

Rare Disease European Reference Networks (ERNs) & Filières de Santé Maladies Rares

*Anne-Sophie Lapointe (PhD), Eurordis
Chargée de mission AnDDI-Rares*





➤ Inventaire : ERNs et ERNs.....

Quelle différence en 2015 VS 2008 ?

➤ Quelle connexion de

la filière



avec les programmes européens ?



Connexion des filières avec les projets européens



- Recensement de réseaux européens :
European Networks of Reference for Rare Diseases
passé et actuel
- Rare Disease European Reference Networks :
ERNs



Recensement de réseaux européens dans le domaine des maladies rares:

Network pilots (funded EU)



- European Centres of Reference Network for Cystic Fibrosis (DE)
- European Network of Centres of Reference for Dysmorphology (UK)
- Patient Associations and Alpha1 International Registry (NL)
- European Porphyria Network: providing better healthcare for patients and their families Paris (FR)
- Establishment of a European Network of Rare Bleeding Disorders, Milano (IT)
- European network of paediatric Hodgkin's lymphoma Leipzig (D)
- European Network of Reference for Rare Paediatric Neurological Diseases (NEUROPED) European Network for Research on Alternating Hemiplegia (AT)
- A reference network for Langerhans cell histiocytosis and associated syndrome in EU Paris (FR)
- Improving Health Care and Social Support for Patients and Family affected by Severe Genodermatoses –(FR)
- European Reference Network of expert centres in rare anaemias (ENERCA 3) Barcelona (ES)



Rare Disease European Reference Networks : ERNs



- Novembre 2014, réunion des experts :
 - ✓ Regroupement des réseaux européens par thématique
 - ✓ Nécessité d'une approche centrée sur le patient / Good Treatment Outcomes



EUCERD Rare Disease Groupings



Rare immunological and auto-inflammatory diseases	Rare craniofacial anomalies and ENT (ear, nose and throat) disorders
Rare bone diseases	Rare Hepatic diseases
Rare cancers* and tumours	Rare hereditary metabolic disorders
Rare cardiac diseases	Rare multi-systemic vascular diseases
Rare connective tissue and musculoskeletal diseases	Rare neurological diseases
Rare malformations and developmental anomalies and rare intellectual disabilities	Rare neuromuscular diseases
Rare endocrine diseases	Rare pulmonary diseases
Rare eye diseases	Rare renal diseases
Rare gastro-intestinal diseases	Rare skin disorders
Rare gynecological and obstetric diseases	Rare urogenital diseases
Rare hematological diseases	

Source:

http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/docs/20150610_erns_eucerdaddendum_en.pdf



Nécessité d'une approche centrée sur le patient



- « les organisations de patients doivent participer à l'évaluation des réseaux européens de référence » (Reco 4 et 8)*
- « Les associations de patients doivent être intégrées dans le fonctionnement des centres d'expertise (Centre de Référence Maladies Rares) (Reco 29)**
- L'information délivrée doit être claire et transparente
- Il faut assurer la protection des données et s'assurer du consentement libre et express du patient
- Donner une information continue dans le temps sur les résultats de la recherche et les options thérapeutiques

* *EUCERD Recommendations on RD ERNs*

** *EUCERD Recommendations on Quality criteria for Centres of Expertise for Rare Diseases in Member States*



Filières et réseaux Européens

Identification des partenaires Européens :

QUI ?

Health
Medical
Provider
Étbs Hospi

10 CoE, 8 pays

Center
Of
Expertise
(CoE)/CRMR

Proposed Network application

- One Network Application (x1)
- Application for each Healthcare Provider Member (min. of x10)



Filières et réseaux Européens



- Un seul centre ou l'ensemble des CR et CC : ce n'est pas la filière qui est engagée mais le CoE....Il peut y avoir plusieurs centres par pays....Mais il faut tout de même 8 pays....

➤ La motivation est essentielle !

- Nouveau pour toutes les parties prenantes : la Commission, les états membres, les patients, les cliniciens, les payeurs (HTA)
- Pas de financement spécifique, Eurordis plaide pour un financement de la coordination du réseau pour 2017
- Validation avant soumission par les autorités de santé du pays : Dominique Peton-Klein pour la France
- Board of Member States (MS)

Operational Criteria

Organisation of the Operational Criteria

Networks

General Criteria and Conditions to be fulfilled:

1. Highly Specialised Healthcare
2. Governance and Coordination
3. Patient Care
4. Multidisciplinary Approach
5. Good Practice, Outcome Measures, and Quality Control
6. Contribution to Research
7. Continuous Education, Training, and Development
8. Networking and Collaboration

Defined in the Network proposal and fulfillment assessed for each applicant healthcare provider. Based on the evidence and consensus of the scientific, technical and professional community



Healthcare Providers

General Criteria and Conditions to be fulfilled:

1. Patient Empowerment and Patient-Centred Care
2. Organisation, Management, and Business Continuity
3. Research, Education and Training
4. Expertise, Information Systems, and e-Health Tools
5. Quality and Safety

Specific Criteria and Conditions to be fulfilled:

1. Competence, Experience and Outcomes of Care
2. Human Resources
3. Organisation of Patient Care
4. Facilities and Equipment



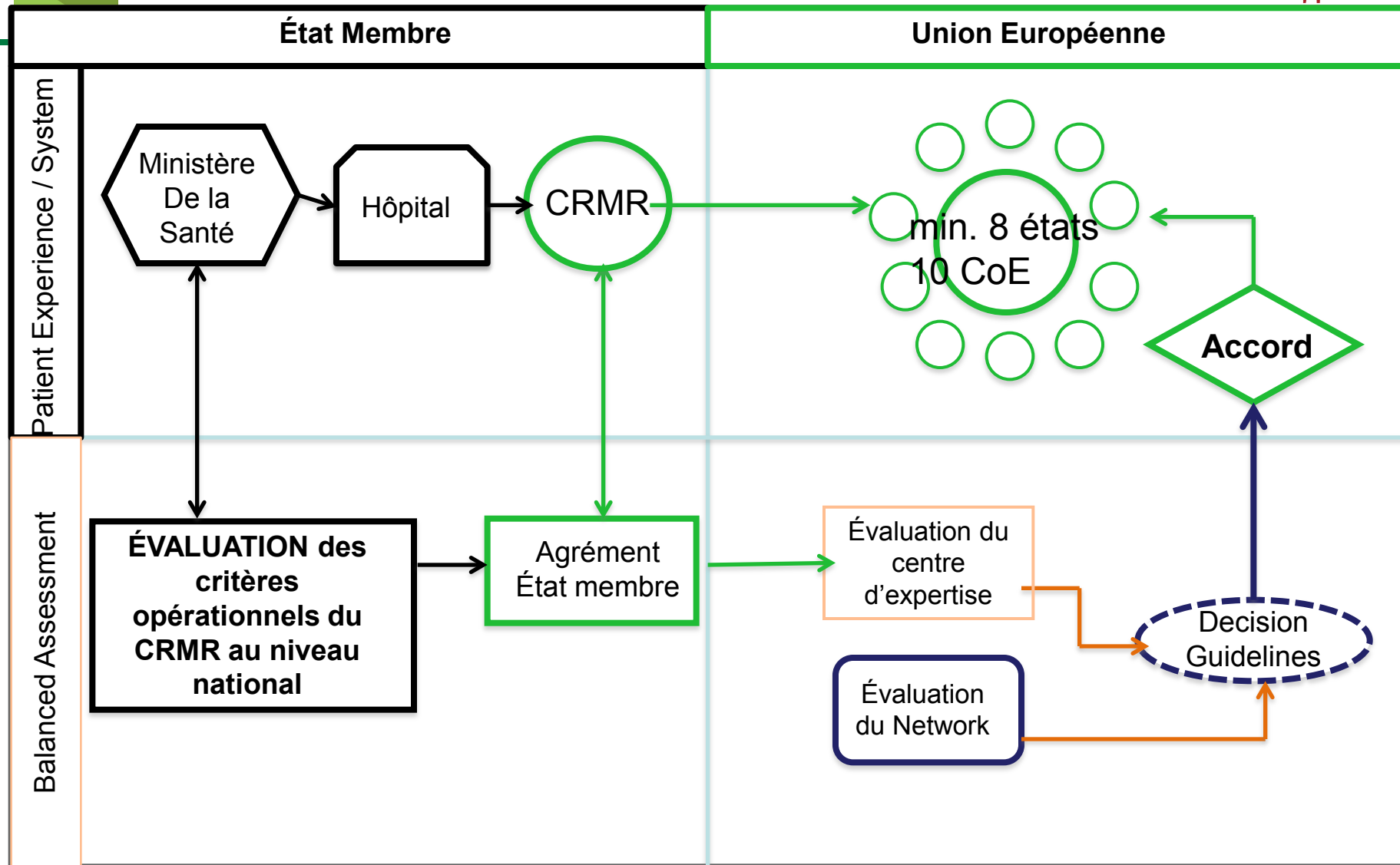
ERNs : Bénéfice d'un réseau pour les filières ?



- ✓ Visibilité des centres d'expertise maladies rares et parcours de santé « fléché », consensus de « bonnes pratiques » européennes
- ✓ Participation des patients et des familles pour mieux connaître la maladie : Patient Engagement / Patient Involvement, PROMs et PREMs, importance des données de santé
- ✓ Soutien à la recherche translationnelle, aux essais cliniques, à l'évaluation des technologies de santé
- ✓ Formation médicale et dissémination de l'information vers les autres acteurs de la santé
- ✓ **ERNs : un embryon pour une future Europe de la Santé ?**



Processus d'évaluation des futurs ERNs





Timing...À ce jour !

• Call : fév-mar. 2015

• Soumission du projet ERN : juin 2016

• Évaluation des dossiers : juillet-août 2016

• Approbations et propositions board des MS : sept-oct. 2016

Mise en place des networks : 4^{ème} trim. 2016



MERCI

FIRENDO

http://ec.europa.eu/health/ern/events/ev_20151008_en.htm