



1^{ère} Journée FILFOIE

Filière de Santé Maladies Rares du Foie de l'Adulte et de l'Enfant

5 novembre 2015

Campus les Cordeliers- Paris

Historique de la création des filières

1^{er} Plan National Maladies Rares (2005-2008)

- Centres de référence - Centres de compétence

Rôles:

✓ Expertise pour une maladie ou un groupe de maladies

✓ Recours interrégional, national ou international

Missions

✓ Améliorer l'accès au diagnostic

✓ Définir une stratégie de prise en charge thérapeutique et médico-sociale

✓ Définir et diffuser des protocoles de prise en charge

✓ Coordonner les travaux de recherche et participer à la surveillance épidémiologique

✓ Participer à des actions de formation et d'information

✓ Animer et coordonner les réseaux de correspondants sanitaires et médico-sociaux ;

✓ Interlocuteurs privilégiés pour les tutelles et les associations de malades.

2^e Plan National Maladies Rares (2011-2014)

- Filières de Santé Maladies Rares

Rôles:

✓ Coordination des acteurs concernés par des groupements larges et cohérents de maladies rares

✓ Développement des mutualisations et des complémentarités entre les différents acteurs

Missions

✓ Faciliter l'orientation dans le système de santé pour diminuer le délai d'errance diagnostique

✓ Renforcer la coordination de la prise en charge diagnostique, thérapeutique et médico-sociale: assurer un continuum entre les acteurs

✓ Partage des bonnes pratiques

✓ Impulser et coordonner des projets de recherche - Organiser la collecte des données cliniques

✓ Développer l'enseignement et la formation

✓ Coordination avec le secteur médico-social, les associations des patients et les partenaires et organismes européens.



MINISTÈRE DES AFFAIRES SOCIALES ET DE LA SANTÉ

Direction générale de l'offre de soins

Le directeur général, Monsieur Jean Debeaupuis

Tél. 01 40 56 44 64

Fax : 01 40 56 60 66

jean.debeaupuis@sante.gouv.fr

DGOS/DPK/Merc n° 1253/14/D

Paris, le 24 JUIL. 2014

Monsieur le Professeur,

Vous avez déposé un dossier en réponse à l'appel à projets lancé par l'instruction N°DGOS/PF2/2013/306 du 29 juillet 2013 relative à la structuration des filières de santé maladies rares. Trente-deux dossiers ont été déposés.

J'ai le plaisir de vous informer que le groupe permanent réuni le 10 juillet dernier a rendu un avis favorable sur votre dossier. La filière de santé maladies rares « Maladies hépatiques rares de l'enfant et de l'adulte » (FILFOIE), dont vous serez l'animateur pour une période de quatre ans, est donc retenue.

Le Directeur Général
de l'Offre de Soins

Jean DEBEAUPUIS

NB: 23 Filières/32 demandes

2^e Plan National Maladies Rares (2011-2014)

➤ Juin 2014: Création des 23 filières de santé maladies rares

AnDDI-Rares Anomalies du développement	FILNEMUS Maladies neuromusculaires	MHEMO Maladies hémorragiques
BRAIN TEAM Maladies du système nerveux central	FILSLAN SLA et maladies du neurone moteur	MUCO/CFTR Mucoviscidose
CARDIOGEN Maladies cardiaques héréditaires	FIMARAD Maladies dermatologiques	NeuroSphinx Troubles neurologiques et malformatifs sphinctériens
DefiScience Maladies du développement cérébral et déficience intellectuelle	FIMATHO Malformations Abdomino-Thoraciques	ORKID Maladies rénales
FAIR Maladies Auto-Immunes et Auto-Inflammatoires	FIRENDO Maladies endocriniennes	OSCAR Maladies osseuses
FAVA-Multi Anomalies vasculaires rares avec atteinte multisystémique	G2M Maladies héréditaires du métabolisme	RESPIFIL Maladies respiratoires
FILFOIE Maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant	MARIH Maladies immunohématologiques	SENSGEN Maladies sensorielles
	MCGRE Maladies Constitutionnelles du Globule Rouge et de l'Érythropoïèse	TETE COU Malformations Tête, Cou et Dents

➤ Composition de la filière



❖ 3 CENTRES DE RÉFÉRENCE

-Atrésies des voies biliaires de l'enfant
(AP-HP, hôpital Bicêtre) (CRAVB)

-Maladies vasculaires du foie de
l'adulte (AP-HP, hôpital Beaujon)
(CRMVF)

-Maladies inflammatoires des voies
biliaires (AP-HP, hôpital Saint-Antoine)
(CRMIVB)

➤ Composition de la filière



❖ 28 CENTRES DE COMPÉTENCE

-CRAVB: 5

CHU Lille	CHU Lyon	CHU Marseille
CHU Rennes	CHU Toulouse	

-CRMVF: 23 (20 en commun avec CRMIVB)

CHU Amiens	CHU Angers	CHU Besançon
CHU Bordeaux	CHU Brest	CHU Caen
CHU Clermont Ferrand	CHU Dijon	CHU Grenoble
CHU Lille	CHU Limoges	CHU Marseille
CHU Montpellier	CHU Nancy	CHU Nice
CHU Orléans	CHU Poitiers	CHU Reims
CHU Rennes	CHU Rouen	CHU Strasbourg
CHU Toulouse	CHU Tours	

-CRMIVB : 20

CHU Amiens	CHU Angers	CHU Bordeaux
CHU Caen	CHU Clermont Ferrand	
CHU Dijon	CHU Grenoble	CHU Lille
CHU Limoges	CHU Marseille	CHU Montpellier
CHU Nancy	CHU Nice	CHU Orléans
CHU Poitiers	CHU Reims	CHU Rennes
CHU Rouen	CHU Strasbourg	CHU Toulouse

➤ Composition de la filière



❖ 5 CENTRES HOSPITALIERS ASSOCIÉS

-Hôpital Necker-Enfants Malades

-Hôpital Paul-Brousse

-Hôpital Cochin

-Hôpital Henri-Mondor

-Hôpital Jean-Verdier

➤ Composition de la filière



- ❖ **Les structures de diagnostic et les laboratoires de recherche rattachés aux CRMR, CC et centres associés**
- ❖ **3 sociétés savantes**
 - Association Française pour l'Étude du foie (AFEF)
 - Groupe Francophone d'Hépatogastroentérologie et Nutrition Pédiatriques (GFHGNP)
 - Société Française de Pédiatrie (SFP)
- ❖ **3 associations de patients**
 - Association Maladies Foie Enfant (AMFE)
 - Association des Malades des Vaisseaux du Foie (AMVF)
 - Association pour la lutte contre les maladies inflammatoires du foie et des voies biliaires (ALBI)

➤ Organisation de la filière

▪ Equipe de coordination

- ✓ Coordonnateur : Pr. O. Chazouillères (CRMIVB – Hôpital Saint-Antoine)
- ✓ Chef de projet : Virginie Tsilibaris
- ✓ Chargées de missions : Angèle Priso, Astrid Fourcher

➤ Organisation de la filière

▪ Equipe de coordination

▪ Comité Directeur

- ✓ **Coordonnateur** de la filière (O. Chazouillères) - **Chef de projet** (V. Tsilibaris)
- ✓ 2 représentants par **centre de référence**
 - E. Jacquemin, B. Hermeziu (CRAVB)
 - D. Valla, A. Plessier (CRMVF)
 - C. Corpechot, C. Housset (CRMIVB)
- ✓ 1 représentant par CRMR du réseau des **centres de compétence**
 - A. Lachaux (Lyon)
 - C. Bureau (Toulouse)
 - O. Gorla (Rouen)
- ✓ 3 représentants des **centres associés**
 - J-C. Duclos-Vallée (Paul Brousse)
 - D. Debray (Necker)
 - M. Corouge (Cochin)
- ✓ Un représentant par **association de patients**
 - H. Gaillard (AMFE)
 - D. Dutheil (AMVF)
 - A. Molet (ALBI)

➤ **Organisation de la filière**

- **Equipe de coordination**
- **Comité Directeur**
- **Groupes de travail : à définir**

Selon les actions qui seront engagées:

- Chef de projet / Chargés de missions de la filière
- Un représentant du Comité Directeur
- Représentants des centres de compétence
- Représentants des associations de patients

- ❖ **« Challenge »: apporter une véritable valeur ajoutée sans perturber les actions des différentes structures ou organisations MR existantes**
- ❖ **Participation des CC: demande de moyens destinés à aider les structures sans personnels de recherche clinique MR.**

Axe 1: Organisation de la collecte des données à des fins de suivi épidémiologique et de recherche

- Mesure de la file active
- Mise à niveau et interopérabilité des bases de données avec la BNDMR
- Appui à la mise en place de la cohorte RaDiCo-COLPAC

Axe 2: Amélioration du parcours de soins

- État des lieux des centres de compétence
- Référentiel de bonnes pratiques portant sur la période de transition d'un service pédiatrique à un service adulte
- Production d'un livret d'accueil en hépatologie pédiatrique

Axe 3: Amélioration de la visibilité de la filière

- Création du site internet FILFOIE
- Organisation de la journée annuelle FILFOIE
- Création d'un « pictogramme » filière de santé maladies rares

➤ **Elargissement du champ de maladies couvert par la filière : ~86 maladies (référence: Orphanet)**

❖ **Maladies cholestatiques**

- Enfants: atrésie des voies biliaires et autres pathologies malformatives des voies biliaires, anomalies de la sécrétion biliaire d'origine génétique, syndrome d'Alagille, cholangites sclérosantes...
- Adultes : cirrhose biliaire primitive, cholangite sclérosante primitive, formes génétiques rares de lithiase biliaire et de cholestase gravidique...

❖ **Maladies vasculaires du foie**

- Maladies primitives des veines hépatiques, des veines du système porte, des artères hépatiques, et des sinusoides

❖ **Hépatites auto-immunes**

❖ **Maladies métaboliques**

❖ **Tumeurs rares du foie**

➤ **Estimation de la file active: 10 000 patients**

→ **Liste définitive à venir avec codes CIM10 et ORPHA**

❖ Banque Nationale des Données Maladies Rares (BNDMR):

- Projet du second Plan National Maladies Rares
- Constitution d'une base nationale à des fins épidémiologiques et de santé publique.

❖ Étapes

- **Recensement** des bases de données existantes (*14 centres / 33*)
- Définition d'un **thésaurus des maladies rares** de la filière pour la BNDMR
- Définition des **items du set de données minimum** pertinents pour la filière
- Renseignement de la **Banque Nationale des Données Maladies Rares**

→ *Une procédure commune sera mise en place par un groupe de travail interfilière*

→ *Session: Points sur trois actions de la filière : 10h BNDMR (R. CHOQUET)*

➤ État des lieux : formulaire/ visite des centres

- **Organisation et fonctionnement** des centres
- **Actions de la filière**
- **Attentes** de la création de la filière

➤ Premiers retours (8 centres sur 33)

- **Manque d'information** de la part de la filière
- Gouvernance et fonctionnement: **Pas assez d'implication des CC**
- Problématiques du « terrain »:

- Problématiques pour le **recueil et l'organisation de l'information**

Manque de moyens (secrétaires, TEC/ARC), consultations non codées, hétérogénéité dans le mode de codage des maladies, informations que pour les maladies pour lesquels les CC ont été labélisés

- Tests génétiques: Une **demande surpassant l'offre diagnostique** due au manque de moyens

➔ ***Les retours seront pris en compte pour dresser la liste des actions prioritaires à engager***

➤ **Spécifique à chaque centre**

➤ **Informations incluses**

- Présentation et localisation du service
- Présentation des équipes médicales
- Informations pratiques pour les enfants
- Informations pratiques pour les parents
- Section « trucs et astuces » au sujet de la ville où se trouve chaque centre
- Renseignements sur les droits de la personne hospitalisée
- Contacts et numéros utiles, liens vers des sites de référence

➤ **Proposition de contenu par l'AMFE**

Modifications/ Validation du contenu par les représentants des centres

filfoie.com

« fusion » des sites des 3 CRMR

- **Actualités** du réseau FILFOIE - Newsletter
- **Annuaire interactif** : CRMR, CC, professionnels de santé, laboratoires de diagnostic
- **Fiches d'information** sur les maladies – abécédaire
- Onglet **offre des soins**: prévention et dépistage, diagnostic, prise en charge thérapeutique
- Onglet **recherche** (inventaire de projets de recherche fondamentale, translationnelle, essais cliniques, cohortes, registres...)
- **Inventaire des formations**, programmes éducatifs
- **Agenda** des évènements
- **Documents d'information** pour professionnels (recommandations, référentiels) et pour patients (textes grand public, documents médico-social)
- **Liens utiles** (Associations de patients, autres structures maladies rares...)

- **Rythme annuel**
- **Public large: professionnels de santé, chercheurs, associations de patients**
- **Prochain format à définir: enquête de satisfaction**

DISCOURS CONTRADICTOIRE

✓ Coordination

- ✓ Parcours de soins: Renforcer l'expertise pluridisciplinaire -Renforcer et coordonner l'accès au diagnostic - Créer des liens avec le médico-social
- ✓ Recenser les recommandations – Prioriser et offrir une aide méthodologique pour leur rédaction
- ✓ Recenser et favoriser la tenue des registres, constitution de cohortes - appui à l'incrémentation de la BNDMR
- ✓ Recenser les projets de recherche – Faire émerger des axes communs et impulser les programmes de recherche-Favoriser l'inclusion de patients - Valoriser le réseau des laboratoires de diagnostic et de recherche
- ✓ Recensement des formations – Susciter des nouveaux programmes d'enseignement – Diffuser l'information aux différents publics

✗ Activité clinique et de recherche

- ✗ Financement de postes de personnel médical, paramédical ou social
- ✗ Rédaction de nouveaux référentiels en lieu et place des existants
- ✗ Recueil des données, création de bases de données génériques
- ✗ Financement direct de la recherche (lancement appels à projets, bourses, financement de personnel dont ARCS mobiles, loyer CRB...)
- ✗ Mise en place de nouveaux cursus de formation

Session de 16h15!