



## APPEL A PROJETS NATIONAL POUR LA LABELLISATION DES CENTRES DE REFERENCE POUR LA PRISE EN CHARGE DES MALADIES RARES (CRMR)

### FOIRE AUX QUESTIONS

#### A. MODALITES DE REPONSE

##### **QUESTION A1 – Pourquoi le dossier de candidature (format Excel) est-il en mode protégé ?**

Seules les cellules qui sont à compléter sont modifiables pour éviter une hétérogénéité dans la forme des réponses à l'appel à projets. Cela vise à faciliter l'étude par le trio d'experts et le jury de labellisation. Il convient donc de compléter et d'envoyer ce seul fichier Excel pour candidater.

##### **QUESTION A2 – Les informations à renseigner dépasse la taille de la cellule autorisée ou il n'y a pas suffisamment de ligne prévue pour une question : que faire ?**

Vous pouvez entrer autant de texte que vous le souhaitez dans une cellule même si ce n'est pas correctement visible. Par ailleurs, vous devez sélectionner les informations les plus importantes à renseigner dans le dossier de candidature. Vous avez la possibilité d'indiquer un lien pour retrouver l'ensemble des informations ainsi que de joindre dans un document unique toute pièce justificative complémentaire que le CRMR coordonnateur déposera sur la plateforme en ligne. Chaque rubrique comporte également un espace de texte libre qui peut servir à indiquer des informations complémentaires.

##### **QUESTION A3 – Cet AAP est-il l'occasion pour des centres non répertoriés comme CRMR coordonnateur, CRMR constitutif, CCMR ou CRC de soumettre un dossier ou cet AAP ne vise-t-il qu'à relabelliser les CRMR / CCMR / CRC issus de la précédente labellisation ?**

La procédure de labellisation en cours repose sur un appel à projets ouvert à tous les établissements de santé et vise à labelliser des CRMR / CCMR / CRC déjà existants mais également des nouvelles candidatures. Ainsi, ces dernières seront examinées au même titre que celles de CRMR / CCMR / CRC précédemment connus. Toute candidature doit cependant être réalisée après discussion avec la filière de santé maladies rares (FSMR) de rattachement qui émettra un avis sur l'ensemble du dossier du CRMR candidat.

**QUESTION A4 – Confirmez-vous que les CRMR relevant des filières de santé maladies rares MHEMO, MUCO-CFTR et FILSLAN ont un appel à projets dédié ?**

Les maladies rares relevant des FSMR MHEMO MUCO-CFTR et FILSLAN ont effectivement une note d'information spécifique (n°DGOS/PF4/DGRI/2022/152 du 24 mai 2022) relative à l'appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares (CRMR) dédiés aux maladies hémorragiques constitutionnelles, à la mucoviscidose et à la sclérose latérale amyotrophique et autres maladies du neurone moteur. Ces FSMR ont également un dossier de candidature spécifique et un lien différent pour le dépôt sur la plateforme en ligne (<https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/aap-crmr-crc>).

**QUESTION A5 – L'avis des ARS est-il requis pour déposer un dossier de candidature de CRMR ?**

Les ARS seront informées d'un dépôt de dossier de candidature par le CRMR coordonnateur quand l'établissement de santé est situé dans leur région d'exercice. Le dossier du CRMR coordonnateur sera transmis à l'ARS (la direction générale et le référent maladies rares de l'ARS) sous format dématérialisé. S'agissant de candidatures de CRMR souvent nationales, requérir l'avis des ARS sur chaque dossier n'est pas adapté. Demander à l'établissement siège du site coordonnateur du CRMR d'informer chaque ARS dès lors qu'un de ses sites constitutifs ou l'un de ses CCMR candidats est impliqué aurait multiplié le nombre de dossiers de candidature adressés aux ARS. La DGOS fera une restitution des candidatures par région afin que chaque ARS ait une vue d'ensemble des sites et CCMR candidats sur son territoire.

**QUESTION A6 – Dans le dossier de candidature, lorsqu'il est demandé une liste (maladies rares, médicaments, publication...) doit-on rendre une réponse exhaustive ?**

Lorsque des listes sont demandées, il est préconisé de procéder soit par regroupement (maladies), soit d'inscrire les informations les plus significatives permettant l'appréciation la plus juste.

**QUESTION A7 – La FSMR doit rendre un « avis motivé » sur la candidature d'un CRMR qui lui est rattaché. Quel doit en être le contenu ? Qui le rend ?**

L'avis de la FSMR doit faire état du bien-fondé du CRMR proposé et de la logique de ses interactions avec les autres CRMR de la FSMR. C'est le coordonnateur médical de la FSMR qui signe cet avis et le courrier doit être adressé au jury de labellisation. Il est fortement conseillé de susciter un vote de l'organe de direction (bureau ou autre selon la charte de fonctionnement en vigueur) de la FSMR au préalable, et notamment lorsque l'avis concerne le CRMR dont le cas échéant le coordonnateur médical aurait la charge.

**QUESTION A8 – Nous rencontrons des difficultés pour déplacer les onglets des fichiers Excel de certains centres constitutifs ou de compétence, vers les fichiers du coordonnateur. Le déplacement ne semble pas possible et l'option « copier-coller » ne l'est également pas car les fichiers sont sécurisés.**

Ceci est probablement dû à un problème de version. Les nouvelles versions de fichiers Excel (xlsx, xlsm, xlsb) ont plus de lignes que les simples (xls).

Il est possible de copier/coller des feuilles entre les fichiers Excel à condition qu'ils aient des extensions compatibles :

- .xlsx ou .xlsb ou .xlsm = vers => .xlsx ou .xlsb ou .xlsm
- .xls = vers => .xlsx ou .xlsb ou .xlsm

Pour résoudre le problème, l'établissement doit « enregistrer sous » le fichier destinataire dans la version .xlsx et tout fonctionnera pour les onglets à ajouter / déplacer.

### **QUESTION A9 – A qui doit-on adresser les courriers ?**

Tous les courriers doivent être adressés au jury de labellisation. Le courrier de la direction doit être co-signé par le président de CME (président de CMEL pour un GHU de l'AP-HP), le chef de pôle (le directeur médical de DMU à l'AP-HP) et le chef de service. A noter que si le chef de service est le responsable candidat du CRMR, il n'y a pas besoin d'apposer sa signature.

### **QUESTION A10 – Comment envoyer le dossier de candidature ?**

Le dossier ainsi que l'ensemble des pièces-justificatives doivent être transmis et déposés avant le 13 octobre 2022 à 23h59 sur la plateforme en ligne *Démarches Simplifiées* dédiée selon la FSMR de rattachement du CRMR candidat :

- Pour les CRMR rattachés aux filières FILSLAN, MHEMO et MUCO-CFTR :  
<https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/aap-crmr-crc>
- Pour les CRMR rattachés à l'une des 20 autres FSMR :  
<https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/aap-crmr-ccmr>

En cas de question, une adresse mail dédiée est mise en place :

[DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr](mailto:DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr)

La plateforme en ligne enverra automatiquement un accusé de réception et le bon enregistrement de votre dossier vous sera précisé dans un délai court par mail.

## **B. STRUCTURATION**

### **QUESTION B1 – Comment fait-on pour noter les noms des responsables médicaux d'un CRMR, d'un CCMR ou d'un CRC lorsqu'il y a plusieurs maladies rares prises en charge par le site (par exemple cardiomyopathies d'une part et troubles du rythme cardiaque d'autre part) ? Peut-on noter 2 noms ?**

Un seul responsable médical pour un CRMR / CCMR / CRC est admis.

Vous avez la simple possibilité d'indiquer un référent médical pédiatrique ou adulte si le centre est mixte dans la prise en charge d'enfants et d'adultes (cf. question : « *Le CRMR / CCMR / CRC est-il mixte dans la prise en charge à la fois d'enfants et d'adultes ?* »)

### **QUESTION B2 - Un CRMR peut-il avoir 2 CRMR coordonnateurs, ou bien est-il seulement possible d'avoir un CRMR coordonnateur avec un ou plusieurs CRMR constitutifs ? Combien de CRMR constitutifs peuvent être inscrits au titre d'un CRMR ?**

Un CRMR ne peut avoir qu'un seul CRMR coordonnateur. Un CRMR peut n'avoir aucun CRMR constitutif. Il est possible d'indiquer dans le dossier jusqu'à 15 CRMR constitutifs (en cas de demande supplémentaire, merci de le signaler à l'adresse [DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr](mailto:DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr)).

### **QUESTION B3 – Pour un CRMR donné, est-ce qu'il est possible d'avoir des CRMR / CCMR / CRC bi-sites ou rattachés à plusieurs établissements ?**

Chaque CRMR (coordonnateur, constitutif(s)), CCMR ou CRC ne doit être rattaché qu'à un seul établissement de santé. En effet, la DGOS finance des établissements de santé, et non des réseaux de soin territoriaux. La reconnaissance d'une expertise est basée sur une file active minimale, des points SIGAPS, des publications, etc. liée à un établissement de santé. Cela assure également une équité entre centres. Il y a aussi des raisons techniques et réglementaires puisque le responsable de traitement des données est l'établissement labellisé, avec lequel la BNDMR a contractualisé (conventions). En termes de sécurité et de confidentialité, les données sont cloisonnées à un établissement (pas de partage du dossier patient, ni de BaMaRa). La gestion des habilitations des utilisateurs se fait également par établissement.

A noter qu'il est possible de faire des consultations avancées sur un autre site que le CRMR / CCMR / CRC et que dans ce cas, l'activité peut être saisie dans BaMaRa.

#### **QUESTION B4 – Quelles seront les conditions de labellisation d'un CRMR pour une seule maladie rare ?**

Le dépôt d'un projet de CRMR est justifié par le constat du besoin et de la rareté de l'expertise pour une maladie rare ou un groupe cohérent de maladies rares, par la complexité de la prise en charge et par la nécessité d'organiser une offre de soins structurée permettant d'éviter l'errance diagnostique, thérapeutique et de suivi. Chaque CRMR doit présenter un regroupement pertinent de centres concernant une maladie rare ou un groupe de maladies rares définis, afin de garantir une expertise et une prise en charge optimales. Chacun des centres composant un CRMR doit respecter les seuils d'activité qui lui sont applicables, tels que définis dans les notes d'information du 24 mai 2022 relative aux deux appels à projets. En deçà de ces seuils, des regroupements doivent être privilégiés pour des maladies rares dont la prise en charge requiert des approches diagnostiques, thérapeutiques et de suivis proches. Par exception, la candidature d'un CRMR constitutif ou d'un CCMR – et non d'un site coordonnateur – n'atteignant pas les seuils définis pourra être examinée s'il justifie d'un ratio file active/prévalence de la maladie rare concernée significatif ET d'une prise en charge nécessitant une expertise spécifique.

#### **QUESTION B5 - Combien de CCMR ou de CRC peuvent être inscrits au titre d'un CRMR ?**

Le fichier Excel contient la possibilité d'inscrire 50 CCMR et 65 CRC maximum (en cas de demande supplémentaire, merci de le signaler à l'adresse [DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr](mailto:DGOS-LABELLISATION-CRMR@sante.gouv.fr)).

### **C. PRECISIONS DEMANDEES QUANT AUX QUESTIONS POSEES**

#### **QUESTION C1 – Quels effectifs en équivalent temps plein (ETP) médicaux et non médicaux affectés au CRMR / CCMR / CRC au 31 décembre 2021 doivent être renseignés ?**

Il s'agit ici de renseigner les ETP de l'établissement qui concourent à l'activité du CRMR / CCMR / CRC (couverts ou non par une MIG maladies rares, avec possibilité de le préciser dans le tableau du dossier). Si le centre n'était pas déjà CRMR coordonnateur / CRMR constitutif / CCMR / CRC, il convient de préciser avec quels moyens humains il fonctionnait en 2021.

#### **QUESTION C2 – Si le responsable médical candidat a un autre statut médical que PU-PH ou MCU-PH ou PH ou bien qu'il n'exerce pas à 100%, que faire ?**

Si un PH n'exerce pas à 100% sur l'établissement de santé, il convient de préciser dans le dossier la quotité de travail exercée dans l'établissement et de joindre un courrier justifiant ce temps partiel. Si le responsable médical candidat n'est ni PU-PH, ni MCU-PH, ni PH titulaire, il convient de préciser le statut actuel et de joindre un courrier justifiant ce statut ainsi qu'une lettre d'engagement de l'établissement pour le nommer sur un des trois statuts rapidement après la labellisation. Un suivi de ces engagements sera assuré par la mission maladies rares.

#### **QUESTION C3 – Comment calculer le score SIGAPS demandé ?**

→ Score SIGAPS :

Le score publications est à extraire à partir du Système d'interrogation de gestion, d'analyse des publications scientifiques (SIGAPS). Pour renseigner les tableaux concernant les publications scientifiques :

- De 2017 à 2020 : prendre le score SIGAPS en fonction **du compte de présence** ;
- En 2021 : prendre le score SIGAPS en fonction du **compte fractionnaire**.

Publication (au format Pubmed)	Rang auteurs	Facteur d'impact	Score SIGAPS
Total pour le centre de référence maladies rares			Σ

3

Liste

Investigateurs

 Prise en compte des IL.

**NB : pour les années 2017 à 2020, le score SIGAPS à prendre en compte est celui correspondant à « score avec inv. » dans l'export des publications (ne pas oublier de cocher la « prise en compte des IL. » lors de l'analyse.**

Le compte de présence étant toujours proposé pour les publications de 2021 et 2022, il est néanmoins possible de les prendre en compte dans l'espace de texte libre à la fin du fichier Excel de chaque onglet (coordonnateur, constitutif, CCMR/CRC).

Le score SIGAPS du centre maladies rares est calculé en faisant la somme des scores des publications recensées.

Pour les centres de compétence, le tableur ci-dessus au format word peut-être joint au dossier.

IMPORTANT :

- le compte de présence d'une publication est liée à la meilleure position d'un auteur du centre ;
- le compte fractionnaire d'une publication est la somme des scores fractionnaires de chaque auteur du centre.

**La somme cumulée entre 2017 et 2022** ne sera pas à renseigner en raison des modifications apportées en 2021 dans les paramètres de calcul du score SIGAPS.

#### QUESTION C4 – Comment calculer le score SIGREC demandé ?

Le score SIGREC demandé est le **score essai** qui comptabilise l'ensemble des recherches impliquant la personne humaine (RIPH1, RIPH2 et soins courants) dont l'établissement est promoteur ou investigateur. Ce score est à extraire à partir du Système d'information et de gestion de la recherche et des essais cliniques (SIGREC). Les scores des études 2021 ne sont pas encore disponibles pour 2022. La somme cumulée de points sera comprise entre 2017 et 2021 (sur données 2020).

#### → Recensement des projets de recherche et Score SIGREC

Dans le tableur la notion d'investigateur principal fait référence à la coordination (investigateur coordonnateur au sens du Code de la Santé Publique) d'un projet promu par l'établissement d'appartenance d'un membre du Centre maladies rares, alors que la notion d'investigateur associé fait référence à la notion de responsable d'un site clinique de recherche (investigateur principal au sens du Code de la Santé Publique).

Le score SIGREC demandé est le **score essai** qui comptabilise l'ensemble des recherches impliquant la personne humaine (RIPH1, RIPH2 et soins courants) **auxquelles participe le centre maladies rares**, et dont l'établissement est promoteur ou investigateur. Ce score est à extraire à partir du Système d'information et de gestion de la recherche et des essais cliniques (SIGREC). Les scores des études 2021 ne sont pas encore disponibles pour 2022. La somme cumulée de points sera comprise entre 2017 et 2021 (sur données 2020). A ce jour, seuls les indicateurs SIGREC des années 2017 à 2020 sont disponibles.

La priorité est à donner aux projets pour lesquels le centre MR est coordonnateur.

Pour compléter ces informations il est possible (facultatif) de préciser le degré d'implication du membre du centre en complétant le tableur ci-dessous, pour chaque projet recensé. Ce tableau pourra être joint sur « démarches simplifiées » dans un document complémentaire de présentation (2.12, 3.8 ou 4.8).

Il est basé sur 3 indicateurs SIGREC : score essai, score inclusions promoteur et score inclusions investigateur. Ces indicateurs sont fournis à chaque établissement, pour l'ensemble des essais se déroulant en son sein, après traitement, par la cellule opérationnelle SIR-SIGAPS-SIGREC du CHRU de Lille, en année n+2 (suite à l'export fait par l'établissement en année n+1).

Titre du Projet	Etablissement Promoteur	Nom Investigateur coordonnateur	Nom Investigateur principal du site	Score essai (2017-2020)	Score inclusions promoteur (2017-2020)	Score inclusions investigateur (2017-2020)
Total pour le centre				Σ	Σ	Σ

**QUESTION C5 – Quel est le montant à renseigner pour les autres projets de recherche financés, national, européen ou international dont un membre de l'équipe est responsable d'axe thématique ou investigateur associé ? :**

Le montant du financement attendu sur la durée du projet (en euro) est celui qui correspond à l'allocation reçue par le centre (CRMR/CRC).