

La filière de soin maladies hémorragiques constitutionnelles : intérêts et missions

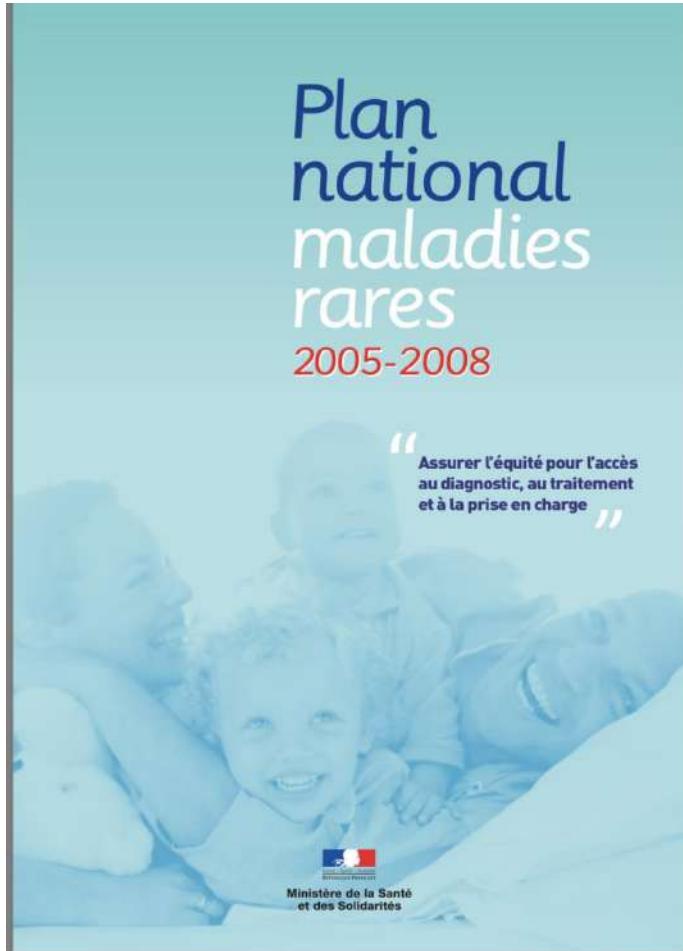




Ministère des Solidarités et de la Santé



La structuration des maladies rares



131 Centres de Référence Maladies Rares (CRMR) et de leurs Sites Constitutifs (SC), ainsi que de 500 Centres de Compétences(CC).

Les centres de référence assurent un rôle d'expertise et de recours, pour une maladie ou un groupe de maladies rares. Les centres de compétences assurent la prise en charge et le suivi des patients à proximité de leur domicile sur l'ensemble du territoire.



Naissance des filières



- **23 Filières de Santé Maladies Rares (FSMR).**
- **Diminuer l'errance diagnostique du patient porteur d'une maladie rare.** Les filières permettent d'optimiser l'orientation dans le système de santé des personnes porteuses de maladies rares ainsi que des médecins traitants.
- **Faciliter une prise en charge globale du patient porteur d'une maladie rare.** Les filières fédèrent un continuum entre les acteurs impliqués dans la prise en charge globale (médicale, paramédicale, sociale, association de patient) du patient, pour une optimisation du parcours de vie.
- **Accélérer l'innovation dans le champ des maladies rares.** Les filières soutiennent les innovations diagnostiques, la recherche et le développement thérapeutique.



23 filières

exemples



Maladies cardiaques
héritaires

Site Internet
<http://www.filiere-cardiogen.fr/>

Dr Philippe Charron
(Paris)



Maladies rares du
développement cérébral et
déficience intellectuelle

Site Internet
<http://www.defiscience.fr/>

Pr Vincent Desportes
(Lyon)



Maladies auto-immunes et
auto-inflammatoires
systémiques rares

Site Internet
<http://www.fai2r.org/>

Pr Eric Hachulla (Lille)



Maladies vasculaires rares
avec atteinte
multisystémique

Site Internet
<http://www.favamulti.fr/>

Pr Guillaume Jondeau
(Paris)





Maladies rares immuno-hématologiques

Site Internet
<http://www.marih.fr/>

Pr Régis Peffault de Latour (Paris)



Maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythropoïèse

Site Internet
<http://filiere-mcgre.fr/>

Pr Frédéric Galactéros (Créteil)



Maladies hémorragiques constitutionnelles

Site Internet
<https://www.mhemo.fr/>

Pr Claude Negrer (Lyon)



MHEMO

La Filière des maladies hémorragiques constitutionnelles



<https://mhemo.fr>



Typologie des centres responsables du soins

- Filière de Santé Maladies Rares = FSMR ⇒ MHEMO (information- lisibilité et amélioration de la prise en charge)
- Centre de Référence Maladies Rares = CRMR
 - ✓ CRH : 1 site coordonnateur et 2 sites constitutifs
 - ✓ CRMW : 1 site coordonnateur et 2 sites constitutifs
 - ✓ CRPP : 1 site coordonnateur et 3 sites constitutifs
- Centre de Ressources et de Compétences Maladies Hémorragiques Constitutionnelles = CRC-MHC (30) ⇒ Ancien CRTH
- Centre de traitement des Maladies Hémorragiques Constitutionnelles = CT-MHC (6) ⇒ Ancien CTH



Répartition géographique des centres

CENTRES DE RÉFÉRENCE, CENTRES DE RESSOURCES ET DE COMPÉTENCES ET CENTRES DE TRAITEMENT

● Hémophilie et autres déficits constitutionnels en protéines de la coagulation
Centre de Référence site coordonnateur
Pr Claude Négrier, HCL - Lyon

● Maladie de Willebrand
Centre de Référence site coordonnateur
Pr Sophie Susen, CHRU-Lille

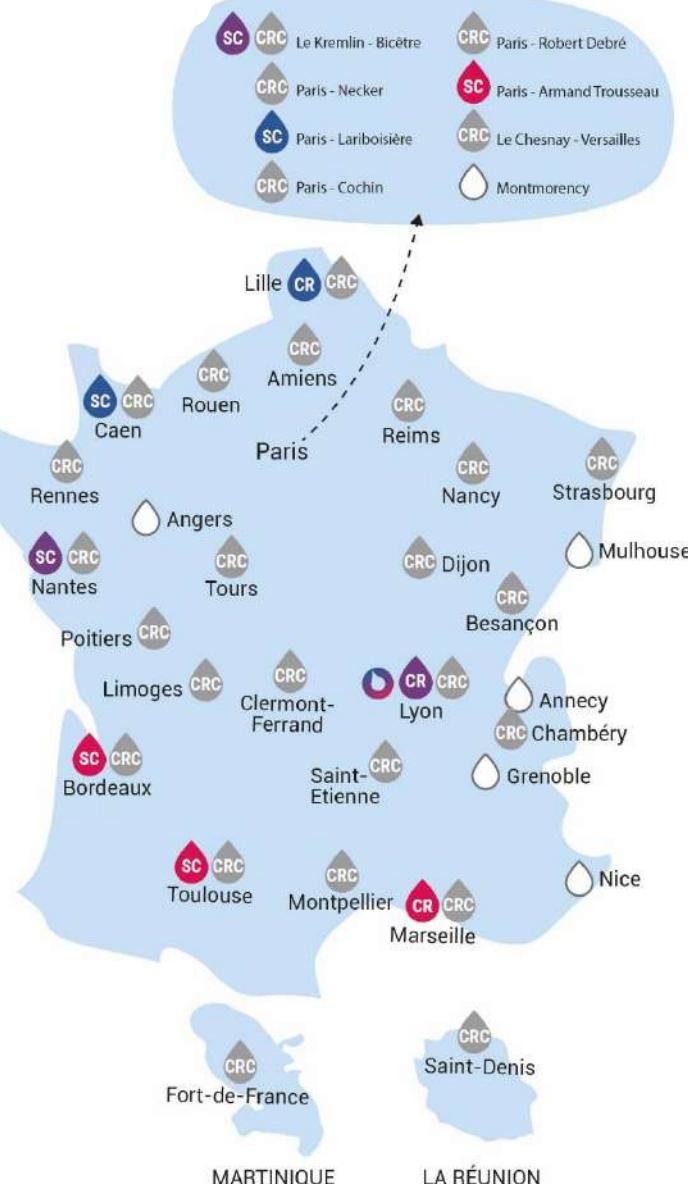
● Pathologies plaquettaires constitutionnelles
Centre de Référence site coordonnateur
Pr Marie-Christine Alessi, APHM - Marseille

MHEMO

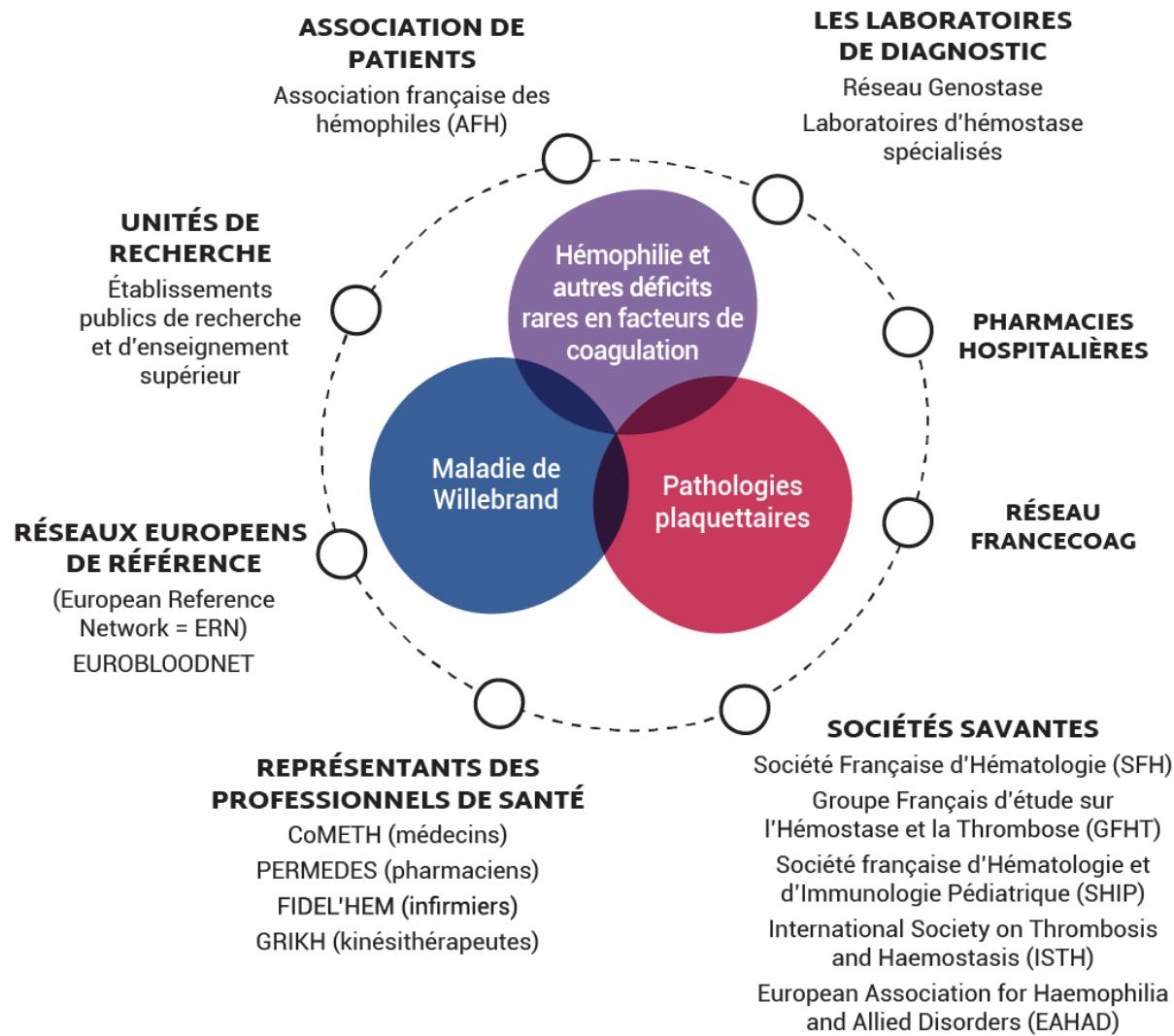
CR site coordonnateur du Centre de Référence
SC Site Constitutif du centre de référence

● CRC-MHC Centre de Ressources et de Compétences - Maladies Hémorragiques Constitutionnelles

● CT-MHC Centre de Traitement Maladies Hémorragiques Constitutionnelles
(ex CTH du PNDS - Hémophilie et affections constitutionnelles de l'hémostase graves - HAS - janvier 2007)



Acteurs et partenaires de MHEMO

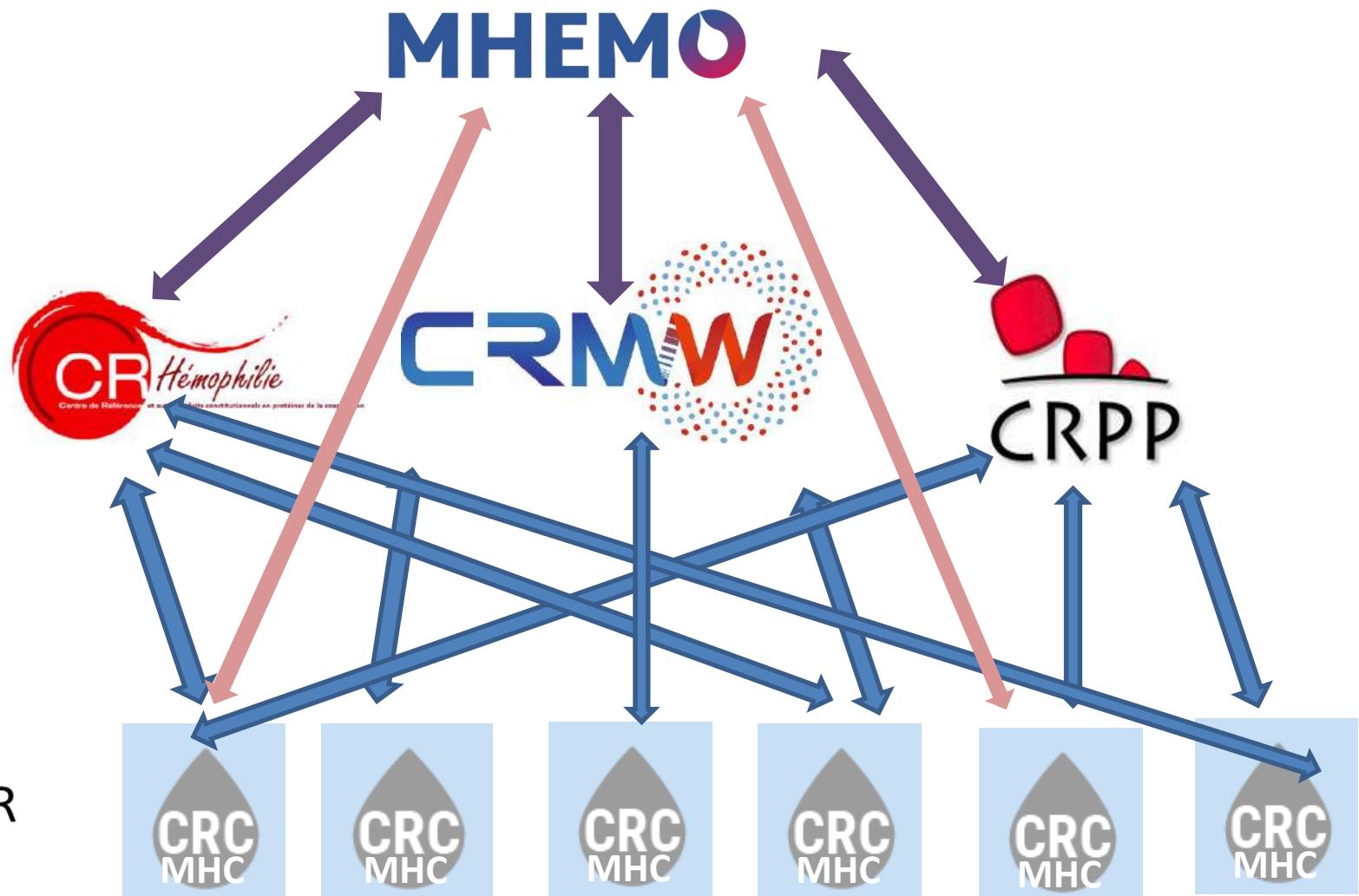


Missions

FSMR	CRMR	CRC –MHC
Objectifs : Animer, coordonner, valoriser, informer, former ⇒ Missions en 4 axes	Mission de coordination - coordination nationale des structures de soin - Intégration asso. patients - Action d'information et communication	Participation possible à l'ensemble des autres missions des CRMR.
Améliorer le diagnostic et la prise en charge dans les MR	Mission d'expertise - Organisation RCP - Elaboration PNDS - Recueil épidémiologique	- Suivi des recommandations et protocoles mis à disposition par les CRMR - Renseignement obligatoire de la BNDMR.
Favoriser la recherche sur les MR	Mission de recours - Mission d'expertise - Prise en charge pluri. diagnostique, thérapeutique et de suivi	- Participation au diagnostic - Mise en œuvre de la thérapeutique lorsqu'elle est disponible - Organisation de la prise en charge des patients en lien avec les CRMR et l'ensemble des acteurs identifiés concourant à la prise en charge de proximité
Favoriser l'information et contribuer à la formation sur les MR	Mission de recherche Promotion de la recherche et rédaction de publications	
Développer les volets européens et internationaux	Mission d'enseignement et de formation	

Missions FSMR – CRMR – CRC MR

1 FSMR



3 CRMR

30 CRC-MR





BIENVENUE sur le site
de la filière de santé maladies
rares **MHEMO**
Maladies Hémorragiques
constitutionnelles

ACTUALITÉS

VOIR TOUTE L'ACTUALITÉ

AFH – Appel à projet innovant 2018 – Recherche sur la Maladie de Willebrand

Parution du PNDS « Maladie de Willebrand » sur le site de la Haute Autorité de Santé (HAS)

Le guide des filières de santé maladies rares

Lancement du 3ème Plan National Maladies Rares

situation d'urgence



AGENDA

VOIR TOUT L'AGENDA

06 Fév 2019 - **08 Fév 2019** **EAHAD : European Association for Haemophilia and Allied Disorders**
Prague - REPUBLIQUE TCHEQUE

28 Fév 2019 **Journée mondiale des Maladies rares**

27 Mar 2019 - **29 Mar 2019** **39ème congrès de la SFH : Société Française d'Hématologie**
Paris

S'INSCRIRE À LA NEWSLETTER





Trouver un centre

Éducation Thérapeutique du Patient

Qu'est-ce que l'ETP ?

Les programmes ETP de la filière

Les outils ETP dans les centres

Comment mettre en place un programme ETP ?

Les formations ETP

Le réseau de soin

Association française des hémophiles

La vie quotidienne

Situation d'urgence

La transition enfant

MHEMO

QU'

Selon la

« L'édu

Elle fait

organis

maladi

maladi

collabo

main

Trouver un centre

Éducation Thérapeutique du Patient

Le réseau de soin

Association française des hémophiles

La vie quotidienne

Situation d'urgence

La transition enfant adulte

Le carnet de suivi du patient

Les enquêtes patient en cours

Qu'est-ce que l'ETP ?

Indiale de la Santé) de 1996 :

tients à acquérir ou maintenir les compétences dont ils ont quotidien.

a prise en charge du patient. Elle comprend des activités pour rendre les patients conscients et informés de leur hospitalières, et des comportements liés à la santé et à la familles) à comprendre leur maladie et leur traitement, dans leur propre prise en charge dans le but de les aider à

Le but de l'ETP :

- Aider le patient à comprendre sa maladie et mieux la gérer au quotidien
- Aider le patient à gérer ses traitements
- Améliorer la qualité de vie des patients

Des ateliers, des réunions, des groupes sont organisés dans les différents centres pour les familles et les personnes vivant avec une hémophilie, une maladie de Willebrand, une pathologie plaquettaire ou un trouble très rare de la coagulation. L'objectif est d'apporter les savoirs leur permettant d'acquérir ou maintenir les compétences nécessaires à la prise en charge de la maladie.

L'Association française des hémophiles (AFH) a initié la création des premiers ateliers d'éducation, en 1974, qu'on connaît sous le nom de « séances à l'école ». Ces dernières années, l'AFH a contribué au développement de l'ETP.



Personnes à prévenir en priorité

Mme/M. Tél :

Mme/M. Tél :

Contacts médicaux

Médecin Tél :

Suivi(e) par le centre de :

Tél : Tél :
(Jour ouvrable) (Nuit/fériés)

Téléphone médical en cas d'urgence:



Plus d'informations sur le site www.mhemo.fr (situation d'urgence) et www.orpha.net (rubrique hémophilie/urgence)



Informations individuelles sur la maladie

Type de maladie de Willebrand :

- Type 1 (déficit quantitatif partiel) : Forme sévère Forme modérée
 Type 2 (déficit qualitatif) : Type 2A Type 2B Type 2M Type 2N
 Type 3 (déficit quantitatif total) Type indéterminé

Caractéristique biologique : VWF : Act (Activité fonctionnelle) : %

VWF Ag (Antigène) : % FVIII : %

Plaquettes : giga/L

Pour le type 3 inhibiteur anti-VWF : OUI NON

Test à la desmopressine : Bon répondeur OUI NON

Médicament habituel de la maladie (traitement substitutif et posologie en UI/kg de poids corporel)
.....

Autres informations médicales utiles



CARTE D'URGENCE

Emergency card

Maladie de Willebrand

Nom :

Prénom :

Date de naissance :

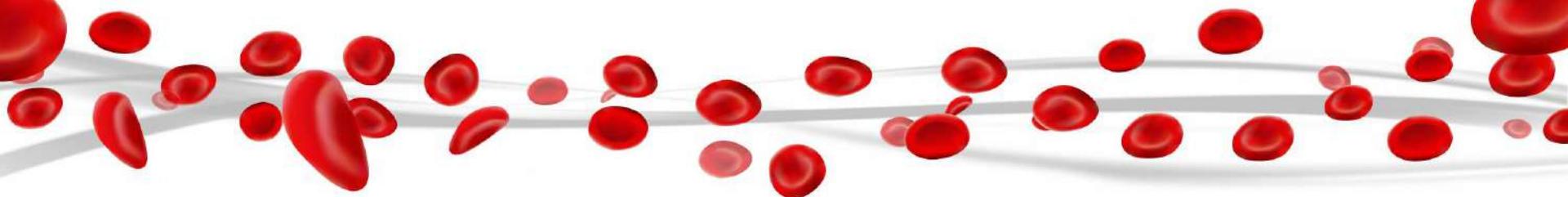
Risque hémorragique, prise en charge prioritaire :
administrer un traitement spécifique en cas
d'hémorragie ou d'intervention chirurgicale



RECOMMANDATIONS EN CAS D'URGENCE

- Le risque de survenue d'hémorragie grave, en particulier d'hémorragies cérébrales ou des muqueuses, dépend de l'importance du déficit
- Pour toute question relative à la prise en charge, contacter le centre de suivi habituel du porteur de cette carte (voir la page des coordonnées)
- Corriger la coagulation en urgence en cas d'hémorragie ou de traumatisme important et avant toute intervention chirurgicale ou geste invasif (ponctions, suture...) par injection de concentré de facteur Willebrand ou par Desmopressine si bon répondeur.
- La prise d'aspirine ou d'anti-inflammatoire non-stéroïdien (AINS) est contre-indiquée.
- Ecouter le patient : il connaît sa maladie, son traitement et son centre de suivi





The European Reference Network in Rare Hematological Diseases



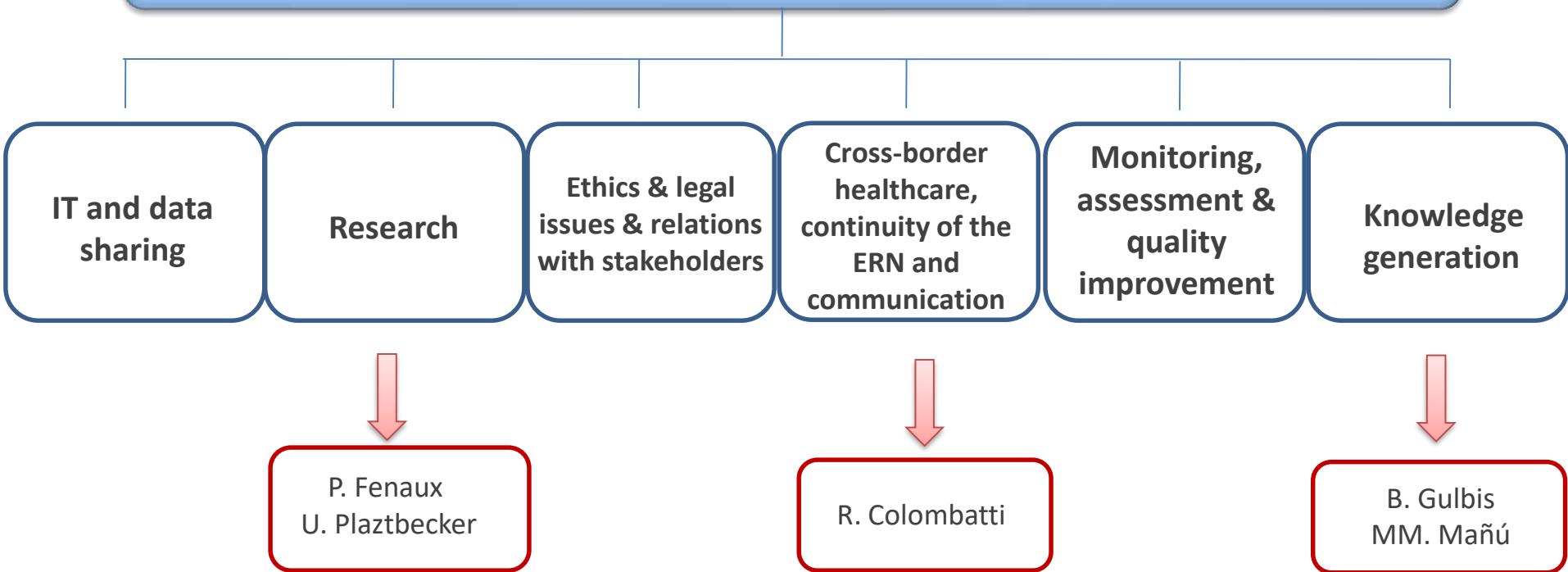
Network
Hematological
Diseases (ERN EuroBloodNet)

www.eurobloodnet.eu





24 European Reference Networks (ERNs) ERNs Coordinators Group – chaired by *M. Scarpa (MetabERN)*





ERN-EuroBloodNet

results from a joint effort of many pieces



EUROPEAN
HEMATOLOGY
ASSOCIATION

- ❖ Promotes excellence in patient care, research, and education in **hematology**
- ❖ EHA's annual congress is the largest European event for hematology.
- ❖ **Haematologica** is the primary general hematology journal



- ❖ Pilot ERN in rare and congenital anaemias since 2002
- ❖ eHealth solutions: e-Registry, e-Learning, Telemedicine platforms
- ❖ WhiteBook : ENERCA recommendations for Centres of Expertise in Rare Anaemias



- ❖ Patient-driven alliance of organisations and individuals active in the field of RD in Europe
- ❖ Represents 724 RD organisations in 64 MS, covering more than 4000 RD
- ❖ ePAGs - European Patient Advocacy Groups, are the patients representatives for ERNs

And many more...



EUHANET

- ❖ Pilot ERN for the **Haemophilia and other inherited bleeding disorders**



- ❖ Network for patient care and research for inherited disorders of iron metabolism and heme synthesis



LeukemiaNet

- ❖ Publicly funded research network of excellence for the cure of leukemia.



ERN-EuroBloodNet

results from a joint effort of many pieces



ERN-EuroBloodNet is a collaborative network of **66 healthcare providers (HCPs)** in **15 MS** that brings together individuals and institutions committed to improving healthcare services in **Rare Hematological Diseases**



Member State	nº HCP
Belgium	5
Bulgaria	2
Cyprus	1
Czech Republic	1
Germany	4
Spain	1
France	12
Ireland	1
Italy	21
Lithuania	1
The Netherlands	6
Poland	1
Portugal	3
Sweden	1
United Kingdom	6
Members	66



EuroBloodNet en France

HCP	Representative	Substitute representative
AP-HP St Louis	Régis Peffault de Latour	Pierre Fenaux
CHU Montpellier	Patricia Aguilar Martinez	Jean François Schved
CHU Limoges	Arnaud Jaccard	Frank Bridoux
AP-HP St Antoine	Paul Cocco	Eric Rondeau
Institut Curie	Carole Soussain	Sandra malak
AP- H Marseille	Isabelle Thuret	Hervé Chambost
CHU Rennes	Edouard Bardou-Jacquet	Houda Hamdi-Roze
CHU Lille	Jenny Goudemand	Louis Terriou
CHU Pointe à Pitre	Maryse Etienne-Julan	Marie petras
AP HP Trouseau	Jean Donadieu	Abdellatif Tazi
AP HP Mondor	Frédéric Galacteros	Pablo Bartolucci
AP HP Necker	Olivier Hermine	Marianne de Montalembert





Home EurobloodNet Members Patients' advocacy News ERNs

European Reference Network In Rare Hematological Diseases

Your benefit:

Access to the same level of highly specialised services for European citizens affected by rare hematological diseases and health care professionals tackling these disorders independently from the country of origin or practice.

EUROBLOODNET GOVERNANCE

The website features a dark blue background with a world map and network nodes. A red button labeled 'EUROBLOODNET GOVERNANCE' is visible at the bottom left. The navigation bar includes 'Home', 'EurobloodNet', 'Members', 'Patients' advocacy' (which is highlighted), 'News', and 'ERNs'.

Board of the Network (BoN)

The Board of the Network (BoN) is the decision-making body. It is chaired by the ERN coordinator and composed of all member representatives and patient association representatives (PACQO).

The main function of the BoN is to:

- Guarantee the smooth running of EuroBloodNet, oversee development of services and assess their impact.
- Adopt the legal framework for collaboration with third parties, as European Infrastructures for Research, Industries...
- Develop funding strategies for long term sustainability.
- Elaborate governance of the two main hubs, the heads of sub-networks and the heads of fields of transversal actions, and approve the multi-stakeholder work plan (MWPP) developed by the Scientific and Strategic Board (SSB).

EuroBloodNet Home EurobloodNet Members Patients' advocacy News ERNs

Each portrait includes a name and a brief description. For example, Pierre Aumont is from the Association de Soutien et d'Information à la Leucémie Lymphose Chronique et à la maladie de Waldenström, and Lora Brunetta is from the Thalassanopathies International Federation.

ERN-EuroBloodNet
The European Reference Network on Rare Hematological Diseases

Who we are

ERN-EuroBloodNet is the European Reference Network on Rare Hematological Diseases. It is a network of 150+ healthcare professionals and researchers from 45+ institutions across 15 countries. The network covers all rare hematological diseases, including hemophilia, thrombophilia, aplastic anemia, sickle cell disease, and many others. The network aims to improve diagnosis, treatment, and care for patients with rare hematological diseases through research, education, and clinical collaboration.

Subnetworks

ERN-EuroBloodNet has established several subnetworks to address specific areas of rare hematological diseases:

- Haemophilia
- Sickle Cell Disease
- Aplastic Anemia
- Thrombophilia
- Leukemia
- Lymphoma
- Myeloma
- Other Hematological Disorders



➤ And follow us on Twitter!
@ERNEuroBloodNet

www.eurobloodnet.eu

*Information on Members,
governance, European
Patients Advocacy Groups ,
news, dissemination
material
And many more!*

The context of ERNs – Share. Care. Cure.

Due to the small patient number and the often limited knowledge, rare diseases, affecting less than 1 in 2000 individuals, are the area in public health in which joint efforts among MS is most justified and crucial.

European Reference Networks (ERNs) involve healthcare providers across Europe. They aim to facilitate discussion on complex or rare diseases and conditions that require highly specialised treatment, concentrated knowledge and resources.

The first **24 ERNs** covering 24 different medical specialities were officially approved by the EC in December 2016 and started their activity **in March 2017**, one of them being **ERN-EuroBloodNet**.



**EUROPEAN REFERENCE NETWORKS
FOR RARE, LOW-PREVALENCE AND COMPLEX DISEASES**

Share. Care. Cure.



ERN-EuroBloodNet added value: **MAIN GOALS** and **TRANSVERSAL FIELDS OF ACTION (TFA)**

ERN-EuroBloodNet will seek to guarantee that European citizens affected by a rare hematological disease benefit from the **same level of highly specialised care** through the development of a specific framework for cross border health and **European cooperation on health services** following a patient's centered approach.



ERN-EuroBloodNet patient approach

*ERN-EuroBloodNet will seek to guarantee that European citizens affected by a rare hematological disease benefit from the same level of highly specialised care through the development of a specific framework for cross border health and European cooperation on health services following a **patient's centered approach**.*

- ✓ EURORDIS – Rare Diseases Europe (www.eurordis.org) has played an active advocacy role by establishing **European Patient Advocacy Groups – ePAGs** – for each ERN



- ✓ **7 ePAGs representatives** have been currently appointed for ERN-EuroBloodNet, all of them involved in the Scientific and Strategic Board of the network ensuring that patient's voice is fully represented

A video frame showing a man with glasses and a suit, identified as Yann Le Cam. He is speaking. The video player interface shows a progress bar at 05:21/08:11, a subtitle "Original (English subtitle)" with a gear icon, and a volume icon. A caption at the bottom left reads "We have that opportunity that at the end for every patient on the territory of the EU." The EURORDIS logo is visible in the top right corner of the video frame.

'We have the opportunity that at the end, for every patient on the territory of the EU there is a place for them in the healthcare systems. We don't create new silos of expertise but we bring patients' pathways to the patients'

Yann Le Cam, EURORDIS Chief Executive Officer

(Watch the EC videos on ERNs and discover the heart of the networks!
www.eurobloodnet.eu)



Oncological diseases Hub

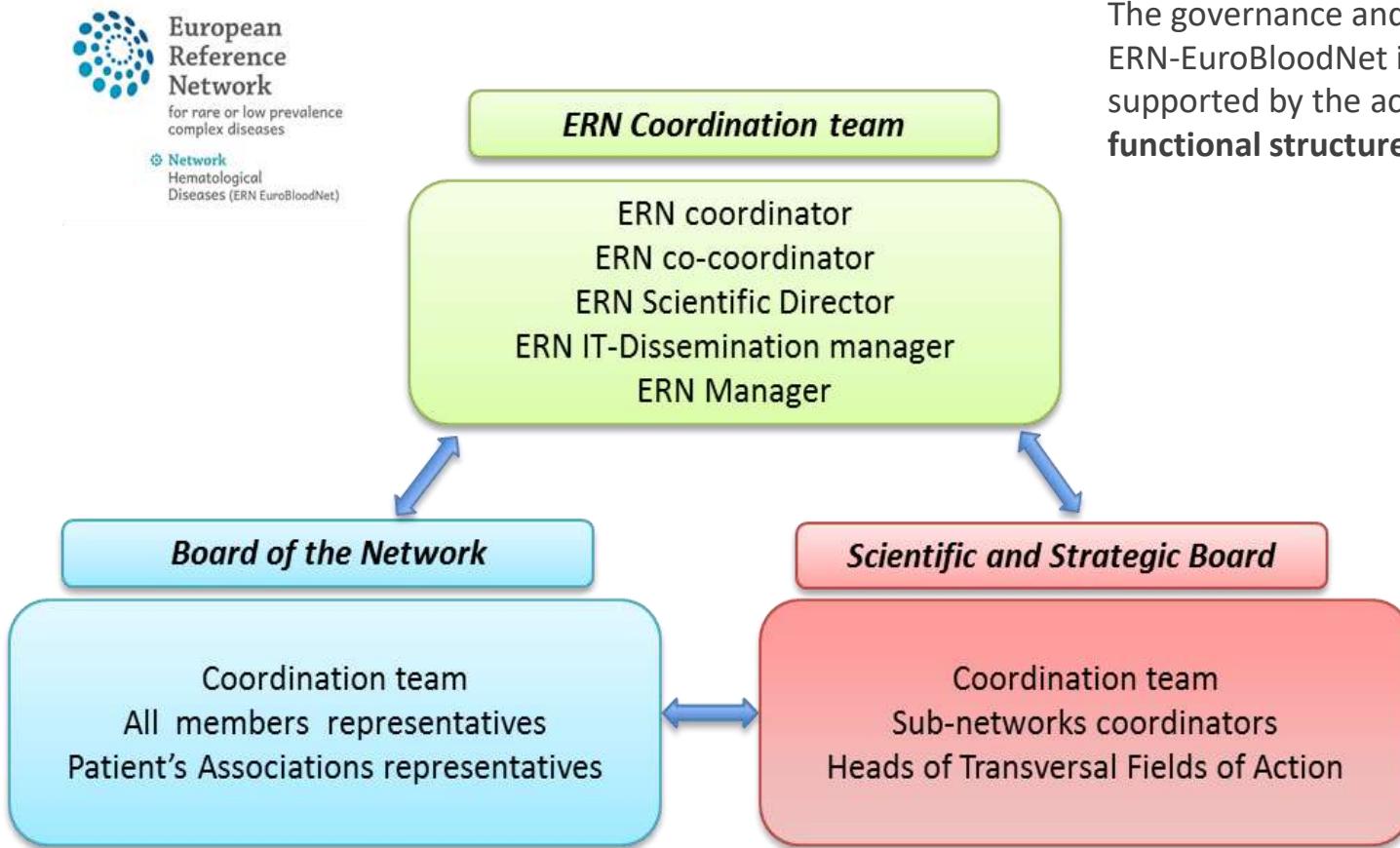
*Coordinated by Prof Fenaux
(AP-HP, Hôpital St Louis, Paris)*

Non-oncological diseases Hub

*Coordinated by Prof Gulbis
(CUB-Hôpital ERASME, Brussels)*

- ERN-EuroBloodNet coordination is **rotational** between the oncological and non-oncological hubs
 - Prof Pierre Fenaux (AP-HP, Hôpital St. Louis, France) was appointed to coordinate the oncological diseases hub and ERN-EuroBloodNet for submission of the proposal and to coordinate the first period of ERN-EuroBloodNet running time
 - Prof Béatrice Gulbis (CUB-Hôpital ERASME, Belgium), member of the Executive committee of ENERCA since 2002 was appointed to be the coordinator of ERN-EuroBloodNet for the second period and the coordinator of the non-oncological diseases hub
- This scheme has been endorsed by EHA and patient organizations

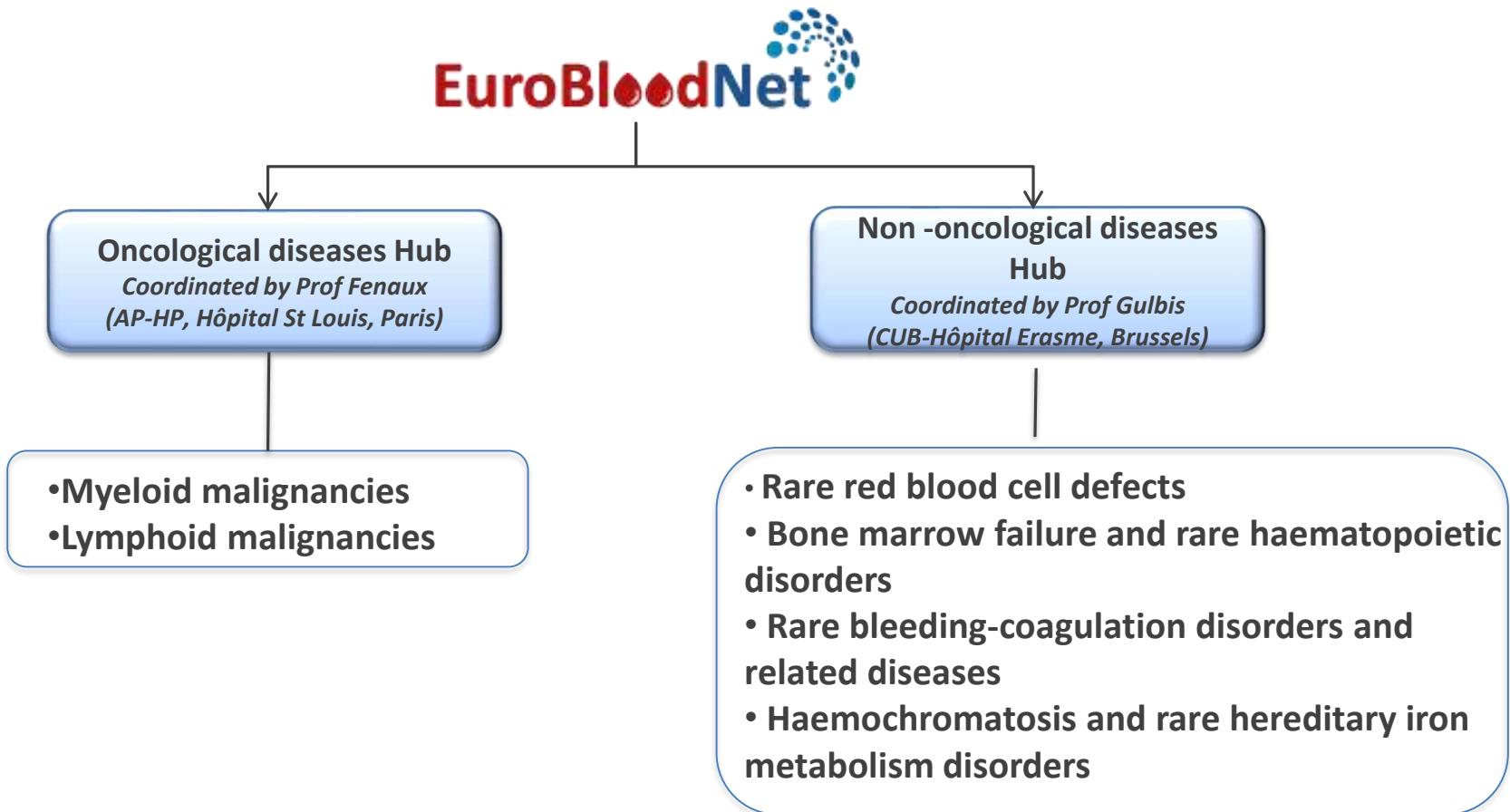
Governance: functional structures



In addition, an Independent Advisory Board (IAB) has been established involving among others experts on

- ✓ Legal and ethical issues,
- ✓ Scientific and educational associations, as the **European Hematological Association** and the **European Schools of Hematology**
- ✓ Representatives of former pilot networks, as the **European Network for Rare and Congenital Anaemias**.

Coverage - Subnetworks



Oncological diseases:

- **Myeloid malignancies** - 23 HCPs

P. Fenaux (France), U. Platzbecker (Germany) and S. Wintrich (UK)

- **Lymphoid malignancies** - 22 HCPs

A. Engert (Germany) , C. Thieblemont (France) and P. Aumont (France)

Non-Oncological diseases:

- **Rare Red blood cell (RBC) defects** - 36 HCPs

B. Gulbis (Belgium) , D. Cappellini (Italy) and L. Brunetta (Italy)

- **Bone marrow failure (BMF) and hematopoietic disorders** - 20 HCPs

A. Iolascon (Italy), R. Peffault (France) and M. Piggin (UK)

- **Rare bleeding-coagulation disorders and related diseases** - 35 HCPs

M. Makris (UK), F. Peyvandi (Italy) and A. Bok (UK)

- **Haemochromatosis and hereditary iron metabolism disorders** - 15 HCPs

G. Porto (Portugal) and D. Swinkels (The Netherlands)

Objectives and Transversal Fields of Action (TFAs)

ERN-EuroBloodNet objective is to promote **excellence for best health care** in rare hematological diseases based on cutting-edge diagnosis procedures and therapies while **removing barriers** for making them available at the European level



Objective 1: Improve **equal access to highly specialized healthcare** delivery for RHD across Europe.



Objective 2: Promote **the best practices** in prevention, diagnosis and safe clinical care across Europe



Objective 3: Disseminate cutting-edge knowledge and facilitate **continuing medical education** in the field of RHD



Objective 4: Provide **inter-professional consultation** by sharing of expertise and safe exchange of clinical information



Objective 5: Foster **European cooperation** in highly specialized procedures for diagnosis, innovative treatments and research



Cross-border health



Best practices



Continuing medical education



Telemedicine



Clinical trials and research



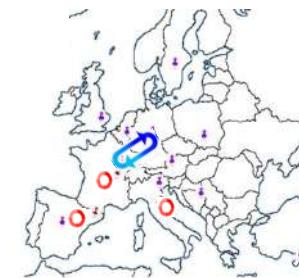
Transversal Fields of Action (TFAs)

Cross border health

Linked to Objective 1: Improve equal access to highly specialized healthcare delivery for RHD across Europe.

Coordinated by: J. Apperley (oncological hub), R. Colombatti (non-oncological hub) and A. Plate (ePAG representative)

- Mapping of services available in Europe
- Establishment of patients' pathways
- Establishment of a model **for cross border referral system for patients and samples** based on patients' pathways implementation



Best practices

Linked to Objective 2: Promote the best practices in prevention, diagnosis and safe clinical care across Europe

Coordinated by: L. Malcovati (oncological hub), A. Iolascon (non-oncological hub) and A. Bok (ePAG representative)

- Create a comprehensive public **database of reliable evidence based guidelines**
- Foster the creation of new guidelines in collaboration with **EHA** and their transposition at the national level



Continuing medical education

Linked to Objective 3: Disseminate cutting-edge knowledge and facilitate continuous medical education in the field of RHD

Coordinated by: D. Bron (oncological hub), P. Aguilar-Martinez (non-oncological hub) and J. Geissler (ePAG representative)

- Elaboration of a multi annual **educational programme** and implementation of a blended educational program
- Co-organisation with the ePAGs of European symposia with interactive patient participation
- Identification of areas including highly specialized procedures requiring short stays for the acquisition of expertise



Transversal Fields of Action (TFAs)

Telemedicine

Linked to Objective 4: Provide inter-professional consultation by sharing of expertise and safe exchange of clinical information

Coordinated by: A. Engert (oncological hub) B. Gulbis (non-oncological hub) and S. Wintrich (ePAG representative)



- Legal issues
- Constitution of an expert board
- In line with the **telemedicine platform** developed by the EC: Clinical Patients Management System

Clinical Trials and Research

Linked to Objective 5: Foster European cooperation in highly specialized procedures for diagnosis, innovative treatments and research

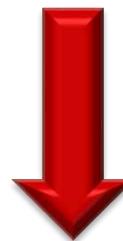
Coordinated by: M. della Porta (oncological hub), A. Piga (non-oncological hub) and A.L. Brunetta (ePAG representative)

- Promote the creation of a **European registry of patients affected by a RHD**
- Promote the participation in clinical trials
- Promote research



**Need for gathering expertise among ERN-EuroBloodNet members
and make it publicly available**

Identify experts, services and GAPs and monitor activity



How?

On-line through ERN-EuroBloodNet website



**Members profiles
Experts profiles
Patients' associations profiles**



**Minimal criteria and Indicators
for monitoring of excellence**



**Transversal fields of action
targeted questionnaires**

EC platforms for ERNs: Clinical Patients Management System and ERN Collaborative Platform

Clinical Patient Management System (CPMS)

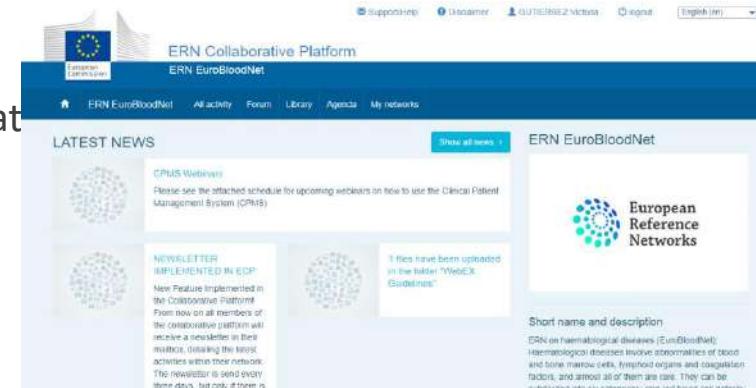
The focus is first on diagnosis and treatment for patients by providing tools for collaboration, **virtual consultations by sharing clinical data and medical images**. Steps:

1. Register the patient consultation and record the **patients' consent**
2. Share clinical, **pseudonymised data** on the patient Consultation process to arrive at clinical conclusions on diagnosis and treatment
3. Archive the patient case data, forming the ERN patient register

ERN Collaborative Platform (ECP)

Supports the ERN Board of Member States, the ERN Coordinator and ERNs members in their:

- Online communication
- Document management
- Event organisation.
- NOT to exchange clinical patient data



The screenshot displays the ERN Collaborative Platform homepage for the EuroBloodNet network. At the top, there's a navigation bar with links for Support, Help, Disclaimer, GUTHIERREZ Victoria, Logout, and English (en). Below the header, there's a banner for 'ERN EuroBloodNet'. The main content area is titled 'LATEST NEWS' and contains several news items. One item is about 'CPMS Webinars' and another is about the 'NEWSLETTER IMPLEMENTED IN EDP'. To the right, there's a sidebar for 'ERN EuroBloodNet' and the 'European Reference Networks' logo. At the bottom, there's a section for 'Short name and description' which includes the text: 'ERN on haematological diseases (EuroBloodNet); haematological diseases involve abnormalities of blood and bone marrow cells, lymphoid organs and coagulation factors, and almost all of them are rare. They can be subdivided into six categories: rare red blood cell disorders,' followed by a link to 'https://webgate.ec.europa.eu/ern/'.

**ECP is the platform for internal communication within the network.
Request your access to ERN-EuroBloodNet through:**

<https://webgate.ec.europa.eu/ern/>

PATIENT CONSENT FORM FOR DATA SHARING

in

EUROPEAN REFERENCE NETWORKS FOR RARE DISEASES

for

PATIENT CARE and CREATION OF RARE DISEASE REGISTRIES



WHAT ARE THE EUROPEAN REFERENCE NETWORKS AND HOW CAN THEY HELP ME?

- European Reference Networks (ERNs) are networks of healthcare professionals working in rare diseases across Europe. They are established by Directive 2011/24/EU on the application of patients' rights in cross-border healthcare.
- ERNs exist to allow healthcare professionals to work together to support patients with rare conditions or other conditions which need highly specialized therapeutic procedures.
- With your consent, and in accordance with national and European data protection laws, **your case may be referred to the ERN(s) named overseas**, so that the healthcare professionals in the ERN may help your doctor develop your diagnosis and care plan.
- In order for the ERN to advise on your care, the data collected about you in this hospital needs to be shared with healthcare professionals in other hospitals, **some of which may be in other European countries**. Your doctor can tell you more about which countries are in the ERN(s) relevant to your condition.
- Your care will remain the responsibility of the healthcare professionals who usually look after you.
- Data about you will not be shared without your consent, and even if you choose not to give your consent your doctors will continue to take care of you to the best of their ability.

PATIENT DATA SHARED FOR CARE WILL BE DE-IDENTIFIED

- If you and your doctors agree that it would be good to ask for support from one or more ERNs, this consent form will **allow this hospital to share any of the data stored in your health care record** which would help the healthcare professional in the ERN(s) to discuss your care.
- Your **name and address will not be included**.
- Such data may include **medical images, laboratory reports, as well as biological sample data**. It may also include **letters and reports** from other doctors who have cared for you in the past.
- If ERN(s) are consulted for your care, your data will be shared through a **secure electronic information system** called the **ERN Clinical Patient Management System**.

WHAT ABOUT RARE DISEASE DATABASES /REGISTRIES?

- To improve future knowledge on rare diseases, ERNs are very dependent on databases of information for research and knowledge development.
- Databases, also known as **registries**, contain **only de-identified information**. Your name, full date of birth or address are NOT included, only information about your condition.
- To help build the databases, you may give your consent for your data to be added to such databases. If you choose not to give your consent this will not affect your care.

WHAT ABOUT RARE DISEASES RESEARCH?

- You may also let us know if you would like to be contacted **about research projects** for which your data could be used.
- If you agree to share your data for research you will be contacted to provide consent for a specific research project.
- Your data will not be used for research without your specific consent for a named research project.

WHAT ARE MY RIGHTS?

- You have the right to **give or withhold** your consent to sharing data in the ERN(s).
- If you consent today you may withdraw your consent later. Your doctor will explain how data about you can be removed from records if you wish. It may not be possible to remove information that has been used to care for you.
- You are entitled to receive further information about the purposes for which your data will be processed and who will have access to it. Your doctor can tell who can help you if you would like more information.
- You have a right to **see which data is stored about** you and to have corrections made to any errors you find. You may also have the right to block or erase your data.
- The hospital where your data is collected is responsible for your data. It should address your requests concerning **your data in 30 days**.
- It has the duty to ensure your data is processed safely and to notify you if a breach of data security occurs.
- If you have any concerns about the way in which your data is processed you may contact your treating doctor or your relevant data protection authority.
- The need for keeping your data in the ERNs will be reviewed by your **hospital every 15 years**.



THIS CONSENT FORM MAY BE USED FOR SHARING DATA WITH THE FOLLOWING ERN(S)

(To be completed by the health care professional signing below)

.....
.....
.....

PATIENT DETAILS

First Name:

Surname:

Date of Birth:
D D M M Y Y Y Y

ID number:

Please tick the box that applies:

- I am the patient I am the parent/guardian of the patient I have power of attorney



I CONSENT to my de-identified data being shared in ERN(s) for my CARE

I understand that my data will be shared with healthcare professionals in the ERN(s) so that they may work together to support my care.

Signature Date



I DO NOT CONSENT to my data being shared in ERN(s) for my CARE

I understand that this means the ERN(s) cannot be consulted to support my care.

Signature Date



I CONSENT to my de-identified data being included in one or more ERN database or registry.

Signature Date



I DO NOT CONSENT to my data being included in an ERN database or registry.

Signature Date



I WOULD LIKE TO BE CONTACTED about research. I will decide if I consent to my data being used for a specific project if I am contacted.

Signature Date



I DO NOT WANT TO BE CONTACTED about my data being used in research.

Signature Date

TREATING PHYSICIAN or PERSON AUTHORISED TO WITNESS CONSENT

Name Position Date

WHERE CAN I FIND MORE INFORMATION?

You can also find more information about ERNs at
https://ec.europa.eu/health/ern_en

Contact us!

Thank You!!!

ERN-EuroBloodNet coordination team – Contact us!



Prof Pierre Fenaux
Coordinator
Oncological Hub Chair
Ht. Saint Louis, Paris
pierre.fenaux@aphp.fr



Prof Béatrice Gulbis
Co-Coordinator
Non-Oncological Hub Chair
CUB-Ht. ERASME
Beatrice.Gulbis@erasme.ulb.ac.be



Dr. Maria del Mar Mañú Pereira
Scientific Director
Ht. Saint Louis, Paris
Josep Carreras Leukaemia Research Institute, Barcelona
mmanu@carrerasresearch.org

Victoria Gutiérrez Valle
IT and Dissemination manager
Ht. Saint Louis, Paris
Josep Carreras Leukaemia Research Institute, Barcelona
vgutierrez@carrerasresearch.org

Mariangela Pellegrini
ERN manager
Ht. Saint Louis, Paris
mariangela.pellegrini@aphp.fr

AAP FSMR 2018 : Proposition d'évolution Organisation de la gouvernance

ACTUEL

MHEMO

Comité de coordination
Conseil médical et scientifique
Collège des praticiens et des usagers



Bureau
Centre Coordonnateur Opérationnel
Conseil scientifique
Comité de Pilotage

EVOLUTION PROPOSEE

MHEMO

Bureau
Comité de Pilotage

**Conseil d'orientation scientifique
Mhemo - FranceCoag**



Bureau
Centre Coordonnateur Opérationnel
Comité de Pilotage

Plan National Maladies Rares 3 /

Note interministérielle AAP - FSMR (28 Sept 18)

Les 5 ambitions du PNMR3

Plan sur 2 ministères

- Permettre un diagnostic rapide pour chacun, afin de réduire l'errance et l'impasse diagnostiques ;
- Innover pour traiter, pour que la recherche permette l'accroissement des moyens thérapeutiques ;
- Améliorer la qualité de vie et l'autonomie des personnes malades ;
- Communiquer et former, en favorisant le partage de la connaissance et des savoir-faire sur les maladies rares ;
- Moderniser les organisations et optimiser les financements nationaux.

4 axes de l'AAP 2018

AXE 1: Améliorer le diagnostic et la prise en charge dans les maladies rares

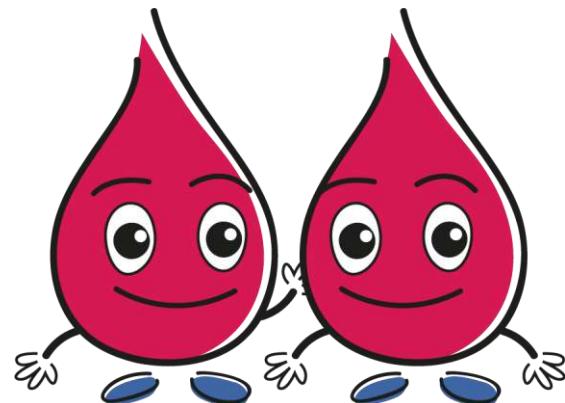
AXE 2 : Favoriser la recherche sur les maladies rares

AXE 3 : Développer les volets européens et internationaux

AXE 4 : Favoriser l'information et contribuer à la formation sur les maladies rares

Questions ???

Merci pour votre attention !!



AXE 1: Améliorer le diagnostic et la prise en charge dans les maladies rares (1/2)

Quelques illustrations d'action du projet 2018 éventuellement déjà mises en œuvre dans le plan d'actions 2016

- Augmenter la visibilité des structures de prise en charge pour les personnes malades, leur entourage et les professionnels :
 - ✓ Action « Information » (Plan 2016) : site internet MHEMO , Plaquettes de présentation , Kakemono, les poster présenté aux congrès (AFH et WFH) et présences et intervention lors de congrès
- Favoriser la production de PNDS par les centres de référence et leur apporter le soutien méthodologique nécessaire
 - ✓ Action « PNDS » (Plan 2016) : PNDS « Maladie de willebrand » finalisé et paru – PNDS « Hémophilie » à venir 1 trimestre 2019
- Mettre à disposition un annuaire actualisé des services et laboratoires diagnostiques impliqués dans le diagnostic et la prise en charge des maladies rares de la FSMR
 - ✓ Action « Annuaire des laboratoires d'hémostase » + « Annuaire réseau GENOSTASE » (plan 2016): finalisée
- Porter ou encourager des actions visant à dynamiser la transition enfant-adulte et plus largement visant à fluidifier le parcours de soins des personnes malades (annonce diagnostique, urgences, ...) et diffuser pour évaluation la méthode du patient traceur
 - ✓ Action « Transition » (Plan 2016) finalisée 2/3 à poursuivre par la création d'outils visant à favoriser la transition
 - ✓ Nouvelle action plan 2018 : « Modernisation du carnet patient vers un outil numérique »

AXE 1: Améliorer le diagnostic et la prise en charge dans les maladies rares (2/2)

- Porter ou encourager l'autonomisation des personnes malades et de leur entourage, à travers notamment le soutien à l'éducation thérapeutique
 - ✓ Action « Promotion de l'ETP » coordonnée par le groupe THE3P (plan 2016) à prolonger dans le projet 2018
- Contribuer à organiser une couverture de l'ensemble du territoire et un accès équitable à l'expertise, notamment en Outre-mer ; les FSMR se mobilisent pour faciliter dans leurs centres la tenue de RCP (Réunions de Concertation Pluridisciplinaires)
 - ✓ Nouvelle action plan 2018: « Mise à disposition d'un outil de RCP » pour RCP des 3 centres de référence et l'accès aux plateformes de séquençage de diagnostic WGS
- Etablir des liens avec le secteur social, médico-social et l'Education nationale au bénéfice des personnes malades et de leur entourage
 - ✓ Action de coordination des projet en SHS (plan 2016) à poursuivre
 - ✓ + Poursuivre travail réalisé avec AFH en inter-filière sur la thématique

AXE 2 : Favoriser la recherche sur les maladies rares (1/2)

Pilotage de cet axe par le ministère de la recherche et de l'enseignement supérieur

Verbes clefs : concevoir , faciliter favoriser , communiquer, informer et coordonner

- la mise en place des projets de recherche collaboratifs au sein de la FSMR et en inter-FSMR et aider les acteurs de la FSMR à rechercher des financements nationaux et européens ;
- l'émergence d'études pilotes en recherche translationnelle
- les connections entre les équipes de recherche, les CRMR et les laboratoires de diagnostics de la FSMR pour assurer un continuum entre recherche fondamentale et clinique
- Assurer la diffusion des principaux AAP aux CRMR, notamment via son site internet, et aider à coordonner les réponses (unités de recherche, centres de référence et autres partenaires)
 - Poursuivre les actions recherche (plan 2016) + identifier nouvelles actions

AXE 2 : Favoriser la recherche sur les maladies rares (2/2)

- Veiller à la qualité et à l'interopérabilité des bases de données des acteurs au sein des FSMR, en conformité avec (i) la réglementation européenne sur les données de santé GDPR (General Data Protection Regulation), (ii) l'initiative GoFAIR (findable, accessible, interoperable, reusable data) soutenue par la France et (iii) le référentiel de sécurité en cas d'appariements avec le système national des données de santé (SNDS) ;
✓ Action Interopérabilité des BDD et intégration des données dans la BNDMR (plan 2016) en cours de résolution . Le déploiement et l'action sont donc à poursuivre
- Soutenir les CRMR dans leurs interactions avec les délégations à la recherche clinique et à l'innovation (DRCI) et les Centres d'investigations Cliniques (CIC) pour les aspects méthodologiques et éthico-réglementaires, pour l'assurance qualité, pour la création de cohortes, de registres et bio-banques et la mise en œuvre de projets de recherche clinique;
- Aider à la préparation et à la gestion des projets maladies rares selon les standards internationaux (rôle des FSMR, de la structure nationale d'appui pour les bases de données, de F-CRIN), en lien avec les structures d'appui à la recherche (CIC, DRCI, notamment) ;
- Assurer une information sur les technologies et traitements innovants ;

AXE 3 : Développer les volets européen et international

- Soutenir la création de consortia pour la soumission de projets collaboratifs aux appels à projets européens et internationaux en s'appuyant sur les opérateurs et organismes de recherche ;
- Veiller à la cohérence des actions des FSMR avec les réseaux européens de référence correspondants ;
- Appuyer les coordonnateurs français de réseaux européens de référence.

AXE 4 : Favoriser l'information et contribuer à la formation sur les maladies rares

- Développer l'information relative aux maladies rares à destination des personnes malades, des médecins traitants mais aussi, en inter-FSMR et du grand public.
- Organiser ou participer à des enseignements universitaires et à des formations éligibles au développement professionnel continu (DPC) ou enseignements post-universitaires (EPU), en particulier via des outils numériques, tels que le e-learning.
- Organiser ou participer à des formations, y compris qualifiantes, à destination des personnes malades (patients « experts »).