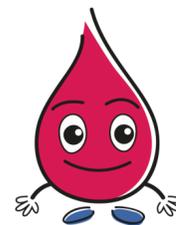


# MHEMO

La Filière des maladies hémorragiques constitutionnelles



# MHEMO

La Filière des maladies hémorragiques constitutionnelles



CONGRÈS FRANÇAIS  
d'HÉMOSTASE

SAINT-MALO Palais des Congrès  
Le Grand Large

## ACTUALITÉS DE LA FILIÈRE MHEMO

### CONGRÈS FRANÇAIS DE L'HÉMOSTASE

### 10 AU 12 MAI 2023

---

**Sophie SUSEN**

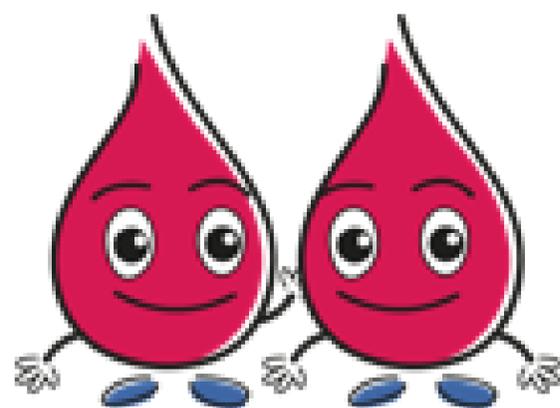
**Céline FALAISE**

**Dominique DESPREZ**

**Claire POUPLARD**

**Valérie CHAMOUARD**

**Laura TOURVIELHE**



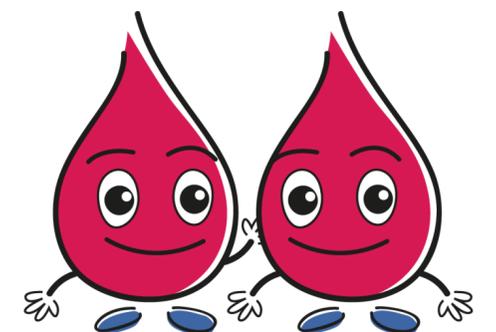
# SOMMAIRE

---

1. Labellisation des CRMR 2022/2023 : Retour national des décisions du jury
2. Le modèle de financement de la MIG des CRMR et CRC de MHEMO
3. Enquête continuité des soins : restitution du COPIL

## Projets phares de MHEMO

4. Observatoire du traitement
5. Formation : enseignement commun aux 3 CRMR
6. Soutien à la recherche
7. Evènements à venir et communication

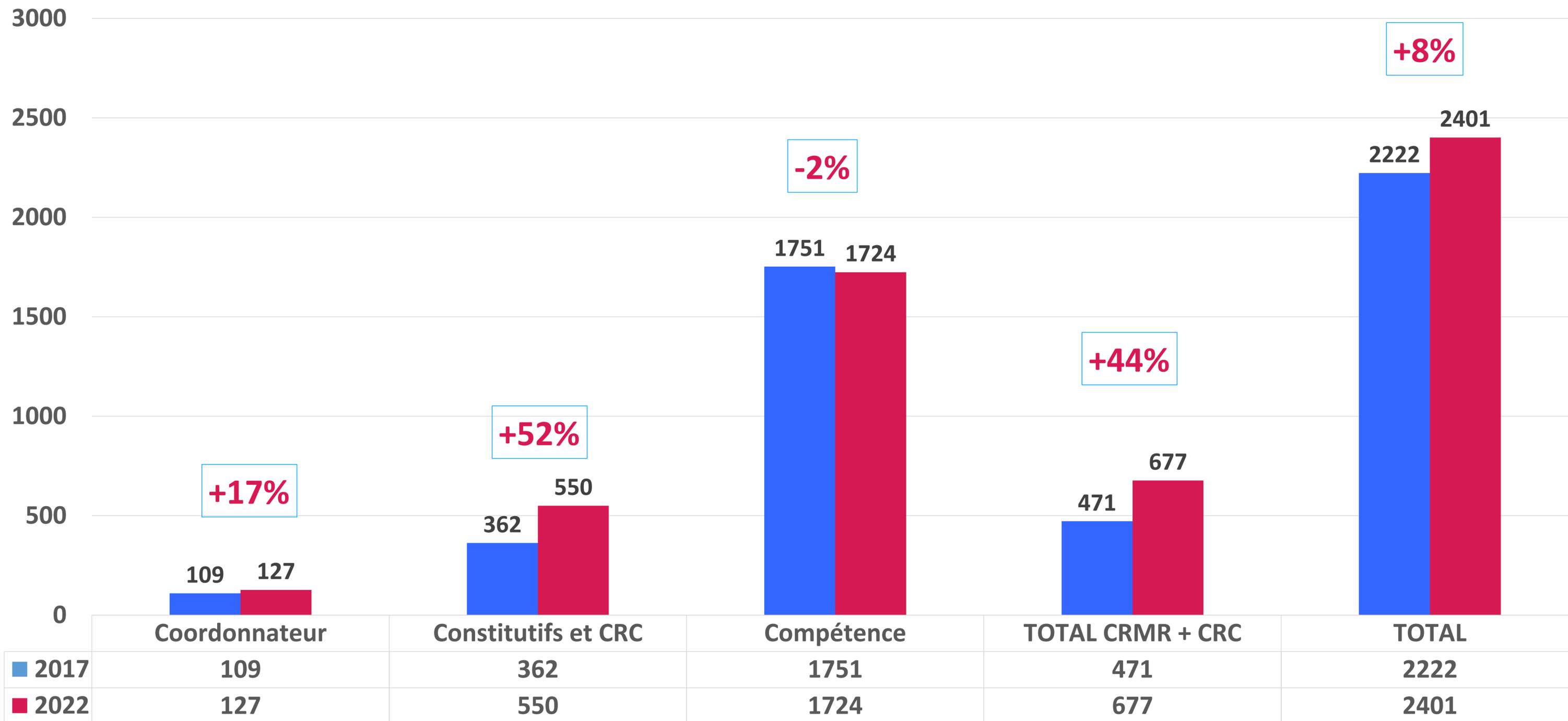


# LABELLISATION DES CRMR 2022/2023 RETOUR NATIONAL DES DÉCISIONS DU JURY

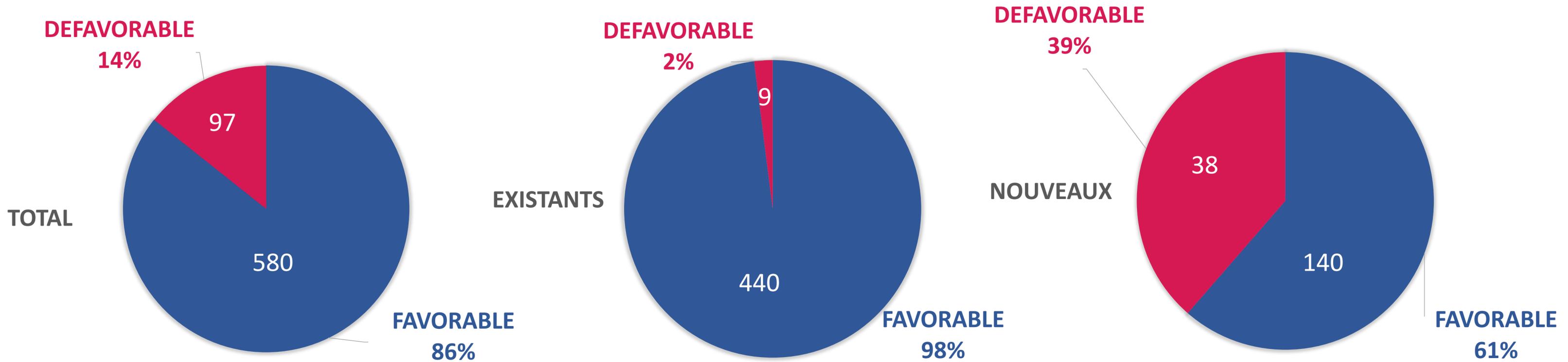
---



# COMPARAISON DES CANDIDATURES REÇUES EN 2022 AVEC LA LABELLISATION DE 2017 (23 FSMR)



# SYNTHÈSE DES DÉCISIONS DU JURY DE LABELLISATION DES CRMR (COORDONNATEURS + CONSTITUTIFS + CRC)



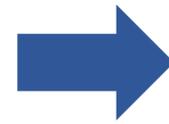
**+23% DE NOUVEAUX CRMR LABELLISÉS**



# CALENDRIER PRÉVISIONNEL D'APPLICATION DE LA LABELLISATION

## Décembre 2022 - 12 Janvier 2023

- Financement des CRMR et CRC labellisés en 2017 en C1 2023
- Décision finale du jury de labellisation sur les candidatures retenues fin mars 2023



*Envoyée aux FSMR  
le 31 mars 2023*

## Dernier trimestre 2023

Priorisation d'une mesure nouvelle pour l'ONDAM 2024 pour revalorisation des MIG dédiées aux CRMR

## Avant l'été 2023

- Validation des candidatures de CRMR par la DGOS, la DGS et la DGRI
- Préparation et publication de l'arrêté de labellisation signé des ministres chargés de la santé, de l'enseignement supérieur et de la recherche



*Courrier individuel à  
chaque candidat /  
établissement*

## Début 2024

- Financement des nouveaux CRMR et CRC labellisés en 2023 en C1 2024 avec application de la réforme de la part variable
- **Lancement du PNMR4**

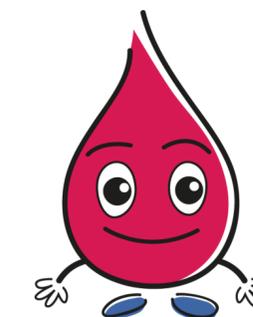
# LE MODÈLE DE FINANCEMENT DE LA MIG DES CRMR ET CRC DE MHEMO

---



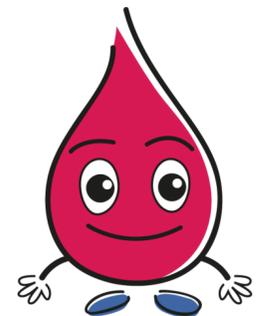
## Dotation 2023 = Rien ne change

- 1,7 M° Euros répartis sur les centres labellisés en 2017
- C1 2023 calculée à l'aide des chiffres des années 2020 et 2021 pour l'activité
- Période prise en compte pour les points SIGAPS : les 4 dernières années (2018 à 2021)
- Réalisation de RCP en pondération 1 = « OUI » ou 0 = « NON »



## Dotation à partir de 2024 (Simulation de calculs à venir à l'automne 2023)

- Conservation probable du mode de calcul proportionnel
- C1 2024 calculée à l'aide des chiffres des années 2021 et 2022 des activités saisies dans BaMaRa
- Items de l'activité : la file active , le volume de consultation, les hospitalisations (complètes et HDJ) et les avis d'expert
- Points SIGAPS (mode de calcul par quartile – Compte de présence) sur les 4 dernières années (2019 à 2022)
- Coordination de DU/DIU en pondération 1 = « OUI » ou 0 = « NON »
- Réalisation de RCP
  - RCP Nationales ( 5% ) et RCP locales/régionales (10%)
  - Organisation de RCP (10%) et pour la présentation de cas (5%)



# ENQUÊTE CONTINUITÉ DES SOINS RESTITUTION DU COPIL

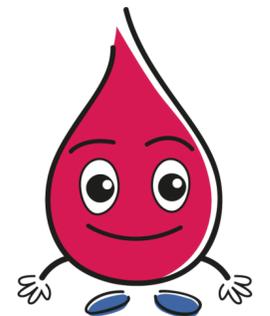
CELINE FALAISE  
DOMINIQUE DESPREZ  
CLAIRE POUPLARD

---



# ENQUETE CONTINUITES DE SOINS

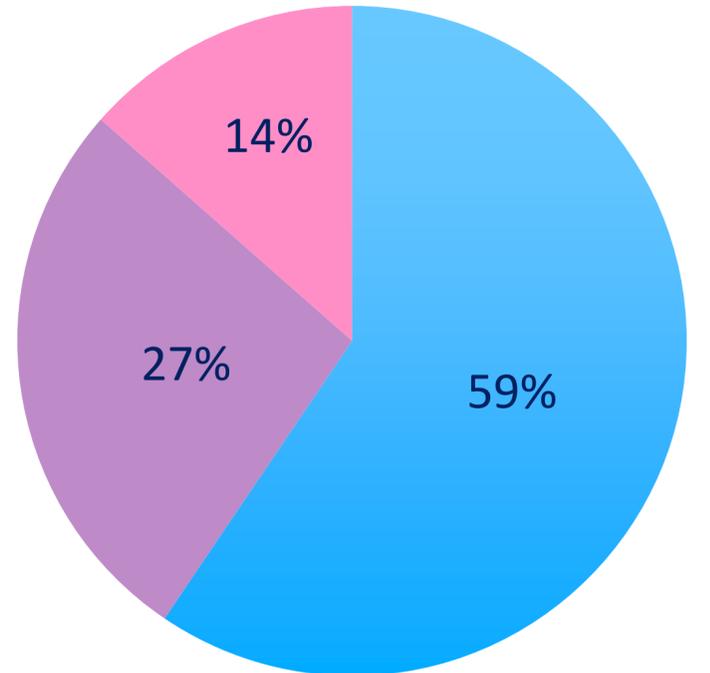
- Réalisée début 2022 avant le dépôt des dossiers de labélisation CRC
- Recueil des données : entretien téléphonique ( $\approx$  30min), guidé par un questionnaire pré établi
- Mieux comprendre et mieux connaître l'organisation de la permanence des soins dans les différents CRC-Maladies Hémorragiques



# RÉPONSES ENQUETE CONTINUITÉ DE SOINS

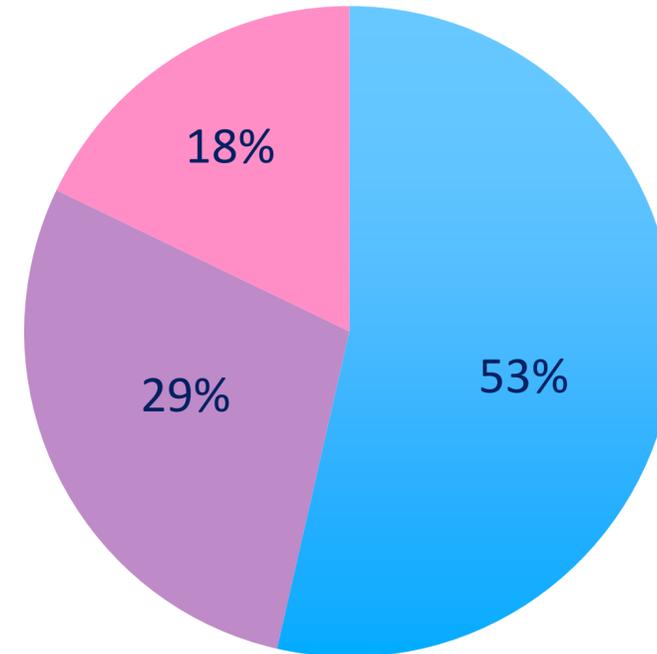
● 36 réponses / 33 CRC et 3 CTH

Continuité des soins

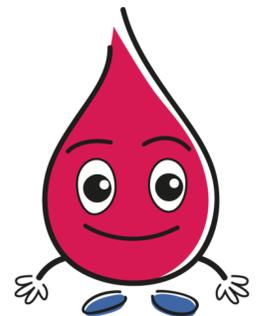


- Astreintes rémunérées
- Astreintes non rémunérées
- Pas d'astreinte

Participants à l'astreinte



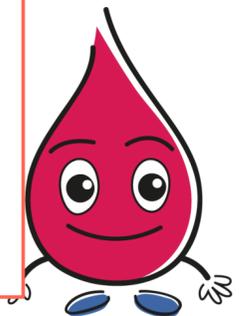
- Médecins spécialisés en MH
- Médecins non/peu spécialisés en MH
- Pharmaciens biologistes



# RÉPONSES ENQUÊTE CONTINUITÉS DE SOINS

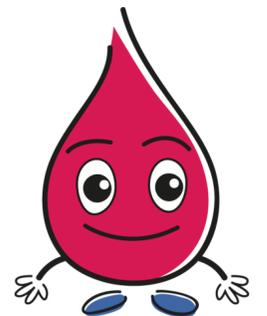
- **Accès aux données du patients le plus souvent facile**
- **Accès au FAH le plus souvent facile au CHU**
- **Dosage du FVIII 24h/24**

- **Avis peu tracés**
- **Accès aux FAH +/- difficile hors CHU**
- **Prescription à distance difficile**
- **Pas toujours de biologie d'Hémostase spécialisée hors heures ouvrables**



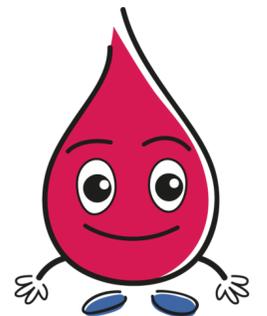
# DOSSIER DE LABELISATION

- **22 centres/32 ont attesté avoir une astreinte**
  - **3 centres ont déclaré ne pas avoir d'astreintes (vs 5)**
  - **4 centres ont ajouté au dossier de labélisation un courrier de soutien de leur institution**
- 
- ✓ **Impact positif du dossier de labélisation auprès du CHU**
  - ✓ **Anticipation si possible d'éventuels changements au sein du CRC (effectif médical, organisation...)**



# QUESTIONNEMENT ACTUEL SUR LA CONTINUITÉ DES SOINS

- **Accessibilité des FAH en urgence**
  - ✓ Réflexion sur le parcours de soin en cas d'urgence
  - ✓ Quelle disponibilité des FAH à domicile ?
  - ✓ Disparité territoriale ?
  - ✓ Disparité régionale ?

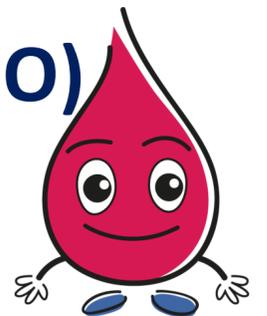


# QUESTIONNEMENT ACTUEL SUR LA CONTINUITÉ DES SOINS

## Diagnostique et Surveillance Biologique

- ✓ Quels examens minimum hors heures ouvrables?
  - Examen à visée diagnostique ?
  - Examen à visée thérapeutique d'un évènement hémorragique ? d'une chirurgie ?
- ✓ Conforme aux recommandations ?

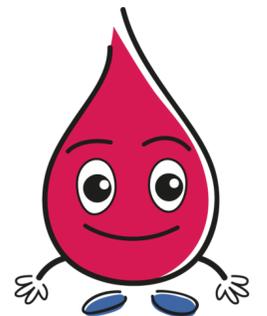
Mise a jour prévu 2023-24 de l'annuaire des examens bio (BIMHO/MHEMO)



# QUESTIONNEMENT ACTUEL SUR LA CONTINUITÉ DES SOINS

## Avis du centre expert

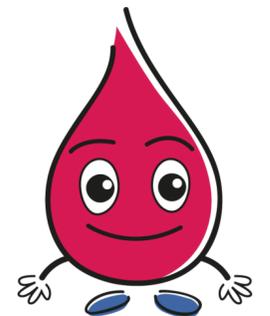
- ✓ Consultation avancées ?
- ✓ Téléconsultations ?
- ✓ En fonction de la File active ?
- ✓ En fonction du maillage territorial ?



# QUESTIONNEMENT ACTUEL SUR LA CONTINUITÉ DES SOINS

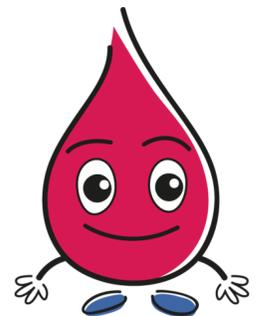
## La continuité des soins, c'est aussi le lien ville-hôpital

- ✓ Comment définir le parcours de soin ?
- ✓ Quels recours aux autres spécialités (CHU hors CHU) ?
- ✓ Quelle place donner au médecin traitant ?



# CONCLUSION

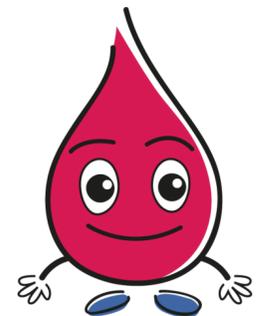
- ✓ **Evaluation des engagements pris**
- ✓ **Adaptation de la permanence des soins aux objectifs du PNMR4**
- ✓ **Bonne coopération et communication entre le bureau de la Filière et les acteurs de la permanence des soins**
  - = aide au bon fonctionnement, à l'amélioration de la permanence des soins au sein des différents CRC
  - = mieux répondre aux attentes de la DGOS



# PROJETS

## Poursuite de l'enquête de terrain vis-à-vis :

- ✓ De l'arsenal thérapeutique
- ✓ Des examens biologiques d'hémostase spécialisée
- ✓ Des avis des centres experts
- ✓ Du lien ville/hôpital



# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT

VALÉRIE CHAMOULARD

LAURA TOURVIELHE

---



# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT ORGANISATION ET MISSIONS

- ◆ Coordination pharmaceutique: **Valérie Chamouard et Laura Tourvieille**
- ◆ En collaboration avec les trois coordinatrices des centres de référence, un médecin correspondant identifié par CRMR et l'AFH (**Nicolas Giraud**)



Pr Yesim Dargaud



Pr Sophie Susen

Dr Camille Paris

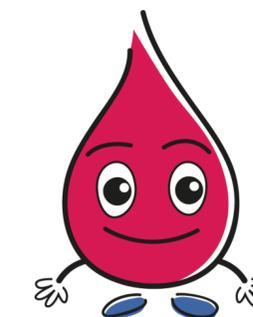


Pr Marie-Christine Alessi

Dr Paul Saultier

## Objectifs:

- 1 Recensement des pratiques hors AMM au sein de la filière et justification bibliographique associée
- 2 Facilitation de l'accès au traitement pour les patients
  - ◆ En lien avec les tutelles et les laboratoires dans le cadre de **l'Accès Compassionnel** (AAC/CPC) ou de **l'Accès Précoce** (AAP), notamment en vue d'une obtention ou d'une extension d'AMM
- 3 Participation au suivi des cohortes de patients traités et retour vis-à-vis des tutelles (ANSM/ HAS)



# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT BILAN AU SEIN DES CRMR



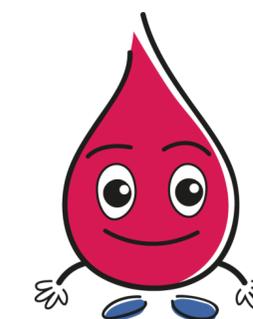
- ◆ 6 situations hors AMM identifiées
- ◆ 1 fiche bibliographique exhaustive pour les professionnels de santé à venir sur le site MHEMO et du CRH:
  - ◆ **emicizumab (Hemlibra®)** et hémophilie A acquise



- ◆ 3 situations hors AMM identifiées
- ◆ 2 fiches bibliographiques exhaustives pour les professionnels de santé à venir sur le site MHEMO et du CRMW:
  - ◆ **emicizumab (Hemlibra®)** et maladie de Willebrand de type 3
  - ◆ **vonicog alfa (Veyvondi®)** en prophylaxie dans la maladie de Willebrand



- ◆ 2 situations hors AMM identifiées
- ◆ Fiches bibliographiques en cours d'élaboration



# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT PROJETS EN COURS

## ◆ efanesoctocog alfa (BIVV001) - SOBI

Demande d'**autorisation d'accès compassionnel (AAC)** sollicitée pour un patient présentant un phénotype sévère et des problèmes de voie d'abord

- Pas de mise à disposition prévue pour la France avant fin 2024 (AMM EU fin 2023)
- Pas de disponibilité du médicament par le laboratoire dans ce cadre de l'AAC

→ Evolution d'ici fin 2024?

## ◆ concizumab - NovoNordisk

**Autorisations d'accès compassionnel (AAC)** octroyée à 4 patients en France

Dossier de demande d'**accès précoce pré-AMM (AP1)** déposé par le laboratoire

## ◆ emicizumab (Hemlibra®) - Roche

**Accès précoce post-AMM (AP2):**  
hémophilie A modérée

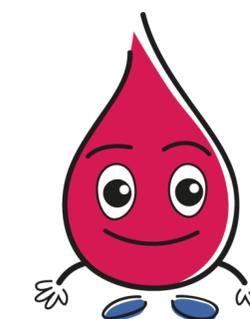
- AMM EU obtenue (01/2023)
- 4 patients en cours en France dans le cadre des RCP
- Dossier de demande d'**AP2** déposé par le laboratoire

## THÉRAPIE GÉNIQUE

### ◆ étranacogène dezaparvovec (Hemgenix®) – CSL Behring

**AP2** déposé par le laboratoire, en attente d'instruction

Pas de participation du CRH



# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT CADRE DE PRESCRIPTION COMPASSIONNEL

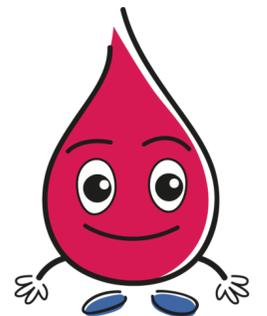
## ● emicizumab (Hemlibra®) – Roche

### Cadre de prescription compassionnelle (CPC) dans l'hémophilie acquise

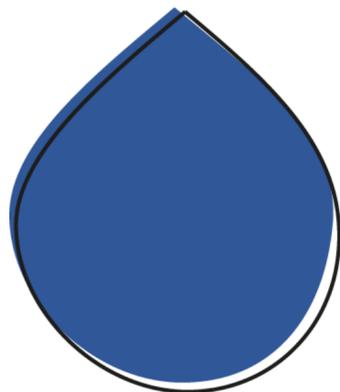
- Pas d'extension d'AMM européenne prévue par le laboratoire malgré l'obtention d'une extension d'AMM au Japon (sur la base de l'essai AGEHA - JapicCTI-205151)
- 10 patients en cours en France dans le cadre des RCP
- Dépôt d'un **CPC** début avril 2023

#### Indications proposées dans le CPC:

- En relais d'un traitement hémostatique chez les sujets atteints d'hémophilie A acquise, prise en charge:
  - D'un **syndrome hémorragique grave**
  - D'une **procédure invasive** et de toute situation interventionnelle complexe
- Prévention hémostatique primaire chez les patients présentant des **facteurs de risques de saignement** surajoutés
- Prévention hémostatique primaire et/ou secondaire chez les patients en échec d'une **thérapie immunosuppressive** ou présentant une balance bénéfice-risque défavorable à une association d'immunosuppresseurs ou thérapie immunosuppressive prolongée

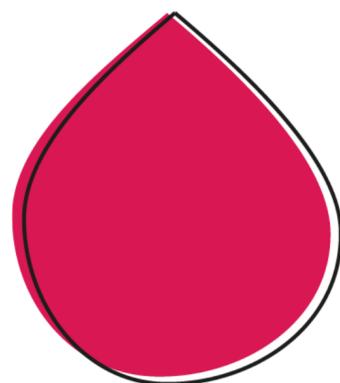


# OBSERVATOIRE DU TRAITEMENT PERSPECTIVES



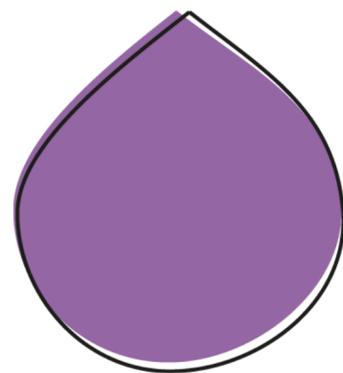
Poursuite de la validation des usages hors AMM au cours des réunions de concertation pluridisciplinaire

- Sécurisation de la prise en charge grâce à un consensus d'avis d'experts



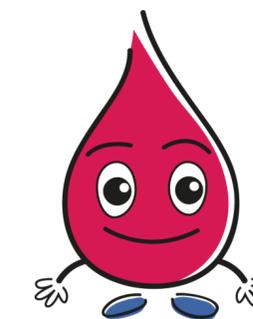
Collecte de données en vie réelle sur l'efficacité et la sécurité des médicaments utilisés hors AMM

- Organisation par les laboratoires (type e-CRF)
- Set de Données Minimal Traitement (SDM-T) de la BNDMR
- **À venir:** interface avec la base de données FranceCoag



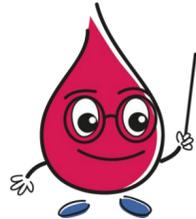
Suivi des innovations thérapeutiques en cours de développement

- Veille bibliographique, scientifique et réglementaire



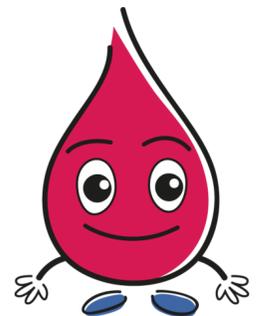
# FORMATION ENSEIGNEMENT COMMUN AUX 3 CRMR

---



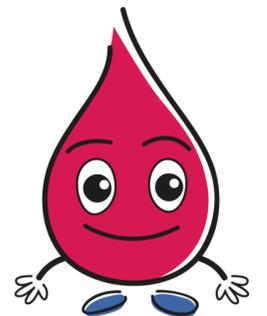
# DIU NATIONAL HÉMOSTASE

- Afin de compléter l'offre de formation au niveau national sur l'hémostase, les coordinatrices des 3 centres de références de la filière ont décidé de mettre en place un **DIU national Hémostase**
- L'objectif de ce diplôme est de former des professionnels qui seront susceptibles de travailler dans les services d'hémostase clinique avec **la prise en charge de pathologies hémorragiques constitutionnelles ou acquises** et des **pathologies thrombotiques**, mais aussi de compléter la formation de **médecins ou pharmaciens de différentes spécialités**
- Un conseil pédagogique a été constitué avec des représentants: 3 CRMR, CoMETH, GFHT, SFH, SHIP, SFAR, INNOVTE, SFTS, GIHP
- Un comité de pilotage : Nadine Ajzenberg, **Yves Gruel**, Annie Harroche, Yesim Dargaud, Patrick Mismetti, Sophie Susen



# DIU NATIONAL HÉMOSTASE

- **Plusieurs parcours** seront mis en place avec **un tronc commun** et des **modules obligatoires** selon la spécificité du parcours
- Les universités porteuses pour dépôt du projet sont : **Lyon, Lille, Marseille et Paris-Cité**  
Un partenariat avec les universités de Bruxelles et Genève est en cours de négociation



# SOUTIEN À LA RECHERCHE ACTIONS FORMATION ET RECHERCHE

---



# RETOURS DE CONGRÈS

## OUVERTURE AUX CONGRÈS INTERNATIONAUX

🔴 **Congrès concernés** : ISTH, ASH, CFH et éventuellement WFH, EAHAD et SFH

🔴 **Formation des membres de la filière** grâce aux événements appelés « Les midis de MHEMO - retour de congrès »

🔴 **Jeunes (moins de 40 ans)** soutien financier de MHEMO pour assister au congrès et faire le retour des sessions sélectionnées par le GT « Formation des professionnels de santé » .

🔴 **Les sujets d'actualités du congrès traités** : les "hot topics" concernant les maladies hémorragiques constitutionnelles du congrès.

🔴 **Bilan à 2 ans**

Edition	Date	Congrès couvert	Nombre de reporter
1 <sup>ère</sup>	27 septembre 2021	SFH 2021	1
2 <sup>ème</sup>	11 janvier 2022	ASH 2021	3
3 <sup>ème</sup>	9 mars 2022	EAHAD 2022	2
4 <sup>ème</sup>	27 juin 2022	CFH 2022	3
5 <sup>ème</sup>	14 septembre 2022	ISTH 2022	2
6 <sup>ème</sup>	15 mars 2023	EAHAD 2023	2

🔴 **Prochain retour de congrès MHEMO** sur le Congrès de la SFH 2023 (1 reporter) et le congrès Français de l'Hémostase 2023 (2 reporters) puis sur le congrès de l'ISTH (Montréal) 2023 (2 reporters)

🔴 **Ces événements en ligne sont ouverts à tous et les vidéos sont toujours disponibles en rediffusion sur le site de MHEMO (accès public).**

🔴 **Contact MHEMO** : Ambre Etienne à l'adresse suivante: [ghe.mhemo@chu-lyon.fr](mailto:ghe.mhemo@chu-lyon.fr)

# BOURSE DE RECHERCHE MHEMO

## Appel A Projet Bourse de Recherche Filière MHEMO : 2 /AN

<https://mhemmo.fr/la-recherche/appels-a-projets-recherche/bourse-de-recherche-mhemmo/>

**Objectif** : accompagner les travaux de recherche de jeunes intervenants du système de santé et de la recherche.

**Candidatures** : [mhemmo@chu-lille.fr](mailto:mhemmo@chu-lille.fr)

Appel à projet printemps 2022 :  
Les bases de données des maladies hémorragiques



## BOURSE DE RECHERCHE MHEMO

Plus d'informations : <https://mhemmo.fr/la-recherche/appels-a-projets-recherche/bourse-de-recherche-mhemmo/>

### DESTINATAIRES

Jeunes chercheurs  
Post-docs  
Médecins  
Pharmaciens  
Tout intervenant du système de santé et de recherche

### AGE LIMITE

moins de 40 ans

### MONTANT DE L'AIDE

10 000 €

### DATE LIMITE DE CANDIDATURE

Prolongation jusqu'au 14 juillet 2022

### PROCEDURE

dossiers complets  
à envoyer sous  
format PDF à  
[ghe.mhemmo@chu-lyon.fr](mailto:ghe.mhemmo@chu-lyon.fr)

Appel à projet hiver 2023 :  
Les bases de données des maladies hémorragiques



## BOURSE DE RECHERCHE MHEMO

Plus d'informations sur [www.mhemmo.fr](http://www.mhemmo.fr) > Recherche > Appels à Projets Recherche

### DESTINATAIRES

Jeunes chercheurs  
Post-docs  
Médecins  
Pharmaciens  
Tout intervenant du système de santé et de recherche

### AGE LIMITE

Moins de 40 ans

### MONTANT DE L'AIDE

10 000 €

### DATE LIMITE DE CANDIDATURE

24 février 2023

### PROCEDURE

Dossiers complets  
à envoyer sous  
format PDF à  
[mhemmo@chu-lille.fr](mailto:mhemmo@chu-lille.fr)

# AIDE AU DÉPÔT DE PROJET DE RECHERCHE

- **Destinataires : Tout jeune chercheur, post-doc, médecin, pharmacien, ou tout intervenant du système de santé (infirmières, kinésithérapeutes, etc.) et de recherche** qui souhaite déposer un dossier pour être le PI du projet, rattaché à **toutes les équipes de recherche/centres de suivi identifiés de la filière MHEMO**
- **Expertise proposées → Informer et orienter sur :**
  - La méthodologie
  - La réglementation
  - Le montage budgétaire
  - Le montage juridique
  - La contractualisation (gestion propriété intellectuelle, etc.)
  - La mise en forme (boîtes à outils)
  - Les interactions avec les tutelles
- **AAP concernés :** ANR ; DGOS : (PRT, PHRC, PRME, PREPS, PHRIP); PHRCi; Fondation Maladie Rare; Industriels et proposition d'orientation sur Horizon Europe (Le Conseil Européen de la Recherche (ERC) et les Actions Marie Sklodowska-Curie (A.M.S.C.), etc.)
- **Demande :** soumise au soumis au conseil scientifique Mhemo/FranceCoag et un candidat sera notifié d'une décision après l'étude du dossier
- **Contact :** Bénédicte Pradines et/ou Nataliia Stepina à l'adresse suivante : [mhemo@chu-lille.fr](mailto:mhemo@chu-lille.fr).
- **Plus d'info sur :** <https://mhemo.fr/la-recherche/appels-a-projets-recherche/repondre-a-un-aap-national-ou-international/>

# DÉCLARER UN ESSAI CLINIQUE DANS MON CENTRE

• Mise en ligne de la version 2022 du tableau des essais cliniques auxquels participent les centres de la filière sous 2 formats :

- Un format PDF pour le l'espace public
- Un format Excel pour l'espace membre

<https://mhemmo.fr/la-recherche/la-recherche-clinique/les-essais-therapeutiques>

• Depuis début 2023 un formulaire de déclaration est disponible dans le sous onglet : « **Déclarer un essai clinique dans mon centre** »

<https://mhemmo.fr/la-recherche/la-recherche-clinique/declarer-un-essai-clinique-dans-mon-centre/>

**Objectif** : Avoir une visibilité claire de l'activité de recherche clinique des centres de MHEMO au niveau national

The screenshot shows a web browser window with the URL [mhemmo.fr/la-recherche/la-recherche-clinique/declarer-un-essai-clinique-dans-mon-centre/](https://mhemmo.fr/la-recherche/la-recherche-clinique/declarer-un-essai-clinique-dans-mon-centre/). The page features a navigation menu on the left with the following items: 'La recherche clinique' (highlighted), 'Les bases de données', '> Déclarer un essai clinique dans mon centre' (highlighted), 'Les essais thérapeutiques', 'Les études non thérapeutiques', 'Les thérapies innovantes', 'Documentation Public', 'La réglementation et la valorisation', and 'Appels à Projets Recherche'. The main content area is titled 'Déclarer un essai clinique dans mon centre' and includes the instruction: 'Veillez remplir tous les champs obligatoires du formulaire afin qu'il soit pris en compte. Pour toute questions contactez mhemmo@chu-lille.fr'. Below this is a link: 'Connectez-vous à Google pour enregistrer votre progression. En savoir plus'. A red asterisk indicates a mandatory field: '\* Indique une question obligatoire'. The form contains an 'Adresse e-mail \*' field with a text input box labeled 'Votre adresse e-mail'. The 'Pathologie \*' section includes a list of conditions with checkboxes: 'Hémophilie A', 'Hémophilie B', 'Hémophilie A ou B', 'Maladie de Willebrand', 'Pathologies plaquettaires', 'Thrombopenie constitutionnelle', and 'Autre :' followed by a text input box.



# EVÈNEMENTS À VENIR ET COMMUNICATION

---



# EVÈNEMENTS À VENIR

## CONGRÈS

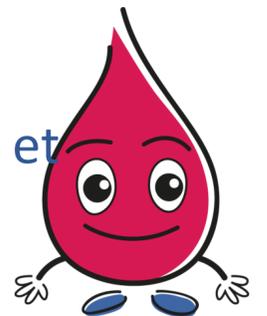
- ISTH Montréal 24 – 28 Juin 2023
- **Congrès RARE - Les rencontres Maladies Rares** : 3 et 4 Octobre 2023 – Centre International des conférences Sorbonne Université (CICSU) - Paris
- ASH 9 -12 Décembre 2023 à San Diégo

## EVENEMENTS MHEMO

- Prochaine journée nationale MHEMO **le jeudi 25 Mai 2023 en présentiel** à l’Auditorium Adicare –Hôpital la Pitié Salpêtrière

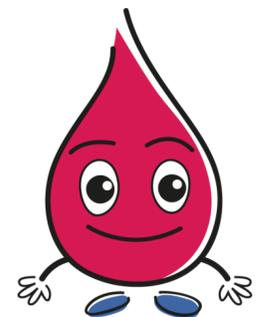
<https://mhemo.fr/wp-content/uploads/2023/05/Programme-Journee-nationale-MHEMO-25-05-2023-vf.pdf>

- **Retours de congrès - Midi de MHEMO** : communication des dates pour la SFH/CFH et ISTH après le CFH et l’ISTH
- Journée nationale MHEMO de fin d’année : **le jeudi 14 Décembre 2023 en distanciel**



## Rappel : Relai des actualités des membres de la filière

Pour les membres de la filière : si vous souhaitez que la filière relaie une information sur le site mhemmo.fr ou sur les réseaux, adressez votre demande à ➔ [ghe.mhemmo@chu-lyon.fr](mailto:ghe.mhemmo@chu-lyon.fr)



MERCI A TOUS POUR VOTRE ÉCOUTE

---

