

4th ERN Hospital Managers Meeting, 21st-22nd of October

Break-out session : integration of the ERNs into the national systems and engagement of underrepresented countries

The integration of ERNs in French hospitals – the example of AP-HP

Ladislav Karsenty – Hospital Manager, Head of research, innovation, the medical project and cooperations, AP-HP Nord Université de Paris

**PNMR 1 : the
first national
plan for rare
diseases
(2005-2008)**

**131 labelled reference
centers (CRMR)
in 120 French hospitals**

**PNMR 2 : 2nd
national plan
(2011-2016)**

**National networks
(FSMR) - Data base on
rare diseases (BNDMR)
- Foundation for Rare
Diseases**

**PNMR 3 : 3rd
national plan
(2018-2022)**

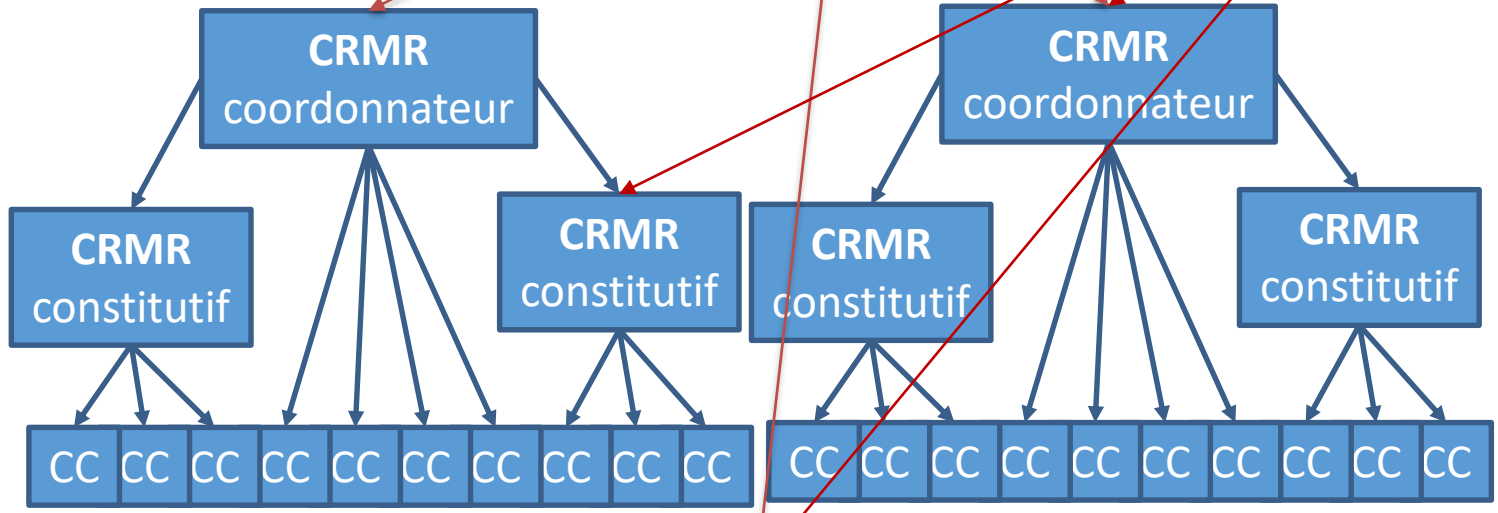
**Faster diagnosis –
Access to innovation -
Improving care
pathways**

23 national networks to organize activities and coordination between reference centers and regional centers, diagnostic platforms and technical platforms

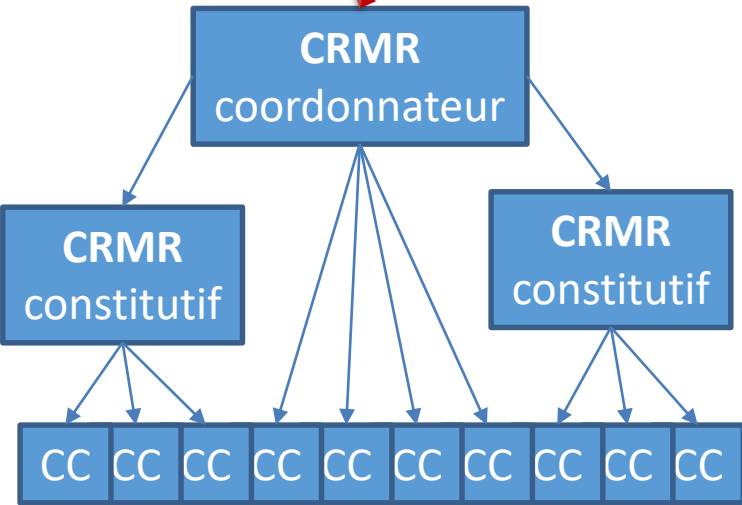
National networks (filières)

ERN

24 ERNs to share expertise across Europe

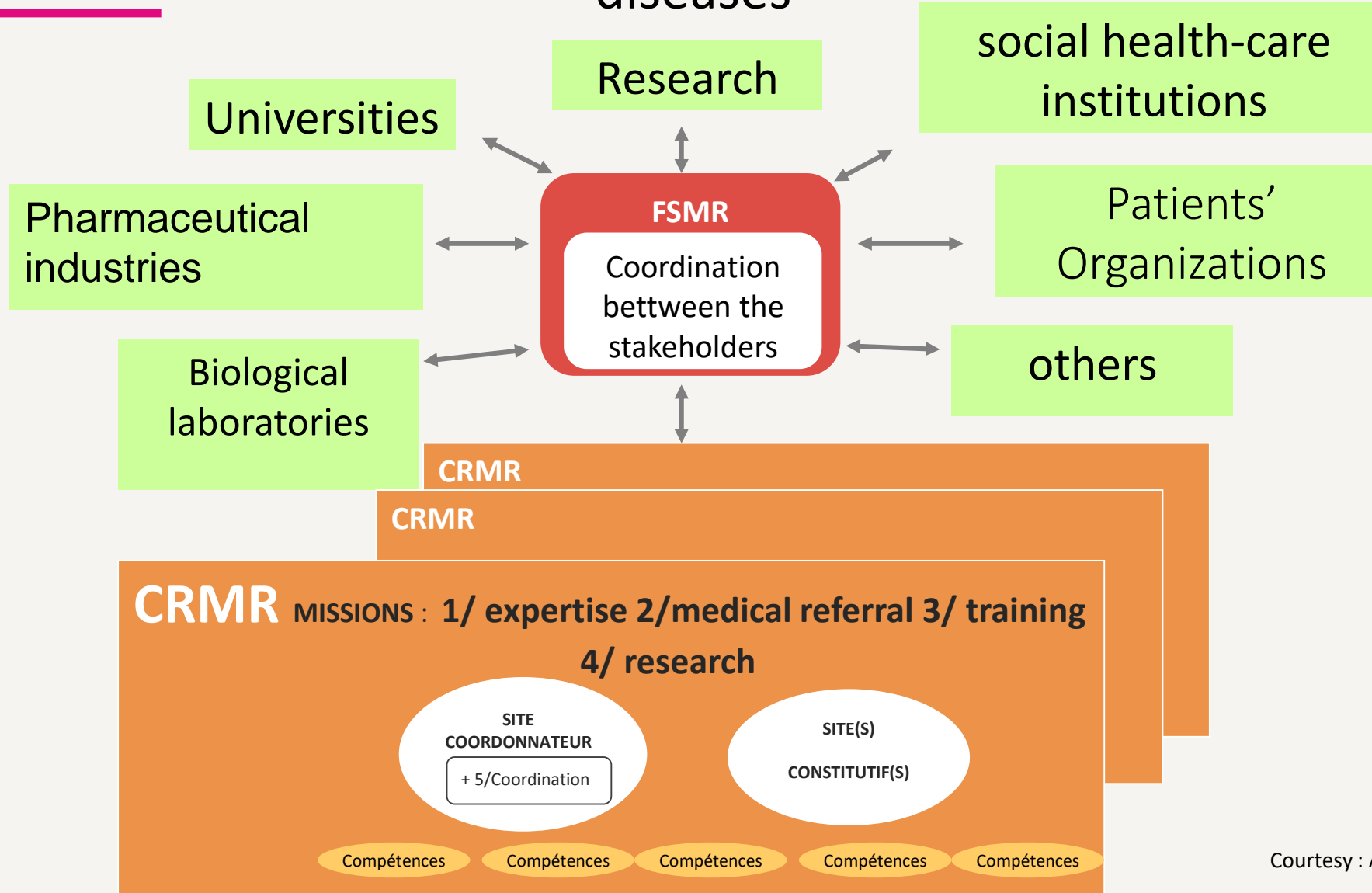
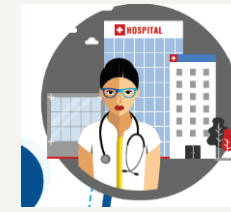


Hundreds of reference centers (CRMR), regional and competence centers, hosted by hospitals, care for patients and organize patient pathways



	France	AP-HP
Reference centers	387	181
Competence centers	1845	205
National networks	23	12
ERN coordinations	8	5

The hospitals : the ecosystem for rare diseases

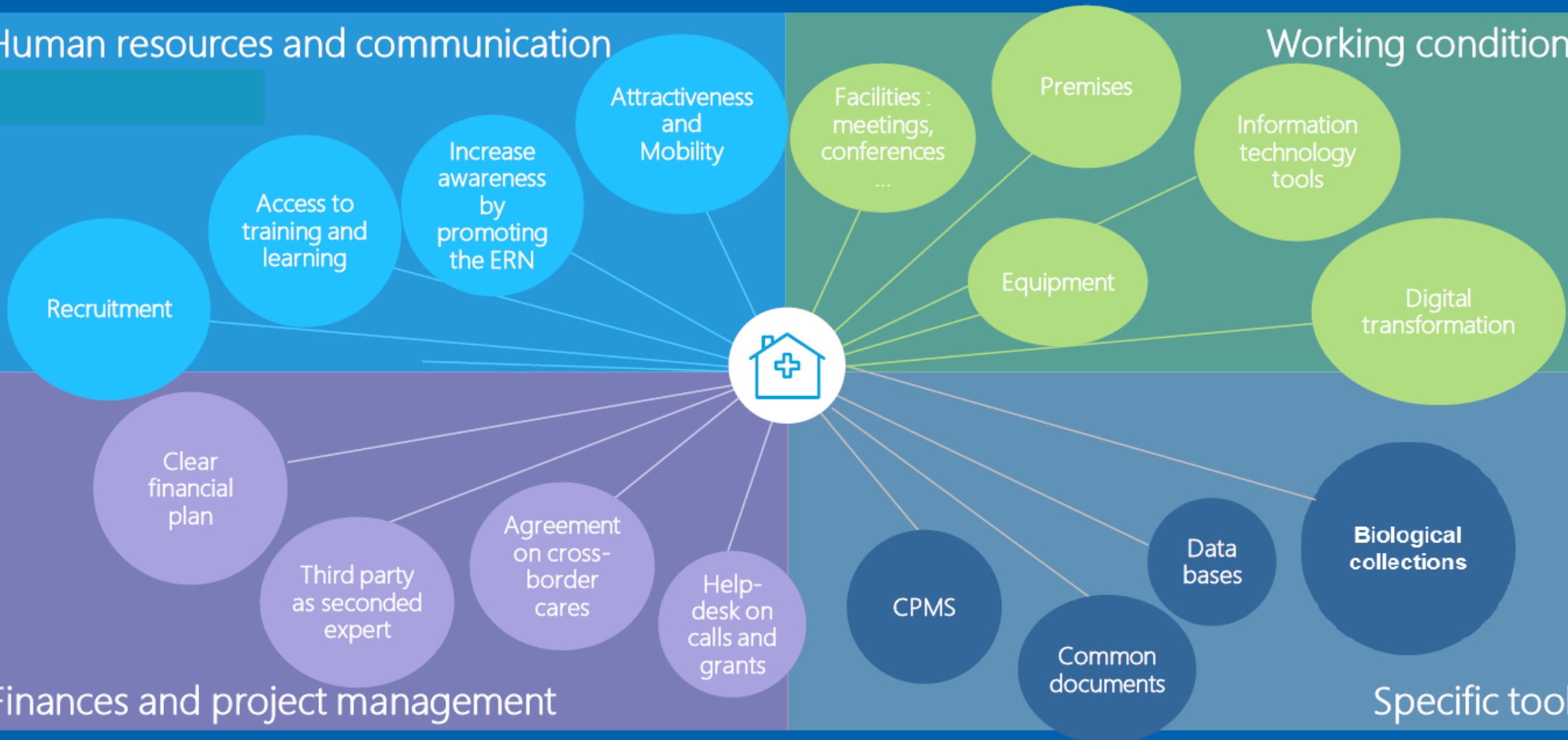


Human resources and communication

Working conditions

Finances and project management

Specific tools



■ The central AP-HP Department of Clinical Research and Innovation (DRCI) and the AP-HP Hospital Groups are in charge of :

- ▶ Grant agreements, consortium agreements (DRCI)
- ▶ Financial reports (DRCI with the hospital groups and the ERN project managers)
- ▶ Office space and equipment, ordering supplies (hospital groups)
- ▶ Human Resources / recruitment (DRCI and hospital groups)

■ AP-HP hospital managers participate in different working groups

- ▶ An ERN AP-HP group with the 5 coordinators to share information and prepare other meetings
- ▶ An ERN EUHA group with representatives from the 9 hospitals of the Alliance with different participants according to the topics
- ▶ A “EUROPE” working group led by the French Ministry of Health with coordinators and hospital managers

■ AP-HP hosts 5 ERN coordinations in 3 of its hospital groups (and participates in all 24 ERNs)

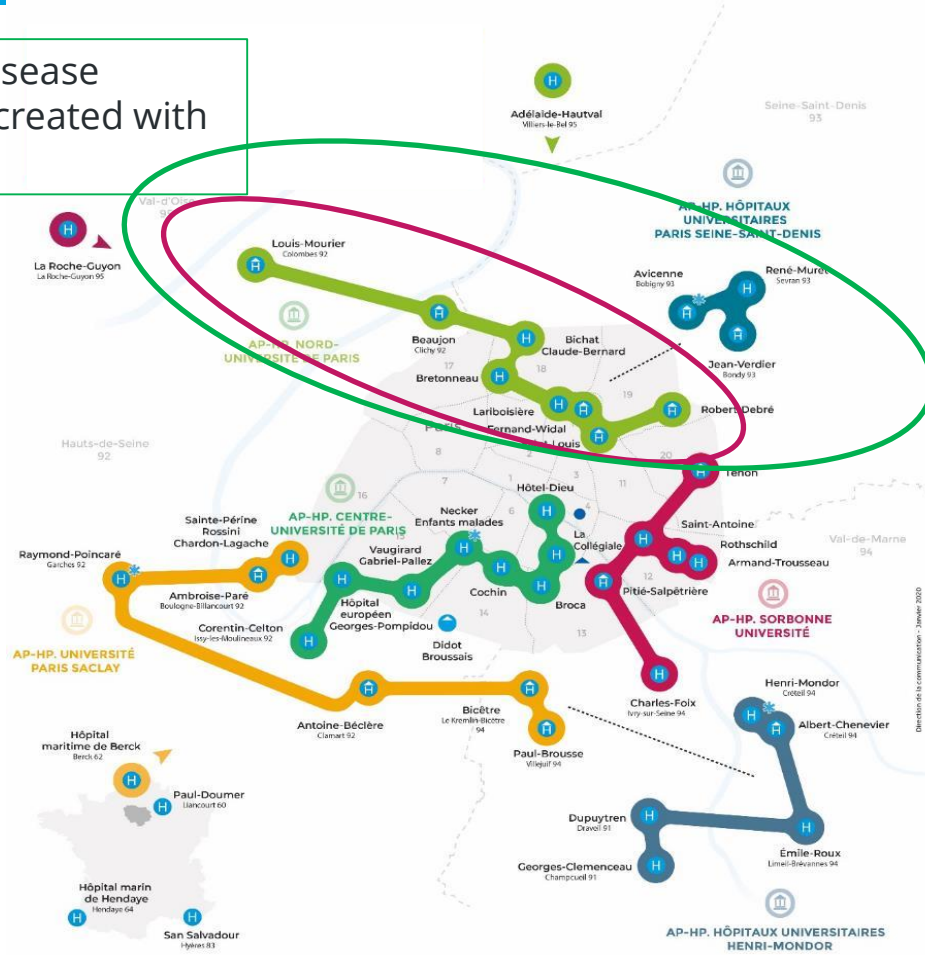


- **AP-HP has implemented the national data base on rare diseases (BNDMR)**
 - ▶ **Web-app development** (with high security standards): <https://bamara.bndmr.fr/login>
 - ▶ **Technical interoperability with electronic health records**, interoperability with ERN registries is in qualification phase for the ITHACA registry
 - ▶ **Interoperable data warehouse** : BNDMR metadata are public
 - ▶ **Open source development experience**

- **AP-HP has developed a know-how which could be useful to implement European IT solutions for ERNs**

AP-HP. NORD UNIVERSITÉ DE PARIS : one of 6 clusters of hospitals within AP-HP

The AP-HP North rare disease expertise platform was created with another cluster in 2021



Similar platforms exist in the other 4 clusters

A cluster of 7 hospitals since 2019



Louis-Mourier
Colombes 92



Beaujon
Clichy, 92



Bichat - Claude-Bernard
Paris, 18^e



Bretonneau
Paris, 18^e



Lariboisière
Paris, 10^e



Fernand-Widal
Paris, 10^e



Saint-Louis
Paris, 10^e



Robert-Debré
Paris, 19^e

- **Part of the 3rd national plan, the rare disease expertise platforms are meant to**
 - ▶ Strengthen inter-network links within the host establishments of several labelled centres
 - ▶ They regroup the different local stakeholders : reference centers, diagnostic laboratories and research units and the local patient associations concerned
 - ▶ The aim of these platforms is to share expertise and pool knowledge and skills on a local level to work more effectively together

- **They are not intended to replace existing structures, such as competence centers or national clinical networks**

- **So far, they mostly help reference and competence centers rather than national networks and ERNs...**

- **...but by supporting these centers they help all the different networks!**

Centre de référence des maladies vasculaires du foie

Le centre de Référence des maladies vasculaires du foie s'articule autour de la collaboration ancienne avec d'autres disciplines expertes (radiologie, hématologie biologique et clinique, chirurgie, génétique, anatomopathologie, hépatologie pédiatrique) largement représentées au sein du GHU Paris Nord et de l'AP-HP, des centres de compétence français, et des associations de patients ; expertise acquise depuis les premiers travaux de recherche du Pr Valla sur cette thématique. Cette collaboration permet une prise en charge optimale pour les patients atteints de maladies rares du foie, tout en privilégiant toujours une prise en charge locale dans le bassin de vie du patient. *Dr Aurélie PLESSIER*

COORDONNATEUR RESPONSABLE
Dr Aurélie PLESSIER
 Gastro-entérologie et hépatologie
 Service d'Hépatologie

DEMANDES DE TIÈRE PRISE EN CHARGE EN CONSULTATION

01 40 87 35 97 / 01 40 87 51 60
 amvf.foie@aphp.fr

L'optimisation de la prise en charge est grandement favorisée par l'accès d'un médecin docteur comprenant le courtier de synthèse du médecin adresseur, le dernier bilan biologique complet, le dernier imagerie avec les CD-ROM.

OÙ SE RENCONTRE ?

Hôpital Beaujon
 Service d'Hépatologie, Bâtiment Abram – Secteur Jeune – Porte 4
 100, boulevard du Général Lacroix - 75018 CLICHY-CEDEX

Le réseau des maladies vasculaires du foie (AMVF) est un réseau de centres de soins ayant une expertise avérée dans la prise en charge des maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant. Ces centres sont officiellement labellisés par le Ministère de la Santé dans le cadre des plans nationaux maladies rares qui ont pour objectif de structurer pour les maladies rares une offre de soins de haut niveau et d'améliorer la visibilité du dispositif ainsi mis en place avec bien pour les patients que pour les professionnels de santé.

Le centre de référence pour les maladies vasculaires du foie (CRMVF) de l'Hôpital Beaujon a été labellisé centre expert en novembre 2020 par le Ministère de la Santé. Il est situé au sein du service d'hépatologie et est organisé autour d'une équipe médicale pluridisciplinaire et hautement spécialisée ayant une expertise avérée pour les maladies vasculaires du foie dans les domaines des soins, de la recherche et de la formation.

Pathologies prises en charge par le centre :

- Syndrôme de Budd-Chiari
- Thrombose veineuse portale
- Maladie veino-occlusive hépatique
- Maladie Vasculaire Porto-Sinusoidale (MVPS)
- Vainopathie portale oblitérante / Sclérose hépatoportale
- Hyperplasie nodulaire régénérative du foie
- Hypertension portale intra-hépatique non cirrhotique
- Dilatation sinusoidale / Fibrose hépatique idiopathique
- Fistule porto-systémique congénitale / shunt congénitaux porto-systémiques
- Némangiosendothéliome épithélioïde
- Maladie de Caroli
- Cholangiopathie lésionnelle
- Fibrose hépatique congénitale
- Maladies porto-sinusoidales

POUR EN SAVOIR PLUS

L'ACTU

Chers tous,

Nous avons le plaisir de coordonner la Plateforme d'expertise maladies rares Paris Nord qui vient d'être créée. Cette coordination est réalisée avec Marine Ekerman, cheffe de projet et Laetitia Karsenti, directeur de la recherche, de l'innovation, de la coordination du projet médical et des coopérations du GHU AP-HP Nord, avec l'appui d'un comité de pilotage incluant des représentants des différents acteurs maladies rares. Nous souhaitons remercier tous les participants qui ont permis la création de cette plateforme qui devrait être utile aux professionnels et partenaires mais aussi et surtout aux patients et à leurs familles.

L'objectif de la Plateforme est de regrouper, de servir d'appui et de former la visibilité de l'ensemble des structures des neuf sites hospitaliers qui constituent AP-HP Nord - Université de Paris et AP-HP Hôpitaux Universitaires Paris Seine-Saint-Denis prenant en charge les maladies rares. Elle permettra ainsi de faciliter les interactions, la collaboration et les échanges d'expertise entre les centres, les structures médico-sociales et d'éducation thérapeutique, les laboratoires de diagnostic, les unités de recherche, les associations de patients, en lien avec les réseaux nationaux des Filères de Santé Maladies Rares et les Réseaux Européens de Référence Maladies Rares (ERER).

Nous espérons que vous prendrez connaissance avec intérêt des actualités rapportées dans cette première ACTU Maladies Rares.

Pr Juliane Léger, Pr Raphaël Botic
 Les coordinateurs médicaux de la Plateforme

IL VOUS FAUT S'INSCRIRE

Travaux de la Plateforme
 Maladies rares Paris Nord

La Plateforme d'expertise maladies rares Paris Nord regroupe les 100 centres de référence et de compétence maladies rares de neuf hôpitaux des deux GHU AP-HP Nord - Université de Paris et AP-HP Hôpitaux Universitaires Paris Seine-Saint-Denis. Elle a pour ambition de fédérer tous les acteurs maladies rares (professionnels, partenaires de la ville, associations de patients...) et d'être un outil...

LA VIE DES CENTRES MALADIES RARES

Les RATES CLÉS :
 Changement de labellisation des Centres Maladies Rares
 Les centres maladies rares (Centres de Référence Maladies Rares (CRM), Centres de Compétence Maladies Rares (CCMR)) sont labellisés pour une durée de 5 ans. La dernière campagne de labellisation - qui a eu lieu en 2017 prendra fin en 2022. Une actualisation de la liste des CRM et CCMR aura donc lieu en 2022. Les maladies rares relevant des FSHR MUCO-CYTR, NHEMD ...



1. Quand les associations de patients sont les acteurs de la formation à l'annonce diagnostique des maladies rares
 Une alliance thérapeutique patient/corps médical

Dr Aurélie Plessier, Hôpital Beaujon AP-HP
 Stéphane Coutin, AMVF

AMVF
 Association des Malades du Foie de France

INVIATION AUSTRALE
Les Rendez-vous du GHU

AP-HP, Nord Université de Paris

Maladies Rares : Quels parcours pour les patients ? - 2 mars 2021

Organizing webinars

SEGOIA
 Médecine génomique

Help with genomic prescriptions

BNDMR
 Banque Nationale de Données Maladies Rares

Help with coding

Help with administrative tasks

Information / newsletters

Helping centers on their communication and visibility

FILFOIE
 European Reference Networks
 AMVF
 RAUTOU LAB

■ Share more information and work together

- ▶ Hospital managers would like to have more visibility on the activities of ERN groups within their hospitals
 - *With the help of rare disease platforms and ERN coordination teams*
- ▶ Hospital managers need to have access to the same information as ERN coordinators
 - *Common meetings*
- ▶ Hospital managers can stimulate European partnerships on key issues for ERNs: research, training, data management, transition...
 - *EUHA partnerships, other partnerships with hospitals thanks to ERNs*

■ Have well-staffed coordination teams within the ERNs to face new challenges

- ▶ Many challenges : budget management and administrative work, more HCP members to follow, follow up of many working groups...
- ▶ The coordination teams are the privileged interface for hospital managers but they are hard to get, hard to keep
 - *Special contracts for these professionals ?*

■ AP-HP has special expertise on data sharing with the experience of its national data base on rare diseases (BNDMR) : how can we build on that experience ?