



MINISTÈRE DE LA SANTÉ ET DES SOLIDARITÉS

DIRECTION DE L'HOSPITALISATION ET DE L'ORGANISATION DES SOINS

Dr Alexandra FOURCADE
Chargée de mission Plan national maladies
rares 2005 - 2008

M. Guillaume HUART - Tel : 01.40.56.51.26
Guillaume.HUART@sante.gouv.fr
Chargé de mission – bureau O4 – Sous-
direction de l'organisation du système de
soins

Le Directeur de l'hospitalisation et
de l'organisation des soins

à

Mesdames et Messieurs les directeurs
des agences régionales de l'hospitalisation
(pour mise en œuvre)

Mesdames et Messieurs les préfets de région
Directions régionales des affaires sanitaires
et sociales (pour information)

Mesdames et Messieurs les préfets de
département
Directions départementales des affaires
sanitaires et sociales (pour information)

CIRCULAIRE N°DHOS/O4/2007/153 du 13 avril 2007 relative à la structuration de la filière de
soins pour les patients atteints d'une maladie rare et créant les centres de compétences

NOR : SANH0730229C (texte non paru au journal officiel)
Classement thématique : Etablissements de santé

Résumé : Le plan national maladies rares 2005 – 2008 a organisé la labellisation de centres de référence. C'est une première étape dans la structuration de la filière de soins pour les patients atteints d'une maladie rare. A ce jour, 103 centres de référence sont labellisés. Ces centres de référence n'ont pas vocation à prendre en charge tous les malades atteints de maladie rare. Ils doivent organiser progressivement le maillage territorial avec des structures de prise en charge au plus près du domicile du patient. Le dispositif de labellisation est ainsi complété par l'identification de "centres de compétences" qui ont vocation à assurer la prise en charge et le suivi des patients, à proximité de leur domicile et à participer à l'ensemble des missions des centres de référence.

Mots-clés :

maladies rares – filière de soins – centres de référence – centres de compétences – hémophilie
– mucoviscidose – sclérose latérale amyotrophique

Textes de référence :

- Loi n°2004 - 806 du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique publiée au Journal officiel du 11 août 2004,
- Décret n°2005-336 du 8 avril 2005 fixant les listes des Missions d'Intérêt Général et des activités de soins dispensés à certaines populations spécifiques donnant lieu à un financement au titre de la dotation mentionnée à l'article L.162-22-13 du code de la sécurité sociale
- Décret n°2006-1332 du 2 novembre 2006 relatif aux contrats pluriannuels d'objectifs et de moyens et modifiant le code de la santé publique (dispositions réglementaires)

- Arrêté du 19 novembre 2004 portant labellisation de centres de référence pour la prise en charge des maladies rares publié au Journal officiel du 28 novembre 2004.
- Arrêté du 12 avril 2005 pris pour l'application de l'article D. 162-8 du Code de la Sécurité Sociale
- Arrêté du 6 octobre 2005 portant labellisation de centres de référence pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares publié au Journal officiel du 21 octobre 2005
- Arrêté du 12 juillet 2006 portant labellisation de centres de référence pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares publié au Journal officiel du 3 août 2006
- Circulaire DHOS/DGS 2004 n°245 du 27 mai 2004 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour la prise en charge de maladies rares »,
- Circulaire DHOS/DGS/2005 n°129 du 9 mars 2005 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares »
- Circulaire DHOS/DGS/O4/SD5D/2006 n°33 du 23 janvier 2006 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares »
- Plan national maladies rares 2005-2008.

Annexes :

- A-1 – Calendrier
- A-2 – Typologie des groupes de maladies rares
- A-3 – Cahier des charges du centre de compétences et proposition de convention type entre les centres de référence et les centres de compétences

La présente circulaire a pour but de formaliser la structuration de la filière de soins pour les patients atteints d'une maladie rare, conformément à l'objectif de l'axe 6 du Plan national maladies rares 2005 – 2008 : « améliorer l'accès aux soins et la qualité de la prise en charge ». La mise en place des centres de référence labellisés constituait une première étape dans l'organisation de cette filière. A l'issue des appels à projets 2004, 2005 et 2006, 103 centres sont désormais labellisés pour une période de cinq ans.

Les centres de référence labellisés n'ont pas vocation à prendre en charge tous les malades atteints de maladies rares. L'une des missions qui leur est assignée consiste à organiser progressivement le maillage territorial avec des structures déjà existantes de prise en charge qui seront identifiées sous le nom de « centres de compétences ». Ces centres de compétences ont vocation à assurer la prise en charge et le suivi des patients, à proximité de leur domicile, et à participer à l'ensemble des missions des centres de référence.

Ainsi, le Plan national maladies rares prévoit la structuration et la gradation de l'offre de soins pour les patients atteints d'une maladie rare sur deux niveaux :

- un niveau d'expertise et de recours, le plus souvent national ou interrégional, constitué par les centres de référence labellisés qui ont vocation à coordonner la définition des référentiels et des protocoles thérapeutiques, la surveillance épidémiologique et la coordination des activités de recherche ;
- un niveau de prise en charge le plus souvent régional, avec les centres de compétences qui établissent le diagnostic des maladies rares, mettent en œuvre la thérapeutique lorsque elle est disponible et organisent la prise en charge du patient en lien avec les centres de référence labellisés et les acteurs et structures sanitaires et médico-sociales de proximité.

A- La désignation des centres de compétences

Elle s'effectue en trois étapes.

ETAPE N°1 : IDENTIFICATION DES CENTRES DE COMPETENCES PAR GROUPES DE MALADIES RARES

Dans le cadre de leur mission de coordination, les centres de référence d'une même typologie de maladies rares identifient, dans le cadre de collaborations déjà existantes et en lien avec les associations de malades concernées, les équipes hospitalières à même de devenir des centres de compétences et de participer à la structuration de la filière de soins.

Le nombre de centres de compétences et leur répartition géographique sont déterminés en fonction :

- de la prévalence et de la typologie des maladies rares,
- de l'importance de la file active suivie,
- de l'organisation territoriale des soins pour la ou les pathologies concernées,
- de la lourdeur de la prise en charge des patients concernés,
- des critères épidémiologiques spécifiques aux régions concernées,
- de la fréquence du recours aux soins,
- du nombre de centres de référence labellisés pour le groupe de maladies rares concerné.

Les centres de référence établissent les modalités de coopération avec les centres de compétences sur la base du cahier des charges et dans le cadre d'une convention définissant leurs rôles respectifs (annexe 3).

Les centres de compétences à vocation interrégionale seront privilégiés pour les maladies rares à faible prévalence. Une même équipe hospitalière peut être centre de compétences dans différents groupes de maladies rares.

ETAPE N°2 : AVIS DU CNCL SUR LES LISTES DE CENTRES DE COMPETENCES

Les centres de référence adressent la liste commune des équipes susceptibles de devenir centres de compétences au Comité national consultatif de labellisation. Elle est accompagnée d'un argumentaire qui reprend les éléments à l'appui de la demande.

Dans le cadre du pilotage national de la démarche, le CNCL rend un avis sur les listes de centres de compétences proposées par groupe de maladies rares (annexe 2), en tenant compte notamment de leur nombre et de leur répartition géographique.

Le CNCL transmet son avis aux agences régionales de l'hospitalisation.

ETAPE N°3 : DECISION DE DESIGNATION DES CENTRES DE COMPETENCES

Les critères de désignation des centres de compétences s'appuient sur un cahier des charges et l'établissement d'une convention entre les centres de référence et les centres de compétences.

Le cahier des charges présente l'équipe et son environnement et décrit sa contribution à la structuration de la filière de soins et sa collaboration avec les partenaires locaux sanitaires, sociaux, institutionnels et associatifs. La convention détaille les modalités de collaboration établies entre les centres de référence et les centres de compétences. L'ensemble est cosigné par les coordonnateurs des centres de référence d'un même groupe de maladies rares et le responsable du centre de compétences.

Ces éléments sont transmis à l'ARH par le directeur de l'établissement de santé, après avis de la commission médicale d'établissement et délibération du conseil d'administration.

Le directeur de l'ARH rend une décision qui se fonde sur l'avis du CNCL, la conformité au cahier des charges et le contenu de la convention. Vous veillerez également à ce que les modalités de l'évaluation de l'activité du centre de compétences soient précisées (annexe 3).

Une équipe hospitalière qui souhaiterait participer à la structuration de la filière de soins sans avoir été identifiée par les centres de référence peut adresser à l'ARH de son ressort un dossier de candidature dans les mêmes conditions. L'ARH rend, dans ce cas, un avis sur le dossier qu'elle transmet au CNCL qui statue sur cette demande.

Compte tenu de la spécificité des publics concernés par ces pathologies qui nécessitent une prise en charge adaptée tant au niveau des structures de proximité que des structures plus spécialisées, cette procédure doit être pour l'ARH l'occasion de s'assurer que le maillage territorial régional et/ou interrégional permet la mise en place effective d'une organisation cohérente et graduée des soins requis.

B- CALENDRIER

L'ensemble des centres de référence devront adresser la liste de leurs correspondants susceptibles de devenir centres de compétences pour le **14 septembre 2007** à :

Madame Chantal GIRARD – Bureau O4
Sous-direction de l'organisation du système de soins
Direction de l'hospitalisation et de l'organisation des soins
Ministère de la santé des solidarités
14 avenue Duquesne
75530 Paris 07 SP

Les services de la DHOS interviendront en soutien méthodologique auprès des centres de référence et des ARH à leur demande. Un tableau récapitulatif du calendrier figure en annexe 1.

Un arrêté fixant la liste complète des centres de référence labellisés pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares sera publié en avril 2007, suite au dernier appel à projets.

C- ASPECTS COMPLEMENTAIRES

C-1. Valorisation de l'activité maladies rares des centres de compétences

L'identification des centres de compétences comme lieu de prise en charge des patients atteints d'une maladie rare implique la reconnaissance de la spécificité de l'activité diagnostique et clinique de ces pathologies.

Une réflexion en cours avec la mission Tarification à l'activité devrait permettre de proposer aux centres accueillant ces patients une valorisation de l'activité prenant en compte la durée et l'exercice pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle mis en œuvre. L'objectif de mise en œuvre est fixé au 1^{er} janvier 2008.

C-2. Thématiques spécifiques

Certaines maladies rares ont déjà fait l'objet d'une structuration de l'offre de soins :

- l'hémophilie, par la mise en place des centres régionaux de traitement de l'hémophilie, les CRTH, et des centres de traitement de l'hémophilie, les CTH (circulaire DHOS/DGS N°97/142 du 20/02/97) ;
- la mucoviscidose, par la mise en place de centres de ressources et de compétences de la mucoviscidose, les CRCM (circulaire DHOS/DGS N°502 du 22 octobre 2001) ;
- la sclérose latérale amyotrophique (SLA), par la mise en place de centres de référence ou de compétences SLA (circulaire DHOS/DGS N°229 du 17/07/02).

Ces centres poursuivent les missions qui leur ont été confiées et sont financés dans le cadre des missions d'intérêt général en application des articles D 162-6 et D 162-7 du code de la sécurité sociale.

La présente circulaire présente l'opportunité d'optimiser le fonctionnement de ces filières de soins dans le cadre de la désignation des centres de compétences par les centres de référence, en lien avec les structures existantes et les associations de patients.

Vous voudrez bien me rendre compte des éventuelles difficultés rencontrées dans l'application des dispositions de la présente circulaire, dont vous assurerez la diffusion auprès des établissements concernés dans votre région. La personne à contacter est :

M. Guillaume HUART, chargé de mission

Guillaume.HUART@sante.gouv.fr

01.40.56.51.26

J'attire votre attention sur le fait qu'un point d'étape sur sa mise en œuvre sera opéré à l'occasion de chaque dialogue de gestion.

La Directrice de l'Hospitalisation
et de l'Organisation des Soins,

signé

Annie PODEUR

Annexe 1. Calendrier de mise en œuvre de la démarche centres de compétences

| | | |
|--|---|----------------------------------|
| Mars – avril 2007 | Diffusion de la circulaire | DHOS |
| Avril à septembre 2007 | Constitution des listes de centres de compétences par groupe de maladies rares sur la base du cahier des charges et des éléments du contrat | Centres de référence |
| 14 septembre 2007 | Date limite de réception des listes établies par groupes de maladies rares | DHOS - bureau O4 |
| 27 et 28 septembre | Séances plénières du CNCL : avis d'opportunité sur les listes de centres de compétences par groupe de maladies rares | CNCL |
| 5 octobre 2007 | Envoi des listes par groupe de maladies rares aux ARH | DHOS - bureau O4 |
| Octobre 2007 | Envoi des dossiers de candidature (cahier des charges + contrats) aux ARH | Equipes hospitalières candidates |
| 5 novembre 2007 | Date limite de réception des dossiers (cahier des charges + contrats) | ARH |
| Novembre 2007 | Analyse des dossiers de candidature (cahier des charges + contrats) | ARH |
| Au plus tard le 1 ^{er} février 2008 | Désignation des centres de compétences | ARH et établissements de santé |

ANNEXE 2 - TYPOLOGIE DES GROUPES DE MALADIES RARES

1. Maladies auto-immunes et maladies systémiques rares
2. Maladies cardio-vasculaires rares
3. Anomalies du développement embryonnaire d'origine génétique
4. Maladies dermatologiques rares
5. Maladies endocriniennes rares
6. Maladies hépato-gastro-entérologiques rares
7. Maladies hématologiques non malignes rares
8. Maladies héréditaires du métabolisme
9. Maladies neurologiques rares
10. Maladies neuromusculaires
11. Maladies pulmonaires rares
12. Maladies sensorielles rares regroupant les maladies ophtalmologiques rares et les surdités congénitales et génétiques
13. Maladies rénales rares
14. Maladies osseuses rares
15. Déficits immunitaires rares
16. Maladies de la trame conjonctive
17. Autres maladies rares.

Cahier des charges
**« Centre de compétences –
maladies rares »**
(mars 2007)

Table des matières

| | |
|--|-----------|
| 1. DESCRIPTION DU CENTRE DE COMPETENCES | 4 |
| 1.1 L'EQUIPE MEDICALE | 4 |
| 1.2 NOMBRE DE MALADES SUIVIS | 6 |
| 1.3 ZONE D'ATTRACTION DU CENTRE DE COMPETENCES | 7 |
| 2. ACCES A UN PLATEAU TECHNIQUE ET HUMAIN ADAPTE AUX MISSIONS DU CENTRE DE COMPETENCES..... | 7 |
| 2.1 DESCRIPTION DU PLATEAU TECHNIQUE (POLYVALENT OU SPECIALISE)..... | 7 |
| 2.2 DIFFICULTES RENCONTREES | 8 |
| 2.3 DESCRIPTION DES PERSONNELS EFFECTUANT LA PRISE EN CHARGE | 8 |
| 3. MODALITES DE PRISE EN CHARGE DES PATIENTS | 10 |
| 3.1 BILAN DE L'EXISTANT ET DESCRIPTION DE LA PRISE EN CHARGE –..... | 10 |
| 3.2 OBJECTIFS A METTRE EN ŒUVRE ENTRE LE CENTRE DE REFERENCE ET LE CENTRE DE COMPETENCES (PRECISER L'ECHEANCIER)..... | 11 |
| 3.3 MODALITES DE MISE EN ŒUVRE..... | 12 |
| 4. SOINS DE PROXIMITE ET DIMENSION SOCIALE, FAMILIALE ET RELATIONNELLE DE LA PRISE EN CHARGE..... | 12 |
| 5. OBJECTIFS QUE SE FIXE LE CENTRE DE COMPETENCES EN LIEN AVEC LE CENTRE DE REFERENCE..... | 14 |
| 5.1 – OBJECTIFS ET CALENDRIER SUR 5 ANS QUE SE FIXE LE CENTRE : | 14 |
| 5.2 – DESCRIPTION DE LA DÉMARCHE ET DES OUTILS ENVISAGÉS : | 14 |
| 6. TEXTE LIBRE (ÉLÉMENTS PARTICULIÈREMENT IMPORTANTS QUE LE CENTRE DE COMPÉTENCES SOUHAITE AJOUTER) | 15 |

1.2 NOMBRE DE MALADES SUIVIS

Activité sur la ou les pathologies ciblées (données issues du PMSI, de la CCAM et de l'observation des malades suivis) :

| | 2004 | 2005 | 2006 |
|-------------------------------------|------|------|------|
| Nombre de consultations | | | |
| Nombre de malades suivis par an : | | | |
| Nombre de nouveaux malades par an : | | | |

Description brève de la pathologie ou des pathologies (spécificités de prise en charge, contraintes en terme de diagnostic, de suivi des patients, décrire le contexte local en cas d'épidémiologie particulière ou de population particulière). Démontrer l'apport du centre de compétences dans l'organisation de la filière de soins.

1.3 ZONE D'ATTRACTION DU CENTRE DE COMPETENCES

| |
|---|
| Description de la zone d'attraction régionale ou interrégionale du centre de compétences (distance entre le centre de compétences et les lieux d'habitation des malades les plus éloignés). |
| |

2. ACCES A UN PLATEAU TECHNIQUE ET HUMAIN ADAPTE AUX MISSIONS DU CENTRE DE COMPETENCES

2.1 DESCRIPTION DU PLATEAU TECHNIQUE (POLYVALENT OU SPECIALISE)

| | |
|--|---------------------------------|
| ▪ Plateau technique | |
| <input type="checkbox"/> | Polyvalent |
| <input type="checkbox"/> | Spécialisé |
| - Description de ses principales composantes | |
| - Mode de fonctionnement | |
| <input type="checkbox"/> | ouvert 24 h sur 24 et sur place |
| <input type="checkbox"/> | sur place mais non permanent |

| | |
|--------------------------|--|
| <input type="checkbox"/> | en réseau avec un autre hôpital (préciser lequel et sa distance avec le centre) |
| <input type="checkbox"/> | indiquer les modes de collaboration mis en place : dossier commun, réunions de concertation, autre : |

Préciser si le centre travaille avec un laboratoire de référence¹ de diagnostic moléculaire de maladies génétiques neurologiques, maladies musculaire, maladies neuro-sensorielles et retard mentaux. Donner les coordonnées.

2.2 DIFFICULTES RENCONTREES

Difficultés rencontrées dans la prise en charge du fait de l'inadaptation du plateau technique :

→ Solutions mises en œuvre ou envisagées + échéancier (préciser les conventions passés avec les structures qui effectuent les examens et investigations non disponibles, dont le centre de référence)

2.3 DESCRIPTION DES PERSONNELS EFFECTUANT LA PRISE EN CHARGE

■ Personnel médical du centre: noms des médecins référents, statut de chacun et spécialité, % de temps pour chacun dans la prise en charge de la pathologie, ancienneté et expérience dans le domaine de la pathologie

¹ Identifié par la mission OPRC de la DHOS dans le cadre de ses appels à projets

| |
|--|
| ■ Personnel paramédical du centre: |
| - Existence d'un coordonnateur paramédical identifié : statut, % de temps passé, ancienneté dans le poste, expérience dans le domaine de la maladie (préciser son nom) |
| - Autres personnels : statut, type % de temps |

| |
|--|
| Correspondants hospitaliers (secteur public ou privé) travaillant avec le centre de compétences sans en faire partie mais aidant à la prise en charge en apportant leurs compétences : |
| ■ Les médecins |
| - Correspondants médicaux hospitaliers concourant à la prise en charge et travaillant <u>dans le même hôpital</u> nombre, préciser les noms, le type de spécialité et statut des médecins travaillant dans le même hôpital: |
| - Correspondants médicaux hospitaliers concourant à la prise en charge et travaillant <u>dans un hôpital différent</u> , préciser les noms, le type de spécialité et statut des médecins travaillant |
| ■ Les para-médicaux |
| - Correspondants paramédicaux hospitaliers travaillant en collaboration avec le centre de référence: préciser le nombre, le type de spécialité (IDE, Kiné, ergo, assistante sociale, psychologue...) <u>dans le même hôpital</u> |

- Correspondants paramédicaux hospitaliers travaillant en collaboration avec le centre de référence: préciser le nombre, le type de spécialité (IDE, Kiné, ergo, assistante sociale, psychologue...) dans un hôpital différent

■ **Mode d'organisation** du centre pour la gestion du suivi des patients atteints d'une maladie rare avec les spécialistes concourant à la prise en charge :

Organisation du travail en commun entre le centre de compétences et les spécialistes hospitaliers cités , *(cocher la case correspondante)*

| | | |
|---|--------------------------|---|
| - | <input type="checkbox"/> | existence de consultations pluridisciplinaires maladies rares |
| - | <input type="checkbox"/> | existence d'hôpitaux de jours communs organisés par le centre de compétences avec ces spécialités |
| - | <input type="checkbox"/> | existence de dossiers communs maladies rares (joindre un exemplaire du dossier) |
| - | <input type="checkbox"/> | existence de réunions de concertation maladies rares avec le centre de compétences ; si coché : préciser le type et le rythme de ces réunions |
| - | <input type="checkbox"/> | autres modalités (préciser) : |

3. MODALITES DE PRISE EN CHARGE DES PATIENTS

3.1 BILAN DE L'EXISTANT ET DESCRIPTION DE LA PRISE EN CHARGE –

■ **Listes des publications et communications nationales et internationales des 3 dernières années menées en collaboration avec le centre de référence** *(mettre en annexe les pages pubMed avec les résumés)* :

| | |
|--|--|
| | |
|--|--|

■ **Description de l'organisation de la prise en charge telle qu'elle est actuellement effectuée :**

- Mise en œuvre des procédures de diagnostic de la ou des maladies rares

| |
|--|
| <ul style="list-style-type: none">• Organisation de l'accès au conseil génétique (si pertinent) |
| <ul style="list-style-type: none">• Accompagnement du patient et de ses proches lors de l'annonce du diagnostic de la maladie rare |
| <ul style="list-style-type: none">• Evaluation des manifestations de la maladie rare et de son pronostic |
| <ul style="list-style-type: none">• Modalités de mise en œuvre du retour de l'information sur l'état du malade, la thérapeutique suivie entre le centre concerné et le médecin qui suit habituellement le patient (médecin traitant ou praticien "de famille" si le patient a moins de seize ans). |

3.2 OBJECTIFS A METTRE EN ŒUVRE ENTRE LE CENTRE DE REFERENCE ET LE CENTRE DE COMPETENCES (PRECISER L'ECHEANCIER)

| |
|--|
| <ul style="list-style-type: none">• Suivi de la stratégie thérapeutique de prise en charge établie par le centre de référence |
| <ul style="list-style-type: none">• Gestion des situations d'urgence (mise en œuvre d'un conseil thérapeutique téléphonique destiné aux acteurs de proximité ou aux acteurs médicaux et sociaux ; organisation d'une filière de prise en charge dans le service de réanimation en cas de besoin) |
| <ul style="list-style-type: none">• Garantie de la continuité de la prise en charge à tous les âges de la vie (passage de l'enfance à l'âge adulte) |

3.3 MODALITES DE MISE EN OEUVRE

| |
|--|
| ■ Participation à la mise en œuvre des référentiels et protocoles nationaux de diagnostic et de soins en lien avec la Haute Autorité de Santé |
| |
| ■ Amélioration de la formation et de l'information des professionnels de santé sur le fondement des supports fournis par le centre de référence |
| |
| ■ Participation aux travaux de recherche (nature et modalités de partenariat avec le centre de référence) |
| |
| ■ Participation à la surveillance épidémiologique (préciser les liens avec l'Institut National de Veille Sanitaire et le centre de référence). |
| |

L'évaluation spécifique des centres de compétences sera effectuée par les agences régionales de l'hospitalisation sur le fondement des conventions passées entre les centres de compétences et les centres de référence.

4. SOINS DE PROXIMITE ET DIMENSION SOCIALE, FAMILIALE ET RELATIONNELLE DE LA PRISE EN CHARGE

Le centre de compétences développe un projet de service dans lequel est prise en compte la dimension sociale, familiale et relationnelle du patient et l'organisation pour les patients des soins de proximité lorsque cela s'avère nécessaire avec les professionnels médicaux et paramédicaux et les établissements de santé, publics et privés.

Le centre de compétences travaille en lien avec les maisons départementales des personnes handicapées pour favoriser l'intégration de la personne atteinte d'une maladie rare dans son environnement lorsque la pathologie le requiert. Il est l'interlocuteur des professionnels de santé de proximité et des associations de malades. Il répond aux courriers, aux courriels et aux appels téléphoniques. En fonction des besoins des patients traités, il développe des liens avec les réseaux de santé locaux et les structures de soins de suite et de réadaptation.

| Description des actions mises en œuvre et en partenariat avec : |
|--|
| <ul style="list-style-type: none">▪ Les patients atteints de maladie rare et leurs proches |
| <ul style="list-style-type: none">▪ Le personnel du centre de compétences |
| <ul style="list-style-type: none">• Le personnel de l'établissement de santé (services d'urgence, de réanimation...) |
| <ul style="list-style-type: none">• Les autres établissements de santé |
| <ul style="list-style-type: none">• Les professionnels de santé de ville (médecins généralistes, auxiliaires médicaux intervenant au domicile du patient...) |
| <ul style="list-style-type: none">• La médecine préventive (protection maternelle et infantile, médecine scolaire, médecine universitaire, santé au travail, ...) |

- **Les associations locales et le public**

- **La maison départementale des personnes handicapées**

- **Les autorités administratives** (Assurance maladie, ARH, DRASS...)

5. OBJECTIFS QUE SE FIXE LE CENTRE DE COMPETENCES EN LIEN AVEC LE CENTRE DE REFERENCE

5.1 – Objectifs et calendrier sur 5 ans que se fixe le centre :

| |
|--|
| |
|--|

5.2 – Description de la démarche et des outils envisagés :

| |
|--|
| |
|--|

6. TEXTE LIBRE (éléments particulièrement importants que le centre de compétences souhaite ajouter)

A large, empty rectangular box with a thin black border, intended for the user to provide free text or additional information regarding the center of expertise.

Date :

Nom et signature du médecin responsable du centre de compétences

Nom et signature du chef de pôle

Nom et signature du chef d'établissement

Noms et signatures des médecins coordonnateurs des centres de référence auxquels se rattache le centre de compétences

Noms et signatures des directeurs généraux des centres hospitaliers universitaires sièges des centres de référence

Remarques pratiques :

Annexes à joindre à la demande:

- 1) Le CV du coordinateur et des personnels médicaux appartenant au centre
- 2) Les copies des 1ères pages de publications avec les résumés ou pages Pub Med et copies des projets de recherche en cours
- 3) Les avis de la commission médicale d'établissement et du conseil d'administration de l'établissement siège d'implantation du centre de compétences
- 4) La convention conclue entre les centres de référence et le centre de compétences (voir proposition dans les pages qui suivent)

PROPOSITION DE CONVENTION-TYPE ENTRE LES CENTRES DE REFERENCE ET LES CENTRES DE COMPETENCES

La convention – type proposée par la circulaire relative à la structuration de la filière de soins pour les patients atteints d'une maladie rare et créant les centres de compétences est une trame qui doit être adaptée par les centres de référence lors de l'établissement de la démarche contractuelle avec les centres de compétences.

Préambule

Le Plan national maladies rares 2005 – 2008 prévoit la structuration et la graduation de l'offre de soins pour les patients atteints d'une maladie rare sur deux niveaux :

- un niveau d'expertise et de recours, le plus souvent national ou interrégional, constitué par les centres de référence labellisés qui ont vocation à coordonner la définition des référentiels et des protocoles thérapeutiques, la surveillance épidémiologique et la coordination des activités de recherche ;
- un niveau de prise en charge le plus souvent régional, avec les centres de compétences qui établissent le diagnostic des maladies rares, mettent en œuvre la thérapeutique lorsque elle est disponible et organisent la prise en charge du patient en lien avec les centres de référence labellisés et les acteurs et structures sanitaires et médico-sociales de proximité.

Article premier – Parties et objet de la convention

Il est convenu entre

- *mentionner le nom des centres de référence, leurs coordonnateurs et le lieu d'implantation*

D'une part,

- *mentionner le centre de compétences, le nom du médecin responsable et le lieu d'implantation*

Et d'autre part,

Les éléments qui suivent relatifs aux rôles respectifs et aux engagements des centres de référence et des centres de compétences dans la structuration de la filière de soins pour les patients atteints des maladies rares suivantes,

- *mentionner la ou les maladies rares concernées.*

dans le groupe des maladies rares de la typologie

- *mentionner le groupe de maladies rares*

Article 2 – Organisation et rôles

Le centre de compétences participe à l'ensemble des missions qui ont été confiées aux centres de référence, sous leur coordination. Il permet une prise en charge de proximité pour les patients

atteints d'une maladie rare en lien avec les centres de référence qui peuvent être sollicités dans leur rôle de recours sur les situations les plus complexes.

Cinq missions sont confiées aux centres de référence dans le cadre de leur labellisation.

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

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

Préciser les conditions de mise en œuvre de ces missions prévues dans la coordination entre les centres de référence et les centres de compétences (diffusion des guidelines, plaquettes d'information grand public)

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

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

Préciser le rôle de recours des centres de référence (ligne téléphonique directe, conditions d'hospitalisation, réunions annuelles, formations dédiées aux personnels médicaux et soignants des centres de compétences).

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

- en participant à la surveillance épidémiologique de la maladie,
- en réalisant des recherches et essais thérapeutiques,

- en assurant la diffusion (indications et prescriptions) et le suivi des thérapeutiques et dispositifs orphelins,
- en mettant en place des bonnes pratiques professionnelles concernant la ou les pathologies, en liaison avec les équipes nationales et internationales en particulier européennes.

Préciser l'obligation de participer au registre, l'implication des centres de compétences dans les protocoles de recherche clinique menés par les centres de référence, les conditions de primo prescription des médicaments orphelins, les conditions de diffusion des bonnes pratiques professionnelles.

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

Préciser le fonctionnement et les outils de la coordination

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

Préciser l'implication des centres de compétences dans les relations avec les associations locales de malades et avec les autorités régionales en lien avec les centres de référence.

Article 3 – Engagements des centres de référence

Les centres de référence s'engagent à :

- permettre l'accès des centres de compétences aux dossiers de leurs patients dans le registre national ;
- permettre l'accès des centres de compétences au site internet du réseau ;
- permettre aux centres de compétences de réaliser la primo prescription des médicaments orphelins en sus de la T2A (*mentionner le nom des médecins du centre compétences autorisés à les prescrire*)
- répondre aux demandes de recours des centres de compétences
- diffuser les protocoles et les bonnes pratiques
- inclure les centres de compétences dans les recherches sur les pathologies et aux essais sur les nouvelles thérapeutiques.

Ces éléments sont à adapter dans le cadre d'une négociation entre les centres de référence et les centres de compétences.

Article 4 – Engagements des centres de compétences

Les centres de compétences s'engagent à :

- suivre les formations organisées par les centres de référence pour les personnels médicaux et soignants
- assister aux réunions annuelles organisées par le centre de référence
- remplir le dossier patient et à le transmettre au registre national
- désigner nominativement les médecins réalisant la primo prescription
- réaliser au minimum une visite de suivi annuelle par patient
- répondre par téléphone aux questions des patients par des médecins désignés aux patients
- participer à la réunion annuelle de l'association de patients
- réaliser deux réunions annuelles pour les médecins hospitaliers et libéraux et être leur interlocuteur.

Ces éléments sont à adapter dans le cadre d'une négociation entre les centres de référence et les centres de compétences.

Article 5 – Conditions d'évaluation

L'organisation et la structuration des relations entre les centres de référence et les centres de compétences sont prises en compte dans le cadre de l'évaluation des centres de référence par la Haute Autorité de Santé et dans le cadre de l'évaluation des centres de compétences par les agences régionales de l'hospitalisation.

Article 6- Durée

Cette convention est applicable à compter du jj/mm/aaaa.

Elle prend fin en cas de retrait du label du centre de référence par arrêté du ministre chargé de la santé sur avis du Comité national consultatif de labellisation ou par décision du directeur de l'Agence régionale de l'hospitalisation pour le centre de compétences.

Fait à

Le jj/mm/aaaa

Le coordonnateur du centre de référence 1

Le coordonnateur du centre de référence 2

Le coordonnateur du centre de référence 3

Le coordonnateur du centre de référence 4

Le médecin responsable du centre de compétences