GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

NOTE D'INFORMATION INTERMISTERIELLE N° DGOS/PF4/2022/154 du 24 mai 2022 relative à l'appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares (CRMR)

La ministre de la santé et de la prévention
La ministre de l'enseignement supérieur et de la recherche
Mesdames et Messieurs les directeurs généraux des agences régionales de santé

Référence	NOR : SPRH2215495N (numéro interne : 2022/154)
Date de signature	24/05/2022 (date figurant dans le titre de l'instruction)
Emetteur(s)	Ministère de la santé et de la prévention Direction générale de l'offre de soins Ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche Direction générale pour la recherche et l'innovation.
Objet	Appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares (CRMR).
Contact(s) utile(s)	Sous-direction du pilotage de la performance des acteurs de l'offre de soins Mission maladies rares Anne-Sophie LAPOINTE Tél : 01 40 56 68 65 Mél : anne-sophie.lapointe@sante.gouv.fr Vincent VAUCHEL Tél : 01 40 56 61 41 Mél : vincent.vauchel@sante.gouv.fr Anne PAOLETTI Tél : 01 55 55 90 30 Mél : anne.paoletti@recherche.gouv.fr
Nombre de pages et annexe(s)	8 pages + 4 annexes (82 pages) Annexe 1 : Volet présentation générale du CRMR Annexe 2 : Volet CRMR coordonnateur Annexe 3 : Volet CRMR constitutif Annexe 4 : Volet CCMR
Résumé	La nouvelle labellisation des centres de référence par appel à projets aura pour objectif d'actualiser la liste des CRMR comprenant les centres de référence coordonnateurs et constitutifs et les centres de compétence maladies rares.

Mention Outre-mer	Ces dispositions s'appliquent aux Outre-mer, à l'exception de la Polynésie française, de la Nouvelle Calédonie, et de Wallis et Futuna.
Mots-clés	Labellisation – maladies rares – établissement de santé – centre de référence – centre de compétence – filières de santé maladies rares – associations de patients.
Classement thématique	Etablissements de santé.
Texte(s) de référence	Décret n°2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares Note d'information interministérielle n°DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares Arrêté du 25 novembre 2017 portant labellisation des réseaux des centres de référence prenant en charge les maladies rares RÈGLEMENT (CE) No 141/2000 DU PARLEMENT EUROPÉEN ET DU CONSEIL du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins
Rediffusion locale	Etablissements de santé.
Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 27 mai 2022 – N ° 66	
Document opposable	Oui
Déposée sur le site Légifrance	Non
Publiée au BO	Oui
Date d'application	Immédiate

I. INTRODUCTION

Une maladie rare touche un nombre restreint de personnes, à savoir moins d'une personne sur 2 000 en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin[1].

La labellisation des centres de référence maladies rares (CRMR) doit faciliter l'orientation des personnes malades et de leur entourage et permettre aux professionnels de santé de proposer un parcours de soins pertinent. Ce maillage de CRMR apporte une dynamique forte dans la coordination du parcours de santé sur les territoires, articulée avec les actions portées par l'Europe via les réseaux européens de référence (ERNs). Le troisième plan national maladies rares (PNMR3) a pour objectif de conduire à des améliorations déterminantes du diagnostic, de l'offre de soin, de la compréhension des maladies rares et au développement de traitements efficaces. Les CRMR sont un maillon essentiel dans le déploiement de ces plans nationaux maladies rares. La couverture des territoires ultramarins doit être favorisée conformément aux objectifs du PNMR3.

La présente procédure vise à actualiser la liste de ces CRMR et à reconnaitre leurs sites de centres coordonnateurs et leurs sites de centres constitutifs. Elle est étendue aux centres de compétence maladies rares (CCMR), qui se trouveront ainsi identifiés en lien avec leur CRMR de rattachement. Ainsi, un CRMR est ici défini comme un ensemble organisé en réseau[2], comprenant un centre de référence coordonnateur, un ou plusieurs centres de référence(s) constitutif(s) le cas échéant, et un ou plusieurs CCMR[3].

L'objectif de cet appel à projets est d'identifier les centres situés dans les établissements de santé exerçant une activité dans le champ des maladies rares, répondant ainsi aux missions décrites dans la NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N°DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares[4].

Le dépôt d'un projet de CRMR est justifié par le constat du besoin et de la rareté de l'expertise pour une maladie rare ou un groupe cohérent de maladies rares, par la complexité de la prise en charge et par la nécessité d'organiser une offre de soins structurée permettant d'éviter l'errance diagnostique, thérapeutique et de suivi. Au moment de la candidature, les qualifications et équipements requis par le présent appel à projets doivent exister.

La filière de santé maladie rare (FSMR) contribue à garantir un continuum entre les différents acteurs engagés dans le champ des maladies rares et en premier lieu entre les CRMR qui la composent. La FSMR facilite les échanges, et aide à mutualiser, fédérer toutes les actions qui participent à une meilleure prise en charge des personnes malades. A ce titre, son avis motivé et concerté avec les porteurs de projets de CRMR est indispensable dans le champ des maladies rares qu'elle recouvre.

---

[1] Règlement (CE) no 141/2000 du Parlement européen et du Conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins

[2] Un réseau maladies rares est composé de centres de référence (coordonnateur et/ou constitutif(s)) et de centres de compétence ou de centres de ressources et compétence, qui assurent une prise en charge de qualité et organisent les parcours de santé des personnes concernées ou atteintes de maladies rares en partenariat avec les associations de personnes malades.

[3] Décret n°2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares

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

Les cancers rares et les maladies infectieuses rares ne sont pas dans le champ des maladies rares tel qu'aujourd'hui défini en France, et ne sont donc pas concernés par cet appel à projets.

Les maladies rares relevant des FSMR MUCO-CFTR, MHEMO et FILSLAN sont hors du périmètre du présent appel à projets. Elles font l'objet d'un appel à projet spécifique.

II. MODALITES DE SOUMISSION DES DOSSIERS ET SELECTION DES CANDIDATURES

A. Modalités de soumission des dossiers

Tous les établissements de santé sont concernés par le présent appel à projets.

Un seul et unique dossier de candidature par projet de CRMR doit être constitué. Il doit être composé comme suit :

- Un volet de présentation générale du CRMR assuré par le coordonnateur ;
- Un volet pour le site du CRMR coordonnateur ;
- Un volet pour chaque site de CRMR constitutif ;
- Un volet pour chaque site de CCMR.

Pour chaque projet, l'établissement siège du site du centre coordonnateur candidat pilote l'ensemble de la réponse du CRMR et transmet, via une plateforme en ligne, le dossier complet de candidature du centre de référence coordonnateur (incluant les centres constitutifs et de compétence) à la direction générale de l'offre de soins (DGOS) ainsi qu'à l'agence régionale de santé (ARS) dont il dépend.

Le volet de présentation générale du CRMR, décrivant notamment les modalités de gouvernance, doit être accompagné d'un courrier motivé signé par la FSMR de rattachement émettant un avis sur les missions de recherche, d'expertise, de formation et d'information, et de coordination.

❖ Les CRMR coordonnateurs et constitutifs doivent présenter des courriers détaillant l'avis et l'implication :

- Du responsable médical du centre candidat ;
- Du directeur de l'établissement de santé siège du centre cosigné avec le président de CME, le chef de pôle et le chef de service ;
- Des associations de patients.

❖ Chaque volet consacré à un CCMR est accompagné d'un courrier signé par leur responsable médical, par le directeur de l'établissement de santé dont il relève et si possible par des associations de patients.

La direction de l'établissement dont relève le CRMR devra porter le dossier à la connaissance de la communauté médicale.

Le dossier de candidature complet doit être transmis par l'établissement du CRMR coordonnateur à la DGOS impérativement jusqu'au **13 octobre 2022** à l'adresse suivante :

https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/aap-crmr-ccmr

Le dossier du CRMR coordonnateur devra être transmis à l'ARS (la direction générale et le référent maladies rares de l'ARS) compétente de son territoire sous format dématérialisé.

B. Calendrier de l'appel à projets

- ✓ *13 Octobre 2022 : date limite de dépôt des dossiers de candidature*
- ✓ *Mars 2023 : publication des résultats de l'appel à projets*

C. Conditions de recevabilité des candidatures

→ Le respect des modalités de soumission des dossiers.

→ Un CRMR constitutif devra être relié à un seul CRMR coordonnateur.

→ Un CRMR (coordonnateur et constitutifs) doit assurer l'ensemble des 5 missions des centres de référence, rappelées dans la NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N°DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares.

→ Chaque CRMR (coordonnateur, constitutifs) et CCMR ne doit être rattaché qu'à un seul établissement de santé.

→ Chaque CRMR (coordonnateur, constitutifs) a obligatoirement une activité clinique[5], au minimum de consultation externe, et doit être identifié comme unité fonctionnelle ou de gestion.

→ Chaque CRMR (coordonnateur, constitutifs) doit comprendre une équipe hospitalière assurant une prise en charge pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle.

→ Chaque CCMR doit répondre aux critères définis dans la NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares.

→ Chaque CRMR s'appuie sur une organisation territoriale. Les dossiers de candidature du CRMR coordonnateur doivent intégrer une cartographie permettant d'apprécier le maillage territorial et national proposé.

Cette cartographie identifie le CRMR coordonnateur et les CRMR constitutifs lorsqu'ils existent ainsi que le(s) CCMR rattaché(s).

La réflexion autour du maillage national territorial est conduite en lien avec la FSMR de rattachement du CRMR et sera explicitée dans l'avis adressé par la FSMR.

[5] Chacun des sites (site coordonnateur, site(s) constitutifs, CCMR) d'un CRMR ne peut être un laboratoire ou un plateau technique d'imagerie médicale

→ Le responsable médical d'un centre de référence doit être professeur des universités-praticien hospitalier (PU-PH) ou maître de conférence-praticien hospitalier (MCU-PH) ou praticien hospitalier titulaire et à temps plein. Le responsable s'engage pour coordonner le CRMR (coordonnateur, constitutifs) ou le CCMR pour la durée de labellisation de 5 ans sauf situation exceptionnelle (départ éventuel du responsable de centre pendant la période de labellisation) qui devrait être signalée dès le dépôt du dossier de labellisation.

→ Au sein d'une même FSMR, un responsable médical ne peut coordonner qu'un seul CRMR coordonnateur.

→ La direction de chaque établissement candidat à un CRMR (coordonnateur ou constitutif) devra indiquer les effectifs médicaux et paramédicaux affectés au 31/12/2021. Les frais de structure appliquée à la MIG maladies rares devront être précisés. Il sera également demandé si l'établissement a mis en place une valorisation de l'activité par la gradation des prises en charge ambulatoire[6] et des moyens mobilisés autour du patient.

D. Conditions d'éligibilité des candidatures

Chaque CRMR doit présenter un regroupement pertinent de CRMR constitutifs et de CCMR concernant une maladie rare ou un groupe de maladies rares définis, afin de garantir une expertise et une prise en charge optimales.

D.1. Organisation du CRMR

Si la candidature comprend un ou des CRMR constitutifs en complément du CRMR coordonnateur, il convient de justifier l'existence de chacun :

- Soit, il apporte une complémentarité d'expertise, de recours, de recherche ou de formation pour une ou des maladie(s) rare(s) ou une forme phénotypique particulière d'une maladie rare dans le périmètre du CRMR ;

- Soit, il permet d'assurer la prise en charge pédiatrique ou adulte complémentaire de celle du CRMR coordonnateur et de structurer ainsi la liaison pédiatrie-adulte ;

- Soit, il a les mêmes activités d'expertise, de recours, de recherche ou de formation que le CRMR coordonnateur mais la prévalence ou la diversité des maladies rares concernées par le CRMR légitiment son existence et l'organisation territoriale proposée[7].

[6] INSTRUCTION N° DGOS/R1/DSS/1A/2020/52 du 10 septembre 2020 relative à la gradation des prises en charge ambulatoires réalisées au sein des établissements de santé ayant des activités de médecine, chirurgie, obstétrique et odontologie ou ayant une activité d'hospitalisation à domicile.

[7] La diversité des maladies rares et de leur prévalence et/ou incidence ne permettent pas la définition *a priori* de critères de territorialité communs à tous les CRMR. Néanmoins, la définition d'un maillage territorial adapté est nécessaire, tout en maintenant l'exigence du caractère d'excellence des CRMR.

D.2. Missions et seuils d'activité du CRMR

→ Pour garantir un haut niveau d'expertise et d'excellence dans la prise en charge des patients atteints de maladies rares en France, des seuils minimaux d'activité sont requis pour certaines missions.

La **mission de recours** de l'équipe médicale du CRMR est valorisée par les consultations, hospitalisations de jour (HDJ), et hospitalisations conventionnelles (HC), la file active, les programmes d'éducation thérapeutiques (ETP) déclarés à l'ARS, par les partenariats avec les territoires ultra-marins et l'organisation ou la participation aux réunions de concertation pluridisciplinaire (RCP) dont celles du Plan France Médecine Génomique (PFMG).

Des seuils minimaux annuels sont fixés pour cette mission :

- Un CRMR coordonnateur doit comptabiliser au minimum 300 consultations par an réalisées par l'équipe médicale du CRMR en comptant également les hospitalisations de jour (HDJ). Cela concerne seulement les maladies rares pour lesquelles il est labellisé. Il doit avoir une file active[8] de 150 patients au minimum ;
- Un CRMR constitutif doit comptabiliser au minimum 150 consultations médicales et/ou HDJ, et avoir une file active de 75 patients minimum.

Chaque CRMR (coordonnateur et constitutifs) doit respecter ses seuils d'activité. En deçà de ces seuils, des regroupements doivent être privilégiés pour des maladies rares concernant un même organe ou groupe d'organes et dont la prise en charge requiert des approches diagnostiques, thérapeutiques et de suivis proches.

→ Néanmoins, la candidature d'un CRMR n'atteignant pas les seuils définis ci-dessus pourra être examinée s'il justifie d'un ratio file active/prévalence de la maladie rare concernée significatif et d'une prise en charge nécessitant une expertise spécifique.

La **mission de recherche,** en lien direct avec le domaine d'expertise du CRMR, est valorisée par la production scientifique de l'équipe (rang auteurs, facteur d'impact, score SIGAPS), par les présentations des travaux à des congrès nationaux et internationaux (conférences invitées, présentations orales sélectionnées), l'implication dans des projets financés de recherche nationaux, européens ou internationaux (investigateur principal ou participant) et le développement de dispositif médicaux innovants (brevets) ainsi que la participation à des essais cliniques sur des thérapies innovantes (score SIGREC).

Des seuils minimaux sont fixés pour cette mission :

- Entre 2017 et 2022, un CRMR coordonnateur doit comptabiliser au moins trois publications en lien avec les maladies rares du CRMR avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur, et doit être investigateur principal pour, au minimum, deux projets de recherche financés (ou responsable d'axe thématique dans un projet financé national, européen ou international) ;

[8] La file active correspond au nombre de patients distincts, diagnostiqués ou non, vus dans le centre au cours de l'année et en rapport avec le domaine d'expertise du centre (sont incluses les téléconsultations).

- Entre 2017 et 2022, un CRMR constitutif doit comptabiliser au moins deux publications en lien avec les maladies rares du CRMR avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur, et doit être investigateur principal pour, au minimum, un projet de recherche financé (ou responsable d'axe thématique dans un projet financé national, européen ou international).

La **mission d'expertise** est valorisée par :

- L'élaboration ou la contribution à l'élaboration de guides de bonnes pratiques et de protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS)[9] ;
- L'implication dans des groupes de travail nationaux, européens, dont les ERNs, ou internationaux (guidelines, bases de données, etc.).

Le recueil épidémiologique régulier, notamment par le renseignement de la banque nationale de données maladies rares (BNDMR), est obligatoire pour un CRMR et un CCMR. Le centre s'engage également à compléter la base de données (BNDMR) des personnes sans diagnostic et à participer à l'observatoire des traitements[10].

La **mission d'enseignement et de formation** est valorisée par les enseignements dans le cadre de diplômes universitaires (DU) ou inter-universitaires (DIU), de formations européennes et universitaires et de publications pédagogiques (ouvrages de référence, mise à disposition de ressources en ligne, …).

La **mission de coordination** est valorisée par les projets portés par le CRMR coordonnateur avec les CRMR constitutifs, entre autres pour la mise en place et l'animation d'un réseau de soins et l'organisation de la prise en charge médico-sociale (notamment, la communication, l'élaboration et la mise en œuvre d'un plan d'actions). Cette mission se fait étroitement en relation avec la FSMR de rattachement. Un retour sur l'action de coordination réalisée est requis, tant pour les CRMR coordonnateurs que constitutifs déjà labellisés.

Cette mission de coordination est également construite avec les associations de personnes malades. A ce titre, les candidatures des CRMR intègrent des documents illustrant cette collaboration.

D.3. Missions et seuils d'activité pour un centre de compétence maladies rares (CCMR)

Un CCMR rattaché à un CRMR doit avoir une file active d'au moins 25 patients et une expertise reconnue par le coordonnateur du CRMR de rattachement. Les CCMR participent à la mission de coordination du CRMR, au remplissage de la banque nationale de données maladies rares (BNDMR) et aux RCP dont celles du PFMG.

[9] Méthode d'élaboration d'un protocole national de diagnostic et de soins pour les maladies rares - HAS - octobre 2012
[10] NOTE D'INFORMATION N° DGS/PP2/DGOS/2021/106 du 20 mai 2021 relative à la mise en place d'un observatoire des traitements au sein de chaque filière de santé maladies rares

E. Evaluation des candidatures

L'évaluation des candidatures sera appréciée dans un premier temps par un comité d'experts travaillant en sous-groupes par FSMR. Elle sera effectuée à l'aide d'une grille d'évaluation portant sur les différentes missions des CRMR.

Chaque sous-groupe sera composé de 3 membres ayant une expérience dans le domaine des maladies rares, respectivement (I) un clinicien, (II) un chercheur ou enseignant-chercheur et (III) un référent dans l'organisation des parcours de soins.

Un expert clinicien dans le domaine des maladies rares sera proposé par chacune des FSMR.

Les chercheurs et/ou enseignants-chercheurs du domaine des maladies rares seront désignés par la direction générale de la recherche et de l'innovation (DGRI).

Les référents dans l'organisation des parcours de soins seront désignés par la DGOS et la direction générale de la santé (DGS).

La répartition des dossiers pour les experts sera tirée au sort. Elle pourra être revue de façon à prévenir tout lien d'intérêt.

La DGOS, la DGS et la DGRI réuniront ensuite un jury composé de 10 membres : un président et un vice-président, lesquels sont à la fois cliniciens et enseignants-chercheurs, un directeur d'hôpital, un représentant des ARS, un doyen de faculté de médecine, un membre du Haut conseil de la santé publique (HCSP), un membre du Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur (HCERES), un représentant d'association de malades et deux animateurs de FSMR.

Les membres du jury concernés par une candidature de CRMR ou impliqués dans une FSMR ne participeront pas aux délibérations et ne se prononceront sur aucune candidature rattachée à cette FSMR.

Chaque expert ou membre du jury remettra à la DGOS sa déclaration publique d'intérêts dûment complétée avant de participer aux réunions.

La DGOS assurera le secrétariat de ce jury.

Le jury pourra ne pas retenir en l'état certaines candidatures de CRMR et formuler des demandes de modifications ou des compléments d'information au porteur de la candidature.

Le porteur et les établissements concernés disposeront alors d'un délai de 1 mois pour répondre aux éventuelles demandes du jury.

F. Décision de labellisation, de suivi et de renouvellement

La décision de labellisation des CRMR sera prise par la DGOS, en accord avec la DGS et la DGRI. La labellisation sera valable **5 ans**. Les conditions de suivi et de labellisation seront assurées par le comité de suivi de labellisation (CSL) réunissant toutes les parties prenantes maladies rares.

La NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares décrit les modalités de suivi qui seront mises en place :

- → Obligation de renseignement du set minimal de données de la BNDMR par chaque centre d'un CRMR (coordonnateur et constitutifs) et CCMR ;
- → Conditions de succession dans les fonctions de responsable médical d'un centre de référence (coordonnateur et constitutif) ou centre de compétence.

Le non-respect de ces modalités de suivi par les CRMR labellisés ou, par l'un de leurs centres, pourra entraîner la suspension provisoire ou définitive de tout ou partie du financement, voire le retrait de la labellisation après avis du CSL et de la direction générale de la DGOS.

G. Notification, publication et diffusion

Les décisions seront notifiées aux établissements sièges des différents centres (coordonnateur et constitutifs, CCMR) et aux ARS (directions et référents maladies rares des ARS).

Un arrêté fixant la liste des CRMR labellisés (coordonnateur et constitutifs) et CCMR sera publié conformément au décret n°2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares.

H. Modalités de financement

Les établissements sièges des CRMR coordonnateur et constitutif labellisés sont éligibles au financement par une mission d'intérêt général (MIG) dédiée.

Pour le ministre et par délégation :
directrice générale de l'offre de soins par interim,

Cécile LAMBERT

Pour la ministre et par délégation :
directrice générale de la recherche et de l'innovation,

Claire GIRY

GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

ANNEXE 1 - VOLET « PRESENTATION GENERALE DU CRMR »[11]

Nom du CRMR[12] candidat :

[11] Cette annexe est à remplir par le CRMR coordonnateur
[12] CRMR : centre de référence maladies rares

Etablissement de santé siège du CRMR coordonnateur du CRMR candidat (exemple : AP-HP. Université Paris Saclay ; CHU Bordeaux…)) :

Le cas échéant, site hospitalier du CRMR coordonnateur du CRMR candidat (exemple : Bicêtre ; Pellegrin) :

Adresse du site hospitalier du CRMR coordonnateur du CRMR candidat :

FINESS juridique :

FINESS géographique :

Directeur de l'établissement de santé ou le directeur de site pour l'AP-HP :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Responsable médical du CRMR candidat :

Courriel professionnel :

Téléphone :

FSMR de rattachement[13] du CRMR candidat :

Ce CRMR était-il déjà rattaché à cette FSMR ?

□ Oui

□ Non

Si non, précisez pourquoi :

Existe-t-il un site internet dédié à l'activité du CRMR candidat ?

□ Oui

Si oui, adresse web :

□ Non

Existe-t-il un numéro d'urgence dédié à l'activité du CRMR candidat ?

□ Oui

Si oui, plage de permanence :

□ Non

Le CRMR candidat a-t-il déjà fait l'objet d'une labellisation dans le cadre d'un PNMR[14] ?

□ Oui

[13] FSMR : filière de santé maladies rares

[14] PNMR : Plan national maladies rares

Nom actuel du CRMR

Année de la dernière labellisation AAAA

Explicitez le cas échéant les évolutions de périmètre :

Maximum 500 mots

□ Non

Actions significatives menées entre 2017 et 2022 par le CRMR candidat :

500 mots maximum

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e) en charge par le CRMR candidat :

Liste détaillée des maladies rares ou regroupement de maladies prises en charge[15], avec leur prévalence[16] :

Maladie rare	Prévalence (X/100 000)

Description du parcours de soins pour la maladie rare la plus fréquemment prise en charge dans le CRMR candidat :

500 mots maximum

[15] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum)

[16] Moins d'une personne sur 2 000 (50 / 100 000) en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin.

Liste des CRMR constitutifs du CRMR candidat :

S'il a un ou plusieurs CRMR(s) constitutif(s), renseignez le tableau ci-dessous en précisant pour chacun le motif de création :

□ Motif 1 : Le(s) CRMR constitutif(s) 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.

□ Motif 2 : Le(s) CRMR constitutif(s) permet d'assurer la prise en charge pédiatrique ou adulte complémentaire de celle du CRMR coordonnateur et structurer ainsi la liaison pédiatrie-adulte.

□ Motif 3 : Le(s) CRMR constitutif(s) a les mêmes activités d'expertise, de recours, de recherche ou de formation que le CRMR coordonnateur mais la prévalence ou la diversité des maladies rares concernées par le CRMR légitiment son existence et l'organisation territoriale proposée.

Nom du CRMR constitutif	Responsable médical	Etablissement de santé	Motif (1, 2 ou 3)

Si le CRMR candidat n'a pas de CRMR constitutif, cochez la case ci-contre : □

Justifiez la présence ou l'absence de CRMR constitutif :

500 mots maximum

Liste des CCMR du CRMR candidat :

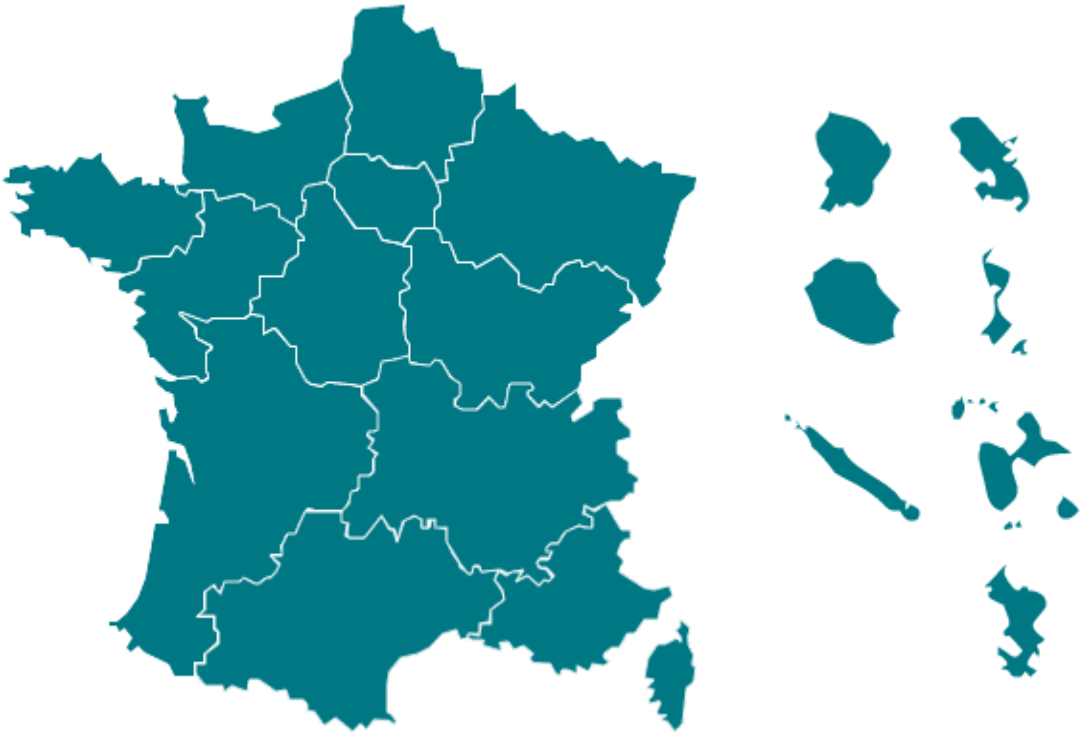
Nom du CCMR	Responsable médical	Etablissement de santé

Si le CRMR candidat n'a pas de centre(s) de compétence (CCMR), cochez la case ci-contre : □

Justifiez la présence ou l'absence de CCMR :

500 mots maximum

Présentez une carte de France, localisant les différents centres du CRMR, en respectant le code couleur suivant : CRMR coordonnateur (point rouge), CRMR constitutif (point vert), CCMR (point bleu).



Mission de coordination

Présentez la gouvernance du CRMR candidat[17] :

500 mots maximum

Précisez comment les associations participent à la gouvernance et à la coordination du CRMR :

500 mots maximum

[17] Il est conseillé d'intégrer un organigramme en réponse à cet item et/ou un maximum de 500 mots.

Présentez le projet du CRMR candidat sur les 5 années à venir, en articulation avec celui de la FSMR de rattachement :

5 objectifs prioritaires et 5 actions en rapport avec les missions des CRMR.

Les critères d'atteinte doivent être précisés.

L'articulation avec les objectifs et actions de la FSMR doivent être explicités.

500 mots maximum

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné) :

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CRMR pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Organisation des soins ville-hôpital :

Exemple : descriptif, relation avec le médecin traitant, les soins infirmiers, les kinésithérapeutes…

500 mots maximum

Mission d'expertise

Liste des PNDS élaborés par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

Liste des guides de bonnes pratiques français, européens ou internationaux élaborés par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat ou auxquels il a participé entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat organise-t-il des RCP[18] ?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Fréquence annuelle	Portée (locale, régionale, nationale, européenne,…)	Type (génomique, diagnostique, thérapeutique, moléculaire, clinique …)

□ Non

[18] RCP : réunions de concertation pluridisciplinaire

Mission de recours

Nombre de patients dans la file active[19] de l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat en 2021 :

Nombre de consultations médicales[20] réalisées par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat en 2021 :

Nombre de séjours en hospitalisation de jour réalisés par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat en 2021 :

Nombre de séjours en hospitalisation complète réalisés par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat en 2021 :

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat a-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins au cours des 5 dernières années ?

□ Oui
□ Non

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat prescrit-il régulièrement des médicaments hors AMM[21] ?

□ Oui
□ Non

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat a-t-il mené au cours des 5 dernières années des programmes d'éducation thérapeutique autorisés par l'ARS ?

□ Oui
□ Non

[19] La file active correspond au nombre de patients distincts, diagnostiqués ou non, vus dans le centre au cours de l'année et en rapport avec le domaine d'expertise du centre (sont incluses les téléconsultations).
[20] Les téléconsultations sont à inclure dans les consultations médicales.
[21] AMM : autorisation de mise sur le marché

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat organise-t-il des consultations avancées[22] ?

□ Oui
□ Non

L'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat organise-t-il une prise en charge particulière pour les patients des territoires ultramarins ?

□ Oui
□ Non

Mission de recherche

Nombre de projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est investigateur principal pour l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat entre 2017 et 2022 :

Nombre de publications de l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR en lien avec la(les) maladie(s) rare(s) concernée(s) avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur entre 2017 et 2022 :

Nombre de points SIGAPS cumulés entre 2017 et 2022 par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat :

Nombre de points SIGREC cumulés entre 2017 et 2022 par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat :

[22] Consultation réalisée par un membre du CRMR dans un autre établissement de santé que celui de rattachement du CRMR.

Texte libre relatif à la recherche dans l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat (texte libre) (ex. exposé des programmes de recherche) :

500 mots maximum

Mission d'enseignement et de formation

Liste des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) mis en place par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat entre 2017 et 2022 :

Intitulé	Date de création	En cours en 2022
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

Liste des formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2021 par l'ensemble des CRMR (coordonnateurs et constitutifs) et CCMR du CRMR candidat :

Liste des formations organisées à l'échelle européenne (ERN et autres) ou internationale :

Liste des formations ou manifestations organisées pour et avec les associations de malades :

Texte libre relatif à la candidature du CRMR en matière d'enseignement et de formation (développez les autres actions d'enseignement et de formation s'il y a lieu) :

500 mots maximum

***Joindre un courrier motivé signé par la FSMR de rattachement émettant un avis sur les missions de coordination, de recherche, d'expertise, de recours, de formation et d'enseignement du CRMR.**

GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

ANNEXE 2 - VOLET DE PRESENTATION « CRMR COORDONNATEUR »

NB : Pour garantir un haut niveau d'expertise et d'excellence dans la prise en charge des patients atteints de maladies rares en France, des seuils minimaux d'activité sont requis pour certaines missions. Ces missions sont marquées d'une astérisque *.

Nom du CRMR[23] candidat :

Nom du CRMR coordonnateur du CRMR candidat :

Ce CRMR était-il déjà labellisé comme coordonnateur en 2017 ?

□ Oui

□ Non

[23] CRMR : centre de référence maladies rares

Etablissement de santé siège du CRMR coordonnateur (ex. AP-HP. Université Paris Saclay ; CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

Adresse du site hospitalier du CRMR coordonnateur *:*

FINESS juridique :

FINESS géographique :

Directeur de l'établissement de santé ou le directeur de site pour l'AP-HP :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Pôle de rattachement du CRMR coordonnateur :

Service de rattachement du CRMR coordonnateur :

Identification du CRMR coordonnateur comme unité fonctionnelle ou de gestion :

□ Oui

□ Non

Courriel du CRMR coordonnateur :

Téléphone du CRMR coordonnateur :

Horaires d'ouverture du CRMR coordonnateur :

Responsable médical du CRMR coordonnateur :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Etes-vous titulaire ?

□ Oui
□ Non

Statut :

□ PU-PH[24]
□ PH[25]
□ MCU-PH[26]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre, précisez la quotité : XX%

[24] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier
[25] PH : praticien hospitalier
[26] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Spécialité médicale exercée :

Exercez-vous au sein d'un autre établissement ?

□ Oui
□ Non

Si oui, précisez quel(s) établissement(s) :

Date de naissance du responsable médical : JJ/MM/AAAA

Départ prévu pendant la période de labellisation ?

□ Oui
□ Non

Si oui, pour quelle(s) raison(s) ?

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme CRMR coordonnateur

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CRMR constitutif

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CCMR[27]

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Non

[27] CCMR : centre de compétence maladies rares

Le CRMR coordonnateur est-il mixte dans la prise en charge à la fois d'enfants et d'adultes ?

□ Oui

Si oui, indiquez un référent médical enfants ou adultes n'étant pas responsable médical du CRMR :

Référent médical	Spécialité médicale	Service de rattachement

□ Non

Etes-vous membre d'un Réseau Européen de Référence (ERN) [28] ?

□ Oui, comme centre de référence (HcP) de cet ERN

Nom de l'ERN :

□ Oui, comme membre associé à un consortium de cet ERN

Nom de l'ERN :

□ Non

Collaborez-vous avec une unité de recherche labellisée (INSERM, CNRS…) ?

□ Oui

Si oui, liste de ces unités de recherche :

Nom	Formalisation du partenariat

□ Non

[28] RER : réseau européen de référence – ERN : European Reference Network

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e) en charge par le CRMR coordonnateur :

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[29], avec leur prévalence[30] :

Maladie(s) rare(s)	Prévalence (X/100 000)

Nature du CRMR coordonnateur :

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

[29] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum).

[30] Moins d'une personne sur 2 000 (50 / 100 000) en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin.

La prise en charge par le CRMR coordonnateur nécessite une équipe hospitalière avec des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques, soins de suite et réadaptation ou non médicales). Sont-elles dans le même établissement de santé que le CRMR ?

□ Oui

Si oui, liste des spécialités actuellement disponibles (précisez les modalités de rattachement avec le CRMR coordonnateur : même site, même pôle, même service) :

Spécialités médicales ou non médicales	Site hospitalier	Pôle (DMU pour l'AP-HP)	Service

□ Non

Si non, quelles sont les alternatives ? (établissements ou professionnels partenaires, formalisation)

Spécialités médicales ou non médicales	Nom de l'établissement et site hospitalier, le cas échéant

Précisez les effectifs en équivalent temps plein (ETP) médicaux et non médicaux affectés au CRMR coordonnateur au 31 décembre 2021 :

Métier / statut	ETP PM (personnel médical)	ETP PNM (personnel non médical)

De nouveaux métiers seraient-ils nécessaires à la prise en charge au sein du CRMR coordonnateur ?

□ Oui
□ Non

Si oui, précisez le(s)quel(s) :

Précisez le pourcentage de frais de structure appliqué à la MIG maladies rares dédié au CRMR coordonnateur : XX%

Avez-vous mis en place au sein du CRMR coordonnateur une valorisation de l'activité par la gradation des prises en charge ambulatoire[31] ?

□ Oui

□ Non

Vous pouvez indiquer ici tout moyen autre qu'humain mobilisé autour du patient au bénéfice du CRMR coordonnateur (exemple : locaux, équipements…) :

500 mots maximum

[31] INSTRUCTION N° DGOS/R1/DSS/1A/2020/52 du 10 septembre 2020 relative à la gradation des prises en charge ambulatoires réalisées au sein des établissements de santé ayant des activités de médecine, chirurgie, obstétrique et odontologie ou ayant une activité d'hospitalisation à domicile.

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du CRMR coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, comme elle désigne un projet d'ensemble, elle est à renseigner dans la partie « Mission de coordination » du volet de présentation générale du CRMR candidat. Ceci pour les items suivants :

- La gouvernance du CRMR candidat ;
- Le plan d'actions du CRMR candidat ;
- Le rôle du CRMR candidat au sein de sa FSMR de rattachement.

Les items ci-dessous sont à renseigner de façon synthétique dans le volet de présentation générale du CRMR candidat et de façon détaillée dans le présent volet.

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné) :

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CRMR coordonnateur pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Organisation des soins ville-hôpital :

Exemple : descriptif, relation avec le médecin traitant, les soins infirmiers, les kinésithérapeutes…

500 mots maximum

Participation des associations de personnes malades :

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)	Modalités de participation de l'association (accompagnement, éducation à la santé, soutien psychologique, autre)	Modalités de diffusion de l'information auprès des associations par le CRMR coordonnateur

La présente candidature doit intégrer des documents illustrant cette collaboration avec les associations de patients.*

Mission d'expertise

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de PNDS[32] par le CRMR coordonnateur entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

PNDS en cours d'élaboration (ou participation à l'élaboration) par le CRMR coordonnateur :

Titre

PNDS à réaliser ou à actualiser :

Titre	
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux par le CRMR coordonnateur entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

Guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux dont l'élaboration est en cours par le CRMR coordonnateur (ou à laquelle il participe) :

Titre

[32] PNDS : protocoles nationaux de diagnostic et de soins

Implication dans des groupes de travail nationaux, européens ou internationaux :

Titre	Echelle

Des actions de formation à la saisie des données dans BaMaRa sont-elles engagées par le CRMR coordonnateur ?

□ Oui

□ Non

*Confirmez-vous que la saisie par le CRMR coordonnateur du set de données minimum de la BNDMR est systématique ?[33]

□ Oui

La saisie est-elle :

□ Complète

□ Partielle

□ Non

Si non ou si partielle, pour quelle(s) raison(s)?

Participez-vous à l'observatoire du diagnostic[34] ?

□ Oui

□ Non

Participez-vous à l'observatoire des traitements[35] ?

□ Oui

□ Non

[33] Les CRMR coordonnateurs ont l'obligation de renseigner le set minimal de données de la BNDMR, cf. NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares.

[34] Actions 1.4 et 1.7 du PNMR 3

[35] NOTE D'INFORMATION N° DGS/PP2/DGOS/2021/106 du 20 mai 2021 relative à la mise en place d'un observatoire des traitements au sein de chaque filière de santé maladies rares

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR ?

□ Oui

□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données (RADICO, base de données action 3.2 PNMR3, …), la date de sa déclaration à la CNIL[36] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base de données	Etablissements	Mode de financement	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits	Maladies
				□ Oui □ Non	
				□ Oui □ Non	
				□ Oui □ Non	

Précisez le nom du DPI[37] utilisé par le CRMR coordonnateur ?

Le CRMR coordonnateur organise-t-il des RCP[38] ?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Type (génomique, diagnostique, thérapeutique, moléculaire, clinique…)	Portée (locale, régionale, nationale, européenne)

Année	Nombre de RCP locales ou régionales dont le centre est l'organisateur	Nombre de RCP nationales auxquelles le centre participe et donnant lieu à un compte rendu écrit et diffusé de RCP
2020		
2021		

[36] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés

[37] DPI : dossier patient informatisé

[38] RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire

□ Non

Si non, prévoyez-vous d'en organiser ?

□ Oui

□ Non

Avez-vous une ou plusieurs préindication(s) d'accès au diagnostic génomique (SeqOIA, AURAGEN) dans le champ des maladies rares de votre CRMR ?

□ Oui

Si oui, précisez laquelle ou lesquelles :

Préindication

□ Non

Listez par préindications combien votre CRMR a prescrit de dossier en 2021 :

Préindication	Nombre de prescriptions en 2021

Coordonnez-vous une RCP génomique ?

□ Oui

Si oui, laquelle ou lesquelles :

□ Non

Mission de recours

*Nombre de patients dans la file active[39] du CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

*Nombre de consultations médicales et d'hospitalisations de jour réalisées par le CRMR coordonnateur (somme des questions a, b et c) :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

a. Nombre de consultations médicales en présentiel[40] réalisées par le CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

b. Nombre de téléconsultations réalisées par le CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

c. Nombre de séjours en hospitalisation de jour[41] réalisés par le CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Nombre de séjours en hospitalisation complète[42] réalisés par le CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

[39] La file active correspond au nombre de patients distincts, diagnostiqués ou non, vus dans le centre au cours de l'année et en rapport avec le domaine d'expertise du centre (sont incluses les téléconsultations).
[40] Sont à inclure les éventuelles consultations avancées.
[41] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations de jours en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.
[42] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations complètes en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.

Nombre de consultations pluriprofessionnelles réalisées par le CRMR coordonnateur :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Le CRMR coordonnateur organise-t-il des consultations avancées[43] ?

□ Oui

Si oui, lieu et fréquence :

Lieu	Fréquence

□ Non

Nombre d'avis d'expertise rendus par le CRMR coordonnateur sur dossier médical (hors RCP) :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Activité de télémédecine[44] :

Le CRMR coordonnateur effectue-t-il des actes de télé-expertise[45]?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Combien d'actes de télé-expertise ont-ils été effectués en 2021 ?		

[43] Consultation réalisée par un membre du CRMR dans un autre établissement de santé que celui de rattachement du CRMR.

[44] Décret n° 2010-1929 du 19 octobre 2010 relatif à la télémédecine et décret n° 2021-707 du 3 juin 2021 relatif à la télésanté

[45] La téléexpertise permet à un professionnel de santé de solliciter, à distance par messagerie ou tout autre outil sécurisé, l'avis d'un ou plusieurs professionnels de santé médicaux face à une situation médicale donnée (lecture de diagnostic, analyses, avis sur un traitement…). La question posée et la réponse apportée, hors présence du patient, n'interviennent pas forcément de manière simultanée.

Le CRMR coordonnateur effectue-t-il des actes de téléconsultation[46]?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Combien d'actes de téléconsultation ont-ils été effectués en 2021 ?		

A titre indicatif, indiquez le pourcentage de patients de la file active hors-région :

XX%

Le CRMR coordonnateur réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le CRMR coordonnateur :

Le CRMR coordonnateur a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[47] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le CRMR coordonnateur :

[46] La téléconsultation est une consultation à distance entre un professionnel médical et son patient via l'utilisation des technologies de l'information et de la communication. Il est recommandé par la HAS que les téléconsultations soient réalisées par vidéotransmission.

[47] AMM : autorisation de mise sur le marché

Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le CRMR coordonnateur et autorisés par l'ARS entre 2017 et 2022 :

Nombre de programmes :

Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme

Le CRMR coordonnateur a-t-il des relations organisées avec les territoires ultramarins ?

□ Oui

Si oui, précisez :

300 mots maximum

□ Non

Mission de recherche

Investigations : recensement des projets de recherche nationaux, européens ou internationaux du CRMR coordonnateur du CRMR candidat[48] entre 2017 et 2022 :

*Projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est investigateur principal :

Dimension territoriale du projet	□ nationale □ européenne □ internationale
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le CRMR coordonnateur du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Recherche en Sciences Humaines et Sociales □ Autre, précisez :

[48] Les projets à lister sont ceux qui, pendant la période couverte par l'enquête, se trouvaient dans la période comprise entre leur instruction ou mise en œuvre dans le CRMR coordonnateur, et le dernier suivi du dernier patient à inclure. Les projets à lister sont tous ceux qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le CRMR coordonnateur est expert (DGOS, Fondations, RER/ERN...).

Autres projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est responsable d'axe thématique ou investigateur associé :

Le CRMR coordonnateur est-il porteur du projet ?	□ Oui □ Non
Si non, indiquez le porteur du projet	
Place occupée par l'équipe médicale du CRMR coordonnateur	□ Responsable d'axe thématique □ Investigateur associé
Dimension territoriale du projet	□ nationale □ européenne □ internationale
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le CRMR coordonnateur du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Recherche en Sciences Humaines et Sociales □ Autre, précisez :

Nombre de points SIGREC du CRMR coordonnateur :

En 2021 :

Entre 2017 et 2022[49] :

Le CRMR a-t-il déposé des brevets entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, nombre de brevets déposés entre 2017 et 2022 :

□ Non

Publications : recensement des principales publications publiées entre 2017 et 2022[50] (au format Pubmed)

*Publications en lien avec les maladies rares du CRMR coordonnateur avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur :

Publication (au format Pubmed)	Rang auteurs	Facteur d'impact	Score SIGAPS

Autres publications scientifiques d'intérêt de l'équipe entre 2017 et 2022 :

Publication (au format Pubmed)	Rang auteurs	Facteur d'impact	Score SIGAPS

Nombre de points SIGAPS du CRMR coordonnateur :

En 2021 :

Entre 2017 et 2022[51] :

[49] Il s'agit de la somme cumulée des points entre 2017 et 2022.

[50] Les publications à lister sont celles qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le CRMR coordonnateur est expert et pour lesquelles un membre du CRMR coordonnateur est dans la liste des auteurs. Inscrire en gras les auteurs membres du CRMR coordonnateur.

[51] Il s'agit de la somme cumulée des points entre 2017 et 2022.

Exposé du ou des programme(s) de recherche du CRMR coordonnateur :

500 mots maximum

Mission d'enseignement et de formation

Le CRMR coordonnateur a-t-il mis en place des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Intitulé	Date de création	En cours en 2022
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

□ Non

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2021 par le CRMR coordonnateur :

Intitulé	Public concerné	Nombre d'heure/an

Le CRMR coordonnateur a-t-il accueilli des étudiants entre 2017 et 2022, en lien avec une unité de recherche ?

□ Oui

Si oui, indiquez le nombre d'étudiants accueillis par niveau :

Etudiants en master	
Etudiants en doctorat	
Etudiants en post-doctorat	

□ Non

Le CRMR coordonnateur a-t-il publié du contenu pédagogique (ouvrages de référence, mise à disposition de ressources en ligne, …) entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Intitulé	Date de publication	Type/nature de la publication

□ Non

Le CRMR coordonnateur a-t-il organisé des congrès nationaux, européens ou internationaux entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Congrès	Titre	Année	Lieu	Acte
Congrès national				
Congrès européen				
Congrès international				

□ Non

Le CRMR coordonnateur du CRMR candidat a-t-il réalisé des communications entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Titre de la conférence	Année	Lieu	Qualité de l'intervenant	Portée
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale

□ Non

Texte libre relatif à la candidature du CRMR coordonnateur (le cas échéant, développez les autres actions d'enseignement et de formation, par exemple à destination des associations) :

500 mots maximum

***<u>Joindre des courriers détaillant l'avis et l'implication</u> :**

- **Du directeur de l'établissement de santé siège du CRMR coordonnateur du CRMR candidat cosigné avec le président de CME, le chef de pôle et le chef de service *;***
- **Du responsable médical du centre candidat *;***
- **Des associations de patients*.***

GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

ANNEXE 3 - VOLET DE PRESENTATION « CRMR CONSTITUTIF »

NB : Pour garantir un haut niveau d'expertise et d'excellence dans la prise en charge des patients atteints de maladies rares en France, des seuils minimaux d'activité sont requis pour certaines missions. Ces missions sont marquées d'une astérisque *.

Nom du CRMR[52] candidat :

Nom du CRMR constitutif du CRMR candidat :

Ce CRMR était-il déjà labellisé comme constitutif en 2017 ?

□ Oui

□ Non

[52] CRMR : centre de référence maladies rares

Etablissement de santé siège du CRMR constitutif (ex. AP-HP. Université Paris Saclay ; CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

Adresse du site hospitalier du CRMR constitutif :

FINESS juridique :

FINESS géographique :

Directeur de l'établissement de santé ou le directeur de site pour l'AP-HP :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Pôle de rattachement du CRMR constitutif :

Service de rattachement du CRMR constitutif :

Identification du CRMR constitutif comme unité fonctionnelle ou de gestion :

□ Oui

□ Non

Courriel du CRMR constitutif :

Téléphone du CRMR constitutif :

Horaires d'ouverture du CRMR constitutif :

Responsable médical du CRMR constitutif :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Etes-vous titulaire ?

□ Oui
□ Non

Statut :

□ PU-PH[53]
□ PH[54]
□ MCU-PH[55]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre, précisez la quotité : XX%

[53] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier
[54] PH : praticien hospitalier
[55] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Spécialité médicale exercée :

Exercez-vous au sein d'un autre établissement ?

□ Oui
□ Non

Si oui, précisez quel(s) établissement(s) :

Date de naissance du responsable médical : JJ/MM/AAAA

Départ prévu pendant la période de labellisation ?

□ Oui
□ Non

Si oui, pour quelle(s) raison(s) ?

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme CRMR coordonnateur

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CRMR constitutif

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CCMR[56]

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Non

[56] CCMR : centre de compétence maladies rares

Le CRMR coordonnateur est-il mixte dans la prise en charge à la fois d'enfants et d'adultes ?

□ Oui

Si oui, indiquez un référent médical enfants ou adultes n'étant pas responsable médical du CRMR :

Référent médical	Spécialité médicale	Service de rattachement

□ Non

Etes-vous membre d'un Réseau Européen de Référence (ERN) [57] ?

□ Oui, comme centre de référence (HcP) de cet ERN

Nom de l'ERN :

□ Oui, comme membre associé à un consortium de cet ERN

Nom de l'ERN :

□ Non

Collaborez-vous avec une unité de recherche labellisée (INSERM, CNRS…) ?

□ Oui

Si oui, liste de ces unités de recherche :

Nom	Formalisation du partenariat

□ Non

[57] RER : réseau européen de référence – ERN : European Reference Network

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e) en charge par le CRMR constitutif :

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[58], avec leur prévalence[59] :

Maladie(s) rare(s)	Prévalence (X/100 000)

Nature du CRMR constitutif :

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

[58] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum)

[59] Moins d'une personne sur 2 000 (50 / 100 000) en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin.

La prise en charge par le CRMR constitutif nécessite une équipe hospitalière avec des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques, soins de suite et réadaptation ou non médicales). Sont-elles dans le même établissement de santé que le CRMR ?

□ Oui

Si oui, liste des spécialités actuellement disponibles (précisez les modalités de rattachement avec le CRMR constitutif : même site, même pôle, même service) :

Spécialités médicales ou non médicales	Site hospitalier	Pôle (DMU pour l'AP-HP)	Service

□ Non

Si non, quelles sont les alternatives ? (établissements ou professionnels partenaires, formalisation)

Spécialités médicales ou non médicales	Nom de l'établissement et du site hospitalier, le cas échéant

Précisez les effectifs en équivalent temps plein (ETP) médicaux et non médicaux affectés au CRMR constitutif au 31 décembre 2021 :

Métier / statut	ETP PM (personnel médical)	ETP PNM (personnel non médical)

De nouveaux métiers seraient-ils nécessaires à la prise en charge au sein du CRMR constitutif ?

□ Oui
□ Non

Si oui, précisez le(s)quel(s) :

Précisez le pourcentage de frais de structure appliquée à la MIG maladies rares dédié au CRMR constitutif : XX%

Avez-vous mis en place au sein du CRMR constitutif une valorisation de l'activité par la gradation des prises en charge ambulatoire[60] ?

□ Oui

□ Non

Vous pouvez indiquer ici tout moyen autre qu'humain mobilisé autour du patient au bénéfice du CRMR constitutif (exemple : locaux, équipements…) :

500 mots maximum

[60] INSTRUCTION N° DGOS/R1/DSS/1A/2020/52 du 10 septembre 2020 relative à la gradation des prises en charge ambulatoires réalisées au sein des établissements de santé ayant des activités de médecine, chirurgie, obstétrique et odontologie ou ayant une activité d'hospitalisation à domicile.

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du CRMR coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, les items ci-dessous sont à renseigner également par un CRMR constitutif candidat.

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné) :

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CRMR constitutif pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Organisation des soins ville-hôpital :

Exemple : descriptif, relation avec le médecin traitant, les soins infirmiers, les kinésithérapeutes…

500 mots maximum

Participation des associations de personnes malades :

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)	Modalités de participation de l'association (accompagnement, éducation à la santé, soutien psychologique, autre)	Modalités de diffusion de l'information auprès des associations par le CRMR constitutif

La présente candidature doit intégrer des documents illustrant cette collaboration avec les associations de patients.*

Mission d'expertise

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de PNDS[61] par le CRMR constitutif entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

PNDS en cours d'élaboration (ou participation à l'élaboration) par le CRMR constitutif :

Titre

PNDS à réaliser ou à actualiser :

Titre	
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser
	□ A actualiser □ A réaliser

Elaboration (ou participation à l'élaboration) de guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux par le CRMR constitutif entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

Guides de bonnes pratiques nationaux, européens et internationaux dont l'élaboration est en cours par le CRMR constitutif (ou à laquelle il participe) :

Titre

[61] PNDS : protocoles nationaux de diagnostic et de soins

Implication dans des groupes de travail nationaux, européens ou internationaux :

Titre	Echelle

Des actions de formation à la saisie des données dans BaMaRa sont-elles engagées par le CRMR constitutif ?

□ Oui

□ Non

*Confirmez-vous que la saisie par le CRMR constitutif du set de données minimal de la BNDMR est systématique ?[62]

□ Oui

La saisie est-elle :

□ Complète

□ Partielle

□ Non

Si non ou si partielle, pour quelle(s) raison(s) ?

Participez-vous à l'observatoire du diagnostic[63] ?

□ Oui

□ Non

Participez-vous à l'observatoire des traitements[64] ?

□ Oui

□ Non

[62] Les CRMR constitutifs ont l'obligation de renseigner le set minimal de données de la BNDMR, cf. NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares.

[63] Actions 1.4 et 1.7 du PNMR 3

[64] NOTE D'INFORMATION N° DGS/PP2/DGOS/2021/106 du 20 mai 2021 relative à la mise en place d'un observatoire des traitements au sein de chaque filière de santé maladies rares

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR ?

□ Oui

□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données (RADICO, base de données action 3.2 PNMR3,…), la date de sa déclaration à la CNIL[65] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base de données	Etablissements	Mode de financement	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits	Maladies
				□ Oui □ Non	
				□ Oui □ Non	
				□ Oui □ Non	

Précisez le nom du DPI[66] utilisé par le CRMR constitutif ?

Le CRMR constitutif organise-t-il des RCP[67] ?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Nombre de RCP organisées au cours de l'année 2021	Type (génomique, diagnostique, thérapeutique, moléculaire, clinique…)	Portée (locale, régionale, nationale, européenne)

[65] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés

[66] DPI : dossier patient informatisé

[67] RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire

Année	Nombre de RCP locales ou régionales dont le centre est l'organisateur	Nombre de RCP nationales auxquelles le centre participe et donnant lieu à un compte rendu écrit et diffusé de RCP
2020		
2021		

□ Non

Si non, prévoyez-vous d'en organiser ?

□ Oui

□ Non

Avez-vous une ou plusieurs préindication(s) d'accès au diagnostic génomique (SeqOIA, AURAGEN) dans le champ des maladies rares de votre CRMR ?

□ Oui

Si oui, précisez laquelle ou lesquelles :

Préindication

□ Non

Listez par préindications combien votre CRMR a prescrit de dossier en 2021 :

Préindication	Nombre de prescriptions en 2021

Coordonnez-vous une RCP génomique ?

□ Oui

Si oui, laquelle ou lesquelles :

□ Non

Mission de recours

*Nombre de patients dans la file active[68] du CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

*Nombre de consultations médicales et hospitalisations de jour réalisées par le CRMR constitutif (somme des questions a, b et c) :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

a. Nombre de consultations médicales en présentiel[69] réalisées par le CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

b. Nombre de téléconsultations réalisées par le CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

c. Nombre de séjours en hospitalisation de jour[70] réalisés par le CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Nombre de séjours en hospitalisation complète[71] réalisées par le CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

[68] La file active correspond au nombre de patients distincts, diagnostiqués ou non, vus dans le centre au cours de l'année et en rapport avec le domaine d'expertise du centre (sont incluses les téléconsultations).
[69] Sont à inclure les éventuelles consultations avancées.
[70] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations de jours en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.
[71] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations complètes en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.

Nombre de consultations pluriprofessionnelles réalisées par le CRMR constitutif :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Le CRMR constitutif organise-t-il des consultations avancées[72] ?

□ Oui

Si oui, lieu et fréquence :

Lieu	Fréquence

□ Non

Nombre d'avis d'expertise rendus par le CRMR constitutif sur dossier médical (hors RCP) :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Activité de télémédecine[73] :

Le CRMR constitutif effectue-t-il des actes de télé-expertise[74]?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Combien d'actes de télé-expertise ont-ils été effectués en 2021 ?		

[72] Consultation réalisée par un membre du CRMR dans un autre établissement de santé que celui de rattachement du CRMR.

[73] Décret n° 2010-1929 du 19 octobre 2010 relatif à la télémédecine et décret n° 2021-707 du 3 juin 2021 relatif à la télésanté

[74] La téléexpertise permet à un professionnel de santé de solliciter, à distance par messagerie ou tout autre outil sécurisé, l'avis d'un ou plusieurs professionnels de santé médicaux face à une situation médicale donnée (lecture de diagnostic, analyses, avis sur un traitement…). La question posée et la réponse apportée, hors présence du patient, n'interviennent pas forcément de manière simultanée.

Le CRMR constitutif effectue-t-il des actes de téléconsultation[75]?	□ Oui	□ Non
Si oui, la traçabilité des actes est-elle effective ?	□ Oui	□ Non
Combien d'actes de téléconsultation ont-ils été effectués en 2021 ?		

A titre indicatif, pourcentage de patients de la file active hors-région :

XX%

Le CRMR constitutif réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le CRMR constitutif :

Le CRMR constitutif a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[76]

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le CRMR constitutif :

[75] La téléconsultation est une consultation à distance entre un professionnel médical et son patient via l'utilisation des technologies de l'information et de la communication. Il est recommandé par la HAS que les téléconsultations soient réalisées par vidéotransmission.

[76] AMM : autorisation de mise sur le marché

Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le CRMR constitutif et autorisés par l'ARS entre 2017 et 2022 :

Nombre de programmes :

Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme

Le CRMR constitutif a-t-il des relations organisées avec les territoires ultramarins ?

□ Oui

Si oui, précisez :

300 mots maximum

□ Non

Mission de recherche

Investigations : recensement des projets de recherche nationaux, européens ou internationaux du CRMR constitutif du CRMR candidat[77] entre 2017 et 2022 :

*Projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est investigateur principal :

Dimension territoriale du projet	□ nationale □ européenne □ internationale
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le CRMR constitutif du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Recherche en Sciences Humaines et Sociales □ Autre, précisez :

[77] Les projets à lister sont ceux qui, pendant la période couverte par l'enquête, se trouvaient dans la période comprise entre leur instruction ou mise en œuvre dans le CRMR constitutif, et le dernier suivi du dernier patient à inclure. Les projets à lister sont tous ceux qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le CRMR constitutif est expert (DGOS, Fondations, RER/ERN...).

Autres projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est responsable d'axe thématique ou investigateur associé :

Le CRMR constitutif est-il porteur du projet ?	□ Oui □ Non
Si non, indiquez le porteur du projet	
Place occupée par l'équipe médicale du CRMR constitutif	□ Responsable d'axe thématique □ Investigateur associé
Dimension territoriale du projet	□ nationale □ européenne □ internationale
Titre complet du projet	
Nom de l'appel à projets dans lequel le projet a été financé	
Année du financement et durée estimée du projet	
Montant du financement attendu sur la durée du projet	
Nombre d'inclusions pendant la période couverte par l'enquête réalisées par le CRMR constitutif du CRMR candidat	
Nombre d'inclusions prévues à terme pour l'ensemble des centres participant au projet	
Nature de l'investigation	□ Essai clinique □ Essai thérapeutique □ Recherche en Sciences Humaines et Sociales □ Autre, précisez :

Nombre de points SIGREC du CRMR constitutif :

En 2021 :

Entre 2017 et 2022[78] :

Le CRMR a-t-il déposé des brevets entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, nombre de brevets déposés entre 2017 et 2022 :

□ Non

Publications : recensement des principales publications publiées entre 2017 et 2022[79] (au format Pubmed)

*Publications en lien avec les maladies rares du CRMR constitutif avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur :

Publication (au format Pubmed)	Rang auteurs	Facteur d'impact	Score SIGAPS

Autres publications scientifiques d'intérêt de l'équipe entre 2017 et 2022 :

Publication (au format Pubmed)	Rang auteurs	Facteur d'impact	Score SIGAPS

Nombre de points SIGAPS du CRMR constitutif :

En 2021 :

Entre 2017 et 2022[80] :

[78] Il s'agit de la somme cumulée des points entre 2017 et 2022.

[79] Les publications à lister sont celles qui se situent dans le champ des maladies rares pour lesquelles le CRMR constitutif est expert et pour lesquelles un membre du CRMR constitutif est dans la liste des auteurs. Inscrire en gras les auteurs membres du CRMR constitutif.

[80] Il s'agit de la somme cumulée des points entre 2017 et 2022 (quatre dernières années pleines).

Exposé du ou des programme(s) de recherche du CRMR constitutif :

500 mots maximum

Mission d'enseignement et de formation

Le CRMR constitutif a-t-il mis en place des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Intitulé	Date de création	En cours en 2022
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

□ Non

Formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2021 par le CRMR constitutif :

Intitulé	Public concerné	Nombre d'heure/an

Le CRMR constitutif a-t-il accueilli des étudiants entre 2017 et 2022, en lien avec une unité de recherche ?

□ Oui

Si oui, indiquez le nombre d'étudiants accueillis par niveau :

Etudiants en master	
Etudiants en doctorat	
Etudiants en post-doctorat	

□ Non

Le CRMR constitutif a-t-il publié du contenu pédagogique (ouvrages de référence, mise à disposition de ressources en ligne, …) entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Intitulé	Date de publication	Type/nature de la publication

□ Non

Le CRMR constitutif a-t-il organisé des congrès nationaux, européens ou internationaux entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Congrès	Titre	Année	Lieu	Acte
Congrès national				
Congrès européen				
Congrès international				

□ Non

Le CRMR constitutif du CRMR candidat a-t-il réalisé des communications entre 2017 et 2022 ?

□ Oui

Si oui, précisez :

Titre de la conférence	Année	Lieu	Qualité de l'intervenant	Portée
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale
				□ nationale □ internationale

□ Non

Texte libre relatif à la candidature du CRMR constitutif (le cas échéant, développez les autres actions d'enseignement et de formation, par exemple à destination des associations) :

500 mots maximum

***Joindre des courriers détaillant l'avis et l'implication :**

- **Du directeur de l'établissement de santé siège du CRMR constitutif du CRMR candidat cosigné avec le président de CME, le chef de pôle et le chef de service *;***
- **Du responsable médical du centre candidat *;***
- **Des associations de patients*.***

GOUVERNEMENT
Liberté
Égalité
Fraternité

ANNEXE 4 - VOLET DE PRESENTATION « CCMR[81] »

NB : Pour garantir un haut niveau d'expertise et d'excellence dans la prise en charge des patients atteints de maladies rares en France, des seuils minimaux d'activité sont requis pour certaines missions. Ces missions sont marquées d'une astérisque *.

Nom du CRMR[82] candidat :

Nom du CCMR candidat :

Ce CCMR était-il déjà labellisé en 2017 ?

□ Oui

□ Non

[81] CCMR : centre de compétence maladies rares
[82] CRMR : centre de référence maladies rares

Etablissement de santé siège du CCMR (ex. AP-HP. Université Paris Saclay ; CHU Bordeaux) :

Le cas échéant, site hospitalier (ex. Bicêtre, Pellegrin) :

Adresse du site hospitalier *:*

FINESS juridique :

FINESS géographique :

Directeur de l'établissement de santé ou le directeur de site pour l'AP-HP :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Pôle de rattachement du CCMR :

Service de rattachement du CCMR :

Identification du CCMR comme unité fonctionnelle ou de gestion :

□ Oui

□ Non

Courriel du CCMR :

Téléphone du CCMR :

Horaires d'ouverture du CCMR :

Responsable médical du CCMR :

Courriel professionnel :

Téléphone :

Etes-vous titulaire ?

□ Oui
□ Non

Statut :

□ PU-PH[83]
□ PH[84]
□ MCU-PH[85]
□ Autre Précisez :

Quotité de temps travaillée au sein de l'établissement :

□ Temps plein
□ Autre, précisez la quotité : XX%

[83] PU-PH : professeur des universités – praticien hospitalier
[84] PH : praticien hospitalier
[85] MCU-PH : maître de conférences des universités-praticien hospitalier

Spécialité médicale exercée :

Exercez-vous au sein d'un autre établissement ?

□ Oui
□ Non

Si oui, précisez quel(s) établissement(s) :

Date de naissance du responsable médical : JJ/MM/AAAA

Départ prévu pendant la période de labellisation ?

□ Oui
□ Non

Si oui, pour quelle(s) raison(s) ?

Etes-vous candidat à un autre CRMR ?

□ Oui, comme CRMR coordonnateur

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CRMR constitutif

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Oui, comme CCMR

Nom du CRMR :	FSMR de rattachement

□ Non

Maladie rare ou groupe de maladies rares pris(e) en charge par le CCMR.

Liste détaillée des maladies rares prises en charge[86], avec leur prévalence[87] :

Maladie(s) rare(s)	Prévalence (X/100 000)

Nature du CCMR :

□ Plutôt une unité de consultation

□ Plutôt une unité d'hospitalisation de jour

□ Plutôt une unité d'hospitalisation complète

□ Autre Précisez :

[86] Si leur nombre est trop élevé, des regroupements sont possibles (20 lignes maximum).

[87] Moins d'une personne sur 2 000 (50 / 100 000) en population générale selon la définition retenue en Europe dans le cadre de la législation sur le médicament orphelin.

Description de l'équipe hospitalière et de l'organisation du CCMR candidat :

500 mots maximum

La prise en charge par le CCMR peut nécessiter des spécialités complémentaires (médicales, chirurgicales, obstétricales, médico-techniques, soins de suite et réadaptation ou non médicales). Description de l'organisation du CCMR à ce titre :

500 mots maximum

Mission de coordination

La mission de coordination relève essentiellement de la responsabilité du CRMR coordonnateur du CRMR candidat. Néanmoins, les items ci-dessous sont à renseigner également par un CCMR candidat.

Organisation de la prise en charge médico-sociale (si concerné) :

Exemple : descriptif, nombre de personnes malades concernées, structures impliquées, organisation et outils mis en place par le CRMR constitutif pour accompagner les patients et/ou leurs aidants dans les démarches médico-sociales ou projets.

500 mots maximum

Organisation des soins ville-hôpital :

Exemple : descriptif, relation avec le médecin traitant, les soins infirmiers, les kinésithérapeutes… *500 mots maximum*

Participation des associations de personnes malades :

Nom de l'association	Portée géographique (nationale, régionale, locale)

La présente candidature intègre si possible des documents illustrant cette collaboration avec les associations de patients.

Mission de recours

*Nombre de patients dans la file active[88] du CCMR :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Nombre de consultations médicales et hospitalisations de jour réalisées par le CCMR (somme des questions a, b et c) :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

a. Nombre de consultations médicales en présentiel[89] réalisées par le CCMR :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

b. Nombre de téléconsultations réalisées par le CCMR :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

c. Nombre de séjours en hospitalisation de jour[90] réalisés par le CCMR :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Nombre de séjours en hospitalisation complète[91] réalisées par le CCMR :			
2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

[88] La file active correspond au nombre de patients distincts, diagnostiqués ou non, vus dans le centre au cours de l'année et en rapport avec le domaine d'expertise du centre (sont incluses les téléconsultations).
[89] Sont à inclure les éventuelles consultations avancées.
[90] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations de jours en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.
[91] Il s'agit de comptabiliser le nombre de séjours d'hospitalisations complètes en lien avec la maladie rare réalisés au sein de la structure et/ou initiés par le centre au sein d'autres services de l'établissement.

Nombre de consultations pluriprofessionnelles réalisées par le CCMR :

2019	2020	2021	2022 (à titre indicatif et à date)

Le CCMR organise-t-il des consultations avancées[92] ?

□ Oui

Si oui, lieu et fréquence

Lieu	Fréquence

□ Non

A titre indicatif, pourcentage de patients de la file active hors-région :

XX%

Le CCMR réalise-t-il des prescriptions initiales de médicaments désignés comme orphelins ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments désignés comme orphelins prescrits par le CCMR :

Le CCMR a-t-il recours à la prescription de médicaments hors-AMM[93] ?

□ Oui

□ Non

Si oui, liste des médicaments prescrits hors-AMM par le CCMR :

[92] Consultation réalisée par un membre du CCMR dans un autre établissement de santé que celui de rattachement du CCMR.

[93] AMM : autorisation de mise sur le marché

Programmes d'éducation thérapeutique présentés par le CCMR et autorisés par l'ARS entre 2017 et 2022 :

Nombre de programmes :	

Titre	Nombre moyen de personnes malades intégrées dans programme

Le CCMR a-t-il des relations organisées avec les territoires ultramarins ?

□ Oui

Si oui, précisez :

300 mots maximum

□ Non

Liste des PNDS élaborés par le CCMR du CRMR candidat entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

Liste des guides de bonnes pratiques français, européens ou internationaux élaborés par le CCMR du CRMR candidat ou auxquels il a participé entre 2017 et 2022 :

Titre	Date de publication

Collecte de données

Des actions de formation à la saisie des données dans BaMaRa sont-elles engagées par le CCMR pour collecter des données dans le BNDMR[94] ?

□ Oui

□ Non

*Confirmez-vous que la saisie par le CCMR du set de données minimum de la BNDMR est systématique ?[95]

□ Oui

La saisie est-elle :

□ Complète

□ Partielle

□ Non

Si non ou si partielle, pour quelle(s) raison(s) ?

Participez-vous à la collecte des données dans des bases nationales et/ou internationales autres que la BNDMR ?

□ Oui

□ Non

Si oui, indiquez le nom de la base de données, la date de sa déclaration à la CNIL[96] et précisez si elle comprend ou non des données sur les prescriptions de médicaments :

Nom de la base	Date de déclaration	Données sur les médicaments prescrits
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

[94] BNDMR : banque nationale de données maladies rares

[95] Les CCMR ont l'obligation de renseigner le set minimal de données de la BNDMR, cf. NOTE D'INFORMATION INTERMINISTERIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares.

[96] CNIL : commission nationale de l'informatique et des libertés

Précisez le nom du DPI[97] utilisé par le CCMR ?

Le CCMR organise-t-il des RCP[98] ?

□ Oui

Participants (regroupement par type de RCP)	Nombre de RCP organisées au cours de l'année 2021	Type (génomique, diagnostique, thérapeutique, moléculaire, clinique…)	Portée (locale, régionale, nationale, européenne)

□ Non

Si non, prévoyez-vous d'en organiser ?

□ Oui □ Non

Avez-vous une ou plusieurs préindication(s) d'accès au diagnostic génomique (SeqOIA, AURAGEN) dans le champ des maladies rares de votre CCMR ?

□ Oui

Si oui, précisez laquelle ou lesquelles :

Préindication

□ Non

[97] DPI : dossier patient informatisé

[98] RCP : réunion de concertation pluridisciplinaire

Listez par préindications combien votre CCMR a prescrit de dossier en 2021 :

Préindication	Nombre de prescriptions en 2021

Coordonnez-vous une RCP génomique ?

□ Oui

Si oui, laquelle ou lesquelles :

□ Non

Recherche, enseignement et formation

Un centre de compétence est encouragé à participer à la recherche, à l'enseignement et à la formation pour les maladies rares relevant de son périmètre.

Nombre de projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe du CCMR est investigateur principal entre 2017 et 2022 :

Nombre de publications du CCMR en lien avec la(les) maladie(s) rare(s) concernée(s) avec un membre de l'équipe en premier ou dernier auteur entre 2017 et 2022 :

Nombre de points SIGAPS cumulés entre 2017 et 2022 par le CCMR :

Nombre de points SIGREC cumulés entre 2017 et 2022 par le CCMR :

Liste des diplômes universitaires (DU) ou diplômes interuniversitaires (DIU) mis en place par le CCMR entre 2017 et 2022 :

Intitulé	Date de création	En cours en 2022
		□ Oui □ Non
		□ Oui □ Non

Liste des formations entrant dans le cadre du développement professionnel continu (DPC) réalisées en 2021 par le CCMR :

Texte libre relatif à la candidature du CCMR (recherche, enseignement…) :

500 mots maximum

***<u>Joindre des courriers détaillant l'avis et l'implication</u> :**

- **Du directeur de l'établissement de santé siège du CCMR ;**
- **Du responsable médical du CCMR ;**
- **Si possible, des associations de patients concernées.**