FILFOIE

FILIÈRE DE SANTÉ MALADIES RARES
DU FOIE DE L'ADULTE ET DE L'ENFANT

FILFOIE

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

3e Journée Filfoie

16 novembre 2017

Politique maladies rares en 2017: évènements clés

Liberté • Égalité • Fraternité
RÉPUBLIQUE FRANÇAISE

MINISTÈRE
DES AFFAIRES SOCIALES
ET DE LA SANTÉ

maladies rares

➢ 2e Campagne de labellisation

Labellisation pour la période 2017-2022

104 CRMR coordonnateurs
259 CRMR constitutifs
1773 CCMR *(1er recensement officiel des CCMR)*

➢ Nouveau modèle de financement des CRMR

Enveloppe MIG de ~90 millions d'euros
Part fixe – part variable (dépendant de l'activité des centres)

➢ Vers un 3e plan national maladies rares?

Feuille de route préparée (X. Jeunemaître – S. Odent)
En attente de l'annonce du plan par le Ministère

La filière Filfoie post-labellisation

Mêmes objectifs, mêmes missions

Objectifs

Rassembler les acteurs professionnels et associatifs concernés par les maladies rares du foie, animer leurs relations et coordonner leurs actions.

Missions

- **Monter des actions autour de 4 axes de travail:**

Améliorer la prise en charge globale des patients

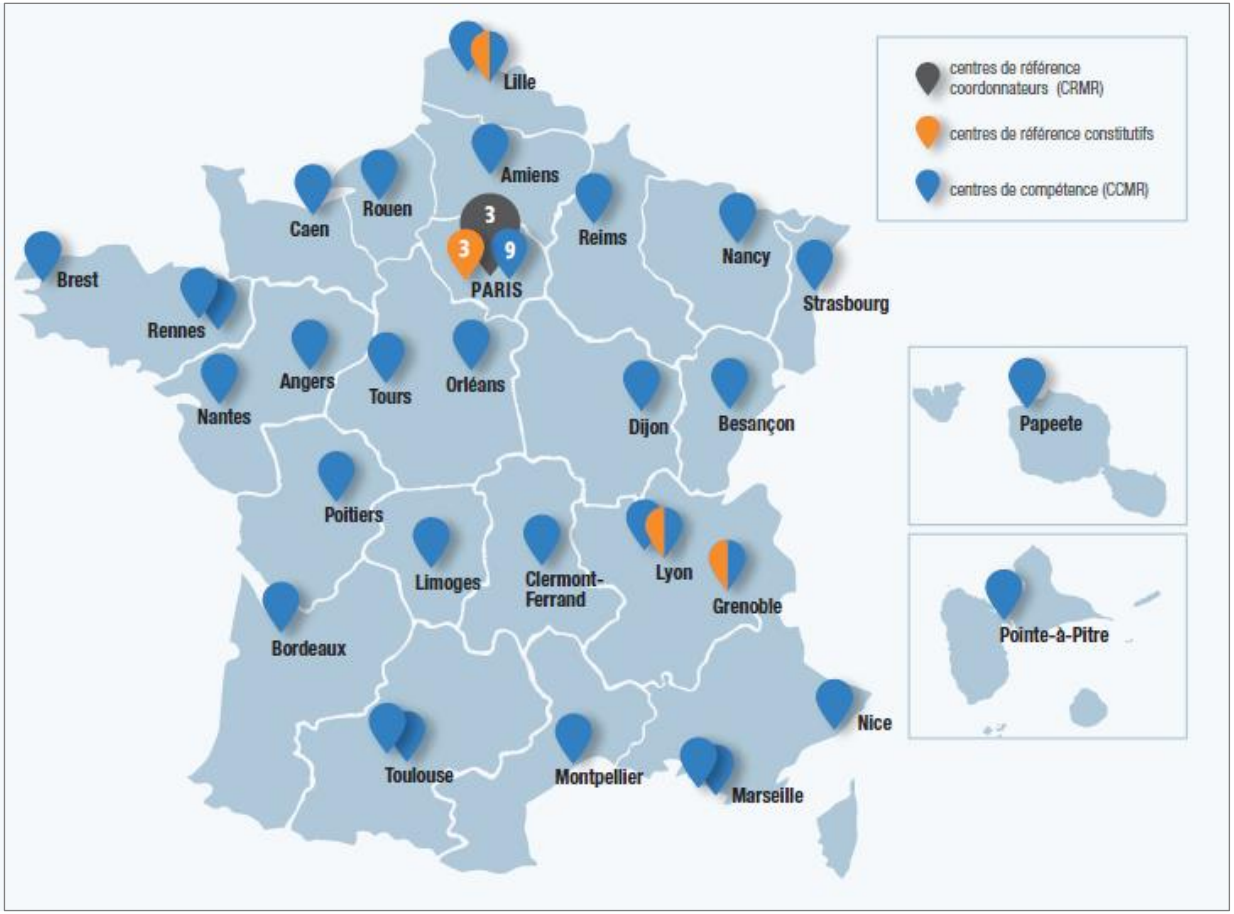
Renforcer les activités de recherche

Développer l'enseignement et la formation

Diffuser l'information vers les professionnels de santé et les patients

Filfoie: Les acteurs post-labellisation

-> 3 réseaux maladies rares comprenant 42 centres experts



AVB-CG
CENTRE DE RÉFÉRENCE
ATRÉSIE DES VOIES BILIAIRES
ET CHOLESTASES GÉNÉTIQUES

- 1 CRMR coordonnateur : Hôpital Bicêtre
- 2 CRMR constitutifs : Hôpital Necker Enfants malades, Hospices civils de Lyon
- 6 CCMR

MVF
CENTRE DE RÉFÉRENCE
MALADIES VASCULAIRES
DU FOIE

- 1 CRMR coordonnateur : Hôpital Beaujon
- 1 CRMR constitutif : Hôpital Bicêtre
- 32 CCMR

MIVB-H
CENTRE DE RÉFÉRENCE
MALADIES INFLAMMATOIRES
DES VOIES BILIAIRES ET
HÉPATITES AUTO-IMMUNES

- 1 CRMR coordonnateur : Hôpital Saint-Antoine
- 3 CRMR constitutifs : Hôpitaux Paul Brousse/Bicêtre, CHRU Lille, CHRU Grenoble
- 31 CCMR

Filfoie: Les acteurs post-labellisation

Mais aussi:

- ✓ **5 laboratoires de génétique : Réseau HCL (Hereditary Cholestasis and choleLithiasis)**
  1. Laboratoire Commun de Biologie et Génétique Moléculaire (LCBGM), Hôpital Saint-Antoine
  2. Laboratoire de Biochimie, Hôpital Bicêtre
  3. Laboratoire de Biochimie et de Biologie Moléculaire, CHU Tours
  4. UF Génopathies – Pôle de Biochimie et Biologie Moléculaire, CHRU Lille
  5. Laboratoire de Génétique et de Biologie Moléculaire, Hôpital Cochin

- ✓ **5 laboratoires de recherche**
  1. UMR-S938 « Pathologies métaboliques, biliaires et fibro-inflammatoires du foie» UPMC
  2. UMR 1174 « Interactions cellulaires et physiopathologie hépatique« , Université Paris-Sud
  3. UMR 1149 Centre de recherche sur l'inflammation Paris-Montmartre, Paris Diderot Paris 7
  4. INSERM U970 « Endothelial physopathology and biomarkers of vascular disease», Université Paris Descartes
  5. UMR INSERM U1193«Physiopathogenèse et traitement des maladies du foie», Université paris/Saclay

Filfoie: Les acteurs post-labellisation

Mais aussi:

- ✓ **3 sociétés savantes**

- ✓ **4 associations de patients**

Juin 2017!

Filfoie: Une organisation qui s'étoffe

Equipe Filfoie

O. Chazouillères: animateur

V. Tsilibaris : chef de projet
N. Guitard : Coordinatrice recherche
Emilie Le Beux: Chargée de mission Axe 1
Astrid Perche: Chargée de mission BNDMR

Comité Directeur

- 16 membres – **à renouveler**

CRMR, CCMR, Laboratoires de recherche, Associations de patients

- Réunions trimestrielles

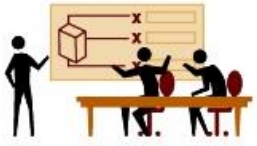
Comité Scientifique

- 7 membres - **à renouveler**

Médecins, Chercheurs, Généticiens

- Réunions trimestrielles

Groupes de travail



- Référentiel transition
- Liens avec les associations
- Projet Sciences Humaines et sociales

FILFOIE
FILIÈRE DE SANTÉ MALADIES RARES DU FOIE DE L'ADULTE ET DE L'ENFANT

Filfoie: des projets qui avancent

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

Recherche

- Déploiement de TECs: soutien à des études en cours
- Veille des appels à projets et bourses (onglet recherche – www.filfoie.com)
- Aide (administrative, réglementaire…) dans le montage des dossiers
- Mise en lien avec des structures d'aide
- Appels à participation
- Veille scientifique – bulletins recherche
- Recensement des structures et projets de recherche maladies rares (onglet recherche – www.filfoie.com)

Enseignement

- Catalogue des formations (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- Médiathèque (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- Journées à destination des médecins : **16 novembre 2017**

Communication

- Site web (www.filfoie.com)
- Newsletters
- Réseaux sociaux (LinkedIn, Facebook…)

Filfoie: les projets

Prise en charge

- **Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares**
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

➢ **Collecte d'un set de données homogènes pour chaque patient atteint d'une maladie rare**

➢ **30aine d'items**

- ✓ **Données administratives** (nom, date de naissance, sexe,…)
- ✓ **Données de prise en charge** (Adressage du patient, date d'inclusion au CRMR)
- ✓ **Activité de soins** (date d'activité, contexte: consultation, HDJ …)
- ✓ **Diagnostic** (Statut, diagnostic de la MR - ORPHA…)
- ✓ **Histoire de la maladie** (Age aux premiers signes, âge au diagnostic)
- ✓ **Recherche et traitements** (Participation protocole, traitement orphelin)

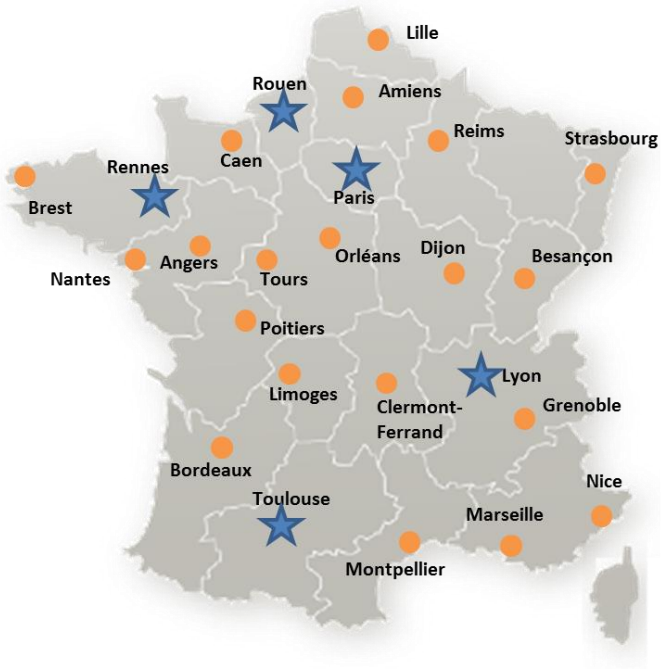
➢ **Comment collecter le SDM?**

Filfoie: les projets

Prise en charge

- **Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares**
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

➢ **Rôle de Filfoie: ouverture des centres, formations et recueil**



-TEC Lyon
1er novembre 2017

-TEC Rouen
1er décembre 2017

-TEC Rennes
Courant décembre 2017

-TEC Toulouse
<fin janvier 2017

-TEC Paris
<fin janvier 2017

➢ **Rôle des centres:**

- ➢ **Affichage notice information**
- ➢ **Ouverture des comptes BaMaRa du personnel médical**
- ➢ **Tenue d'un listing des patients du périmètre Filfoie**

Filfoie: les projets

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- **Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)**
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

Référentiel de recommandations sur la transition enfant-adulte

Disponible sur **filfoie.com**

Protocoles Nationaux de Diagnostic et de Soins

Rôle de la filière: Appui méthodologique

1. Maladies Vasculaires du foie: finalisation printemps 2018
2. Atrésie des voies biliaires: en cours
3. Cholangite Biliaire Primitive : démarrage 1er trimestre 2018

Filfoie: les projets

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- **Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)**
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

Projet en sciences humaines et sociales – AAP SHS Fondation Maladies Rares

- **Analyse des besoins**
  - ✓ Entretiens avec les centres

    2e- 3e trimestre 2017
  - ✓ Enquête patients

    Deux questionnaires: adulte – enfant
    Période: 10 octobre – 12 novembre
    Réponses: 72 (adultes) - 190 (enfants)
- **Choix du projet: Groupe de travail** multidisciplinaire ouvert à l'ensemble des centres + associations de patients

  10 janvier 2017, Paris
- **Lettre d'intention:** ~avril 2018

Filfoie: les projets

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- **Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)**
- Transition enfant-adulte
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

Rencontres régionales maladies rares

- 12 FSMR, initiative de Fava-Multi
- Mise en réseau des acteurs médicaux et paramédicaux
- 24 novembre 2017, Strasbourg
- Atelier Filfoie - transition (Filfoie: D. Debray, E. Le Beux – Neurosphinx – AnDDI-Rares)

Infographie parcours patient

- Diffusion: Mai 2018
- Sites web 23 FSMR, MRIS, AMR
- Filfoie: Travail, vie quotidienne, aidants

Filfoie: les projets

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- **Transition enfant-adulte**
- Annuaire programmes ETP: https://etpmaladiesrares.com/
- Cartes urgence

Référentiel de recommandations sur la transition enfant-adulte

Disponible sur **filfoie.com**

filières de santé maladies rares

Transition en inter-filières

- Groupe de travail: 19 filières
- Objectifs :
  - identification et partage/adaptation des outils existants
  - Mise en place d'une application mobile

Filfoie: les projets

Prise en charge

- Recueil épidémiologique: Banque Nationale de Données Maladies Rares
- Référentiels et recommandations (PNDS, référentiel transition)
- Action médico-sociale (projet en Sciences Humaines et Sociales, rencontres régionales, infographie…)
- Transition enfant-adulte
- **Annuaire programmes ETP:** https://etpmaladiesrares.com/
- **Cartes urgence**

Annuaire programmes ETP

https://etpmaladiesrares.com/

www.filfoie.com/

Cartes urgence

- à destination des patients

Filfoie: les projets

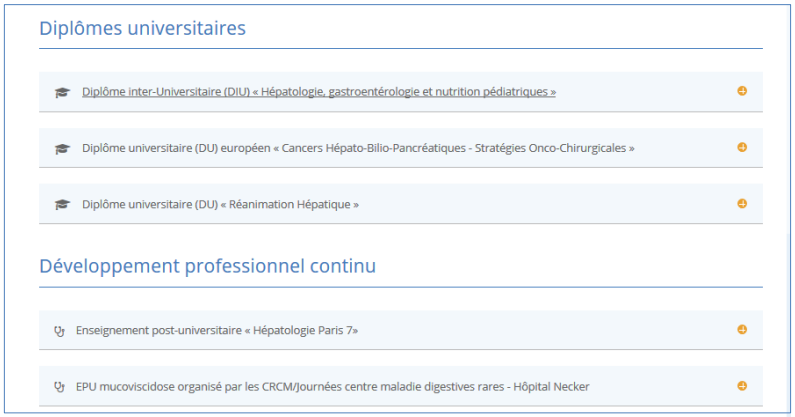
Recherche

- Déploiement de TECs: soutien à des études en cours + mise en place d'un projet Filfoie commun
- Veille des appels à projets et bourses (www.filfoie.com)
- Aide (administrative, réglementaire…) dans le montage des dossiers
- Mise en lien avec des structures d'aide
- Appels à participation
- Veille scientifique – bulletins recherche
- Recensement des structures et projets de recherche maladies rares (www.filfoie.com)

Présentation par Nelly Guitard à 14h!

Filfoie: les projets

Catalogue des formations MR du foie



Site web

filfoie.com

Médiathèque
(vidéos, diaporamas….)

Site web

filfoie.com

Enseignement

- **Catalogue des formations** (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- **Médiathèque** (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- Journées à destination des médecins : journées Filfoie

Communication

- Site web (www.filfoie.com)
- Newsletters
- Réseaux sociaux (LinkedIn, Facebook…)

Filfoie: les projets

Site web

www.filfoie.com

Newsletters trimestrielles

Réseaux sociaux

Enseignement

- Catalogue des formations (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- Médiathèque (onglet enseignement – www.filfoie.com)
- Journées à destination des médecins : journées Filfoie

Communication

- **Site web** (www.filfoie.com)
- **Newsletters**
- **Réseaux sociaux (LinkedIn, Facebook…)**

La filière en Europe: Lien avec l'ERN RARE-LIVER

- **ERN RARE-LIVER** : Réseau européen pour les maladies rares du foie – Coordonnateur: David Jones (Newcastle)

- Seuls les **3 CRMR coordonnateurs** font actuellement partie de l'ERN

- **Nouvel appel** pour rejoindre l'ERN en 2018 (uniquement pour centres constitutifs)

- Mise en place de **registres**, de **groupes de travail** sur différentes thématiques et **3 différents groupes de maladies** :

    - Autoimmune Liver Disease (AILD)
    - Metabolic, Biliary Atresia & Related Disease
    - Structural Liver Disease

European Reference Network
for rare or low prevalence complex diseases
Network Hepatological Diseases (ERN RARE-LIVER)

http://www.rare-liver.eu/

Perspectives

Améliorer la prise en charge globale des patients

- Transition : projets spécifiques à la filière
- Structuration du réseau des laboratoires de génétiques (HCL)
- Logiciel RCP

Renforcer les activités de recherche

- Présentation N. Guitard 14h

Développer l'enseignement et la formation

- Aide à la mise en place de formations (DU, DIU…) – Maladies AI du foie

Diffuser l'information envers les professionnels de santé et les patients

- Journées à destination des patients, webcasts

Merci!

Olivier Chazouillères
Animateur
olivier.chazouilleres@aphp.fr

Virginie Tsilibaris
Chef de projet
virginie.tsilibaris@aphp.fr

Nelly Guitard
Coordinatrice Recherche – Europe
nelly.guitard@aphp.fr

Astrid Perche
Chargée de mission - Banque Nationale de Données Maladies Rares
astrid.perche@aphp.fr

Émilie Le Beux
Chargée de mission - Axe « Prise en charge » (Médico-social /Recommandations/Transition/ETP)
emilie.lebeux@aphp.fr