

2011 - 2014

Plan National Maladies Rares

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

Bilan d'exploitation des rapports annuels d'activité 2013

Comité de suivi et de prospective

17 décembre 2014



RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

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

PREAMBULE

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

Deux actions du PNMR2 ont participé à cette construction :

L'action 2.1 « faire évoluer le dispositif d'évaluation et de labellisation des centres de référence » et l'action 2.2 « mieux rendre compte des financements alloués aux centres de référence maladies rares ».

L'action 2.1 a notamment donné lieu à la mise en place d'un groupe de travail dès 2011, présidé par le Pr Sabine Sarnacki vice-présidente santé du COSPRO. Ces travaux ont conduit à l'élaboration d'une grille de recueil des données de fonctionnement et d'activité des CRMR finalisée en octobre 2013. Cette grille de recueil a ensuite été transformée en un outil informatique par la société CERCLH, permettant le remplissage en ligne du rapport d'activité par les CRMR et les directions des établissements les abritant.

Nous remercions tout particulièrement le Pr Sabine Sarnacki et les membres du groupe de travail, ainsi que les professionnels ayant participé à la phase de test de la version informatique préliminaire.

Nous remercions la société CERCLh pour sa grande disponibilité durant la période de recueil des données au cours de l'été 2014.

Nous remercions également l'ensemble des établissements de santé concernés pour leur forte mobilisation dans une période peu propice à ce type d'exercice.

De même le travail d'analyse de ces données n'aurait pas été possible sans la contribution déterminante de François Besnehard, stagiaire auprès de la direction projet depuis 4 mois.

Nous souhaitons par ailleurs attirer l'attention des lecteurs sur la grande prudence qu'il convient d'avoir à la lecture de ce rapport de synthèse. C'est en effet la première année de recueil impliquant une grande prudence sur les constats pouvant en être tirés, en l'absence de comparaisons possibles.

Pour autant les principaux constats observés au niveau national permettent d'avoir une première approche du fonctionnement des CRMR et des marges de progrès à réaliser.

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

SOMMAIRE

PREAMBULE	1
I- INTRODUCTION	7
A-Éléments de contexte/Méthodologie	7
B-Plateforme PIRAMIG.....	7
C-Objectifs généraux.....	7
D-Structures enquêtées.....	8
1) Les CRMR	8
2) Les CRCM et CRCSLA	8
II- ANALYSE GENERALE DES RAPPORTS D'ACTIVITE.....	9
A- Méthode	9
B- Remarques générales.....	9
1) Implantation des CRMR	9
2) Taux de réponse au dispositif déployé	10
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
2) Profil moyen de l'activité clinique.....	15
D-Profil des patients	16
1) File active.....	16
2) Nouveaux patients.....	18
E- Modalités de prise en charge des patients.....	18
1) Activité de consultation.....	19
2) Activité d'expertise	20
3) Education thérapeutique.....	22
III- ANALYSES THEMATIQUES	22
A- Moyens financiers	22
1) Dotation MIG des CRMR	22
2) Produits et charges	24
B- Moyens humains.....	25
1) Précisions du périmètre du rapport	25
2) Moyens humains et structure des équipes	25
C- Activités de coordination et d'information.....	27

1) Coordination.....	27
2) Information.....	27
D- Bases de données et guides de bonnes pratiques.....	29
1) Disponibilité de bases de données à vocation épidémiologique	29
2) Contribution à l'élaboration de protocoles et guides de bonnes pratiques.....	31
F- Activité de formation	32
G- Activité de recherche.....	33
1) Mesure de l'activité de recherche des CRMR.....	33
2) Analyse des quatre items identifiés.....	36
H- Synthèse des questions dichotomiques	39
CONCLUSION.....	41
ANNEXE I	42
Structures enquêtées	42
ANNEXE II.....	43
Missions des centres de référence maladies rares	43
ANNEXE III.....	45
Répartition des 131 sites coordonnateurs	45
ANNEXE IV	46
Répartition des 72 sites coordonnateurs d'Île de France.....	46
ANNEXE V.....	47
Répartition des 45 centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose (CRCM) dont deux centres de référence	47
ANNEXE VI	48
Répartition des 15 centres de ressources et de compétences de la sclérose latérale amyotrophique (CRCSLA) et des deux centres de référence SLA	48
GLOSSAIRE.....	49
DEFINITIONS	50

I- INTRODUCTION

A-Éléments de contexte/Méthodologie

Le ministère de la santé disposait jusqu'à présent de peu de données d'activité des CRMIR 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 (cf. rôle du groupe de travail cité ci-dessus en préambule).

Une grille de recueil des données d'activité des CRMIR a été finalisée en octobre 2013. Les données d'activité correspondent aux données enregistrées du 1^{er} 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 CRMIR, sur leurs modalités de fonctionnement en interne et en externe, sur leurs activités de formation et de recherche.

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, où sont recensées 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 : 131 CRMR, les centres de ressources et de compétences pour la mucoviscidose (CRCM) au nombre de 49 en 2013 et les centres de ressources et de compétences pour la sclérose latérale amyotrophique (CRCSLA) au nombre de 15 (cf. annexe I).

Les centres de compétences maladies rares, au nombre de 501, ne recevant pas de financement MIG n'ont pas été enquêtés.

1) Les CRMR

La prise en charge des maladies rares représentant plus de 7 000 maladies est organisée autour de 131 CRMR labellisés par le ministère de la santé, dans le cadre du 1^{er} 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 (131 sites) et pour les multi-sites un à plusieurs sites constitutifs (251 sites constitutifs au total). Un site constitutif apporte une expertise complémentaire au site coordonnateur.

2) Les CRCM et CRCSLA

Deux réseaux ont précédé le 1^{er} Plan National Maladies Rares présentant une organisation différente en centres de ressources et de compétences (CRC) tous financés d'où leur inclusion dans l'enquête réalisée au cours de l'été 2014.

En 2013, 49 CRCM étaient comptabilisés et coordonnés par deux sites coordonnateurs inclus dans les 131 CRMR précédemment décrits.

Un arrêté en date du 16 janvier 2014 liste les nouveaux CRCM ceux-ci n'étant plus au nombre que de 45.

15 CRCSLA ont été identifiés en 2004 également coordonnés par deux sites coordonnateurs inclus dans les 131 CRMR.

Au total, 446 sites maladies rares ont été enquêtés dont

- 131 sites coordonnateurs de CRMR (cf cartes en annexes III et IV) ;
- 251 sites constitutifs de CRMR ;
- 49 CRCM (cf carte en annexe V qui représente les 45 CRCM de l'arrêté de janvier 2014) ;
- 15 CRCSLA (cf carte en annexe VI).

II- ANALYSE GENERALE DES RAPPORTS D'ACTIVITE

A- Méthode

Les données exploitées dans ce rapport ne portent que sur les 131 CRMR incluant les sites coordonnateurs (131) et constitutifs (251) soit 382 sites au total. Ces données portent sur l'activité au cours de l'année 2013.

Les CRCM et CRCSLA compte tenu de leur spécificité propre ont été analysés séparément, les résultats ne figurant pas dans ce rapport.

L'analyse des items retenus a pris en compte, dans un premier temps, les résultats globaux de l'ensemble des sites (382) et, dans un second temps, séparément les résultats des sites coordonnateurs (131) et des sites constitutifs (251).

Un profil moyen de ces sites a été établi. Les analyses ont ensuite porté sur les grandes thématiques structurant ce rapport : activité clinique, moyens financiers et humains, mission de coordination et d'information, expertise, formation et recherche.

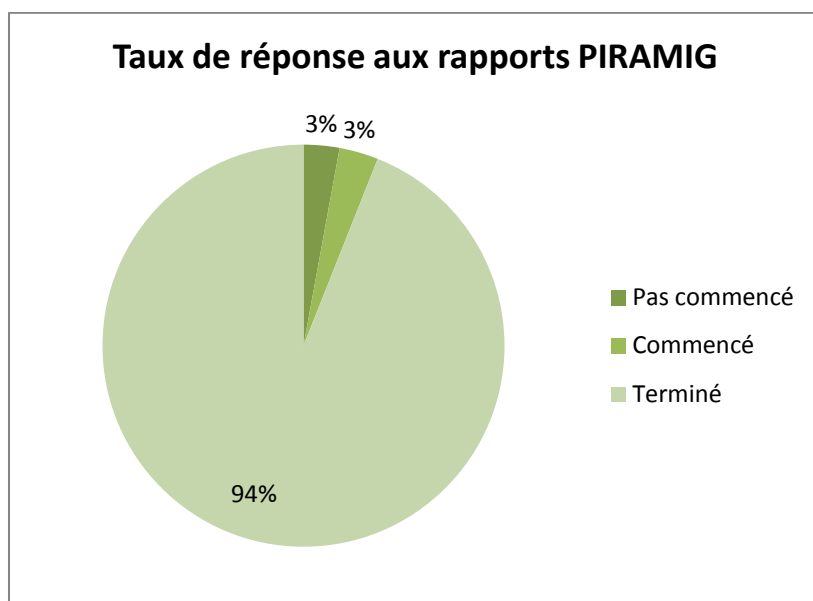
B- Remarques générales

1) Implantation des CRMR

Des cartes disponibles en annexe (annexes III, IV, V, VI) 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).

Par ailleurs, 93% des CRMR sont situés dans des CHU. Enfin, 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

2) Taux de réponse au dispositif déployé

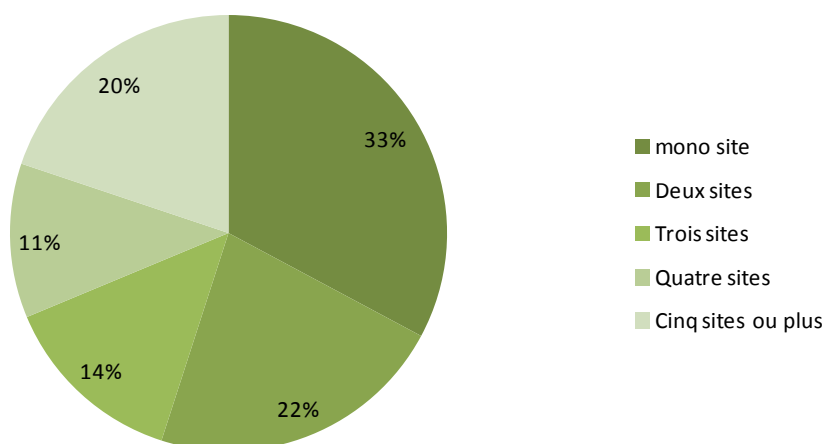


94% des sites coordonnateurs et constitutifs ont rempli intégralement leur rapport, 3% l'ont complété partiellement et seuls 3% des sites ne se sont pas connectés à PIRAMIG. C'est un excellent résultat considérant la période de recueil.

3) Structuration des CRMR

La majorité des 131 CRMR (55%) sont soit mono-site, soit comprennent deux sites (un site coordonnateur et un seul site constitutif). A l'inverse, 20% des CRMR ont plus de cinq sites (un site coordonnateur et quatre sites constitutifs ou plus).

Répartition des CRMR suivant leur nombre de sites

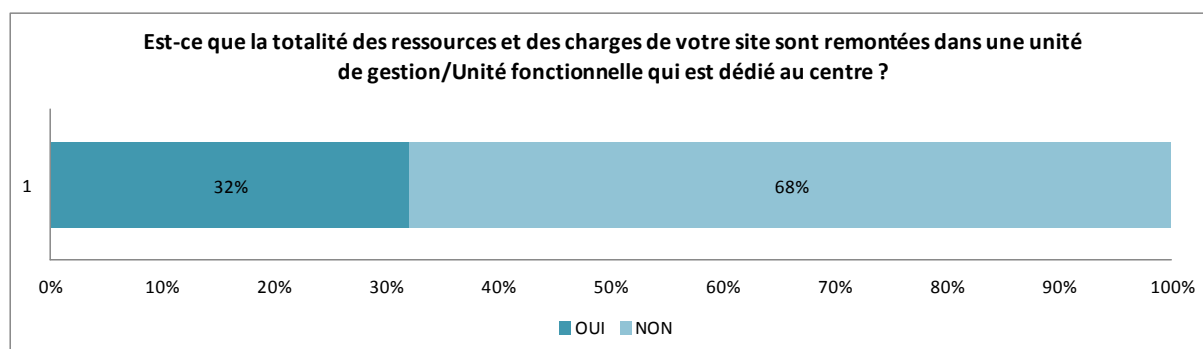


NB : n sites = 1 site coordonnateur + $(n-1)$ sites constitutifs

4) Identification des CRMR au sein des établissements

Une des questions portaient 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.

Constat : seuls 32% des sites des CRMR (44% des sites coordonnateurs et 26% des sites constitutifs), ont le statut d'unité fonctionnelle (ou de gestion). Aussi, les items à renseigner portant sur les données relatives aux charges et aux produits des sites ont été pour un certain nombre d'établissements difficiles à recenser.



- **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

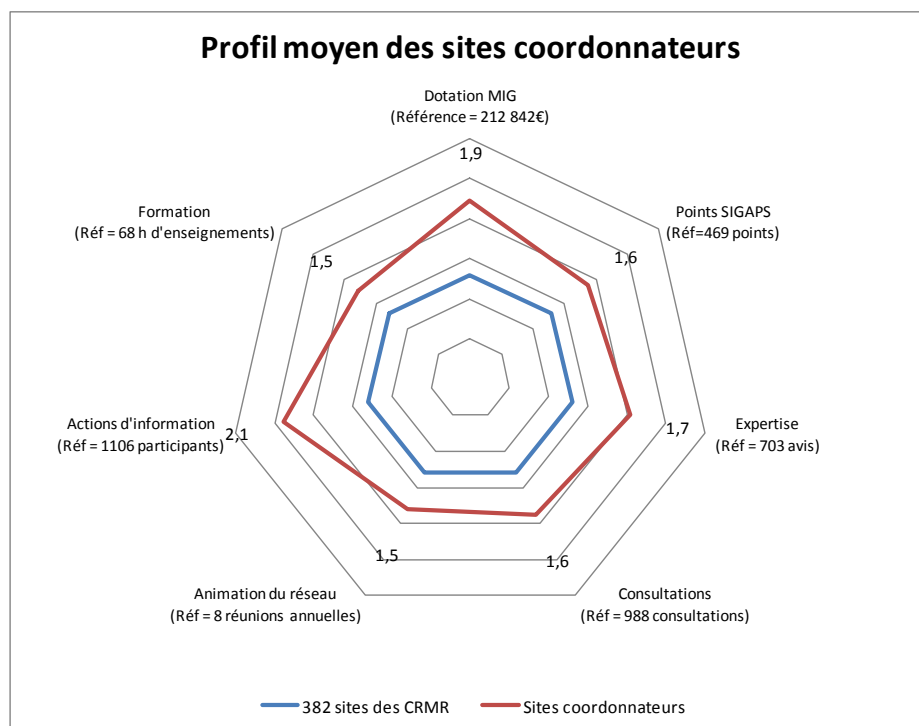
1) Profil moyen global

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 heures d'enseignements universitaires et de formation continue dispensées par le site ;
- la moyenne des points SIGAPS calculés sur trois ans (2011-2013) pour l'ensemble des professionnels du site ;
- la moyenne des trois catégories d'avis d'expertise retenues par le questionnaire (avis pour conseil ou recours, avis pluridisciplinaires, autres expertises) ;
- la moyenne des participants aux actions d'information à destination des professionnels et des usagers ;
- la moyenne des réunions d'animation du réseau réalisées par le site.

a) Sites coordonnateurs

Un premier profil peut être établi en comparant les sites coordonnateurs à un heptagone régulier qui est calculé avec la moyenne des 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



Exemple de lecture : les 131 sites coordonnateurs ont, en moyenne, un nombre de points SIGAPS 1,6 fois supérieur à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 469 points.

Principaux constats pour les sites coordonnateurs :

- 1) une dotation MIG déclarée 1,9 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 212 842€ ;
- 2) une activité de consultation 1,6 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 988 consultations;
- 3) une activité d'expertise 1,7 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 703 avis ;
- 4) une activité de formation 1,5 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 68 heures d'enseignements dispensés ;
- 5) un nombre de points SIGAPS 1,6 fois supérieur à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 469 points ;

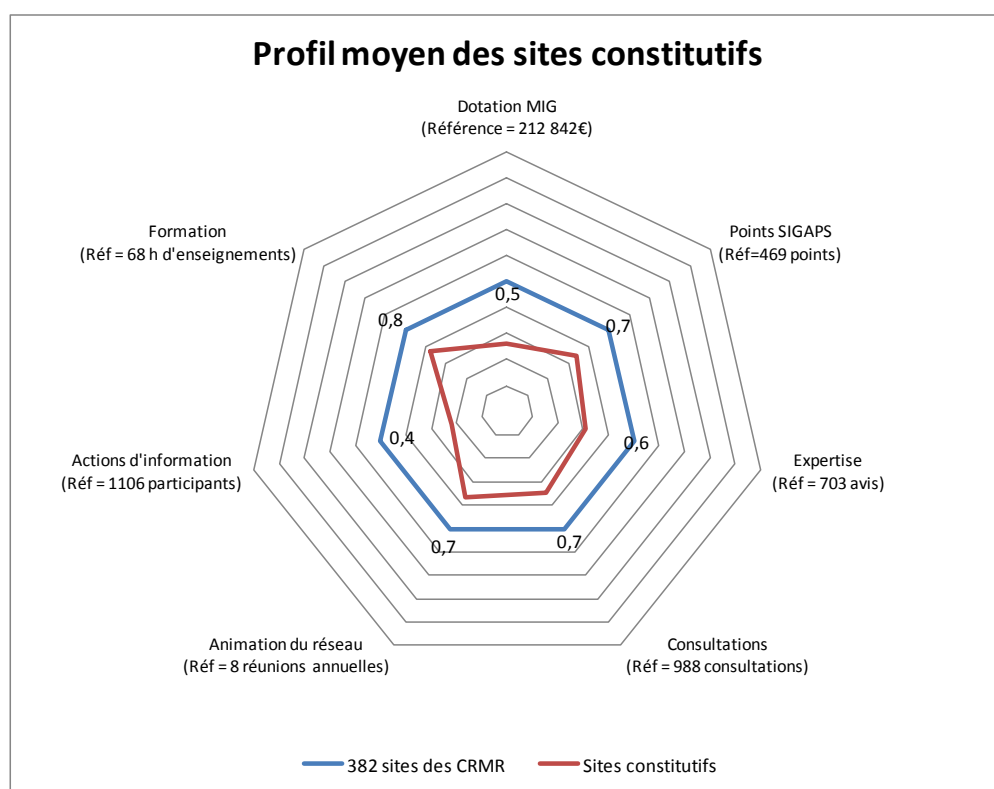
6) une activité d'animation du réseau 1,5 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 8 réunions annuelles ;

7) une activité d'information 2,1 fois supérieure à la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 1106 participants.

- ***les sites coordonnateurs ont une activité en tout point supérieure à la moyenne des de l'ensemble des sites des CRMR avec deux indicateurs particulièrement importants : la dotation MIG déclarée et l'activité d'information.***

b) Sites constitutifs

Un second profil peut être présenté en comparant les sites constitutifs à un heptagone régulier qui est calculé avec la moyenne des 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



Exemple de lecture : les 251 sites constitutifs ont, en moyenne, un nombre de points SIGAPS 0,7 fois inférieur à la moyenne des points des 382 sites des CRMR qui s'établit à 469 points.

- ***De façon logique, il en ressort que les sites constitutifs ont une activité en tout point inférieure à celle de la moyenne de l'ensemble des sites des CRMR. Deux pôles sont particulièrement en retrait : la dotation MIG déclarée et l'activité d'information.***

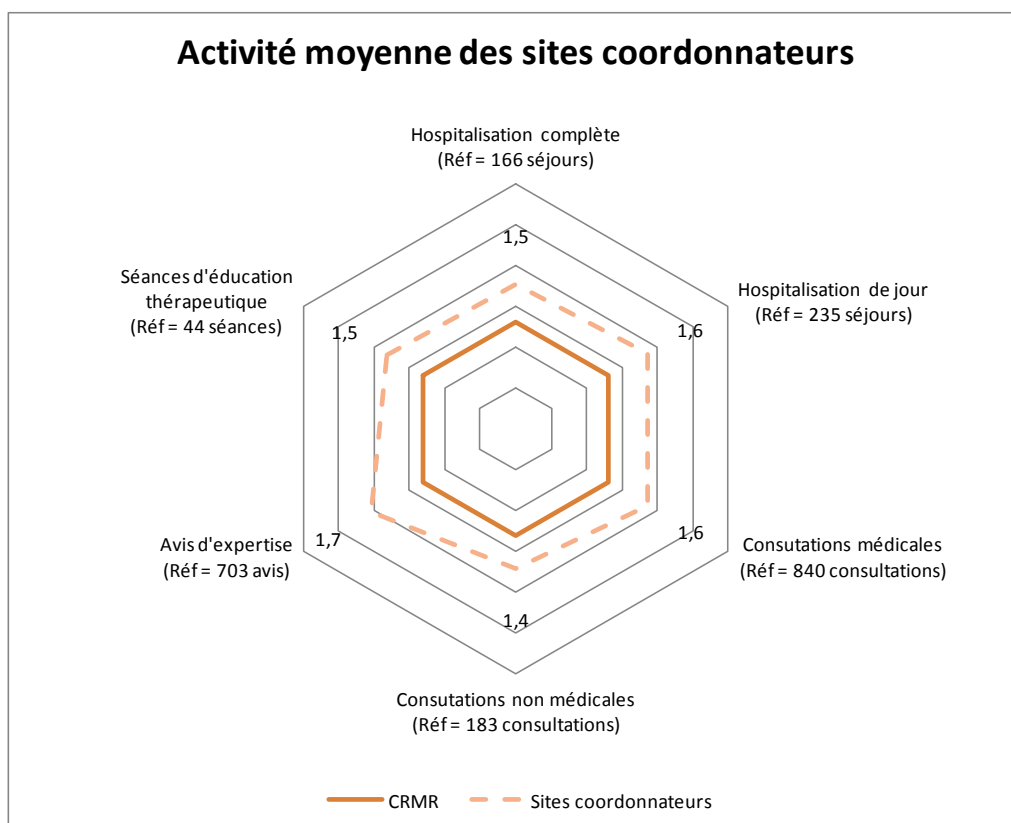
2) Profil moyen de l'activité clinique

Avec la même méthode, des profils moyens concernant l'activité clinique des 382 sites des CRMR 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 trois catégories d'avis d'expertise retenues par le questionnaire (avis pour conseil ou recours, avis pluridisciplinaires, autres expertises) ;
- 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 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).

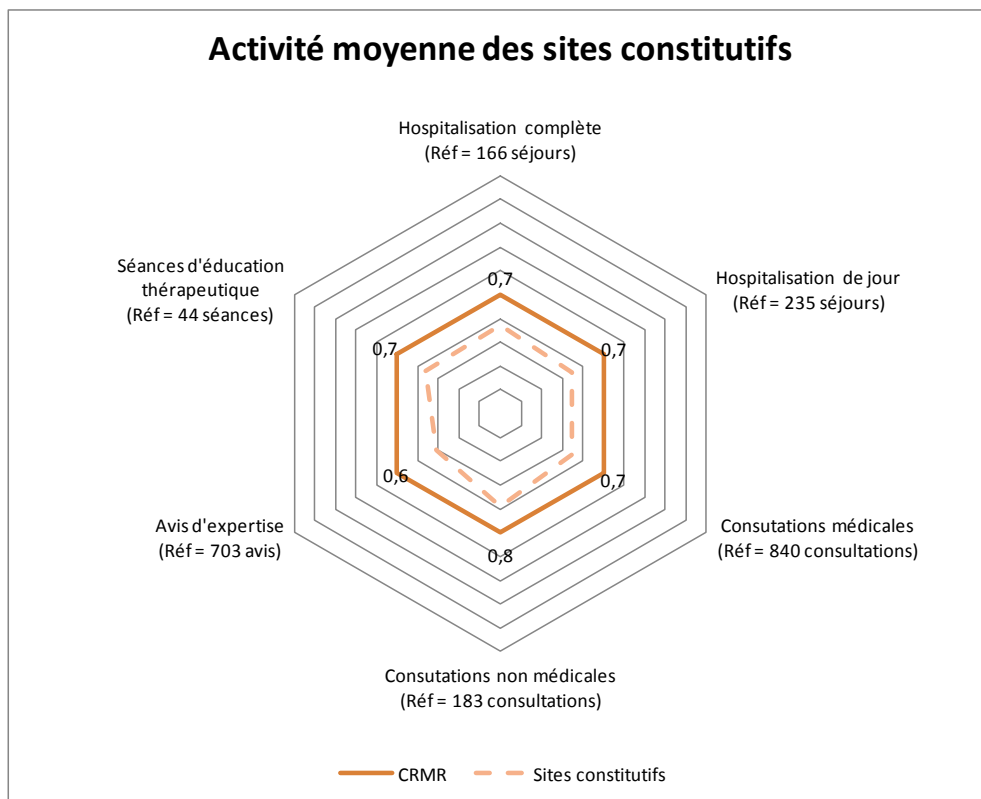


Exemple de lecture : les sites coordonnateurs réalisent 1,6 fois plus d'hospitalisation de jour que la moyenne des 382 sites des CRMR qui s'établit à 235 séjours par an.

- ***Les sites coordonnateurs ont une activité en tout point supérieure à celle des CRMR en particulier concernant l'activité d'expertise.***

b) Sites constitutifs

Un second profil peut être également établi en comparant les sites constitutifs à un heptagone régulier toujours calculé avec la moyenne des 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



- ***les sites constitutifs ont une activité en tout point inférieure à celle des 382 sites des CRMR avec une sous-représentation de l'activité d'expertise.***

D-Profil des patients

1) File active

Un des items portait sur la file active correspondant au « nombre total de patients différents vus par le site au cours de l'année ». Cette donnée est une des données à prendre en compte pour l'analyse de l'activité des CRMR.

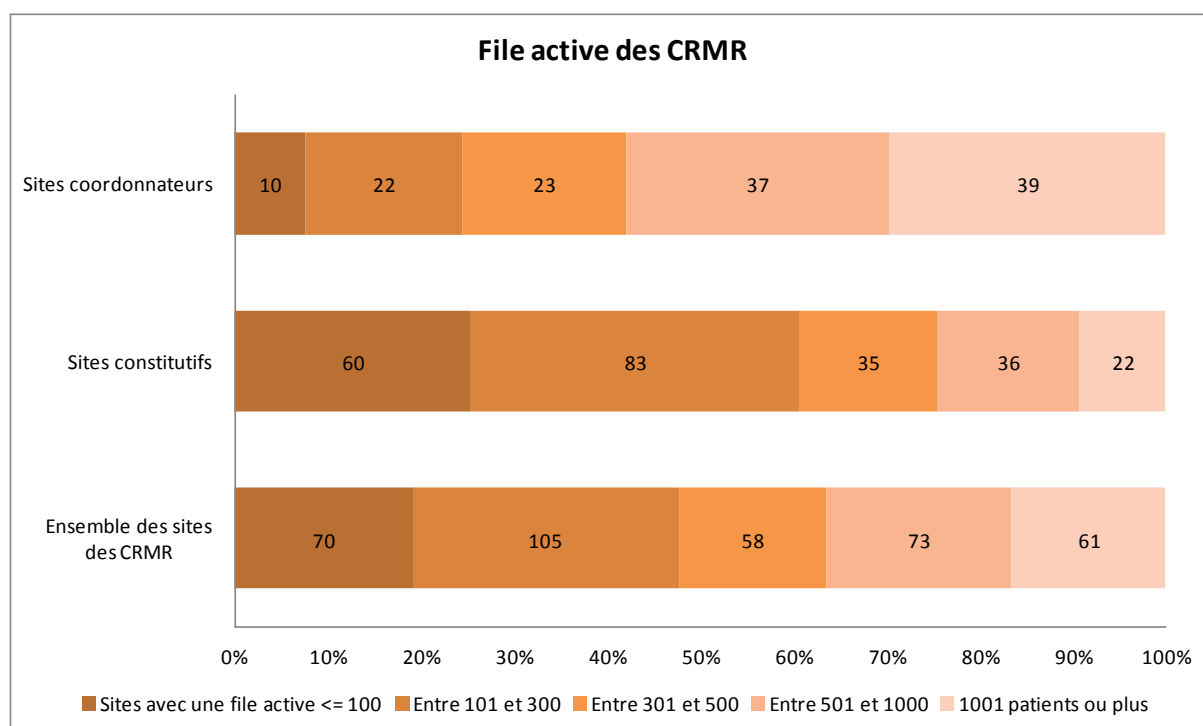
Les CRMR déclarent avoir vu au total 214 882 patients au cours de l'année 2013 dont 118 036 patients (soit 55% du total) par les seuls sites coordonnateurs qui représentent 34% des sites. Ce chiffre est à relativiser quant à son interprétation ne corroborant pas le nombre de

patients souffrant d'une maladie rare vus dans l'année. En effet, un nombre semble-t-il important de patients sont vus dans les centres de compétence sans passer par un centre de référence maladies rares.

La moyenne de la file active des CRMR s'établit à 586 patients par an. La médiane se situe à 325 patients par an. Une différence importante apparaît entre le 1^{er} quartile (inférieur à 136 patients par an) et le 3^e quartile (supérieur à 760 patients). A noter que 10% des sites voient plus de 1 000 patients par an ce qui démontre une forte activité clinique.

La file active des seuls sites coordonnateurs est plus importante avec une moyenne à 901 patients et une médiane à 621 patients. La forte activité clinique des CRMR est donc supportée principalement par les sites coordonnateurs ; le 3^e quartile des sites coordonnateurs s'établit à plus de 1 200 patients par an.

File active des sites des CRMR							
	File active globale	moyenne	min	1 ^{er} quartile	médiane	3 ^e quartile	max
Sites coordonnateurs	118 036	901	16	302	621	1 259	4 014
Sites constitutifs	96 846	410	0	99	211	493	4 008
Ensemble des sites des CRMR	214 882	586	0	136	325	760	4 014



Exemple de lecture : 10 sites coordonnateurs ont une file active inférieure à 100 patients vus par an, ce qui représente moins de 10% du total des sites coordonnateurs.

2) Nouveaux patients

Un second indicateur, le « nombre de patients vus pour la première fois au cours de l'année », permet de déterminer l'activité de premier recours des CRMR : 35% des patients vus dans l'année par les CRMR sont des nouveaux patients, et la proportion est similaire pour les sites coordonnateurs et constitutifs.

Part des nouveaux patients dans la file active des CRMR	
Sites coordonnateurs	37%
Sites constitutifs	34%
Ensemble des sites des CRMR	35%

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:						
	séjours d'hospitalisation complète	séjours d'hospitalisation de jour	consultations médicales	consultations non médicales	avis d'expertise	séances d'éducation thérapeutique
Sites coordonnateurs	244	365	1313	258	1224	66
Sites constitutifs	124	164	580	142	432	32
CRMR	166	235	840	183	703	44

Exemple de lecture : les sites coordonnateurs comptabilisent, en moyenne, 244 séjours d'hospitalisation complète en 2013.

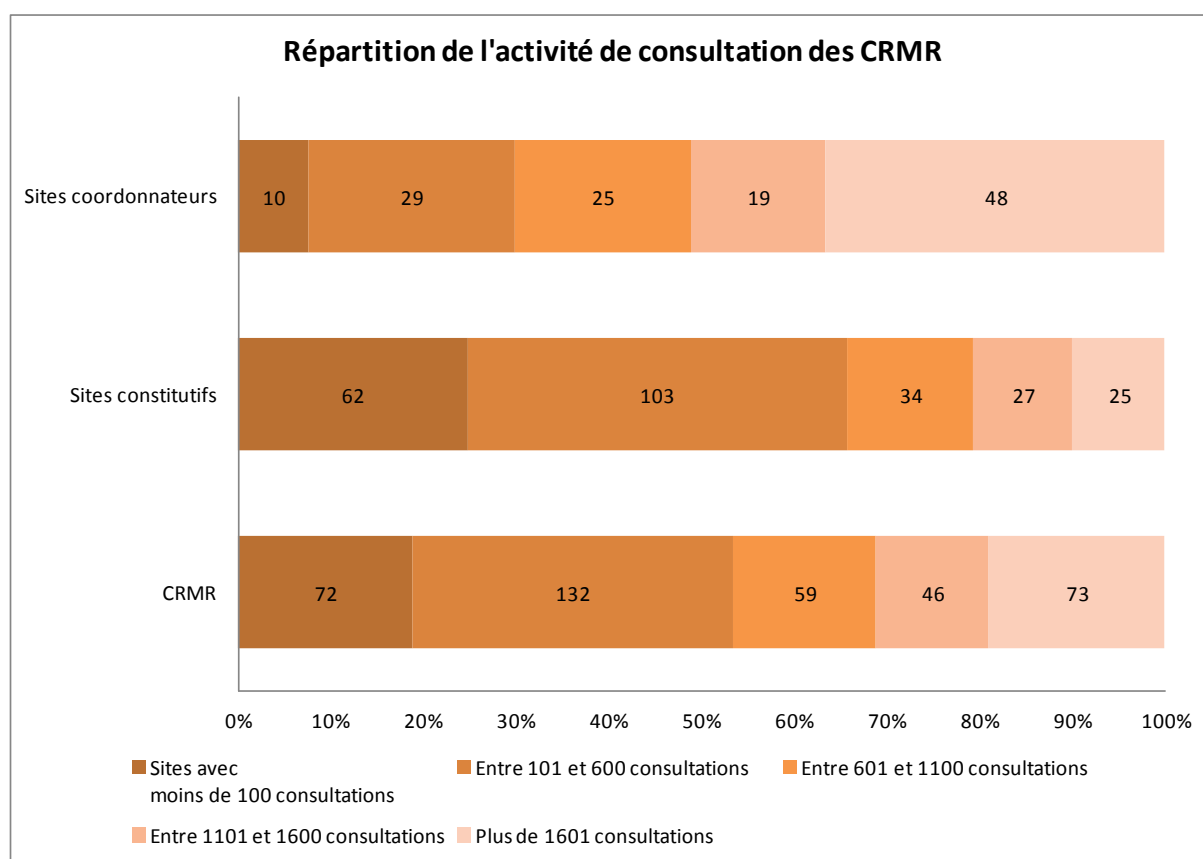
Le rapport analyse plus spécifiquement les activités de consultations et d'expertise. En effet, la dotation nationale des MIGAC compense financièrement des activités non tarifées en GHS donc qui ne relèvent pas de l'hospitalisation complète ou partielle.

1) Activité de consultation

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

Constat : les sites coordinateurs concentrent l'activité la plus importante : 70% des sites coordinateurs réalisent plus de 1 600 consultations par an contre 10% chez les sites constitutifs.

Des sites constitutifs ont néanmoins une forte activité de consultation, *a contrario* de sites coordinateurs qui ont une faible activité. Ces résultats doivent également tenir compte de la prévalence de la pathologie, prévalence qui n'est pas toujours bien connue.



Exemple de lecture : 10 sites coordinateurs font moins de 100 consultations par an ce qui représente moins de 10% du total des sites coordinateurs

2) Activité d'expertise

Le questionnaire PIRAMIG incluait trois questions distinctes sur le rôle d'expertise des CRMR :

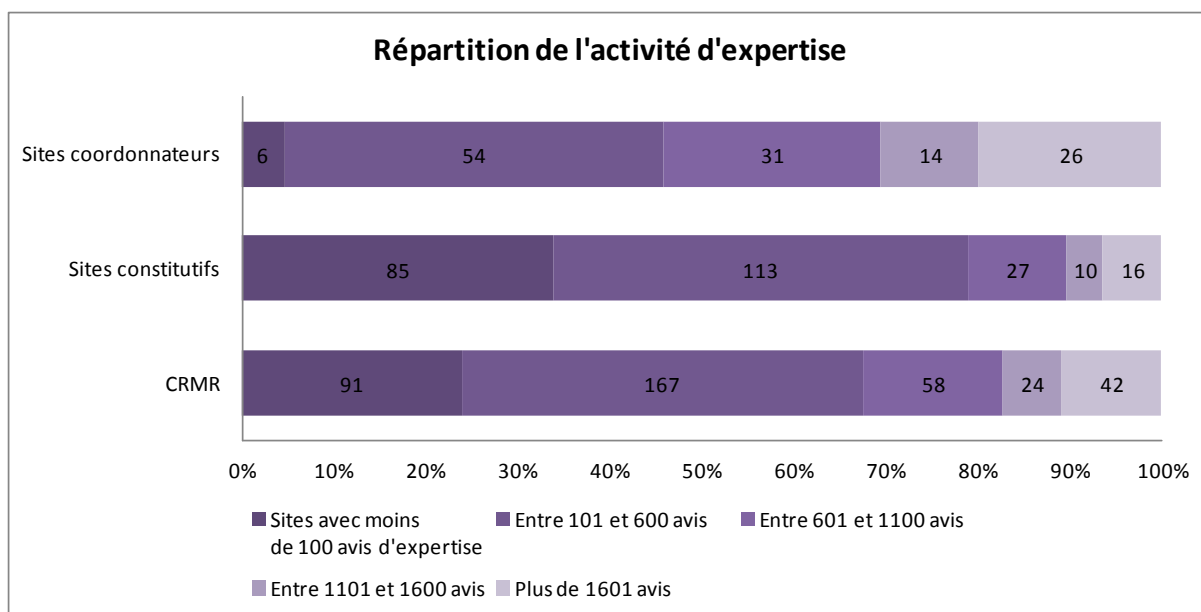
- le nombre d'avis pour conseil ou recours ; avis d'expertise donnés individuellement par un médecin du site ;
- le nombre de cas discutés lors de réunions pluridisciplinaires ; avis d'expertise donnés de façon pluridisciplinaire ;
- le nombre d'« autres expertises » ; en précisant qu'il s'agissait de « toute réunion entre professionnels d'une même discipline pour analyser un dossier ». Ce sont des avis d'expertise donnés collectivement au sein d'une même discipline.

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 3 questions.

La dispersion statistique de ces avis d'expertise est importante : la médiane pour l'ensemble des sites des CRMR se situe à 312 avis mais la moyenne est à 703 avis. Une majorité de sites ont donc une activité d'expertise inférieure à 312 avis par an, avec un premier quartile qui s'établit à 109 avis par an. A l'inverse certains sites ont une très forte activité d'expertise : 25% des CRMR rendent plus de 800 avis d'expertise par an.

De même, pour les sites coordonnateurs et constitutifs la dispersion 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 1 411 avis contre 512 avis pour les sites constitutifs).

Activité d'expertise des CRMR						
	moyenne	min	1 ^{er} quartile	médiane	3 ^e quartile	max
Sites coordonnateurs	1 224	4	312	620	1 411	21 430
Sites constitutifs	432	0	75	197	512	5 869
Ensemble des sites des CRMR	703	0	109	312	800	21 430



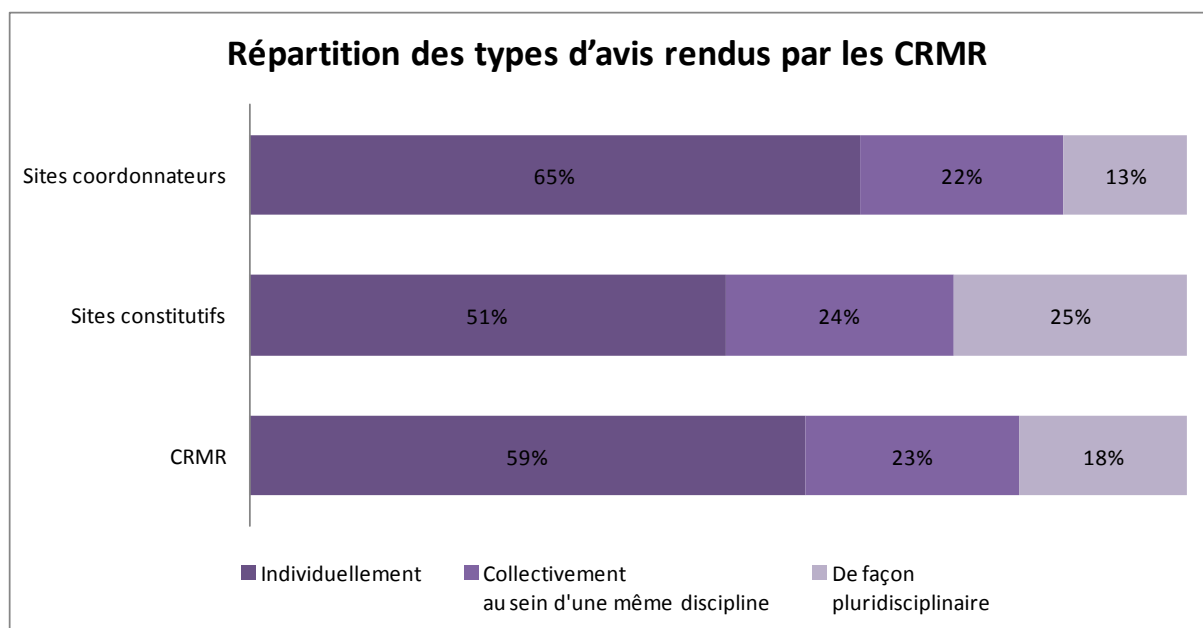
Une première analyse montre donc que les sites coordonnateurs ont une activité d'expertise effectivement supérieure à celle des sites constitutifs.

Si l'on établit un ratio expertise/consultation, on s'aperçoit que les CRMR ont, majoritairement, une activité de consultation clinique supérieure à l'activité d'expertise. En effet, seuls 25% des CRMR rendent plus de 1,2 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 ^{er} quartile	médiane	3e quartile	max
Sites coordonnateurs	0,31	0,59	1,20	218,67
Sites constitutifs	0,26	0,57	1,22	93,33
CRMR	0,30	0,58	1,22	218,67

Exemple de lecture : plus de 50% des sites coordonnateurs rendent, pour une consultation, moins de 0,59 avis d'expertise.

L'analyse peut être affinée en subdivisant l'activité d'expertise suivant les trois catégories du questionnaire. Les avis pluridisciplinaires et les avis donnés collectivement au sein d'une même discipline sont moins nombreux par rapport aux avis d'expertise donnés de façon individuelle. La proportion d'avis pluridisciplinaires est la même dans les sites coordonnateurs et constitutifs. Les sites coordonnateurs donnent proportionnellement plus d'avis individuels, correspondant à leur mission de recours.



Exemple de lecture : 22% des avis d'expertise des sites coordonnateurs sont pris lors de réunions pluridisciplinaires.

3) Education thérapeutique

Le dernier indicateur retenu pour mesurer l'activité clinique concerne l'éducation thérapeutique. Les CRMR réalisent, en moyenne, 44 séances d'éducation thérapeutique par an, et les sites coordonnateurs 66 séances par an.

III- ANALYSES THEMATIQUES

A- Moyens financiers

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

1) Dotation MIG des CRMR

La dotation MIG globale déclarée dans PIRAMIG des CRMR s'élève à 81 125 117 € pour une moyenne qui s'établit à 212 369 €. A noter que 64 des 382 sites (17%) déclarent ne pas recevoir de dotation MIG :

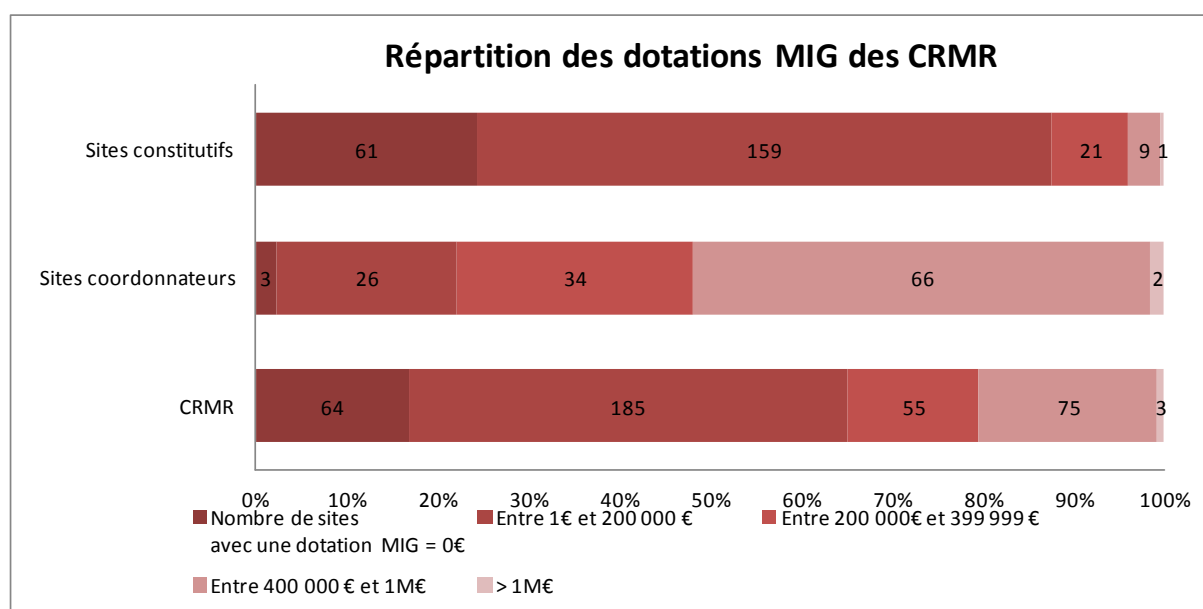
- 61 sites constitutifs, ce qui représente environ 20% du total des sites constitutifs ;
- Trois sites coordonnateurs.

Pour les 131 sites coordonnateurs, la dotation MIG globale est de 53 455 336 € pour une moyenne à 408 056 €. Pour les sites constitutifs la dotation MIG globale est moins importante : 27 850 160 € avec une moyenne qui s'établit à 110 957 €.

Dotation MIG des CRMR							
	Dotation Globale	moyenne	min	1 er quartile	médiane	3e quartile	max
Sites coordonnateurs	53 455 336 €	408 056 €	0 €	218 697 €	421 961 €	549 310 €	1 994 899 €
Sites constitutifs	27 850 160 €	110 957 €	0 €	14 112 €	80 812 €	131 034 €	1 092 303 €
CRMR (coordonnateurs + constitutifs)	81 125 117 €	212 369 €	0 €	76 813 €	117 434 €	316 956 €	1 994 899 €

65% des CRMR 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.

Constat : les sites coordonnateurs, qui représentent 34% de l'ensemble des sites, reçoivent plus de 65% de la dotation MIG. Ces dotations se justifient du fait des missions propres de ces sites.



Exemple de lecture : 61 sites constitutifs ne reçoivent pas de dotation MIG, ce qui représente environ 20% du total des sites constitutifs.

Répartition du ratio MIG/ File active pour les CRMR dotés :

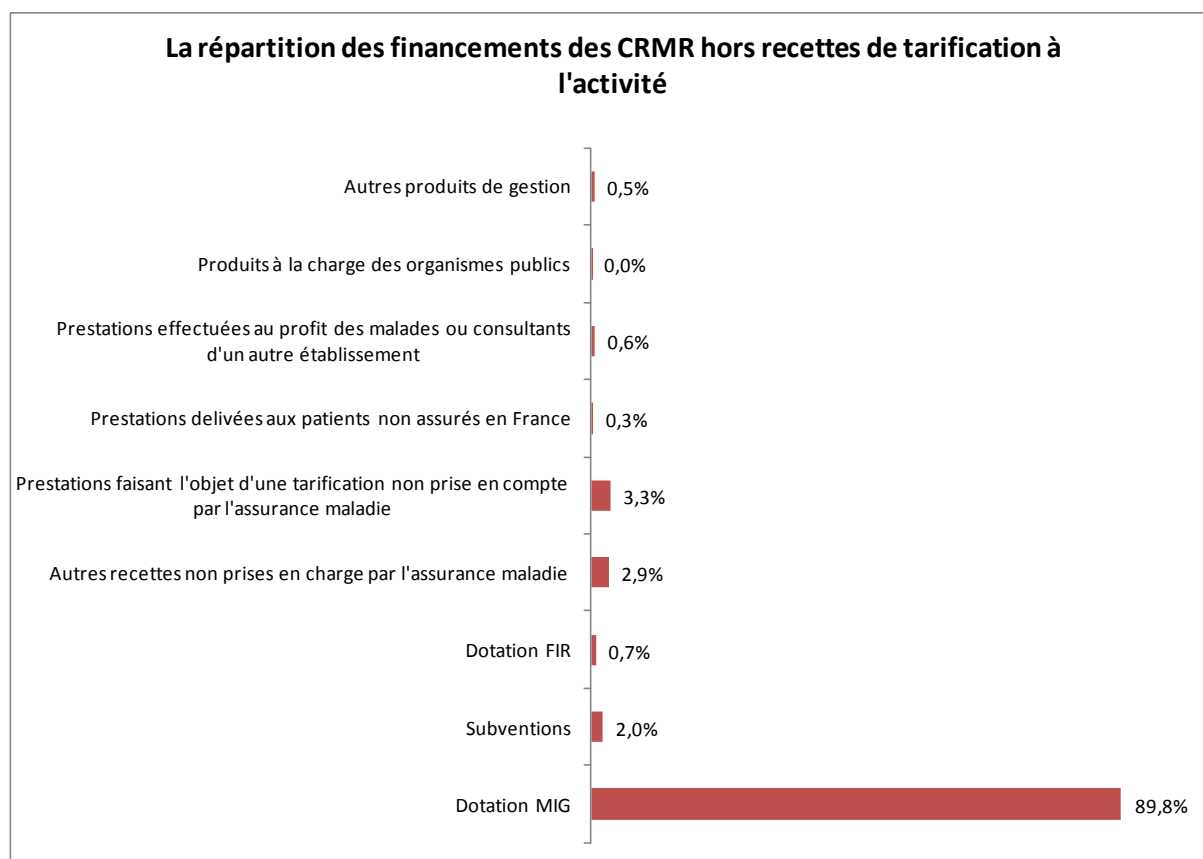
Ratio MIG / File Active pour les CRMR dotés						
	moyenne	min	1 ^{er} quartile	médiane	3 ^e quartile	max
Sites coordonnateurs	1 396	54	289	658	1 274	31 711
Sites constitutifs	1 051	38	211	475	1 047	11 126
CRMR	1 193	38	231	512	1 157	31 711

Exemple de lecture : 50% des sites coordonnateurs dotés touchent moins de 658 € de dotation MIG pour un patient vu.

2) Produits et charges

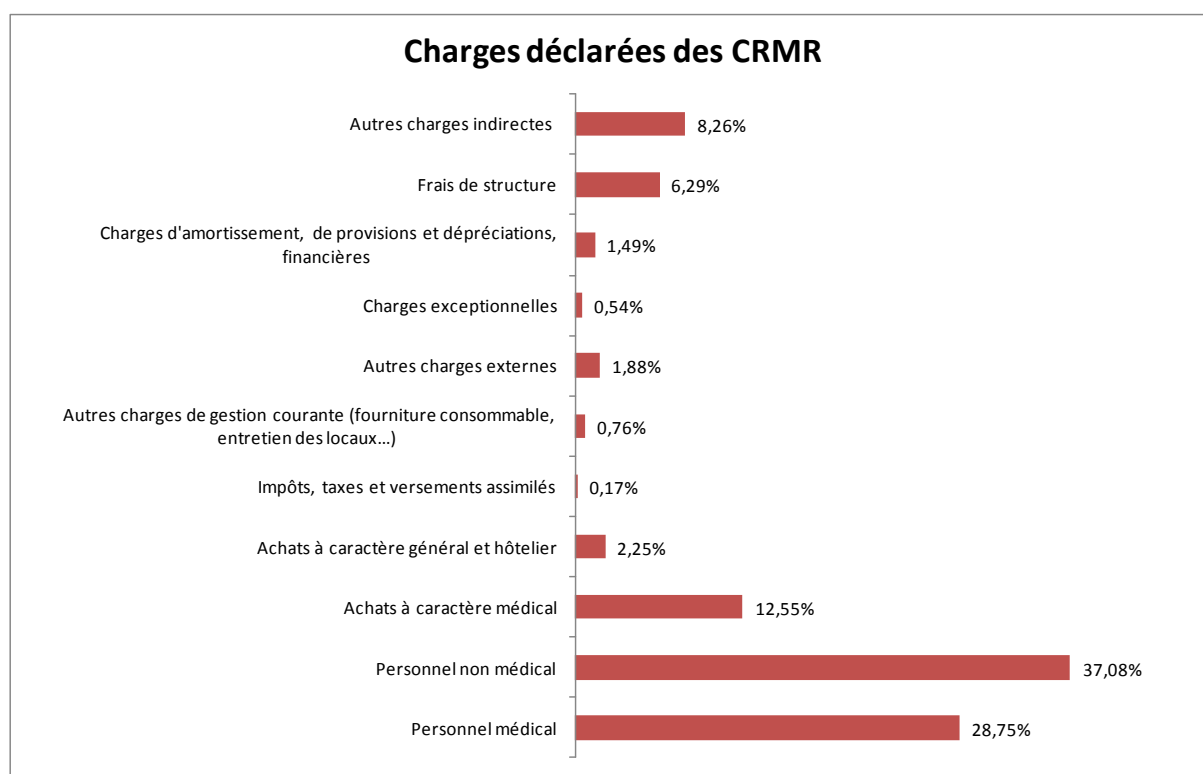
Le questionnaire PIRAMIG ne demandait pas de renseigner les produits issus de la tarification à l'activité.

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 plus de 90%) hors recettes de tarification à l'activité.

Par contre, la part des charges représentée ci-dessous est calculée par rapport à l'ensemble des charges pesant sur le CRMR.



La part des charges de personnel (67% de l'ensemble des charges) pesant sur les sites des CRMR est prépondérante.

B- Moyens humains

1) Précisions du périmètre du rapport

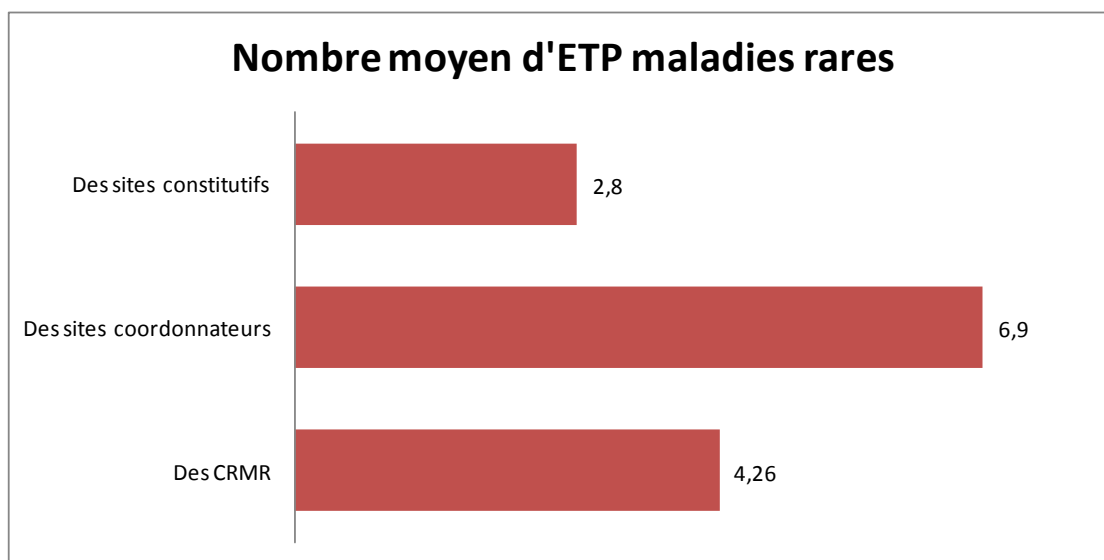
Le périmètre du rapport a été précisé dans le questionnaire : cet item a en effet soulevé beaucoup de questions sur le personnel à prendre en compte.

Il a été précisé que : « *dans le rapport d'activité, il ne faut pas décrire les personnes « financées exclusivement par la MIG » mais le périmètre doit prendre en compte les personnes contribuant à la mission. L'objectif est plus de comprendre comment le site s'est organisé pour répondre à la mission que de décrire spécifiquement ce que réalisent les personnes financées sur la MIG* ».

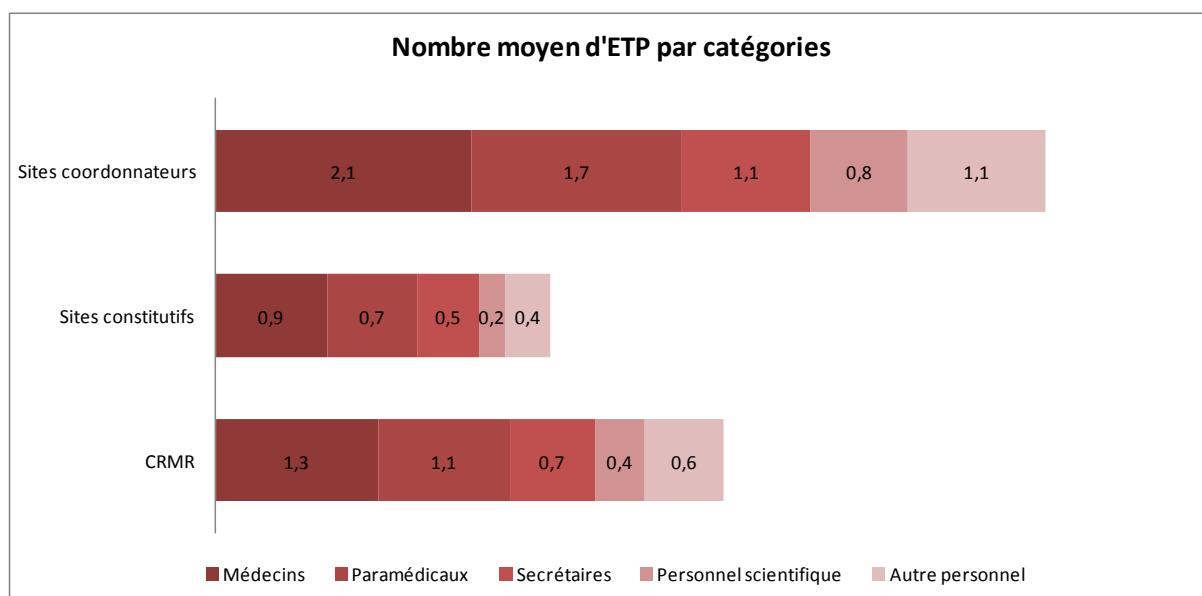
2) Moyens humains et structure des équipes

Les résultats concernent donc l'ensemble des moyens humains mobilisés par les sites des CRMR 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 CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs) comptent, en moyenne, 4,3 ETP, elles sont plus importantes dans les sites coordonnateurs avec 6,9 ETP contre 2,8 ETP pour les sites constitutifs.



Le rapport demandait un détail de la composition des équipes aux CRMR :



Il en ressort que la structure des équipes des CRMR est fortement médicalisée ; les médecins représentent 31% des ETP et les paramédicaux 26%. Les secrétaires sont le troisième groupe de professionnels le plus représenté, ce qui est justifié par le fait qu'elles ont un rôle important dans la coordination et l'animation du réseau des CRMR.

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 recherches attendues des CRMR.

A noter que la catégorie « autre personnel » est difficile à interpréter. Le questionnaire précisait qu'il s'agissait des biostatisticiens et des techniciens mais des rapports y comptabilisent des aides soignantes, des psychologues, des assistantes sociales, etc.

C- Activités de coordination et d'information

La mission de coordination du « réseau maladies rares » des CRMR est une mission essentielle pour ces sites. Normalement, elle est dévolue aux sites coordonnateurs. Ce 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

Les réponses montrent effectivement que les sites coordonnateurs sont plus actifs dans l'animation du « réseau maladies rares » que les sites constitutifs. Ainsi, le nombre de réunions annuelles d'animation du réseau est en moyenne de 13 pour les sites coordonnateurs contre 6 pour les sites constitutifs.

Ce constat est justifié du fait même de la fonction des sites coordonnateurs et est en cohérence avec les moyens humains affectés à cette mission : plus de 75% des moyens humains des sites coordonnateurs sont consacrés à la coordination, contre 27% pour les sites constitutifs.

Une répartition fait apparaître que la mission de coordination des CRMR est réalisée dans les mêmes proportions (en ETP) par les secrétaires que par les médecins.

Part des moyens humains consacrés à la coordination			
	Médecin (ETP)	Secrétariat (ETP)	Total
Sites coordonnateurs	36%	39%	75%
Sites constitutifs	13%	14%	27%
Ensemble des sites des CRMR	26%	29%	54%

2) Information

Le nombre moyen d'actions d'information montre également que les sites coordonnateurs sont plus actifs que les sites constitutifs : 125 actions d'information en moyenne sont réalisées par les sites coordonnateurs contre 68 pour les sites constitutifs.

- **A noter que la très grande majorité de ces actions d'information sont destinées aux familles**

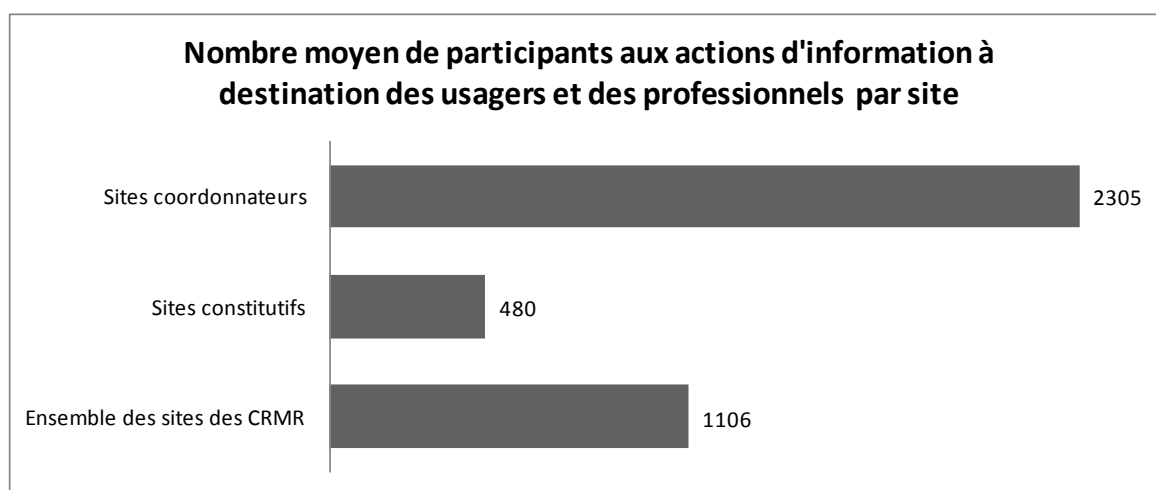
Nombre moyen des actions d'information à destination				
	Des usagers et des professionnels	Du grand public	D'une famille (ne concerne pas l'éducation thérapeutique)	Total
Sites coordonnateurs	15	5	106	125
Sites constitutifs	8	2	58	68
CRMR	10	3	75	88

Exemple de lecture : les sites coordonnateurs ont organisé, en moyenne, 5 actions à visé grand public en 2013.

Le nombre d'actions à visée grand public est faible par rapport aux autres actions. Mais il faut préciser que par « actions à visée grand public » le questionnaire entendait : « les émissions de radio, de télé, les articles dans un journal grand public, des campagnes d'affichage, la participation à des journées de rencontre patients/famille avec les associations ». Ce sont donc des actions qui nécessitent un investissement en temps plus important.

Les items à renseigner portaient également le volume des participants pour la catégorie des « actions d'information organisées par le centre à destination des usagers et des professionnels (séminaires, congrès, EPU) ».

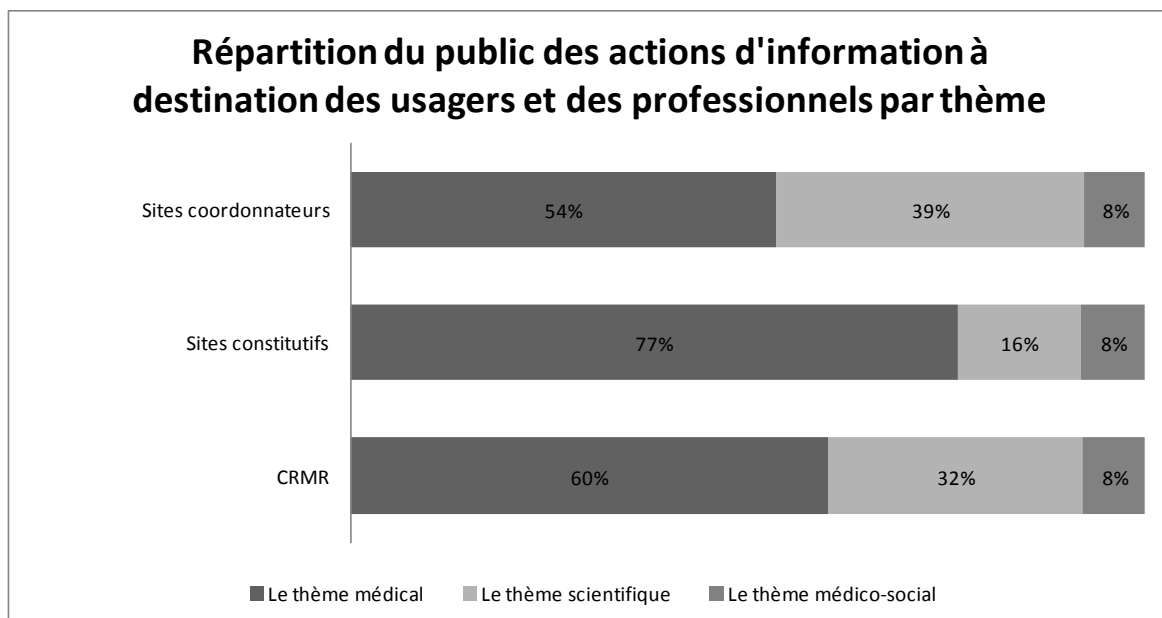
Le nombre moyen de participants à ces actions d'information à destination des usagers et des professionnels montre, là encore, la prépondérance des sites coordonnateurs qui accueillent, en moyenne, 2 305 participants par an contre 480 pour les sites constitutifs.



L'analyse conduite permet également d'identifier le type de public concerné par ces actions à destination des usagers et des professionnels.

Le constat est celui d'une surreprésentation des actions d'information destinées au milieu médical. En effet, les actions à thème « médical » concernent plus de 60% du total des participants. Les CRMR sont fortement médicalisés et implantées dans des CHU, leurs actions d'information s'adressent donc en priorité à ce public médical. Le personnel scientifique est aussi bien représenté (39% du public total), ce qui est en lien avec la forte

dimension recherche des CRMR. A noter que le public scientifique occupe une proportion plus grande dans les sites coordonnateurs que dans les sites constitutifs, ce qui indique les sites coordonnateurs sont moteurs dans les activités de recherche. Par contre, le champ « médico-social » est en retrait : il représente moins de 10% du public total de ces actions d'information à destination des usagers et des professionnels des CRMR.



Exemple de lecture : 60% des participants aux actions d'information à destination des usagers et des professionnels des CRMR sont allés dans des actions à thème « médical ».

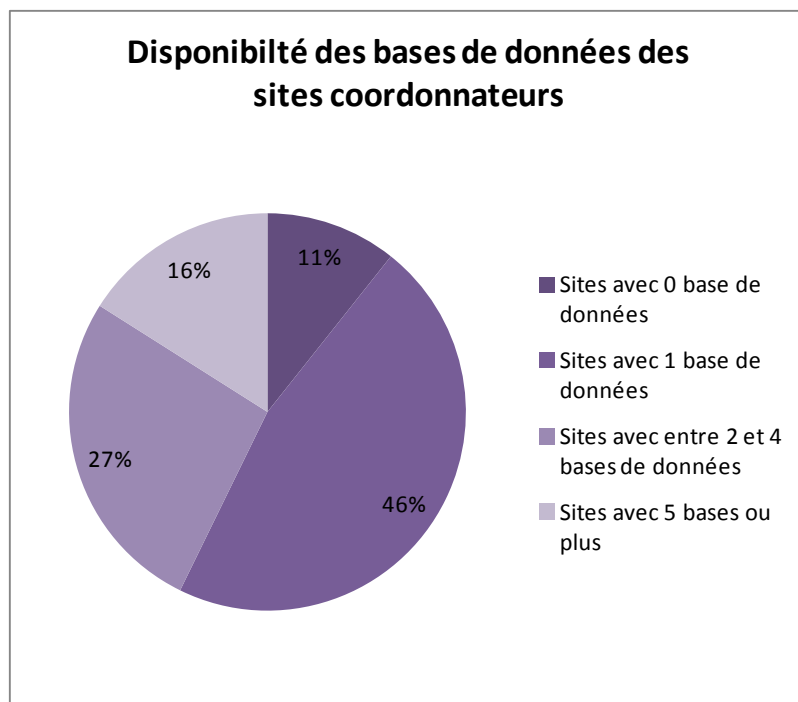
D- Bases de données et guides de bonnes pratiques

Les missions des CRMR portent également sur l'amélioration des connaissances et des pratiques professionnelles. Deux items identifiés dans le rapport PIRAMIG ont été analysés : l'existence de bases de données à vocation épidémiologique et l'utilisation de guides de bonnes pratiques professionnelles.

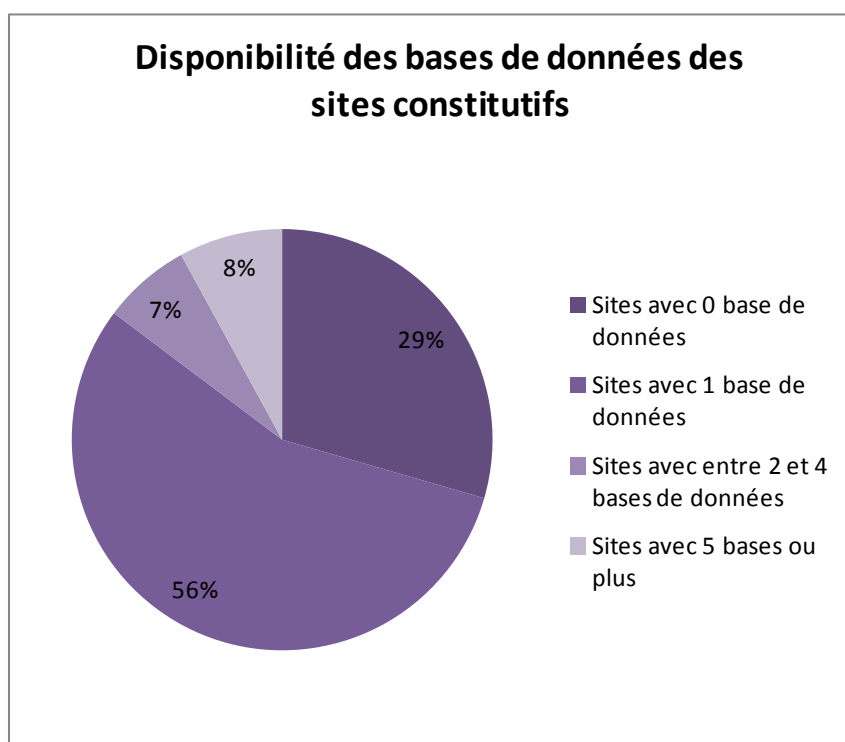
1) Disponibilité de bases de données à vocation épidémiologique

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

- 667 bases de données sont déclarées ;
- 11% des sites coordonnateurs et 29% des sites constitutifs n'ont pas des bases épidémiologiques ;
- 16% des sites coordonnateurs et 8% des sites constitutifs déclarent plus de 5 bases.

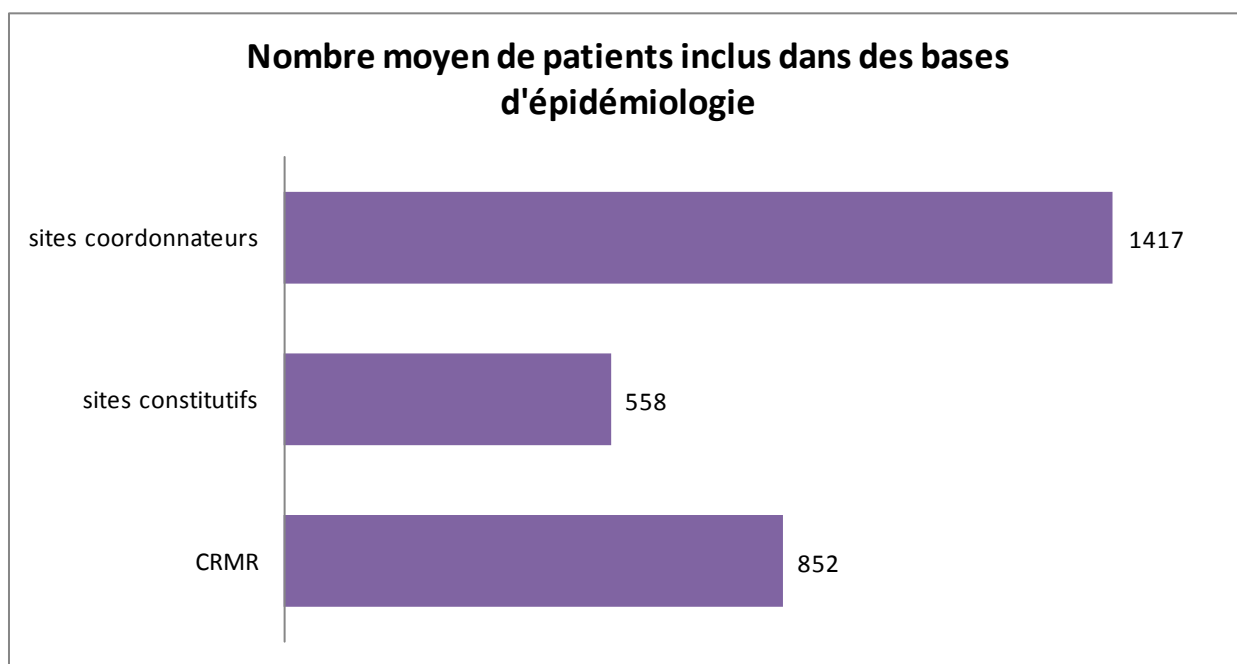


Exemple de lecture : 27% des sites coordonnateurs comptent entre 2 et 4 bases de données à vocation épidémiologique



Le nombre total de patients suivis dans ces bases est de 352 646 patients dont 185 627 patients pour les bases des sites coordonnateurs.

Enfin, les sites coordonnateurs incluent en moyenne significativement plus de patients dans leurs bases que les sites constitutifs (1 417 patients contre 558).

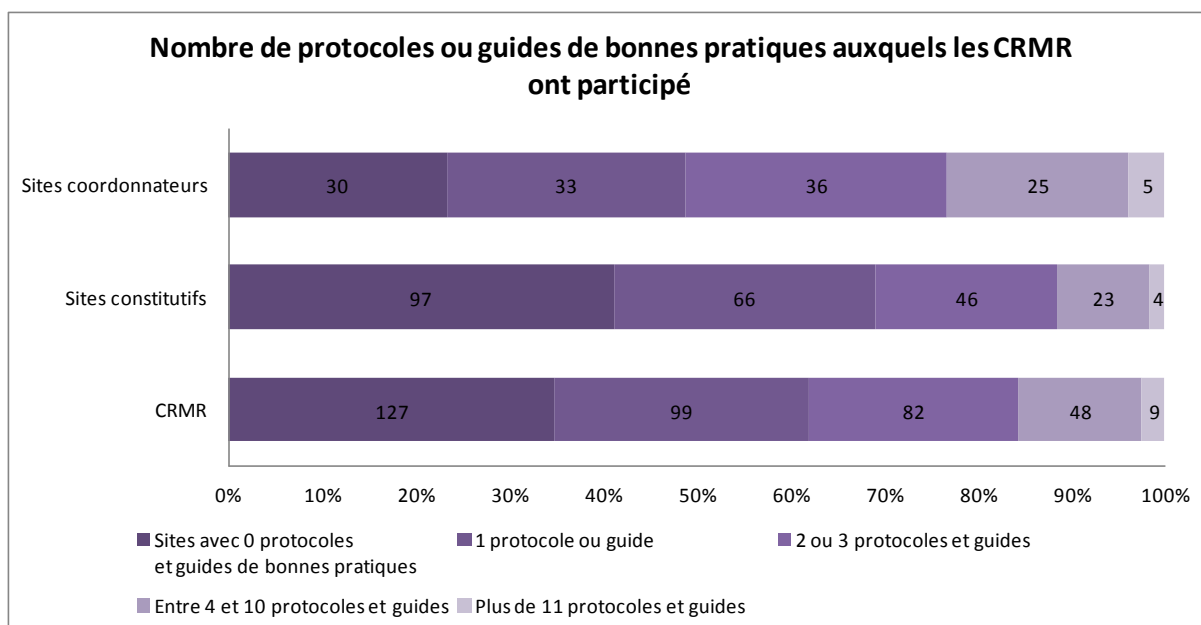


Les conclusions à tirer de ces résultats doivent être prudentes, en l'absence de précision sur la nature des bases déclarées. Le libellé de la question est certainement à revoir et à préciser pour la prochaine enquête PIRAMIG. L'engagement dans la Banque Nationale Maladies Rares (BNDMR) devra être renseigné.

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

L'analyse des réponses à l'item concernant la production de protocoles et guides de bonnes pratiques (PNDS) par les sites des CRMR renseigne sur l'activité des CRMR en termes de mise en œuvre 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 2013. Force est de constater cette participation est faible : plus de 30% des CRMR n'ont pas participé à la rédaction de tels protocoles, cela concerne 20% des sites coordonnateurs et 40% des sites constitutifs.



Exemple de lecture : 33 sites coordonnateurs ont participé à l'élaboration et la diffusion d'un protocole ou guide de bonnes pratiques au cours de l'année 2013.

Ce résultat est à confronter au fait que seulement 52 PNDS ont été réalisés depuis le 1^{er} plan national. Il conviendra de préciser la question ultérieurement pour bien identifier cette activité de production de PNDS, qui relève principalement des sites coordonnateurs et dans l'avenir des filières de santé maladies rares.

F- Activité de formation

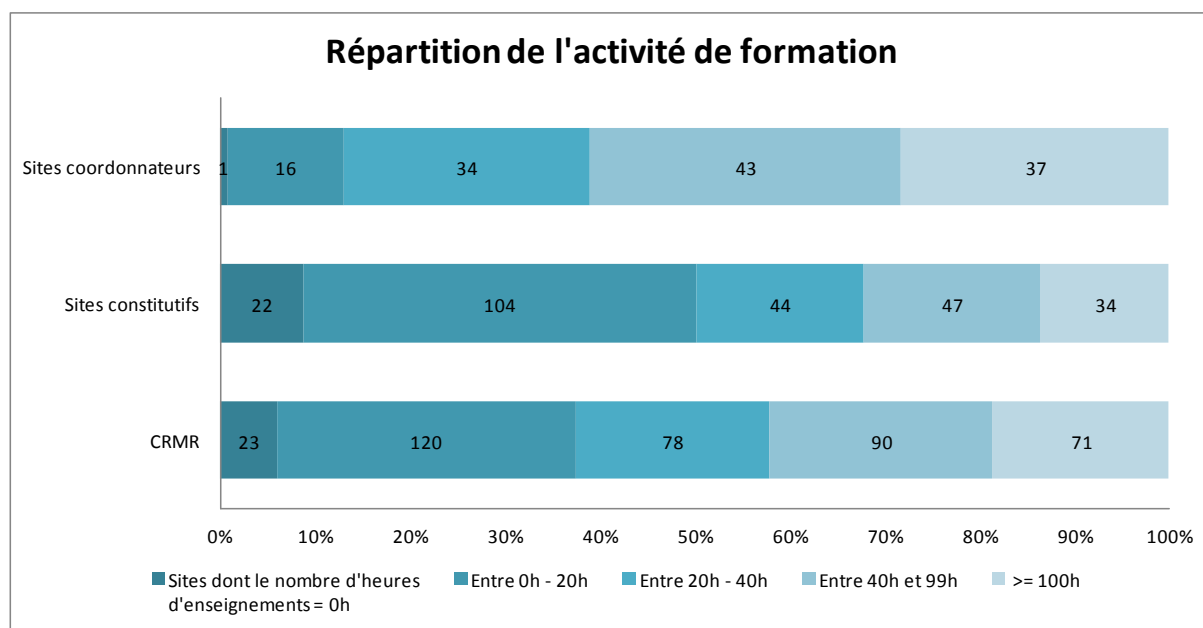
Parmi les missions des CRMR, et notamment des sites coordonnateurs, figure l'activité de formation. Pour analyser cette donnée, les heures d'enseignements universitaires et de formation continue dispensées par les CRMR ont été agrégées afin d'apprécier l'effort global fourni.

La moyenne du temps d'enseignement des CRMR observée est de 64 heures mais présente une grande dispersion : 25% des CRMR comptabilisent moins de 10 heures de formation dispensées contre 25% des CRMR qui en comptabilisent plus de 70 heures.

Pour les seuls sites coordonnateurs, la moyenne est plus élevée (100 h) mais présente également une dispersion importante avec une médiane à 57 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 50 heures d'enseignements.

Nombre d'heures d'enseignements universitaires et de formation continue des CRMR						
	Moyenne	Min	1er quartile	Médiane	3e quartile	Maximum
Sites coordonnateurs	101	0	30	57	114	700
Sites constitutifs	51	0	7	18	50	2 330
Ensemble des sites des CRMR	68	0	12	30	74	2 330



Exemple de lecture : 22 sites constitutifs ne dispensent aucune heure d'enseignement, ce qui représente moins de 10% des 251 sites constitutifs.

G- Activité de recherche

L'activité de recherche est une mission importante des CRMR, rappelée dans les circulaires de la DGOS portant les appels d'offres pour la labellisation des CRMR (cf annexe II).

1) Mesure de l'activité de recherche des CRMR

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

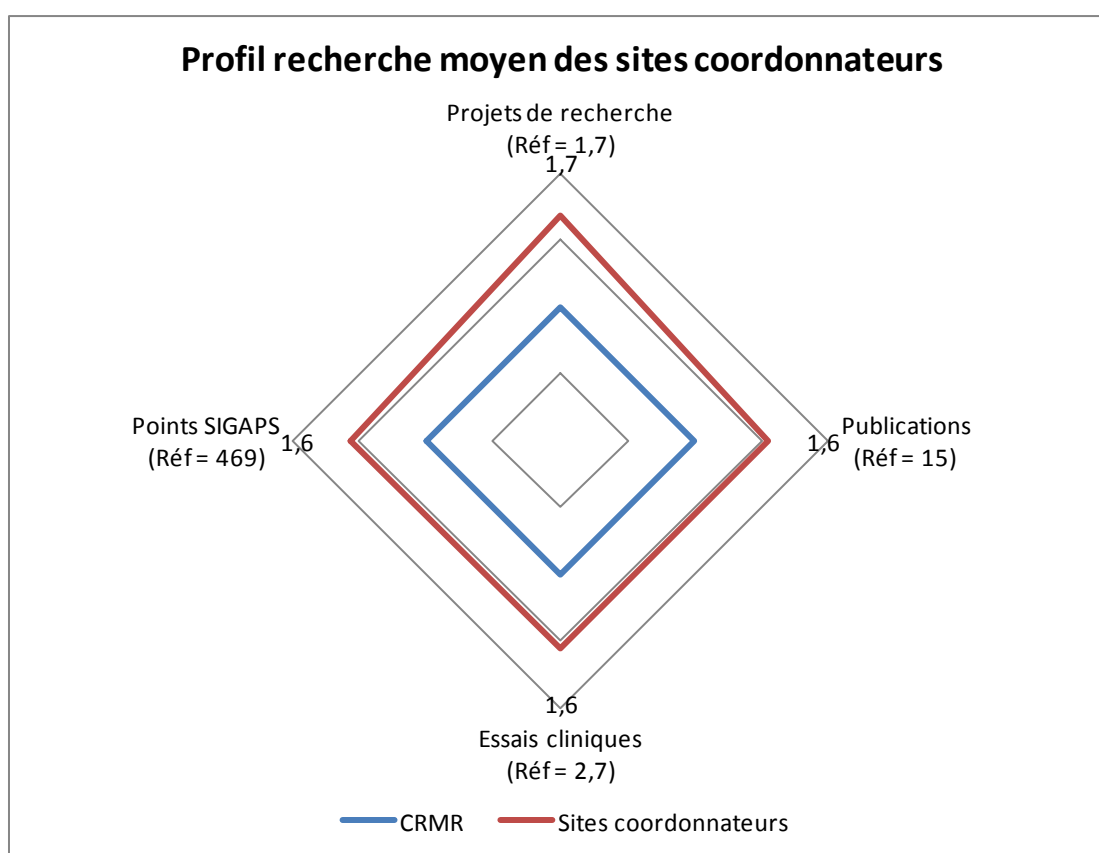
- La moyenne du nombre de projets de recherche dans lesquels le site est investigateur principal ;
- La moyenne du nombre de publications réalisées par les équipes du site ;
- La moyenne du nombre de points SIGAPS sur trois ans (2011-2013) obtenus par les équipes du site au travers de publications sur la thématique des maladies rares ;

- La moyenne du nombre d'essais cliniques en cours sur la période, auxquels participent les personnels de la structure, et qui sont référencés dans SIGREC ou sur le site « clinicaltrials.gov ».

Comme établi précédemment, un profil a été réalisé sur la base de ces quatre critères permettant de situer les sites coordonnateurs et constitutifs par rapport aux 382 sites des CRMR.

a) Profil des sites coordonnateurs

Un premier profil peut être présenté en comparant les sites coordonnateurs à un carré qui est calculé avec la moyenne des 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).



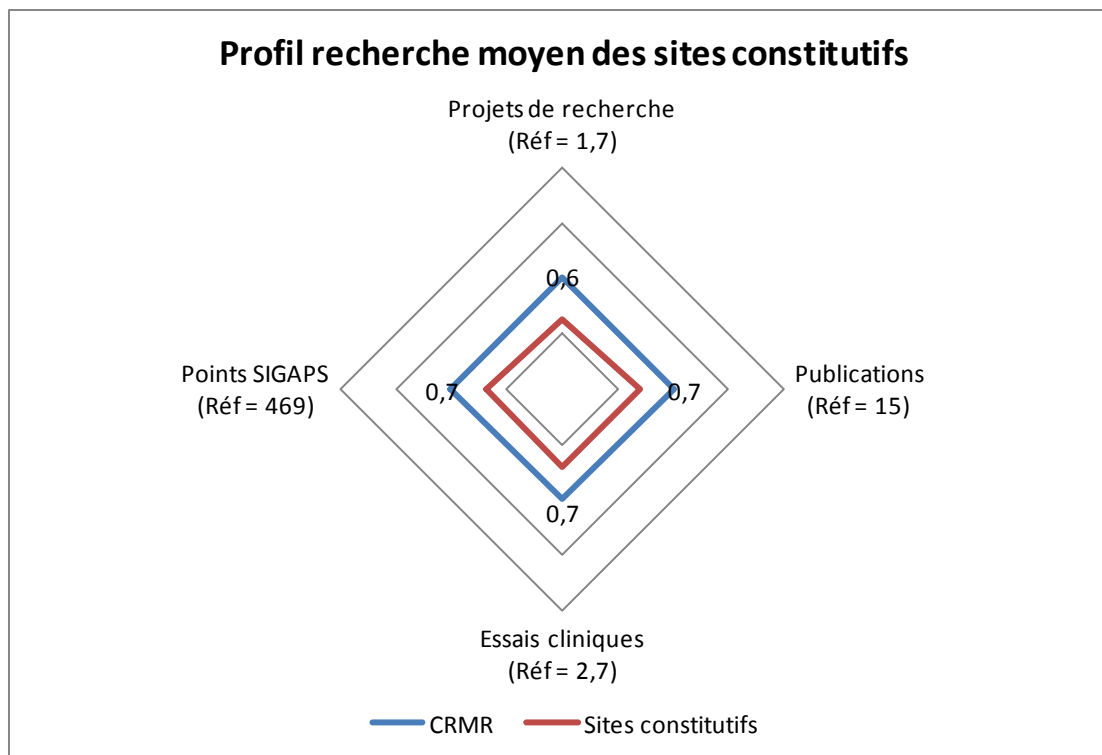
Exemple de lecture : les sites coordonnateurs réalisent 1,6 fois plus de publications que la moyenne des 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 15 publications par an.

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

De même, un second profil peut être présenté en comparant les sites constitutifs à un carré qui toujours calculé avec la moyenne des 382 sites des CRMR (sites coordonnateurs et sites constitutifs).

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 382 sites des CRMR. La moyenne des 382 sites des CRMR s'établit à 15 publications par an.

Tableau de synthèse des données présentées ci-dessus :

Activité de recherche des CRMR mesurée en nombre moyen				
	De projets de recherche	De publications	D'essais cliniques	De points SIGAPS
Sites coordonnateurs	2,9	23	4,2	736
Sites constitutifs	1,1	10	1,9	322
Ensemble des sites des CRMR	1,7	15	2,7	469

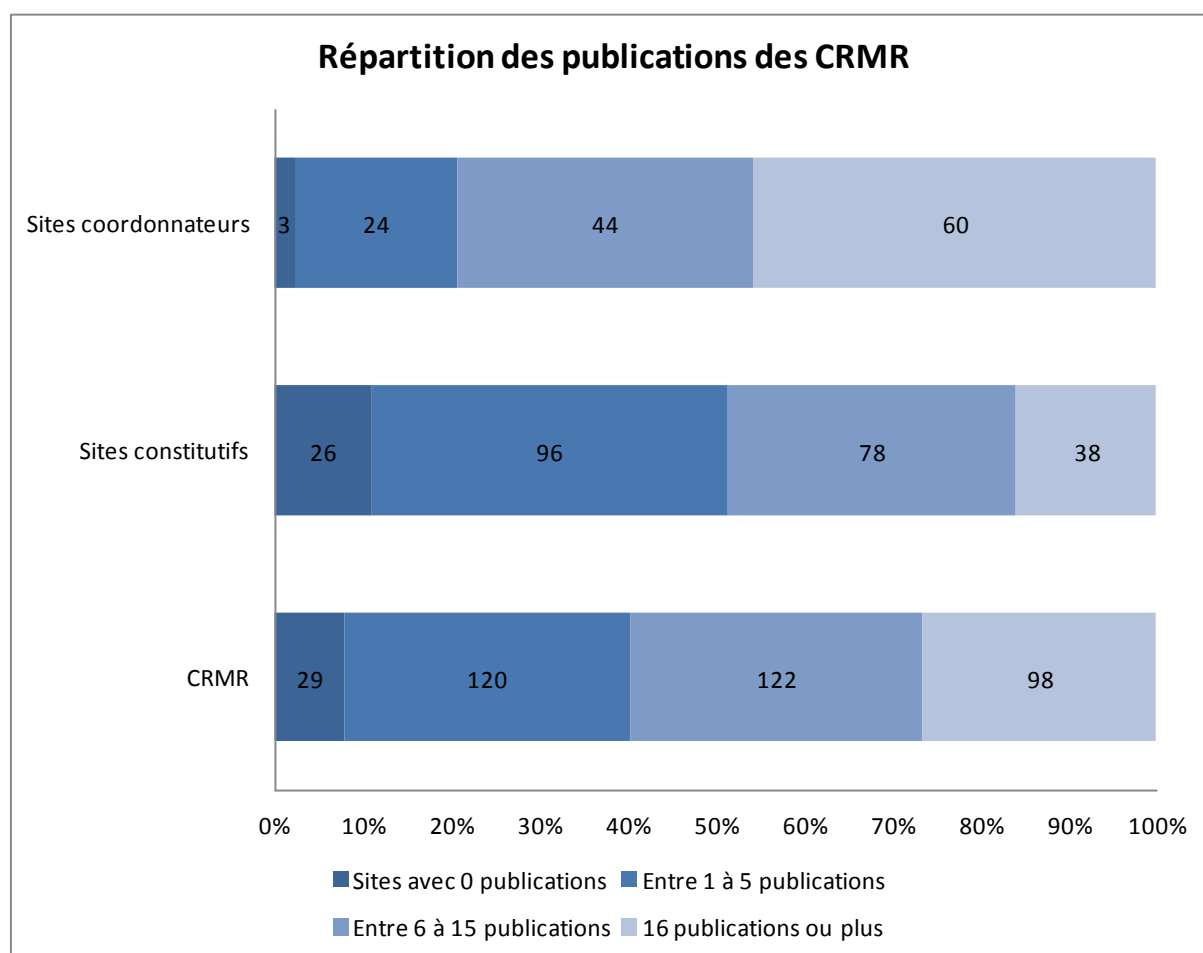
2) Analyse des quatre items identifiés

a) Publications et points SIGAPS

Publications

Un premier élément d'analyse concerne le nombre de publications des CRMR. Il en ressort que la grande majorité des 382 sites des CRMR ont une activité de publication, seuls 10% des sites constitutifs et trois des 131 sites coordonnateurs n'ont aucune publication en 2013.

L'activité de publication la plus forte est essentiellement supportée par les sites coordonnateurs (23 publications en moyenne contre 15 pour les sites constitutifs). Enfin, 45% des coordonnateurs rédigent plus de 16 publications en 2013 contre moins de 20% pour les sites constitutifs.



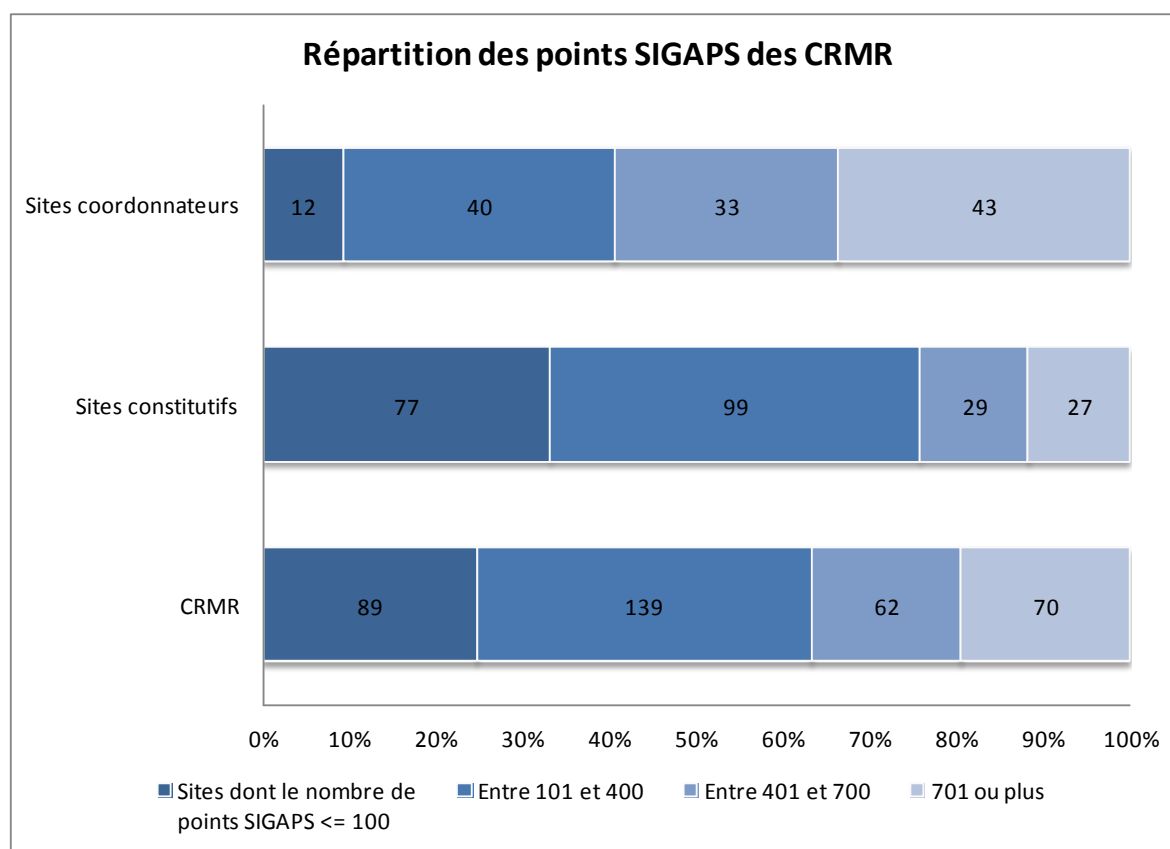
Points SIGAPS

L'analyse est complétée en s'intéressant aux points SIGAPS qui ont été calculés sur trois ans (2011-2013) en sommant les résultats obtenus par tous les professionnels du site travaillant sur des thématiques maladies rares. Il apparaît que la moyenne des points SIGAPS des sites maladies rares s'établit à 424 points, pour les sites coordonnateurs elle s'élève à 736 points.

En outre, il apparaît que plus de 35% des sites constitutifs ont obtenu moins de 100 points SIGAPS alors qu'ils ne sont que 10% chez les sites coordonnateurs. A l'opposé, moins de 15% des sites constitutifs obtiennent plus de 700 points SIGAPS alors qu'ils sont 30% pour les sites coordonnateurs.

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

Points SIGAPS sur trois ans des CRM						
	Moyenne	Min	1er quartile	Médiane	3e quartile	Maximum
Sites coordonnateurs	736	0	252	479	890	4 798
Sites constitutifs	322	0	67	181	393	4 932
CRM	469	0	102	262	560	4 932



Exemple de lecture : 12 sites coordonnateurs comptabilisent moins de 100 points SIGAPS, ce qui représente moins de 10% des 131 sites coordonnateurs.

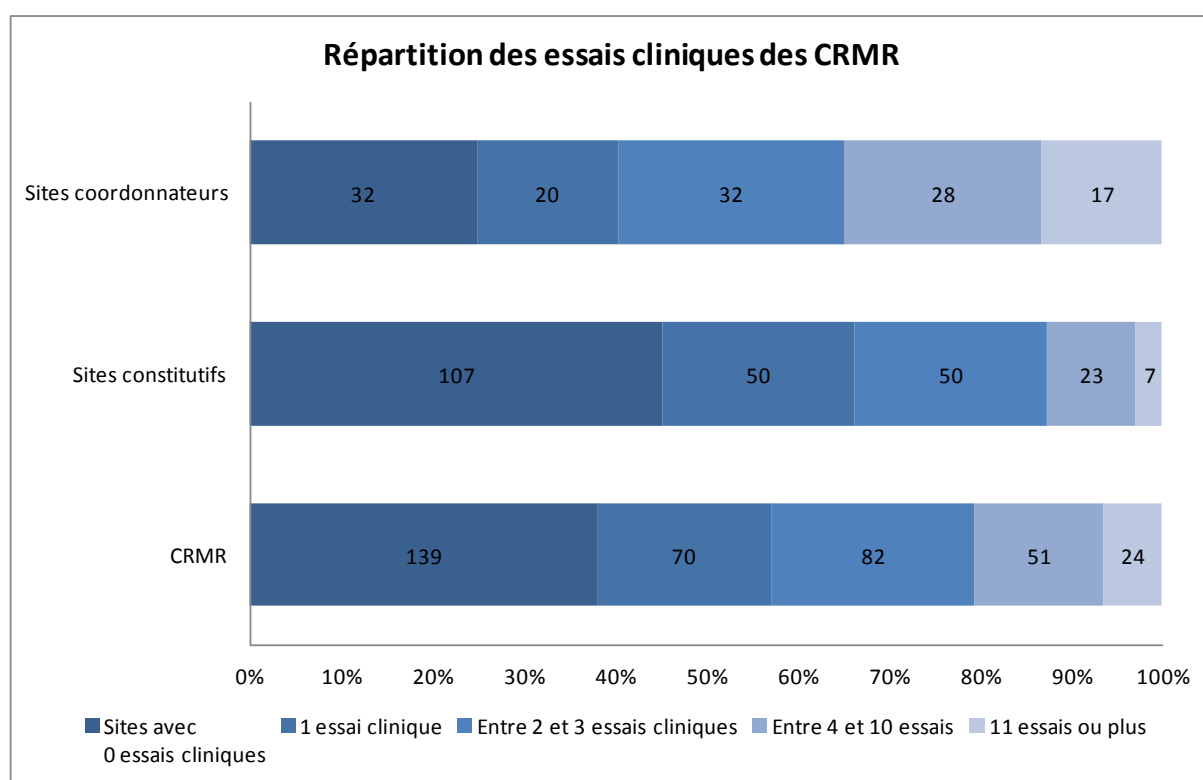
b) Essais cliniques et projets de recherche

Deux autres composantes viennent compléter l'analyse de l'activité recherche des CRMR : les essais cliniques et les projets de recherche pour lesquels le site est investigateur principal.

Le rôle de leader des sites coordonnateurs en matière de recherche est confirmé : ils participent à plus d'essais cliniques (4 essais contre 2,7 pour l'ensemble des CRMR) et sont investigateurs principaux dans plus de projets de recherche (3 projets contre 1,7 pour l'ensemble des CRMR).

Essais cliniques :

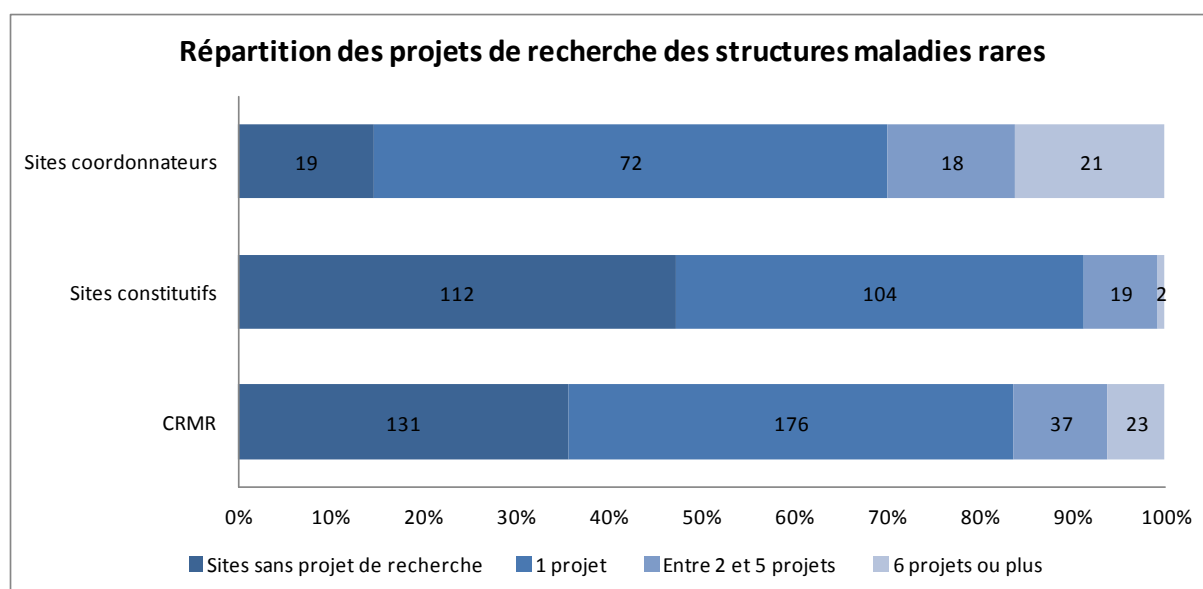
Plus de 40% des sites constitutifs et 20% des sites coordonnateurs ne participent pas à des essais cliniques. A l'opposé, 35% des sites coordonnateurs et 10% des sites constitutifs réalisent 4 essais cliniques ou plus.



Projets de recherche

L'analyse des données montre que les sites coordonnateurs conduisent plus de projets de recherche que les sites constitutifs : 90% des sites coordonnateurs contre 50% des sites constitutifs sont investigateurs dans des projets de recherche.

Certains sites constitutifs sont moteurs dans les projets de recherche, en effet près de 10% des sites constitutifs conduisent plus de 2 projets de recherche.

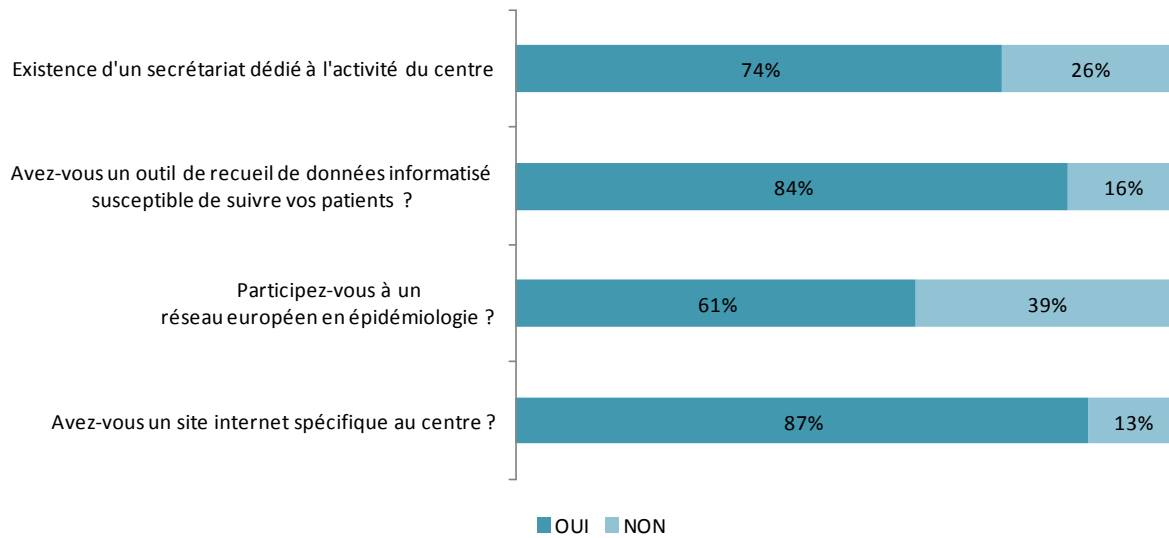


H- Synthèse des questions dichotomiques

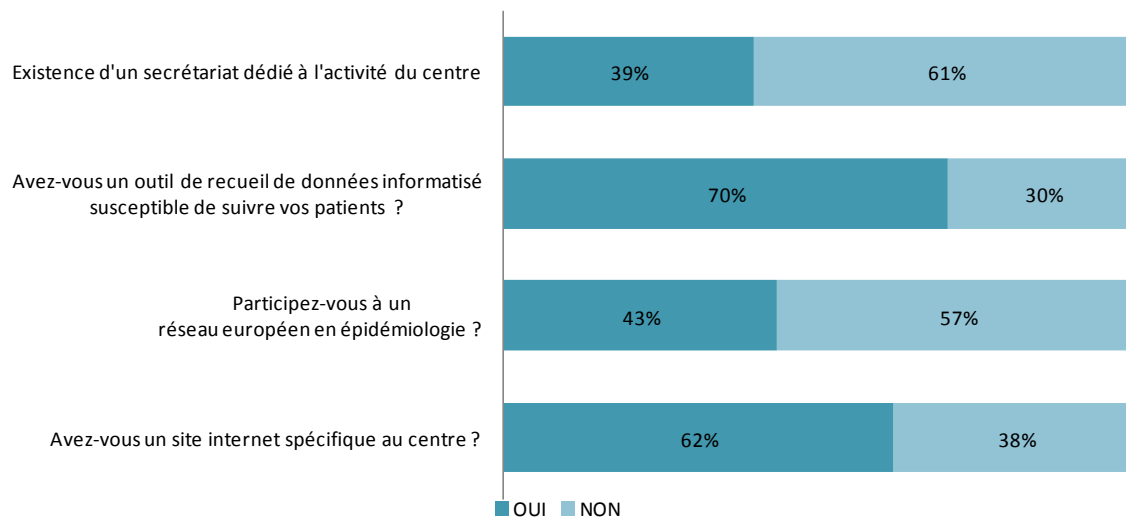
Les questions dichotomiques (oui/non) du rapport permettent de dresser quatre constats pour l'année 2013 :

- 74% des sites coordonnateurs ont un secrétariat dédié à leur activité contre 39% des sites constitutifs ;
- 84% des sites coordonnateurs ont un outil de recueil de données informatisé susceptible de suivre leurs patients contre 70% des sites constitutifs ;
- 61% des sites coordonnateurs participent à un réseau européen en épidémiologie contre 43% des sites constitutifs ;
- 87% des sites coordonnateurs ont un site internet dédié à leur activité contre 62% des sites constitutifs.

Réponses des sites coordonnateurs



Réponses des sites constitutifs



CONCLUSION

Les analyses conduites à ce stade sont très générales.

Pour autant les données permettent, pour la première fois, d'avoir une représentation, voire une quantification des grandes missions dévolues aux centres de référence maladies rares.

Une des principales observations porte sur le différentiel existant entre les sites coordonnateurs et constitutifs. Ceci répond à une certaine logique d'organisation et de hiérarchie des missions, mais interroge également sur le fonctionnement et l'organisation de certains CRMR.

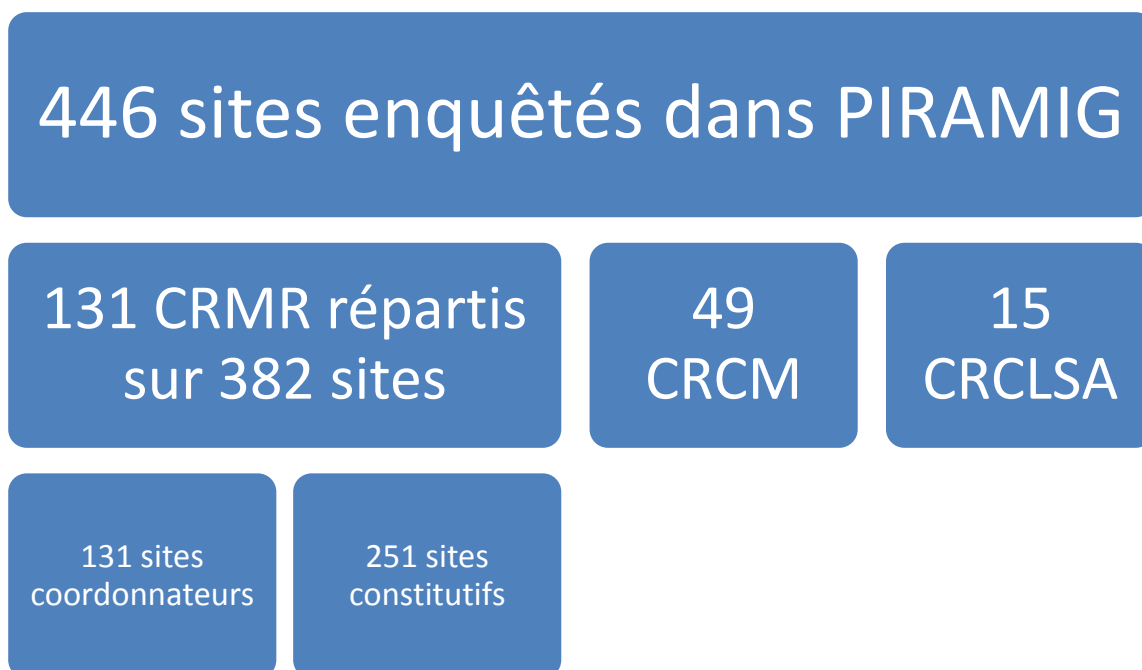
Une seconde observation porte sur les extrêmes observés pour certains items comme les données d'activités cliniques, la formation, la recherche, les nombre de bases de données, indiquant des différentiels d'activité importants entre CRMR non corrélées, à tout le moins selon les données remontées, aux dotations budgétaires déclarées.

Plus de 65% de CRMR ne sont pas érigés en unité fonctionnelle (ou unité de gestion terme usité à l'APHP) ce qui a 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).

Nous serons attentifs aux remarques que ce rapport suscitera pouvant conduire à quelques modifications voire surtout à des précisions sur le libellé de certains items.

ANNEXE I

Structures enquêtées¹



¹ Il y avait 49 CRCM en 2013 et 45 suite à un arrêté de janvier 2014

ANNEXE II

Missions des centres de référence maladies rares²

Le centre de référence d'une maladie rare ou d'un groupe de maladies rares est un ensemble de compétences pluridisciplinaires hospitalières organisées autour d'équipes médicales hautement spécialisées.

Il assure un rôle

- D'expertise pour une maladie ou un groupe de maladies rares ;
- De recours, qui lui permet, du fait de la rareté de la pathologie prise en charge et du faible nombre des équipes spécialistes dans le domaine, d'exercer une attraction (interrégionale, nationale ou internationale en particulier européenne) au-delà du territoire de santé de son lieu d'implantation.

Les centres de référence ont essentiellement cinq missions :

1- Assurer au malade et à ses proches une prise en charge globale et cohérente :

- en améliorant l'accès au diagnostic de la ou des maladies rares et l'accompagnement de l'annonce du diagnostic ;
- en définissant et en réévaluant régulièrement la stratégie de prise en charge et le suivi pluridisciplinaire des patients dans le cadre d'une filière de soins organisée et cohérente ;
- en veillant à l'information et à la formation des malades et de leur entourage.

2- Améliorer la prise en charge de proximité en lien avec les établissements et professionnels de santé :

- en identifiant des correspondants hospitaliers et acteurs de proximité qui permettent d'assurer un suivi du malade au plus près de son domicile ;
- en organisant une filière de soins ;
- en formant et en informant les professionnels de santé non spécialistes sur les maladies rares.

² Extrait de la « Circulaire DHOS/DGS/O4/SD5D no 2006-33 du 23 janvier 2006 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares » »

3- Participer à l'amélioration des connaissances et des pratiques professionnelles dans le domaine des maladies rares :

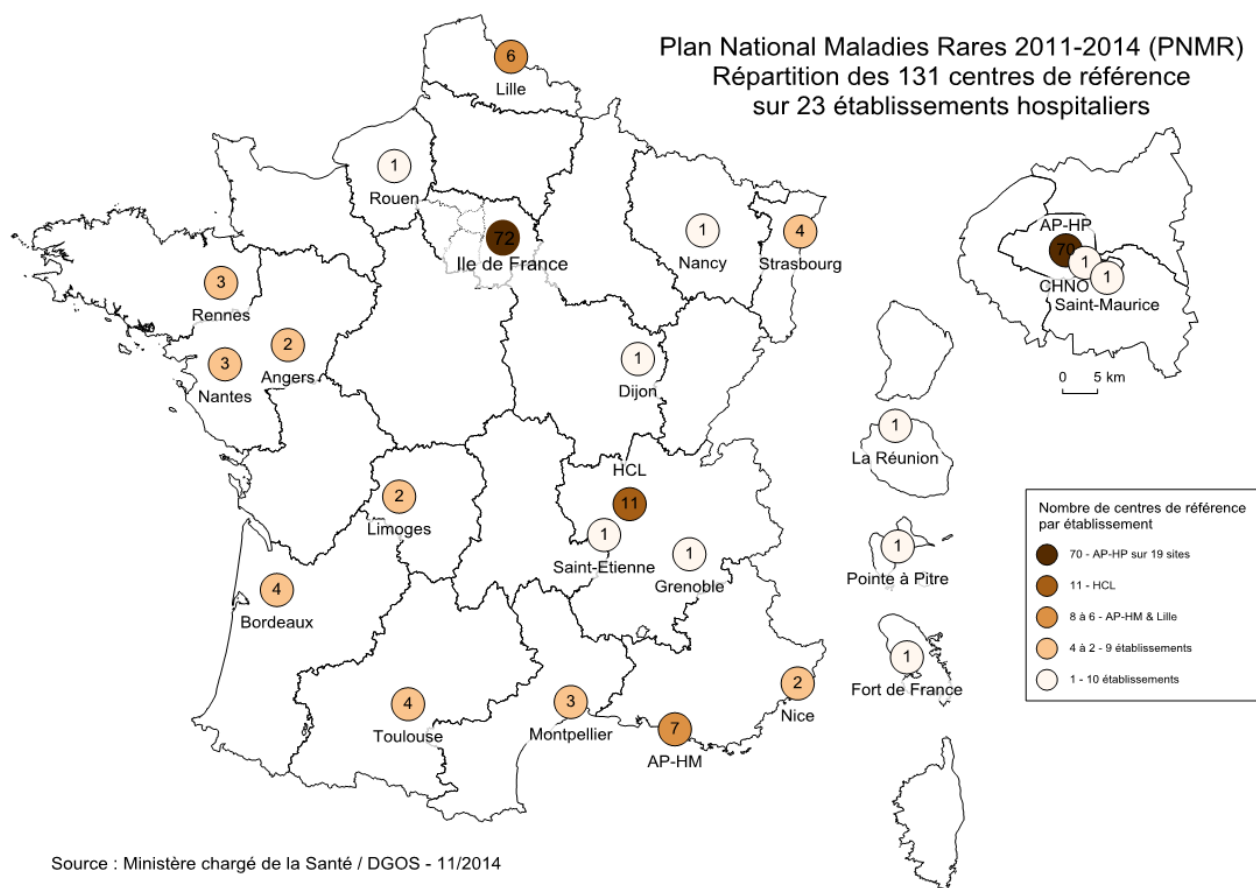
- en participant à la surveillance épidémiologique de la maladie ;
- en réalisant des recherches et essais thérapeutiques ;
- en assurant la diffusion (indications et prescriptions) et le suivi des thérapeutiques et dispositifs orphelins ;
- en mettant en place des bonnes pratiques professionnelles concernant la ou les pathologies, en liaison avec les équipes nationales et internationales, en particulier européennes.

4- Développer les outils de la coordination entre les différentes structures et acteurs prenant en charge la même pathologie ou groupe de pathologies.

5- Apporter aux autorités administratives les connaissances essentielles pour évaluer et piloter la politique sanitaire dans le domaine des maladies rares et être l'interlocuteur des associations de malades pour œuvrer à l'amélioration de la prise en charge et de la qualité de vie du malade et de ses proches.

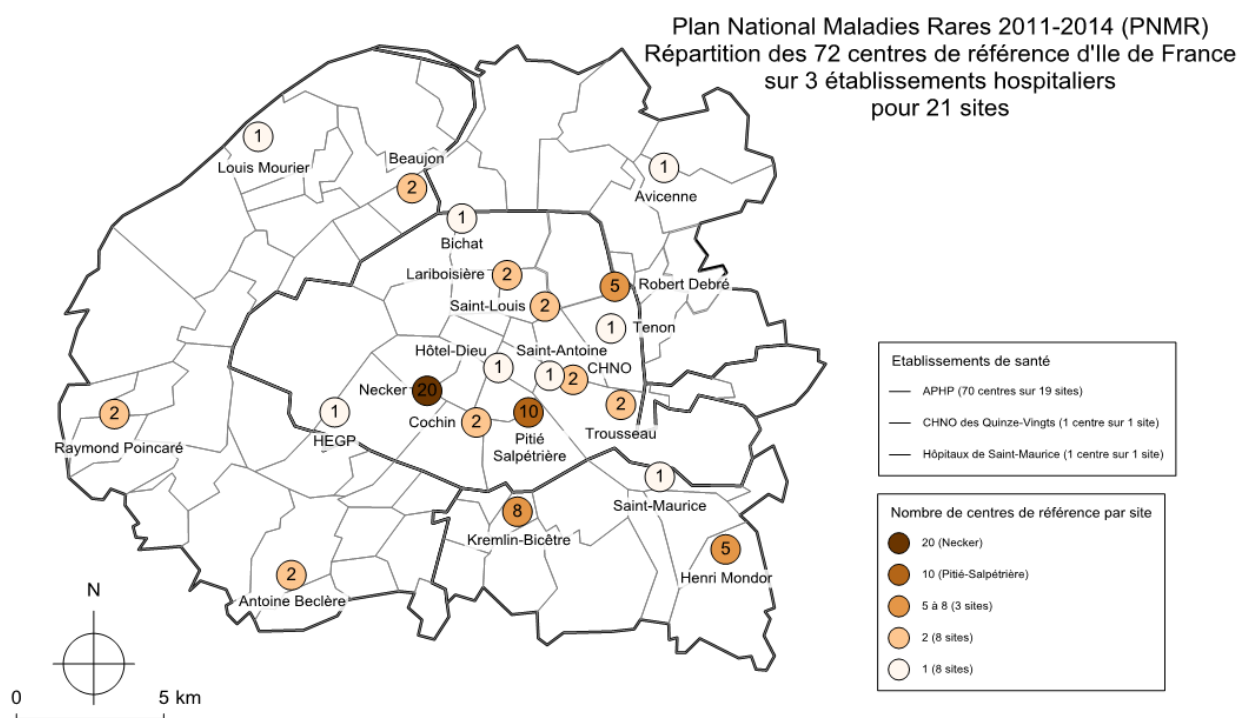
ANNEXE III

Répartition des 131 sites coordonnateurs



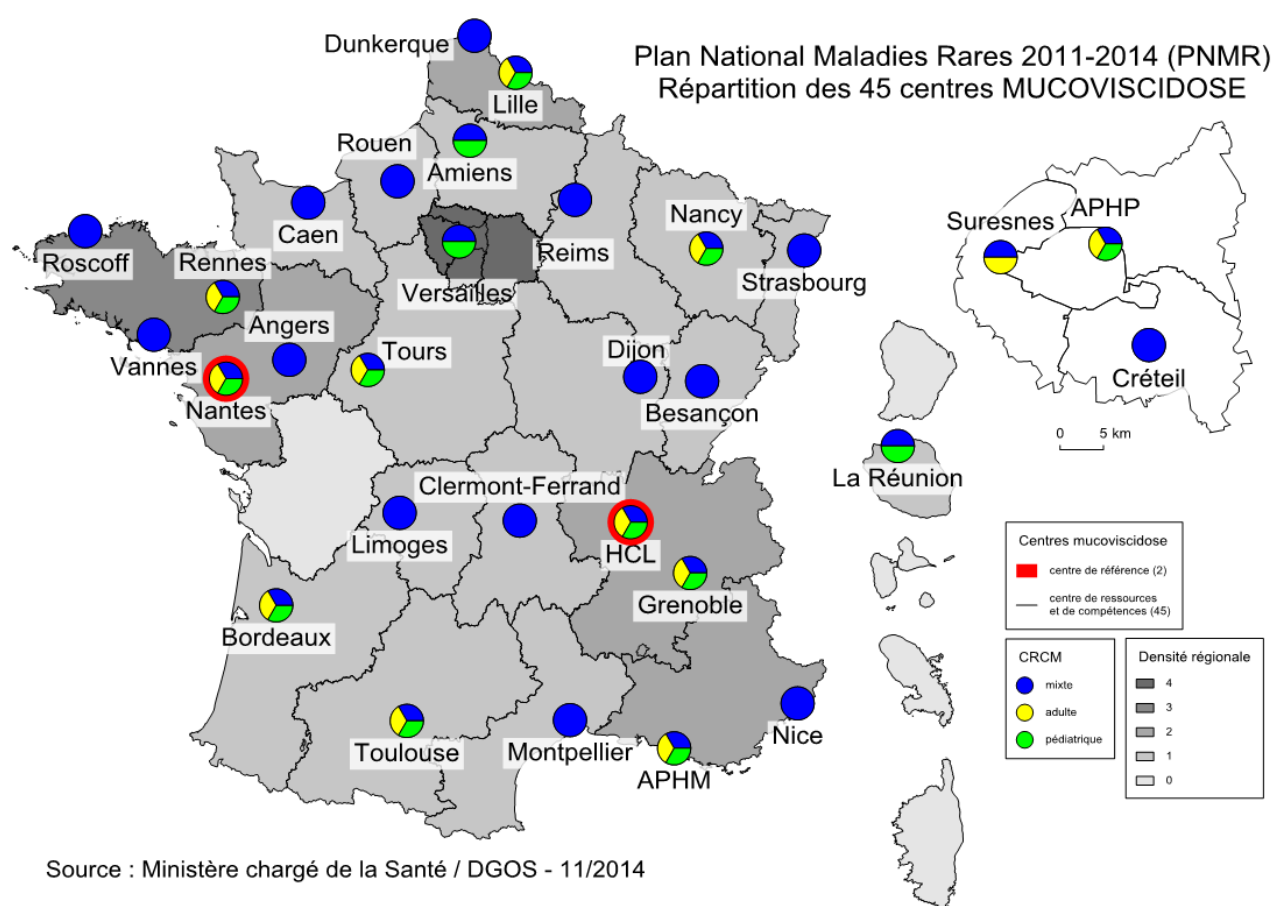
ANNEXE IV

Répartition des 72 sites coordonnateurs d'Île de France



ANNEXE V

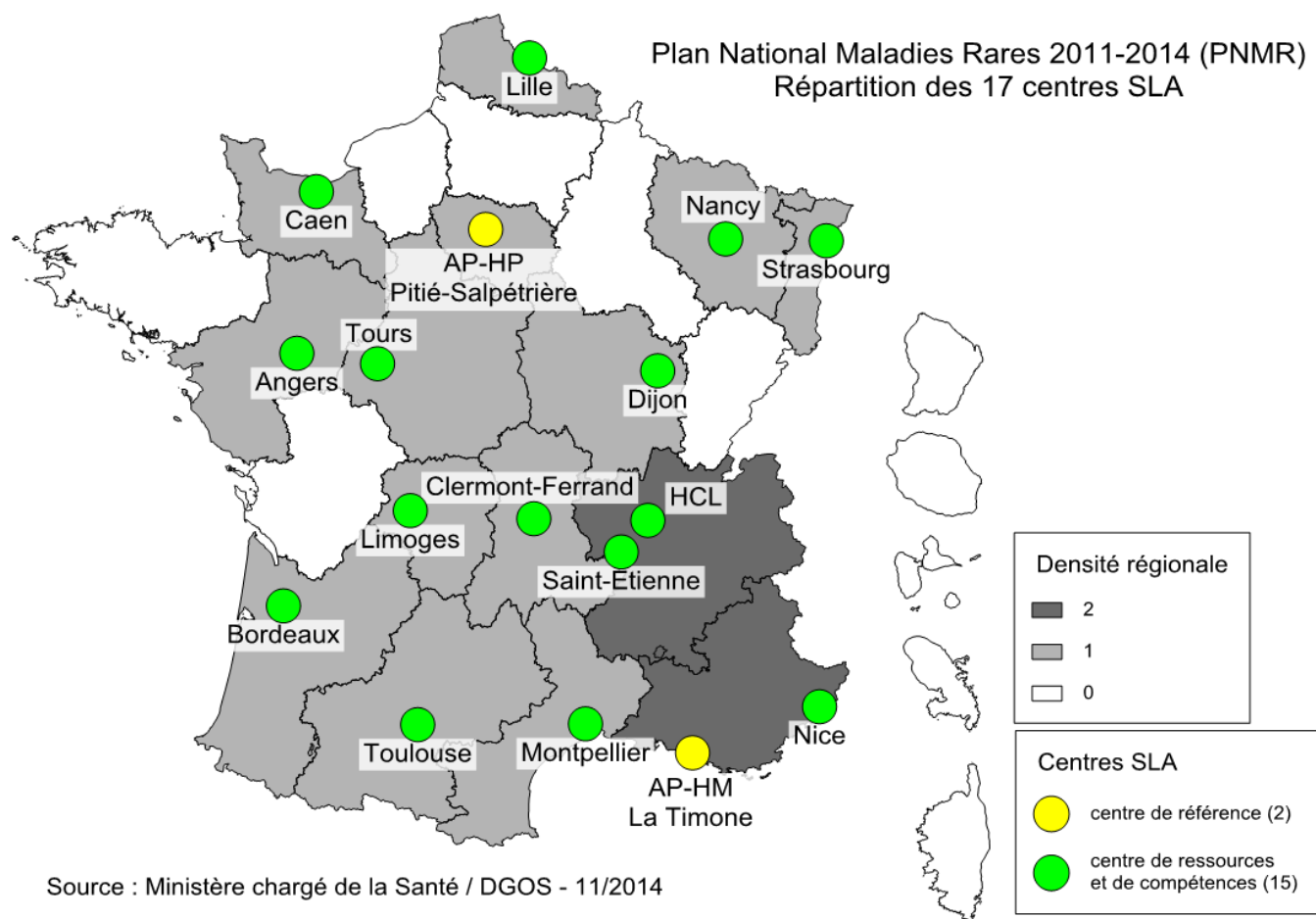
Répartition des 45 centres de ressources et de compétences mucoviscidose (CRCM)³ et deux centres de référence



³ Reconnus par arrêté de janvier 2014

ANNEXE VI

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



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.
- CRMR :** centres de référence maladies rares : 131 sites coordonnateurs et 251 sites constitutifs qui assurent la prise en charge de premier recours des patients atteints de maladies rares en France.
- CRCM :** centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose : 49 centres en 2013 (45 centres en 2014) qui assurent la prise en charge des patients atteints de mucoviscidose.
- CRCSLA :** centres de ressources et de compétences de la sclérose latérale amyotrophique : 15 centres qui assurent la prise en charge des patients atteints de sclérose latérale amyotrophique.
- 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.
- EPU :** enseignement post universitaire : appellation de la formation médicale continue obligatoire, pour les professions médicales notamment.
- GHS :** groupe homogène de séjour.
- HAS :** haute autorité de santé.
- 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.
- 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.⁴
- SIGAPS :** système d'interrogation, de gestion et d'analyse des publications scientifiques : projet de mise 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.

DEFINITIONS

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

MEDIANE : la médiane est la valeur qui partage une distribution statistique en deux parties égales.

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.

SITES COORDONNATEURS : 131 sites qui sont en charge des 131 CRMR.

SITES CONSTITUTIFS : 251 sites qui apportent une expertise complémentaire aux 131 sites coordonnateurs.

⁴ http://www.has-sante.fr/portail/jcms/c_1340879/fr/protocoles-nationaux-de-diagnostic-et-de-soins-pnds

