



## Ministère des solidarités et de la santé

### Direction générale de l'offre de soins

Personne(s) chargée(s) du dossier :

**Mission maladies rares**

Sylvie ESCALON

[sylvie.escalon@sante.gouv.fr](mailto:sylvie.escalon@sante.gouv.fr)

Julie LAIGRE

[julie.laigre@sante.gouv.fr](mailto:julie.laigre@sante.gouv.fr)

Tél. 01 40 56 61 41

DGOS/MMR D-20-010982

Le Ministre des Solidarités et de la Santé

à

Mesdames et Messieurs les directeurs  
général(e)s des agences régionales de santé  
(pour diffusion)

**NOTE D'INFORMATION n° DGOS/MALADIES RARES** relative à l'appel à projets 2020 pour la production de protocoles nationaux de diagnostics et de soins (PNDS) pour les maladies rares.

Date d'application : immédiate

NOR :

Classement thématique : établissements de santé

### Inscrit pour information à l'ordre du jour du CNP du 26 juin 2020 – N ° 32

**Résumé** : Cette note d'information est un appel à projets pour la production de PNDS conformément à l'action 7.4 du troisième plan national maladies rares

**Mention Outre-mer** : le texte s'applique en l'état dans les territoires d'outre-mer où existent des centres de référence maladies rares et des centres de ressources et compétences (MUCO, SLA, MHC)

**Mots-clés** : maladies rares ; centres de référence maladies rares et des centres de ressources et compétences (MUCO, SLA, MHC), filière de santé maladies rares, ETP

**Texte(s) de référence** : • 3ème Plan national maladies rares

**Annexe(s)** :

**Annexe 1** : Déclaration d'intention de rédaction d'un protocole national de diagnostic et de soins

**Annexe 2** : Document Excel de recensement des projets de la filière

**Diffusion** : les responsables de centres de référence et de filières de santé maladies rares, par l'intermédiaire de leurs établissements de santé, doivent être destinataires de cette note d'information.

## **INTRODUCTION**

Une maladie rare est une maladie touchant un nombre restreint de personnes, à savoir moins de 1 personne sur 2000 en population générale. Plus de 3 millions de personnes sont atteintes d'une maladie rare en France.

Le 3ème plan national maladies rares (PNMR3) promeut une politique de santé et de recherche ambitieuse, et illustre l'articulation vertueuse dans le domaine des maladies rares entre organisation des soins, production des connaissances et retour vers le patient. Il contient 11 axes. L'axe 7 « Améliorer le parcours de soins » mentionne une action 7.4 « Mobiliser les dispositifs de coordination de la prise en charge » avec notamment l'objectif d'amplifier la production de protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) avec une cible de 100 PNDS réalisés chaque année.

Les 473 centres de référence maladies rares (coordonnateurs, constitutifs et centres de ressources et de compétence) labellisés par le Ministère des solidarités et de la santé et par le Ministère de l'enseignement supérieur, de la recherche et de l'innovation en 2017 sont chargés de la production des PNDS, en lien avec les filières de santé maladies rares (FSMR) qui les accompagnent dans cette mission.

Le présent appel à projets vise à sélectionner les PNDS qui bénéficieront de financements fléchés pour leur réalisation en 2020-2021.

### **1- DEFINITION**

L'objectif d'un PNDS est d'informer les professionnels concernés des bonnes pratiques en termes de prise en charge diagnostique et thérapeutique et de parcours de soins pour une maladie rare donnée ou un même ensemble de maladies rares. Il a pour but d'optimiser et d'harmoniser la prise en charge et le suivi des personnes malades concernées sur l'ensemble du territoire, en particulier entre les différents CRMR susceptibles de prendre en charge ces personnes et entre les sites et centres de compétence d'un même CRMR.

Le PNDS permet également d'informer les professionnels concernés exerçant hors CRMR, en ville ou en établissement de santé, notamment le médecin traitant, et de faciliter l'orientation, les liens et le suivi nécessaire avec les professionnels des CRMR au bénéfice d'une meilleure prise en charge globale des personnes malades.

### **2 - METHODE A SUIVRE POUR LA REDACTION D'UN PNDS**

Les PNDS retenus devront être rédigés en suivant la méthode définie par la Haute autorité de santé (HAS). Un guide méthodologique intitulé « Méthode d'élaboration d'un protocole national de diagnostic et de soins pour les maladies rares » est disponible au téléchargement sur le site internet de la HAS.

Les PNDS éligibles au présent appel à projets sont :

- des PNDS nouveaux (ou en cours de préparation) ;
- ou des PNDS à actualiser parmi ceux qui sont déjà publiés.

En effet, un PNDS est daté lors de sa diffusion (date de fin de sa rédaction). Il doit être mis à jour si des études nouvelles validées modifiant la stratégie diagnostique, thérapeutique ou de suivi ont été publiées depuis sa diffusion. La persistance de la validité de son contenu doit être systématiquement évaluée par ses rédacteurs, au maximum tous les 5 ans, et déclencher une mise à jour si nécessaire. Si une mise à jour n'est pas nécessaire, le PNDS doit être marqué comme toujours valide.

Les documents à produire sont :

- L'argumentaire scientifique, comportant la stratégie de recherche bibliographique, la liste des participants à l'élaboration du PNDS en mentionnant les éventuels liens d'intérêt

et leur gestion, les modalités de concertation du groupe de travail multidisciplinaire, l'analyse critique et la synthèse de la littérature, la liste des références bibliographiques retenues pour rédiger le PNDS. La présentation des publications thérapeutiques disponibles concernant les médicaments ou dispositifs médicaux doit être la plus soignée et complète possible, tout particulièrement si des traitements médicamenteux hors autorisation de mise sur le marché (AMM) sont finalement proposés. Les propositions thérapeutiques reposant sur la seule expertise des rédacteurs doivent être identifiées.

- Le PNDS lui-même, présenté selon une trame prédéfinie, comportant au minimum les parties suivantes : la synthèse destinée au médecin traitant, l'introduction, la description des différentes étapes de la prise en charge en précisant pour chaque étape les objectifs, les professionnels impliqués, les modalités de coordination entre ces professionnels et le contenu de la prise en charge, s'ils existent les arbres décisionnels en vue du diagnostic biologique/génétique. Le PNDS comprend également la liste des CRMR susceptibles de prendre en charge la maladie concernée et les associations de patients.

Ces 2 documents sont destinés à être rendus publics. Actuellement, les PNDS sont publiés sur le site de la HAS sans qu'ils ne fassent l'objet d'une validation de la HAS (elle ne participe pas à leur élaboration).

L'argumentaire scientifique doit être publié sur le site du CRMR. La liste des CRMR concernés par le PNDS, figurant en fin de document, doit obligatoirement se rapporter au dernier arrêté de labellisation publié. La date de fin de rédaction du PNDS doit clairement apparaître sur tous les documents publiés.

Une grille d'évaluation de la qualité méthodologique du PNDS est disponible au téléchargement sur le site de la HAS. C'est un outil d'aide à l'élaboration du PNDS, auquel les rédacteurs peuvent se référer tout au long du projet. De même, le document de déclaration et de gestion des conflits d'intérêt doit servir de référence tout au long du processus.

Les candidats devront veiller également à la mise en cohérence des informations avec le site Orphanet, portail des maladies rares et des médicaments orphelins. Les fiches urgences devront également être produites ou actualisées à l'occasion de la publication du PNDS et mises en ligne sur le site Orphanet. La transition enfant-adulte, le handicap et la nécessaire coordination médico-sociale feront également l'objet d'une attention particulière.

Les candidats pourront s'appuyer pour l'élaboration de leur PNDS sur l'expertise méthodologique et le soutien logistique de leur FSMR de rattachement

Les candidats sont invités à prévoir, le cas échéant, la traduction de leur PNDS en langue anglaise. Il pourra ainsi plus aisément être repris dans le cadre des travaux engagés par les réseaux européens de référence. A l'inverse, la prise en compte du travail réalisé à l'échelle européenne ou internationale est souhaitée.

### **3-PORTAGE ET PROCEDURE DE SELECTION DES PROJETS CANDIDATS**

Toutes les maladies rares et tous les CRMR sont concernés par le présent appel à projets.

Le dépôt et le portage d'un projet associent systématiquement, d'une part, un porteur individuel, en responsabilité médicale dans un CRMR, et, d'autre part, un établissement de santé gestionnaire des financements reçus.

Les CRMR transmettent à leur FSMR de rattachement une lettre d'intention (annexe 1) concernant un projet de rédaction de PNDS. La lettre d'intention est co-signée par le responsable légal de l'établissement de santé siège du CRMR. Lorsque le projet est co porté par deux CRMR distincts, la lettre d'intention est co-signées par les responsables légaux des deux établissements où siègent les CRMR porteurs.

Une FSMR doit transmettre à la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) l'ensemble des projets qui lui ont été remis par les CRMR de son périmètre, classés par ordre de priorité avec un argumentaire, un listing des PNDS de la filière déjà publiés sur le site de la HAS qui précise leur besoin ou non d'actualisation, ainsi que le tableau Excel recensant les projets déposés et l'affectation souhaitée des crédits en cas de réponse favorable du jury. Il est demandé à la filière d'utiliser le tableau Excel prévu à cet effet (annexe 2).

L'ensemble des documents doit être transmis par voie électronique à l'adresse suivante :

Au plus tard le **14 septembre 2020**, 23h59 à l'adresse [DGOS-maladiesrares@sante.gouv.fr](mailto:DGOS-maladiesrares@sante.gouv.fr)

L'agence régionale de santé (ARS) dont dépend la FSMR sera également informée des projets déposés.

La prévalence de la maladie, sa gravité ou le nombre de spécialités médicales utilisées régulièrement hors autorisation de mise sur le marché (AMM) associés sont des exemples de critères utiles à la priorisation des projets.

Les pièces suivantes sont à joindre au dossier :

- Les lettres d'intention des CRMR rattachés à la FSMR, chacune signée par le ou les responsable(s) légaux du ou des établissements de santé concernés (annexe 1) ;
- Le CV au format court du porteur de chacun des projets (uniquement les publications en rapport avec les maladies rares faisant partie du périmètre de la FSMR) ainsi qu'une déclaration d'intérêt dûment complétée (téléchargeable sur le site internet du Ministère chargé de la santé);
- L'avis des associations de personnes malades ou, en cas de non réponse de ces dernières, le courrier de sollicitation du CRMR porteur.
- Le classement par la FSMR des projets par ordre de priorité, sur la base d'un avis argumenté de la FSMR sur chacun des projets présentés; les dossiers non classés ne seront pas examinés par le jury.
- Le tableau Excel de recensement des projets et des pièces à fournir (annexe 2), précisant la structure d'affectation des crédits en cas de réponse favorable du jury.
- Le cas échéant, lorsque le choix est fait d'affecter les crédits sur la filière, l'accord et la signature du responsable légal de l'établissement où siège le CRMR porteur en sus du responsable médical du CRMR.

Lorsqu'un projet est co porté par deux filières, il est demandé à chacune des deux filières de déposer le projet en son nom et de le classer au même titre que les autres projets.

Le respect des modalités de soumission des dossiers conditionne la recevabilité des projets.

L'évaluation des candidatures sera réalisée par un jury présidé par la Direction générale de l'offre de soins (DGOS) composé de 5 membres : 1 membre de la DGOS (président), 1 membre de la Direction générale de la santé (DGS), 1 médecin responsable ou ancien responsable de CRMR désigné par la DGOS, 1 représentant de la HAS, 1 représentant d'association de personnes malades.

Chaque membre du jury remettra à la DGOS sa déclaration d'intérêts dûment complétée. La

DGOS assurera le secrétariat de ce jury.

#### **4- MODALITES DE SUIVI ADMINISTRATIF ET FINANCIER DES PROJETS**

Le suivi des projets retenus s'appuie sur un découpage en phases de leur déroulement et conditionne leur financement, adapté à l'avancement du PNDS :

- Phase 1 : déclaration d'intention
- Phase 2 : rédaction du PNDS et de son argumentaire scientifique
- Phase 3 : diffusion du PNDS sur le site de la HAS.

Les financements prévus sont les suivants ;

- 30 000 euros pour la rédaction d'un nouveau PNDS pour le CRMR porteur ;
- 15 000 euros pour l'actualisation d'un PNDS existant pour le CRMR porteur.

Les crédits sont fléchés en totalité sur le CRMR porteur ou sur la filière de rattachement. Le choix d'affectation des crédits par le CRMR porteur est précisé dans la lettre d'intention ainsi que dans le tableau prévu à cet effet (Annexe 2). Le fléchage des crédits vers la filière nécessite l'accord et la signature préalable du responsable légal de l'établissement où siège le CRMR porteur en sus du responsable médical du CRMR.

Si 2 CRMR rattachés à 2 FSMR différentes prévoient la rédaction ou l'actualisation d'un PNDS en commun, les crédits sont fléchés en totalité sur l'un des deux CRMR porteurs ou sur l'une des deux FSMR concernées. Le choix doit être précisé dans la lettre d'intention et validé par les responsables légaux des deux établissements concernés.

La délégation de la 1<sup>ère</sup> tranche de financement (50% de l'enveloppe) concerne la réalisation de la phase 1 pour un projet sélectionné. Le reste du financement fera suite à la production des éléments attestant de la finalisation de la phase 3. Le PNDS sera considéré comme terminé lorsqu'il est publié sur le site de la HAS (procédure actuelle).

Le suivi des projets est effectué par la DGOS, assistée en cas de besoin d'un comité de suivi des projets, émanation du comité de suivi de la labellisation des CRMR et des FSMR. Il peut aider, au plan scientifique, à l'instruction de toute question relative au suivi des projets financés.

## **5- DESIGNATION DES PROJETS RETENUS ET FINANCEMENT**

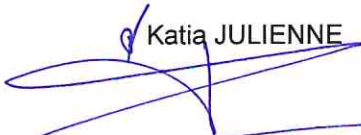
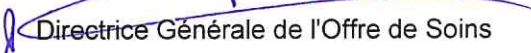
La décision de désignation des projets qui seront éligibles au financement sera prise sur avis du jury par la DGOS. La production du PNDS doit s'effectuer, sauf exception dûment justifiée, dans les 14 mois révolus suivant la décision ayant retenu le projet.

Seront informés de la suite donnée à leur(s) dossier(s) :

- Les porteurs de projet (CRMR)
- Les FSMR concernées
- Les établissements de santé concernés

Le non-respect du calendrier de réalisation du PNDS pourra entraîner la suspension provisoire ou définitive de tout ou partie du financement initialement prévu.

L'établissement de santé qui accueille le CRMR porteur du projet est éligible aux financements dédiés.

  
 Katia JULIENNE  
  
 Directrice Générale de l'Offre de Soins

## ANNEXE 1



### DECLARATION D'INTENTION DE REDACTION D'UN PROTOCOLE NATIONAL DE DIAGNOSTIC ET DE SOINS

**Thème du PNDS** (*indiquez le cas échéant s'il s'agit d'une actualisation d'un PNDS existant*) :

#### **Calendrier prévisionnel**

Date de début du projet :

Date prévisionnelle du début de la phase 2 :

Date prévisionnelle du début de la phase 3 :

#### **Centre de référence promoteur :**

Responsable médical du centre : *Titre, nom, prénom, mél*

#### **Etablissement de santé de rattachement:**

Directeur d'établissement : *nom, prénom, mail*

#### **Filière de santé de rattachement :**

#### **Centres de référence associés :**

**Coordonnateur du PNDS** : *Titre, nom, prénom, mail*

Date :

Signature Responsable du centre de référence promoteur :

Signature Directeur établissement :

## ANNEXE 2 : Suivi FSMR AAP Plateformes-PNDS

Tableau de recensement des projets PNDS déposés - AAP 2020

Les projets doivent être recensés dans l'ordre de priorité de la filière.

Lorsque le projet est copporté par une seconde filière, il est nécessaire de le préciser dans la première colonne du tableau.

Lorsque le projet est copporté par deux COMA, il doit être l'objet de deux lignes distinctes afin de faire apparaître des noms des deux porteurs. Un code couleur doit permettre de les repérer facilement.

FILIERE (préciser "en liaison avec" nom de l'autre filière" si le projet est copporté par deux filières)	TITULAIRES PNDS	Porteur médical du PNDS (Nom, Prénom)	PNDS (numéro/acté)	1-Lettre d'intention COMAR signée par l'établissement	2- CV porteur	3- OPI	4- Avis filière	5- Listing des PNDS de la filière publiés sur le site de la HAS	6- Avis association(s) ou lettre(s) de sollicitation	Financement délégué filière <sup>1</sup>	Etablissement filière	Financements délégués COMAR	Intitulé du COMAR porteur	Etablissement du COMAR porteur	Si financement délégué filière, accord signé du directeur d'hôpital ou le site le COMAR porteur (lettre d'intention ou contrat à part)