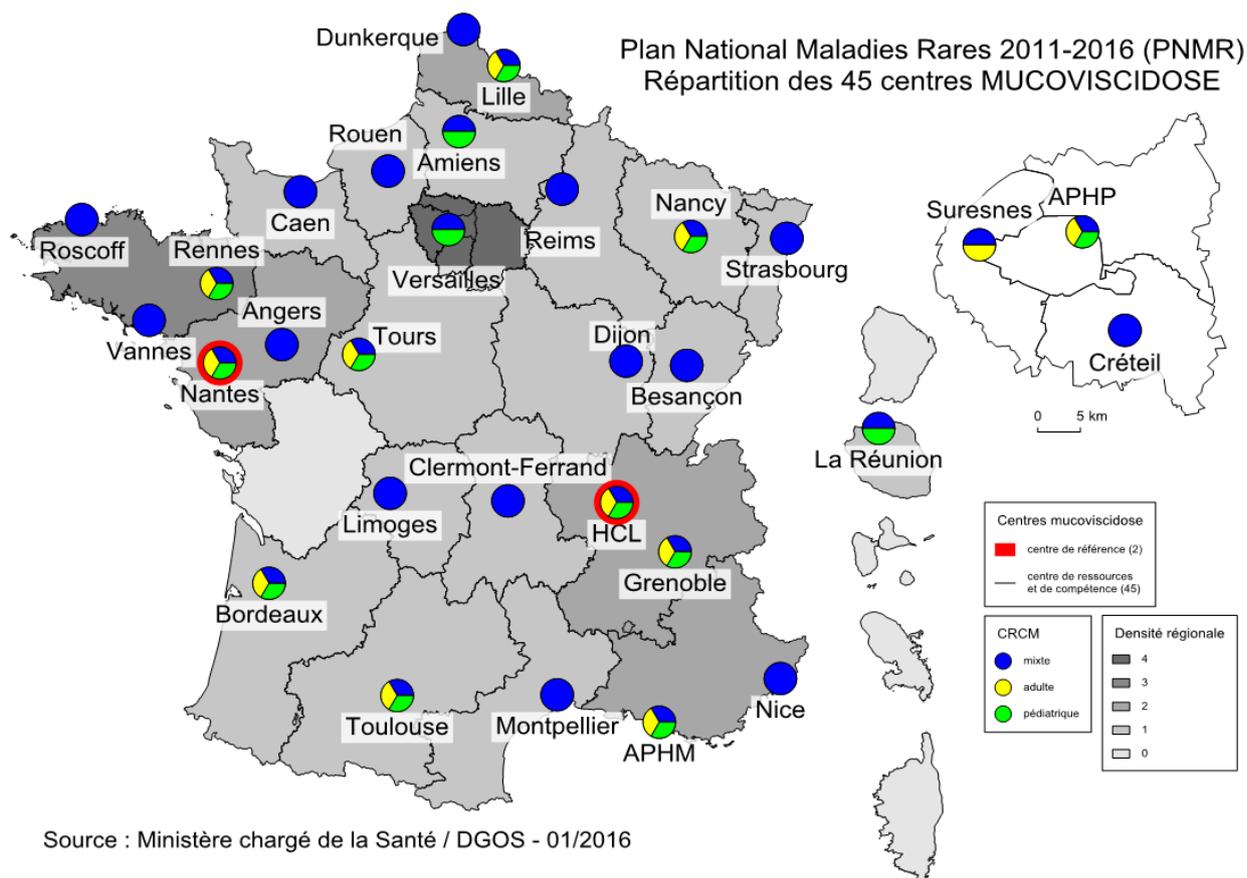
### Répartition des 75 sites coordonnateurs d'Île de France



Source : Ministère chargé de la Santé / DGOS - 01/2016

## ANNEXE V

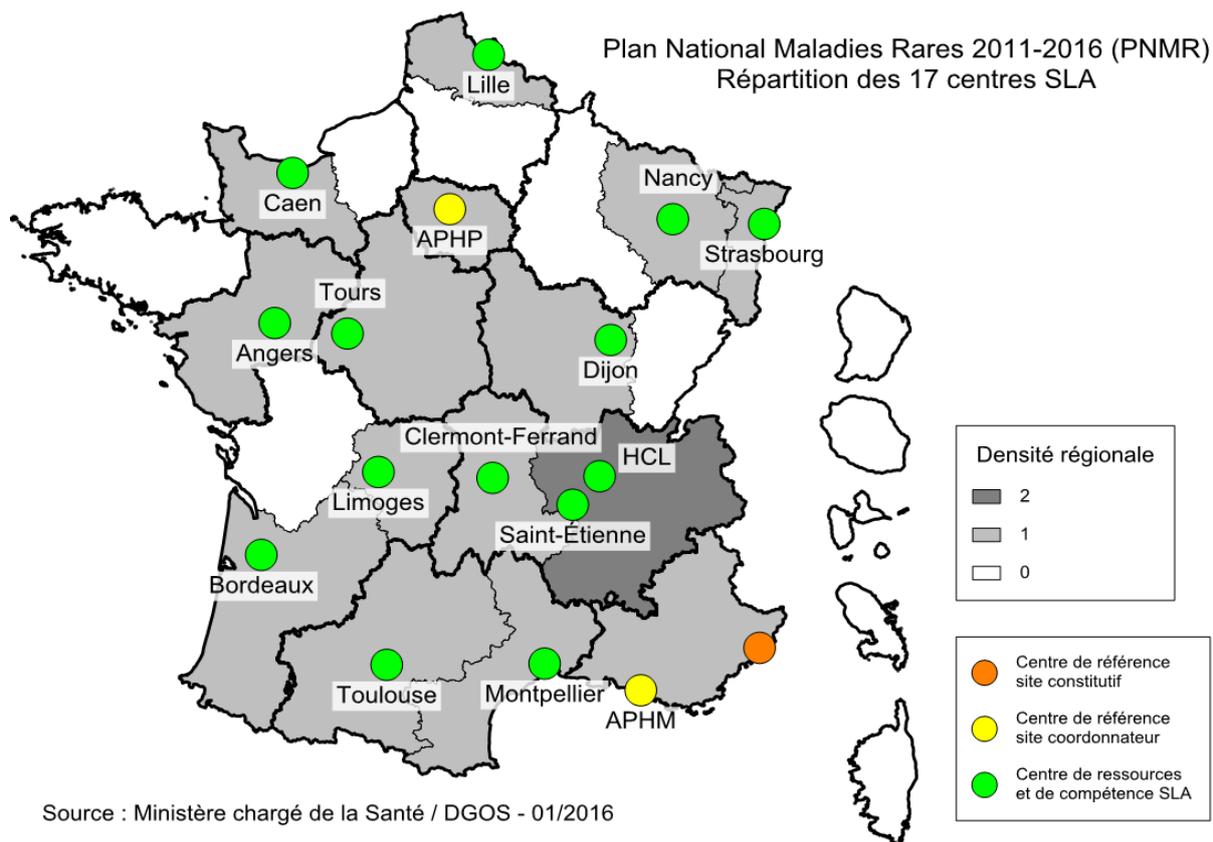
### Répartition des 45 Centres de ressources et de compétence mucoviscidose (CRCM)<sup>5</sup> et deux centres de référence



<sup>5</sup> Reconnus par arrêté de janvier 2014

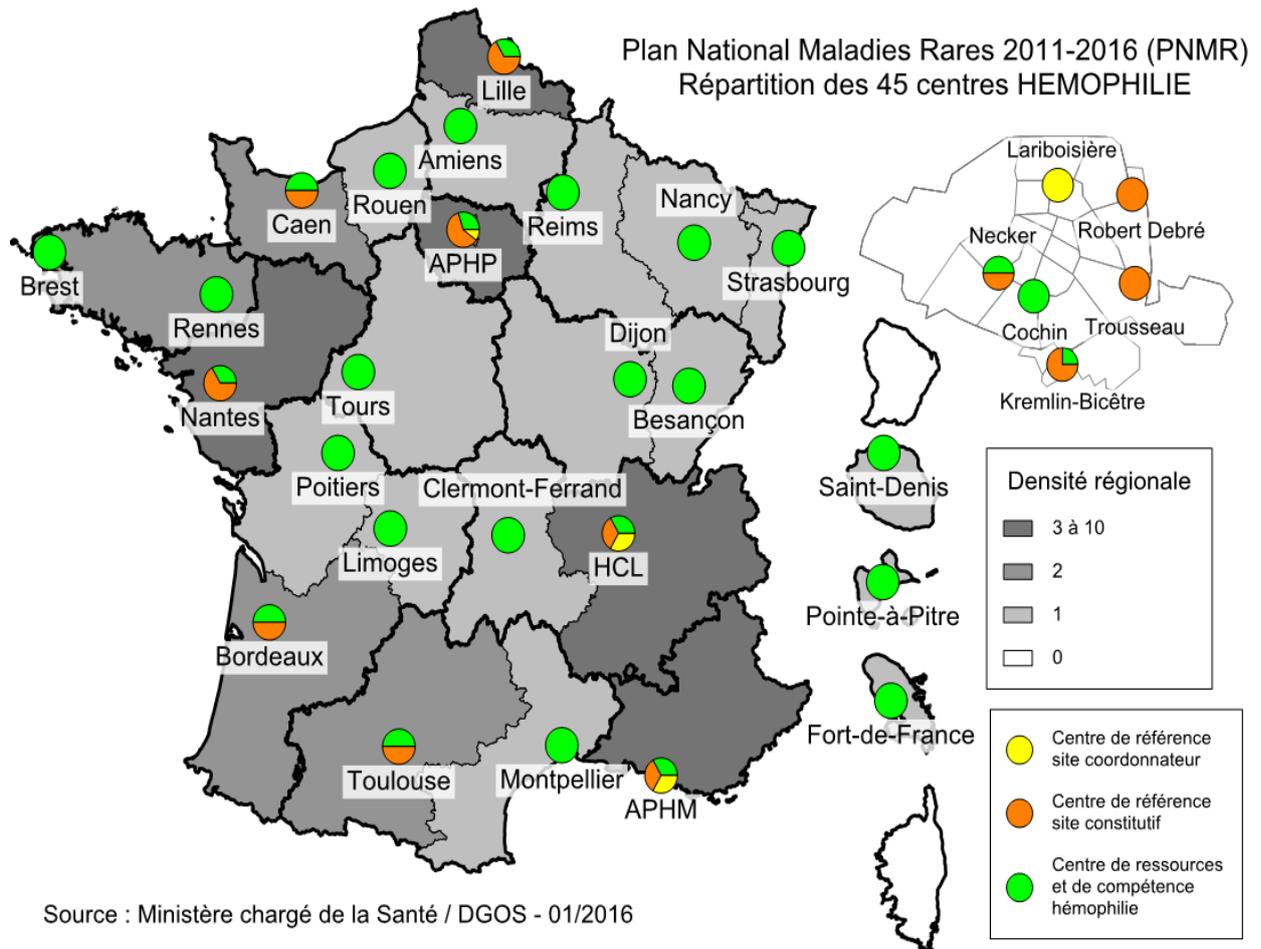
## ANNEXE VI

### Répartition des 15 Centres de ressources et de compétence de la sclérose latérale amyotrophique (CRCSLA) et deux centres de référence SLA



## ANNEXE VII

### Répartition des 15 Centres de ressources et de compétence de la hémophilie (CRCSLA) et deux centres de référence hémophilie



## GLOSSAIRE

- APHP :** assistance publique des hôpitaux de Paris.
- BNDMR :** banque nationale de données maladies rares. La BNDMR vise à mettre en place une structure sécurisée qui permettra de colliger les données médicales anonymisées de tous patients atteints de maladies rares à l'échelon national.
- CC :** centres de compétences : 501 centres, non financés par une dotation MIG, qui assurent un maillage territorial dans la prise en charge.
- CHU :** centre hospitalier universitaire.
- CRCH :** Centre de ressources et de compétence de l'hémophilie : 27 centres qui assurent la prise en charge des maladies hémophiles
- CRCM :** Centres de ressources et de compétence de la mucoviscidose : 45 centres en 2014) qui assurent la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose.
- CRCSLA :** Centres de ressources et de compétence de la sclérose latérale amyotrophique : 15 centres qui assurent la prise en charge des patients atteints de sclérose latérale amyotrophique.
- CRMR :** centres de référence maladies rares : 133 sites coordonnateurs et 247 sites constitutifs qui assurent la prise en charge de premier recours des patients atteints de maladies rares en France.
- EPU :** enseignement post universitaire : appellation de la formation médicale continue obligatoire, pour les professions médicales notamment.
- ETP :** équivalent temps plein. Une charge de « *n* » ETP pendant une période donnée correspond à un travail qui nécessiterait l'affectation de « *n* » personnes à plein temps pendant toute la période considérée, pour le réaliser.
- GHS :** groupe homogène de séjour.
- HAS :** haute autorité de santé.
- MEDIANE :** la médiane est la valeur qui partage une distribution statistique en deux parties égales.
- MIGAC :** missions d'intérêt générale et aide à la contractualisation. Le législateur a entendu, au travers de la création de la dotation nationale de financement des missions d'intérêt général et d'aide à la contractualisation (MIGAC), maintenir des sources de financement en dehors du principe général de la tarification à l'activité.

**MOYENNE** : la moyenne arithmétique de données est égale à la somme de ces données divisée par leur nombre

**PIRAMIG** : pilotage des rapports d'activités MIG : dispositif qui permet un recueil d'information sur des structures financées par la dotation MIGAC.

**PNDS** : protocole national de diagnostic et de soins. La production de protocoles nationaux de diagnostic et de soins par les experts des centres de référence maladies rares a été prévue initialement dans le premier plan national maladies rares 2005-2008 et a été confirmée dans le deuxième plan national maladies rares 2011-2014 à l'aide d'une méthode proposée par la HAS.<sup>6</sup>

**QUARTILE** : les quartiles sont les valeurs qui partagent une distribution en quatre parties égales.

Exemple, pour une distribution de salaires :

- le premier quartile (noté généralement Q1) est le salaire au-dessous duquel se situent 25 % des salaires ;
- le deuxième quartile est le salaire au-dessous duquel se situent 50 % des salaires ; c'est la médiane ;
- le troisième quartile (noté généralement Q3) est le salaire au-dessous duquel se situent 75 % des salaires.

**SIGAPS** : système d'interrogation, de gestion et d'analyse des publications scientifiques : projet de mis en œuvre d'un logiciel de bibliométrie, automatisant le processus de recensement, d'évaluation et d'analyse des références bibliographiques, afin de permettre la définition d'un indicateur convenable du niveau de la production scientifique de ces établissements.

**SIGREC** : le logiciel SIGREC est destiné à la gestion administrative de tous les essais cliniques réalisés à l'hôpital, qu'ils soient à promotion industrielle ou institutionnelle.

**UF** : unité fonctionnelle.

**SITES COORDONNATEURS** : 133 sites qui sont en charge des 133 CRMR.

**SITES CONSTITUTIFS** : 247 sites qui apportent une expertise complémentaire aux 133 sites coordonnateurs.

---

<sup>6</sup> [http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c\\_1340879/fr/protocoles-nationaux-de-diagnostic-et-de-soins-pnds](http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1340879/fr/protocoles-nationaux-de-diagnostic-et-de-soins-pnds)

