



JOURNÉE ANNUELLE DU CRPP



Marie-Christine Alessi

28/11/2022

Programme de la journée



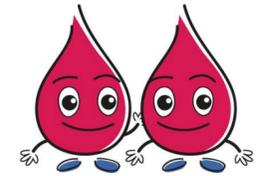
28 NOVEMBRE 2022
AMPHITHÉÂTRE CERIMED-FACULTÉ DE MÉDECINE
27 BD JEAN MOULIN 13005 MARSEILLE
9H30 À 16H30



9h30-10h	Accueil des participants	14h-14h20	Etude PAPS (MC. Alessi)
10h-10h10	Ouverture de la journée (MC. Alessi)	14h20-14h40	Syndrome de Noonan (S. Voisin)
10h10-11h	Actualités CRPP (C. Falaise, P. Saultier, G. Zirka)	14h40-14h55	Retour France Médecine Génomique (A. Vincenot)
11h-11h15	Actualités AFH (N. Giraud)	14h55-15h30	Inefficacité transfusionnelle dans les pathologies plaquettaires constitutionnelles (C. Picard)
11h15-12h15	Inherited thrombocytopenias and their therapy (C. Balduini, Italie)	15h30-15h50	Pause café
12h15-14h	Déjeuner	15h50-16h20	Retour études -TAAS (M. Fiore) -AGRAD (D. Borgel) -ELPOT (S. Voisin)
		16h20-16h30	Clôture de la journée (MC. Alessi)



ACTUALITÉS

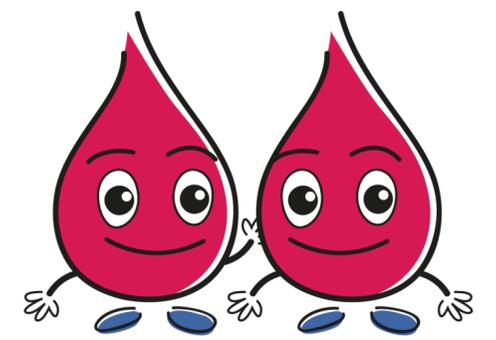


Céline Falaise, Paul Saultier, Gaïa Zirka

Journée annuelle du CRPP
28/11/2022

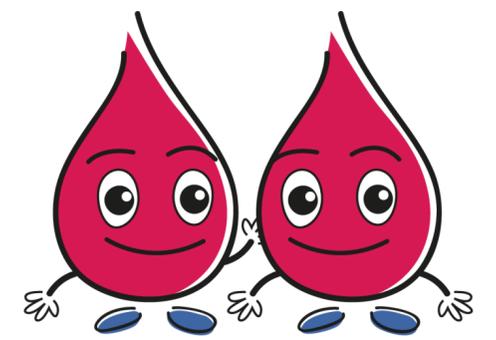
ACTUALITÉS DU CRPP

1. Bilan général (C. Falaise)
2. Site web (G. Zirka)
3. Observatoire des Traitements (P. Saultier)
4. FranceCoag (P. Saultier)



ACTUALITÉS DU CRPP

1. Bilan général (C. Falaise)
2. Site web (G. Zirka)
3. Observatoire des Traitements (P. Saultier)
4. FranceCoag (P. Saultier)



Bilan général

- **Communication CRPP et médecins généralistes**
 - Réseaux de communication des médecins généralistes ?
 - Action nationale semble peu efficace
 - Action locale : courte, synthétique via le conseil de l'ordre des médecins départemental
- « Thrombopénie : quand (et pourquoi) penser aux gènes ? »
- En cours : Quelle place donner au CRPP dans le parcours de soin territorial ?

Bilan général

- **Communication CRPP-CRC**

- Réunion de Concertation Pluridisciplinaire : en 2022 : 17 dossiers/3 RCP
- Exploration biologique plaquettaire ? visioconférence entre CRPP et CRC-MH pour 2023

Bilan général

- **PNDS en 2022**

Centre de Référence des Pathologies Gynécologiques Rares
+ CRH, CRMW, CRPP

- Saignement Utérins Abondants (SUA) chez la jeune femme atteinte de maladies hémorragiques rares constitutionnelles ou acquises (MHCA)

Bilan général

PNDS

- Les maladies hémorragiques : définition, manifestations cliniques
- Prise en charge des SAU : critères diagnostiques et de gravité
- Bilan biologique et imagerie en 1^{er} puis 2^{ème} intention
- Traitement hémostatique, hormonal, interventionnel
- Traitement associé (douleur, anémie, non pharmacologique)
- Stratégie de prise en charge (arbre décisionnel en urgence, en préventif)
- ETP
- Suivi gynécologique

Bilan général

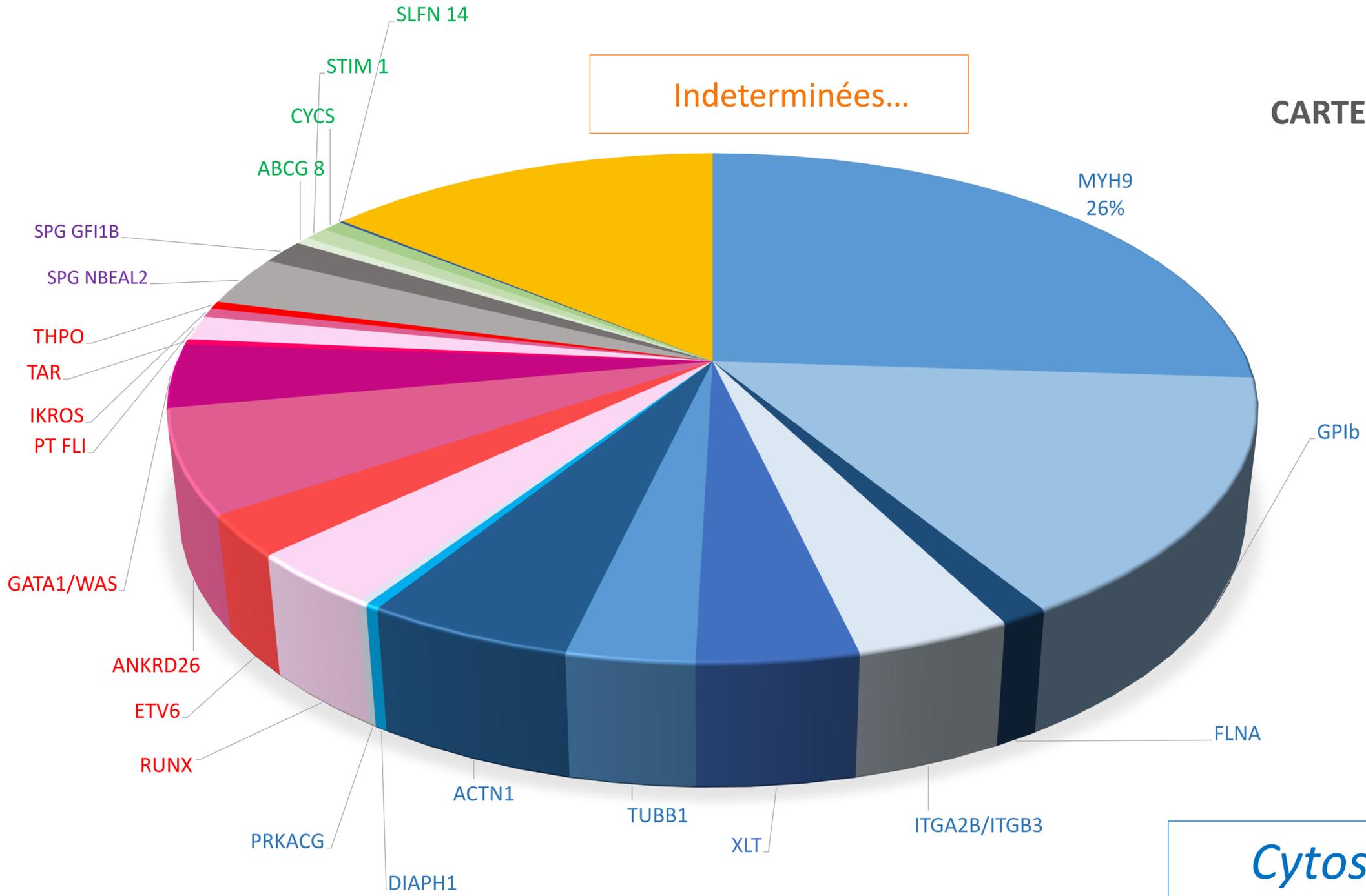
- **Cartes de Soins**

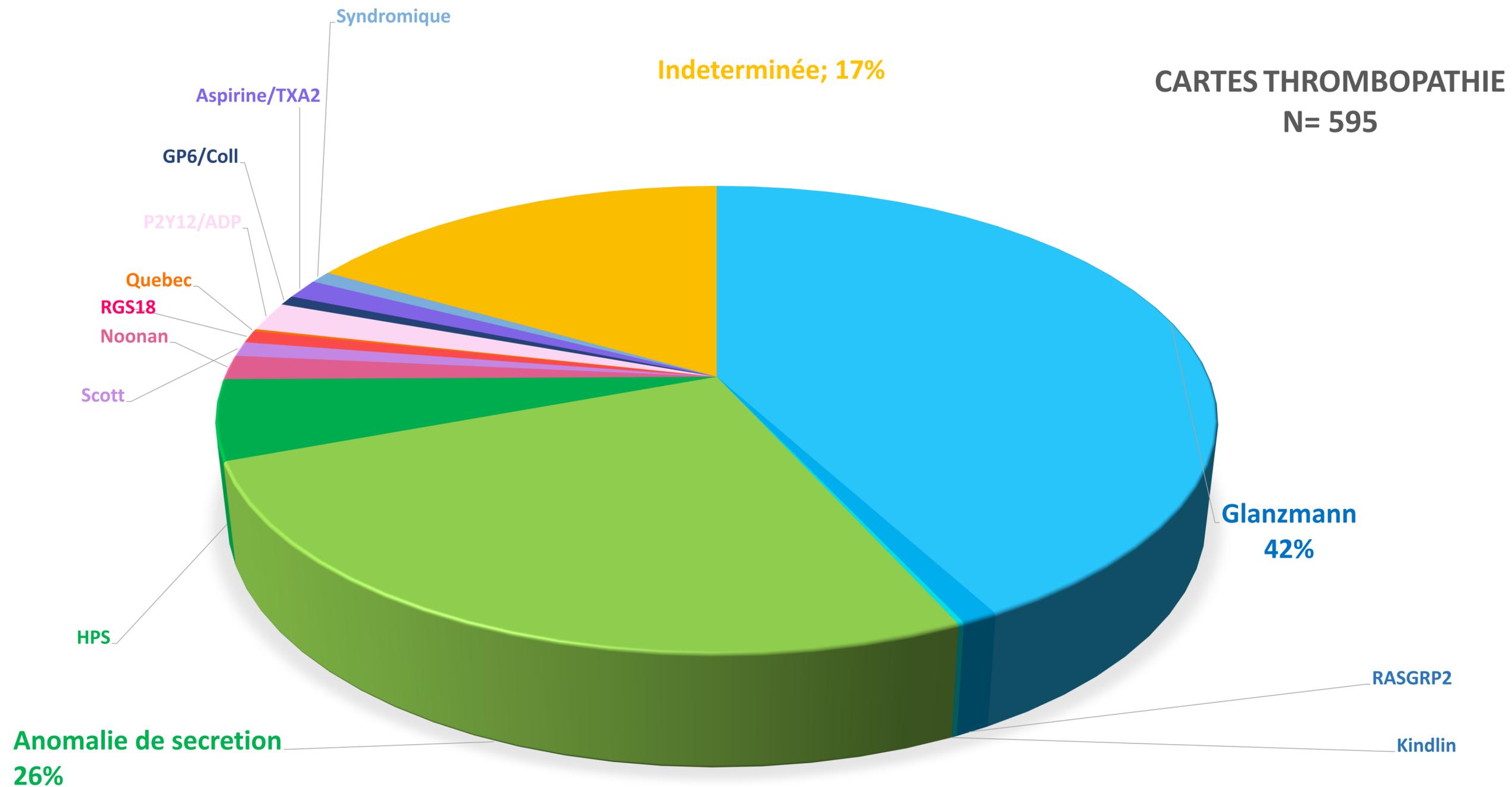
CARTE TRHOMBOPENIE N=859

Plaquettes Grises

Transcription

Cytosquelette





Bilan général

- **Education Thérapeutique du patient CRPP + AFH**
 - Groupe de travail pluridisciplinaire : médecins, infirmière, professionnel de l'ETP et patients
 - Besoins exprimés lors des journées rencontres nationales CRPP + biblio + témoignage de patient = Création d'Ateliers
 - Autorisation ARS Paca en 2021



Bilan général

- **Education Thérapeutique du patient**
 - 1^{er} week end d'ETP réalisé à Strasbourg les 19 et 20 Novembre
 - 21 participants + 7 encadrants dont 2 patients ressources
 - 6 ateliers :
 - ✓ Evolution de la maladie dans le temps
 - ✓ Faire face au risque hémorragique
 - ✓ Savoir parler de sa maladie
 - ✓ Questions de Femmes et vivre avec sa fatigue
 - ✓ Transmission de la maladie
 - ✓ Gestion du stress

Bientôt disponible
sur le site du CRPP
et de la Filière

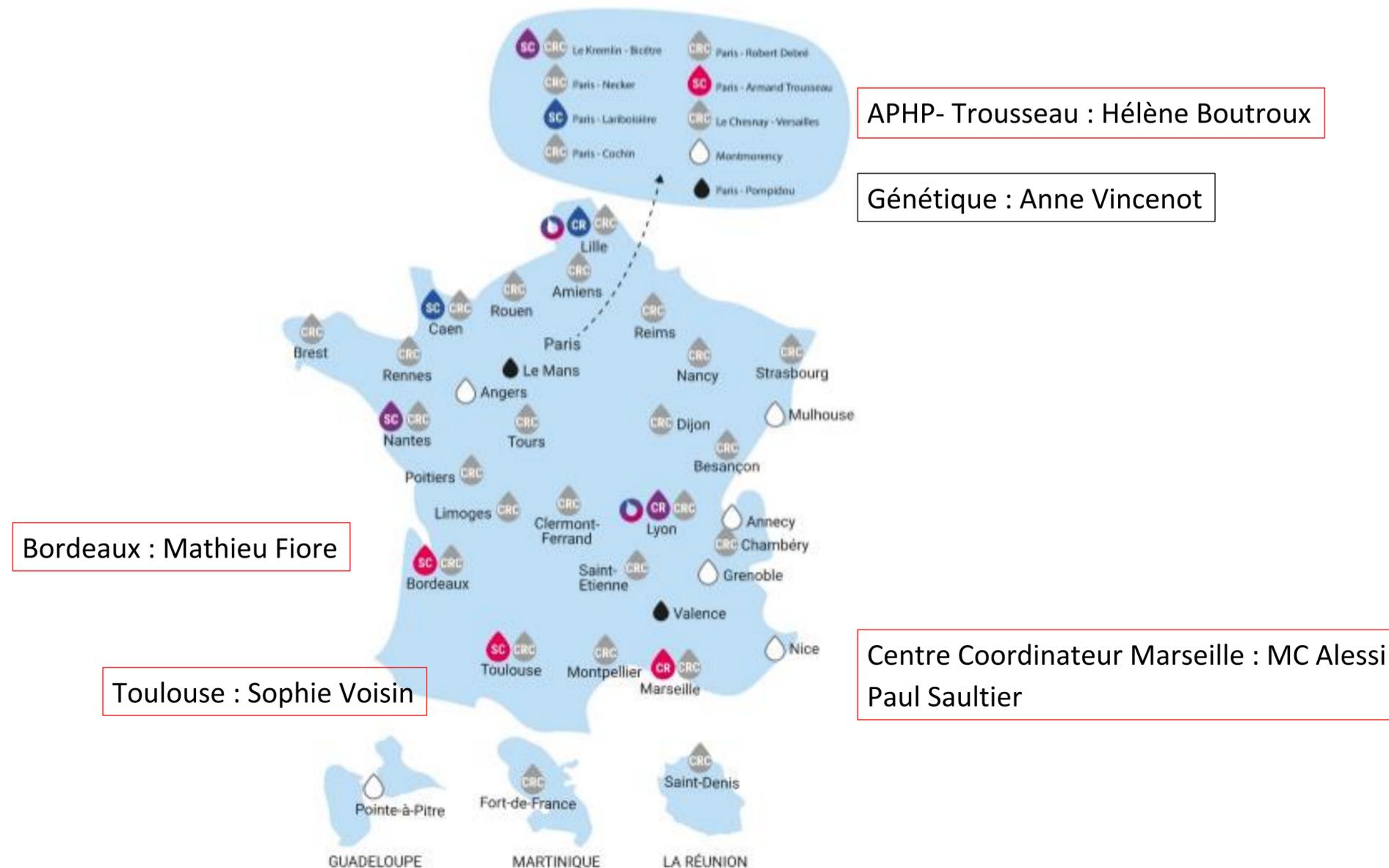
Bilan général

- **Projets 2023 :**

- Brochures informatives pour les patients et pour les professionnels de santé
- Guide de bonnes pratiques : transfusion plaquettaire
- Femmes Glanzmann et Grossesse : M Fiore
- Webinaire Thrombopénie/eurobloodnet
- Poursuite des actions en cours : consolidation du lien avec les généralistes, observatoire des traitements, Francecoag
-

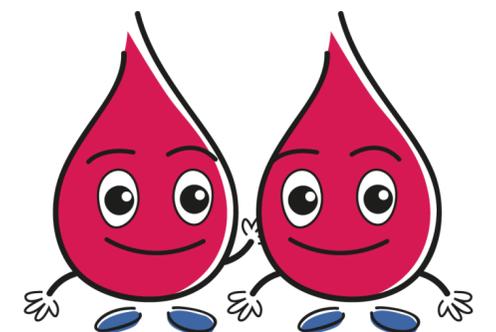
Bilan général

- **Nouveau Paysage du CRPP**



ACTUALITÉS DU CRPP

1. Bilan général (C. Falaise)
2. Site web (G. Zirka)
3. Observatoire des Traitements (P. Saultier)
4. FranceCoag (P. Saultier)



Site web du CRPP: www.maladies-plaquettes.org

- Depuis 2019:

- Site hébergé par une agence digitale Marseillaise (en charge du site de l'APHM)
 - Maintenance, préventive, corrective et évolutive
 - Budget CRPP - Marseille
- Le CRPP gère le site en terme de fonctionnalités, visuel et contenu
 - Visuel refait à neuf en mai 2022
 - Nouvelles fonctionnalités
 - Nouvelles rubriques



bluedrop.fr
ebizproduction

Nouveau visuel: page d'accueil

2021

CRPP CENTRE DE RÉFÉRENCE DES PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES
COORDINATION DES ACTIONS LIÉES AUX PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES

CRPP CENTRE COORDONNATEUR PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES REGISTRE FRANCECOAG FILIÈRE MHEMO INFOS-NEWS

LES PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES



Côté patients

atteints de thrombopénies constitutionnelles ou de thrombopathies

Connexion

Ressources

Vous êtes actuellement connecté en tant que e.alvarez. Déconnexion



Côté professionnels

Un compte qui vous permet d'accéder aux livrets, cartes de soins, etc.

Connexion

Ressources

Vous êtes actuellement connecté en tant que e.alvarez. Déconnexion



Côté Biologie et Recherche

Accès aux protocoles de recherche en cours

2022



CENTRE DE RÉFÉRENCE DES PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES

Bandeau d'accueil déroulant

CRPP PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES PATIENTS PROFESSIONNELS FILIÈRE MHEMO REGISTRE FRANCECOAG ACTUALITÉS RESSOURCES FORMATIONS

RÉUNION ANNUELLE DU



28 novembre 2022



Téléchargez le programme



Marseille

CERIMED

Faculté des Sciences Médicales et Paramédicales secteur Timone
Aix Marseille université



Inscrivez-vous



S'INSCRIRE À LA NEWSLETTER *

NOUVEAU! NEWSLETTER DU CRPP VOLUME 1

OK



VOUS ÊTES PROFESSIONNEL DE SANTÉ

Livret sur les pathologies



VOUS ÊTES PATIENT

Livret sur les pathologies

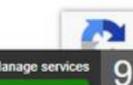


PROTOCOLES DE RECHERCHE EN COURS

AGRAD



Nouveaux design



Nouvelles fonctionnalités: agenda et twitter

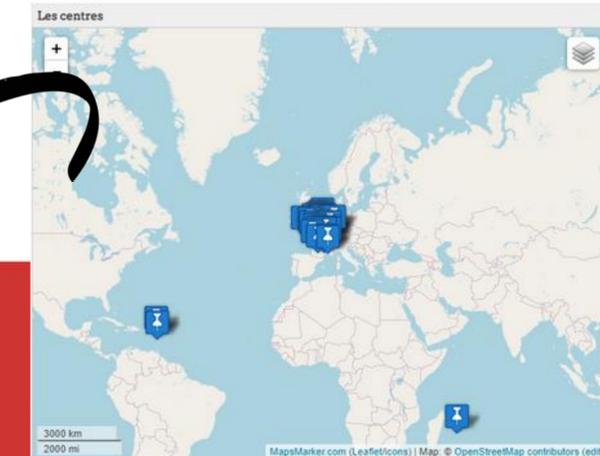
Petite présentation
QUI SOMMES-NOUS

Découvrez l'organisation et les objectifs du CRPP

Où nous trouver
LES CENTRES DU CRPP

Découvrez les différents centres qui constituent le réseau CRPP, et localisez le vôtre!

Carte des CRC de Métropole et d'Outremer



LES PROCHAINS RENDEZ-VOUS

- JOURNÉE DU GFHC "PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES"**
November 24
Hôpitaux Universitaires Pitié Salpêtrière
- RENCONTRE RÉGIONALE ALLIANCE MALADIES RARES**
November 25 @ 14 h 30 min - 18 h 30 min
Hôtel Mercure Centre Vieux Port
- JOURNÉE ANNUELLE DU CRPP 2022**
November 28 @ 9 h 30 min - 16 h 30 min
CERIMED
- 64ÈME RÉUNION DE LA SOCIÉTÉ AMÉRICAINE D'HÉMATOLOGIE (ASH)**
December 10 - December 12
New orleans
- JOURNÉE NATIONALE FILIÈRE MHEMO**
December 15 @ 9 h 30 min - 16 h 00 min
- CONGRÈS DE LA SOCIÉTÉ D'HÉMATOLOGIE ET D'IMMUNOLOGIE PÉDIATRIQUE**
19 January 2023 - 20 January 2023
CCI de Nantes

Voir tout l'agenda

SUIVEZ LE CRPP SUR TWITTER

Tweets from @CRPP12 Follow on Twitter

Centre de Référence des Pathologies Plaquet... @CRP... · Nov 9
Le @CRPP12 organise sa journée annuelle 2022 en format hybride!
📍 Marseille
📅 28 novembre
Inscription: evento.renater.fr/survey/reunion...
Programme et infos: maladies-plaquettes.org/event/journee-...
[@aphm_actu](#) [@univamu](#) [@Cerimed](#) [@FiliereMHEMO](#) [@AFH_Officiel](#) [@AfhPicardie](#)

18h-19h15	Actualités AFH (N. Groud)
19h15-20h15	Inherited thrombocytopenias and their therapy (C. Baldoni, Italie)
20h15	Photo de groupe
20h15-21h	Déjeuner
21h-21h30	Etude FAPS (MC. Alessi)
21h30-21h45	Syndrôme de Noonan (S. Vainier)
21h45-21h55	Ressour France Médecine Génétique (A. Vincent)
21h55-22h10	Insuffisance transfusionnelle dans les pathologies plaquetaires constitutionnelles (CPicard)

maladies-plaquettes.org
Journée annuelle du CRPP 2022 - Centre de Référence des Maladies...
Le CRPP est heureux de vous convier à sa réunion annuelle qui aura lieu à Marseille le 28 Novembre 2022. L'évènement se tiendra dans ...

Agenda des prochains évènements

Feed twitter avec les posts les plus récents

Nouvelle rubrique: éducation thérapeutique du patient

patients>éducation thérapeutique du patient> qu'est-ce que c'est?

PROGRAMME D'ÉDUCATION THÉRAPEUTIQUE DU PATIENT ATTEINT DE PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES
Travail collaboratif entre le patient, le CRPP et l'AFH

POUR QUI?	POURQUOI?	OÙ?	COMMENT?	AVEC QUI?
<ul style="list-style-type: none">• Les adultes• Les enfants• Les aidants	<ul style="list-style-type: none">• Mieux comprendre et mieux connaître les connaissances sur votre maladie• Savoir gérer le suivi de votre maladie• Savoir quoi faire en cas d'urgence• Améliorer votre qualité de vie	<ul style="list-style-type: none">• Au niveau national ou local• Dans votre centre de suivi ou dans un lieu plus convivial ou associatif	<ul style="list-style-type: none">• Entretien individuel pour identifier vos besoins à moyen et long terme• Programmer des ateliers personnalisés• Participation aux ateliers• Evaluer à distance les effets attendus	<ul style="list-style-type: none">• Une équipe soignante formée à l'éducation thérapeutique• Un patient ou un parent ressource

1- QU'EST CE QUE L'ETP?

L'Éducation Thérapeutique du Patient ou ETP a été définie dans un rapport de l'OMS (Organisation Mondiale de la Santé) en 1996 : *"Elle vise à **aider les patients** à acquérir ou maintenir les compétences dont ils ont besoin pour **gérer au mieux leur vie avec une maladie chronique**. Elle fait partie intégrante et de façon permanente de la prise en charge du patient. [...] Ceci a pour but de les aider (ainsi que leurs familles) à **comprendre leur maladie et leur traitement**, collaborer ensemble et assumer leurs responsabilités dans leur propre prise en charge, dans le but de les aider à maintenir et **améliorer leur qualité de vie**."*

Une réunion d'ETP est différente d'une réunion d'information car il ne s'agit pas simplement de vous délivrer des informations mais de vous faire participer.

Cette participation a pour but d'acquérir de façon personnalisée des connaissances et des compétences sur votre maladie et votre prise en charge. **L'ETP est centrée** sur vous et non sur la maladie, elle vous aide à vivre au mieux votre quotidien avec la maladie chronique.



2- À QUI S'ADRESSE L'ETP ?

L'ETP peut être proposée à toute personne suivie en consultation dans l'un des centres du réseau CRPP (**Centre de Référence des Pathologies plaquettaires**) pour une pathologie plaquettaire (maladie de Glanzmann, maladie MYH9, thrombopathie, ...). **L'ETP s'adresse** aux adultes, aux enfants, aux parents et aux aidants



Manage services 9

patients>éducation thérapeutique du patient> the3P (lien vers le site filière MHEMO)

Nouvelle rubrique: vie quotidienne

patients> vie quotidienne>accompagnement médico-social



ACCOMPAGNEMENT MÉDICO-SOCIAL

L'accompagnement médico-social se fait via l'éducation thérapeutique du patient (ETP). Il se fait aussi en lien avec les associations, les partenaires institutionnels, en particulier l'Education nationale et son secteur ASH (Adaptation scolaire et Scolarisation des élèves Handicapés), la MDPH (Maison Départementale des Personnes Handicapées) et la CAF, les services sociaux de proximité tels que les Maisons Départementales de la Solidarité (MDS) et les Unités Territoriales Sociales (UTS).

Voici des sites et adresses au niveau national :

- **Registre Français du Social et Médico-Social**
 - **Site des IEN ASH** (Inspecteurs de l'Education Nationale chargés de l'Adaptation et de la Scolarisation des élèves Handicapés)
- avec en région PACA les sites pour les élèves à besoins éducatifs particuliers :
- http://www.pedagogie.ac-aix-marseille.fr/jcms/c_59320/fr/accueil
 - http://www.pedagogie.ac-aix-marseille.fr/jcms/c_10543767/fr/equipe-ash-region-academique-paca

Les onglets ci-après vous donne d'autres liens, outils et ressources en région (incluant pour l'Education Thérapeutique du Patient), ainsi que le glossaire d'établissements et services médico-sociaux.

patients> vie quotidienne>faire face à une maladie rare

patients> vie quotidienne>Se préparer pour un voyage

SE PRÉPARER POUR UN VOYAGE

Checklist des éléments à avoir sur soi

Vous devez en permanence avoir avec vous votre carte d'urgence.

Cependant, lors de vos déplacements/voyages, pensez à avoir les documents supplémentaires nécessaires tel que:

- LES COORDONNÉES DU CENTRE EXPERT LE PLUS PROCHE
- LA CARTE DE VOTRE GROUPE SANGUIN
- VOTRE CARNET DE SANTÉ
- VOTRE CARTE DE SOINS
- VOTRE CARTE EUROPÉENNE D'ASSURANCE MALADIE
- UNE ASSURANCE RAPATRIEMENT SANITAIRE
- LES MÉDICAMENTS COURAMMENT UTILISÉS
- UNE TROUSSE DE SECOURS



Nouvelles rubriques: ressources et formations

Accueil > Ressources

COURS

-  **HEMOSTASE**
Physiologie de l'hémostase
-  **HEMOSTASE**
Formation des plaquettes-Pr Alessi
-  **HEMOSTASE**
Syndrome hémorragique d'origine hématologique-Pr Alessi, Pr Chambost, Pr Morange, Dr Suchon
-  **THROMBOPATHIES**
Les Thrombopathies constitutionnelles et leur diagnostic-Pr Alessi
-  **THROMBOPÉNIES**
Les Thrombopénies constitutionnelles et leur diagnostic-Pr Alessi
-  **THROMBOPÉNIES**
Les différentes thrombopénies constitutionnelles-Pr Alessi
-  **THROMBOPÉNIES**
Thrombopénies constitutionnelles: illustration de cas- Dr Hurtaud

ARTICLES SCIENTIFIQUES

-  **HOW I MANAGE PREGNANCY IN WOMEN WITH GLANZMANN THROMBASTHENIA.**
Fiore M, Sentilhes L, d'Oiron R. How I manage pregnancy in women with Glanzmann thrombasthenia. *Blood.* 2022;139(17):2632-2641. doi:10.1182/blood.2021011595
-  **GATA1 PATHOGENIC VARIANTS DISRUPT MYH10 SILENCING DURING MEGAKARYOPOIESIS**
Saultier P, Cabantous S, Puceat M, et al. GATA1 pathogenic variants disrupt MYH10 silencing during megakaryopoiesis. *J Thromb Haemost.* 2021;19(9):2287-2301. doi:10.1111/jth.15412
-  **STRENGTHS AND WEAKNESSES OF LIGHT TRANSMISSION AGGREGOMETRY IN DIAGNOSING HEREDITARY PLATELET FUNCTION DISORDERS.**
Alessi MC, Sié P, Payrastre B. Strengths and Weaknesses of Light Transmission Aggregometry in Diagnosing Hereditary Platelet Function Disorders. *J Clin Med.* 2020;9(3):763. Published 2020 Mar 12. doi:10.3390/jcm9030763
-  **LABORATORY TECHNIQUES USED TO DIAGNOSE CONSTITUTIONAL PLATELET DYSFUNCTION**
Ibrahim-Kosta M, Alessi MC, Hezard N. Laboratory Techniques Used to Diagnose Constitutional Platelet Dysfunction. *Hamostaseologie.* 2020;40(4):444-459. doi:10.1055/a-1223-3306
-  **TREATMENT OF INHERITED THROMBOCYTOPENIAS**
Balduini CL. Treatment of inherited thrombocytopenias. *Haematologica* 2022;107(6):1278-1292; <https://doi.org/10.3324/haematol.2022.280856>.
-  **PLATELET FUNCTIONAL ABNORMALITIES AND CLINICAL PRESENTATION IN PEDIATRIC PATIENTS WITH GERMLINE RUNX1, ANKRD26, AND ETV6 MUTATIONS**
Ovsyannikova GS, Fedorova DV, Tesakov IP, Martyanov AA, Ignatova AA, Ponomarenko EA, Zharkov PA, Pavlova AV, Raykina EV, Maschan MA, Panteleev MA, Novichkova GA, Sveshnikova AN, Smetanina NS. Platelet functional abnormalities and clinical presentation in pediatric patients with germline RUNX1, ANKRD26, and ETV6 mutations. *Haematologica* 2022;107(10):2511-2516; <https://doi.org/10.3324/haematol.2022.281340>.

Accueil > Formations

FORMATIONS CONSEILLÉES PAR LE CRPP

-  **DPC FORMATION TECHNICIENS-BIOLOGIE DES PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES CONSTITUTIONNELLES NIVEAU 1**
Laboratoire d'hématologie, Hôpital Rangueil, Toulouse
-  **DU MALADIES DE L'HÉMOSTASE**
Université de Montpellier, Faculté de médecine de médecine
-  **DU HÉMOSTASE BIOLOGIQUE ET BIOCHIMIE DE L'HÉMOSTASE**
Université Claude Bernard Lyon 1
-  **DIU IMMUNO-HÉMATOLOGIE PÉDIATRIQUE**
Université Paris-Est Créteil Val de Marne
-  **MASTER 2 BIOLOGIE SANTÉ, PARCOURS MALADIES MÉTABOLIQUES ET VASCULAIRES**
Aix-Marseille Université
-  **MASTER 2 BIVATH: BIOLOGIE VASCULAIRE, ATHÉROSCLÉROSE, THROMBOSE ET HÉMOSTASE**
Université Paris Cité
-  **FORMATIONS CONTINUES DE L'EFIS**
Etablissement Français du Sang

Nouvelle rubrique: Newsletter

Volume 1. octobre 2022

VOLUME 1 • OCTOBRE 2022

LA NEWSLETTER DU CRPP

LE BULLETIN D'INFORMATION TRIMESTRIEL DU CRPP

RÉUNION ANNUELLE 2022
Le CRPP a le plaisir de vous convier à sa réunion annuelle 2022 qui aura lieu à Marseille le 28 novembre.
Le programme sera bientôt disponible sur le site du CRPP.
Pour vous inscrire, flashez ce code ou cliquez [ICI](#).

WEEKEND ETP PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES
Le CRPP et l'AFH organisent un weekend national d'ETP pathologies plaquettaires les 19 et 20 novembre 2022 à Strasbourg. Parlez-en à vos patients.
INSCRIPTIONS PLUS D'INFORMATIONS

OBSERVATOIRE DU MÉDICAMENT
Le CRPP démarre sa participation à l'Observatoire du Médicament MHEMO :
- Médicaments hors AMM ciblés : ARTPO et Novoseven.
- Documents d'aide à la prescription (en cours de rédaction).
- Nouvelle fiche RCP avec section dédiée à remplir +++.

ACTUALITÉS RECHERCHE CLINIQUE
EGVPP: 30 inclusions (10P, 20 T)
AGRAD: Fin des inclusions
ELPOT: 11 inclusions (P)
TAAS: 41 inclusions (P)

POINT BIBLIO
Cliquer sur les liens ci-dessous
[How I manage pregnancy in women with Glanzmann thrombasthenia](#), Fiore M, Loïc Sentilhes L, d'Oiron R, Blood 2022.
[Treatment of inherited thrombocytopenias](#), Balduini C., Haematologica 2022.
[Platelet functional abnormalities and clinical presentation in pediatric patients with germline RUNX1, ANKRD26, and ETV6 mutations](#), Ovsyannikova, GS, et al., Haematologica 2022.

PROCHAINS CONGRÈS
ISCA: 16-19 nov 2022, en ligne
Journée PP GFHC 2022: 24 nov, Paris
ASH: 10-13 dec 2022, New Orleans
SHIP: 19-20 janv 2023, Nantes
EAHAD: 8-10 fev 2023, Manchester
SFH: 29-31 mars 2023, Paris
CFH: 10-12 mai 2023, St-Malo
ECTH: 13-15 sept 2023, Valencia

PROCHAINES RCP
Pathologies plaquettaires: 11 oct
Impasse diagnostique: 18 oct

NOTRE SITE WEB A ÉTÉ REVISITÉ ET S'EST ENRICHÉ DE NOUVELLES RUBRIQUES
WWW.MALADIES-PLAQUETTES.ORG
Des idées pour poursuivre son amélioration? [Cliquez ici!](#)

- ↳ Trimestrielle
- ↳ Envoyée par mail à la liste de diffusion



CENTRE DE RÉFÉRENCE DES PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES

CRPP PATHOLOGIES PLAQUETTAIRES PATIENTS PROFESSIONNELS FILIÈRE MHEMO REGISTRE FRANCECOAG ACTUALITÉS RESSOURCES FORMATIONS

RÉUNION ANNUELLE DU CRPP

28 novembre 2022

Marseille
CERIMED
Faculté des Sciences Médicales et Paramédicales secteur Timone
Aix Marseille université

Téléchargez le programme

Inscrivez-vous

S'INSCRIRE À LA NEWSLETTER *

NOUVEAU! NEWSLETTER DU CRPP VOLUME 1

Disponibles sur la page d'accueil du site

Inscrivez-vous si vous n'avez pas reçu notre 1^{er} volume

Sondage: donnez votre avis sur le site du CRPP

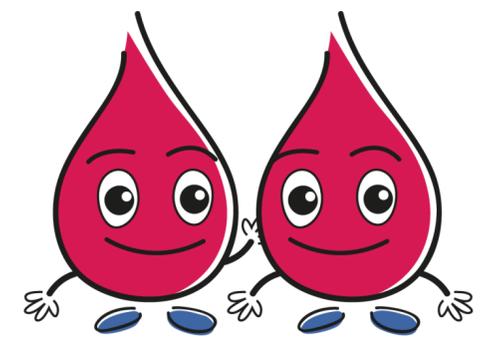
En cliquant sur le bandeau d'accueil déroulant



The screenshot displays the CRPP website interface. At the top, the logo for the Centre de Référence des Pathologies Plaquettaires (CRPP) is visible, along with a navigation menu containing links for Home, CRPP, Pathologies, Patients, Professionnels, Filière Mhemo, Registre Francecoag, Actualités, Ressources, and Formations. A prominent banner on a corkboard background features the text "VOTRE AVIS NOUS EST PRÉCIEUX!" and a call to action: "Donner votre avis sur notre site web grâce à ce questionnaire". Below the banner, there is a section for a newsletter titled "NOUVEAU! NEWSLETTER DU CRPP VOLUME 1" with a sign-up form and an "OK" button. The main content area is divided into three red panels: "VOUS ÊTES PROFESSIONNEL DE SANTÉ" with a "Livret sur les pathologies" button, "VOUS ÊTES PATIENT" with a "Livret sur les pathologies" button, and "PROTOCOLES DE RECHERCHE EN COURS" with an "AGRAD" button. A "Manage services" button is located in the bottom right corner.

ACTUALITÉS DU CRPP

1. Bilan général (C. Falaise)
2. Site web (G. Zirka)
3. Observatoire des Traitements (P. Saultier)
4. FranceCoag (P. Saultier)



Missions de l'Observatoire des Traitements





ACCES COMPASSIONNEL

Remplace les ATUn et les RTU

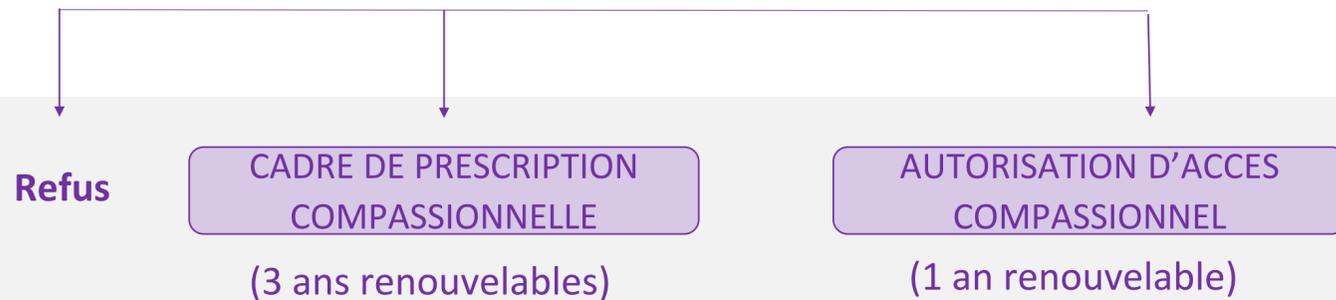
Pour les médicaments non destinés à être commercialisés dans l'indication concernée

Absence de développement en cours ou prévu

Pas de démarche en vue d'une AMM

Sur initiative de l'**ansm**, à la demande de professionnels de santé, des ministres ou sur signalements

Evaluation et décision de l'**ansm**



Recueil de données (PUT-RD)



ACCES PRECOCE

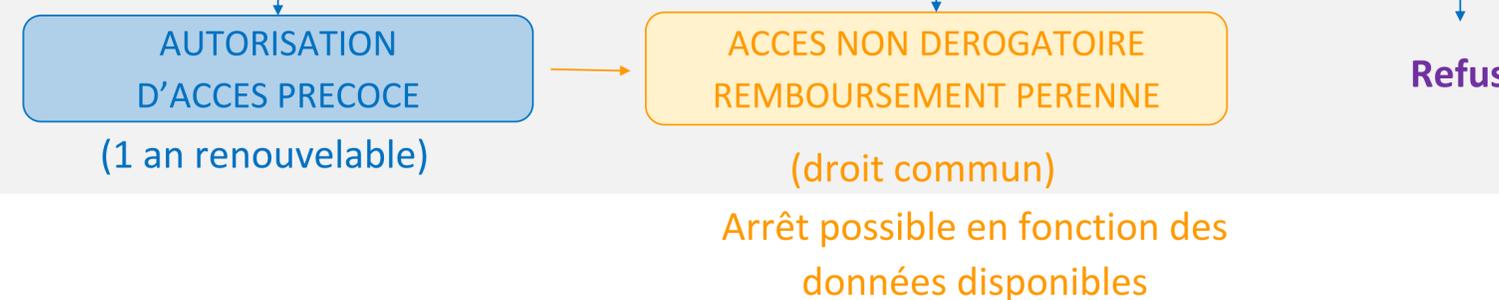
Remplace les ATUc, ATUei, post ATU, et PECT

Pour les médicaments destinés à être commercialisés dans l'indication concernée

Médicaments présumés innovants

Données cliniques disponibles ou en cours de recueil

Sur demande du laboratoire



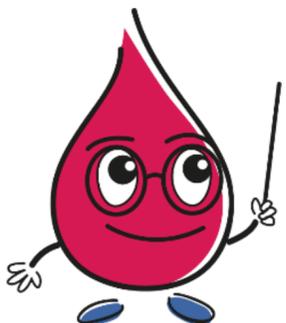
Recueil de données (PUT-RD)

Outils en cours de développement

- **Recensement des usages hors AMM**
 - Mise en relation avec chaque centre de référence
 - Mise à disposition au sein de la filière et du CRPP via les sites internet

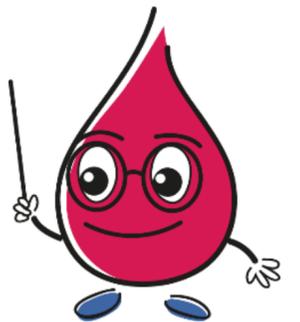
Tableau de recensement des pratiques de prescription hors AMM d'intérêt									
Nom de la filière de santé maladies rares (FSMR à préciser):		MHEMO		CRPP		Date : 17/11/2022			
CARACTERISTIQUES DES TRAITEMENTS									
Médicament (DCI nom commercial, dosage, voie d'administration)	Code de la pathologie (code ORPHA)	Situation/contexte clinique qui motive la prescription hors AMM	Population concernée (tout âge/ <6 ans/ de 6 à 12 ans/>12 ans) enfants)	Nature du traitement (curatif/ prophylaxie court terme (<6 mois)/prophylaxie long terme (>6 mois)/prophylaxie péri procédurale)	Existence d'alternative ayant l'AMM dans l'indication considérée (oui/non/ pas d'accès aux essais cliniques)	Présentation en RCP (oui, non)	Suivi dans registre France Coag (oui/non)	Références des données disponibles étayant le recours au médicament (lit. scientifique, reco. de sociétés savantes ou de la HAS, PNDS, clinicaltrials.gov...) (renvoi à une annexe si nécessaire)	Antériorité de sein de (0 ou nombre)
eptacog alfa; Novoseven; 1mg, 2mg, 5mg, 8mg; IV	Thrombasthénie de Glanzmann ORPHA:849	Patient sans état réfractaire aux CP mais avec AC anti- plaquettes: réduire risque d'immunisation par transfusion de CP	Tout âge	prophylaxie péri procédurale				BIBLIO	

- Identification des patients pour qui utilisation hors AMM validée en RCP



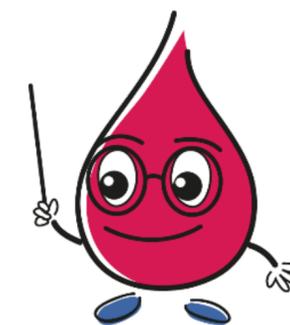
Hors AMM dans les pathologies plaquettaires

- **Médicaments, dispositifs médicaux ou pratiques non médicamenteuses en dehors des indications validées et remboursées**
- **Sont concernés :**
 - Facteur VII activé recombinant (rFVIIa) Eptacog alfa (Novoseven[®]) dans la thrombasthénie de Glanzmann chez les patients sans alloimmunisation ou état réfractaire aux concentrés plaquettaires
 - Agonistes récepteur thrombopoïétine (ARTPO) Eltrombopag (Revolade[®]), Romiplostim (Nplate[®]) dans les thrombopénies constitutionnelles
 - Autre(s) médicament(s), dispositif(s), pratique(s), contexte(s) ?
- **Instruction systématique dans le cadre des RCP CRPP**



Fiche RCP actualisée

<p>Observatoire des traitements (en cas de prescription d'un médicament, d'un dispositif médical ou d'une pratique non médicamenteuse en dehors de ses indications validées et remboursées)</p>	<p>Nom du médicament, du dispositif médical ou de la pratique non médicamenteuse prescrite en dehors de ses indications validées et remboursées : <input type="checkbox"/> FVII activé recombinant <input type="checkbox"/> Agoniste TPO <input type="checkbox"/> Autre (préciser) Cliquez ici pour taper du texte.</p> <p>Dose à administrer : Valeur</p> <p>Unité (UI, U, µg, mg...) : Cliquez ici pour taper du texte.</p> <p>Rythme : Rythme</p> <p>Voie d'administration : Cliquez ici pour taper du texte.</p> <p>Nature du traitement : <input type="checkbox"/> curatif/à la demande (<2 mois) <input type="checkbox"/> prophylaxie long terme (≥2 mois) <input type="checkbox"/> prophylaxie périprocédurale <input type="checkbox"/> prophylaxie grossesse/accouchement</p> <p>Existence d'alternative ayant une indication validée et remboursée dans l'indication considérée : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non <input type="checkbox"/> pas d'accès aux essais cliniques Si oui, quelle alternative ? Cliquez ici pour taper du texte.</p> <p>Justification clinique de l'usage : Cliquez ici pour taper du texte.</p> <p>Inclusion dans registre FranceCoag : <input type="checkbox"/> Oui <input type="checkbox"/> Non</p> <p>Références bibliographiques proposées (littérature scientifique, recommandations de sociétés savantes ou de la HAS, PNDS, clinicaltrials.gov...) et/ou données disponibles (données préliminaires d'essais cliniques en vue d'un accès précoce ou compassionnel éventuel) : Cliquez ici pour taper du texte.</p>
--	--

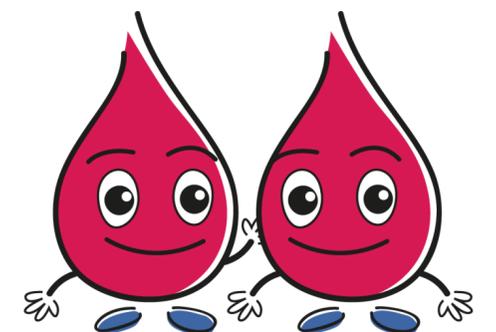


Avancement actuel et perspectives

- **Constitution d'un groupe de travail « Observatoire des traitements »**
 - Coordination : Valérie Chamouard et Laura Tourvieilhe
 - Correspondant pour le CRPP : Paul Saultier
- **Avancement des projets**
 - Modification fiches RCP (onglets Observatoire) : validées (diffusion imminente)
 - Veille permanente pour actualisation des médicaments, dispositifs médicaux ou pratiques non médicamenteuses en dehors des indications validées et remboursées
 - Revue bibliographique des médicaments / dispositifs / pratiques sélectionnées : en cours
 - Identification des patients par la RCP (pas encore de patient identifié dans le CRPP)
 - Aide à l'accès dérogatoire aux traitement (si multiplication des utilisations d'une médicament / dispositif)
- **Recueil des données obligatoire dans le cadre d'un accès dérogatoire**
 - Via les demandes formulées par l'ANSM / Laboratoires (PUT-RD)
 - Via BaMaRa (Set de données minimales – Traitement)
 - Via FranceCoag ?

ACTUALITÉS DU CRPP

1. Bilan général (C. Falaise)
2. Site web (G. Zirka)
3. Observatoire des Traitements (P. Saultier)
4. FranceCoag (P. Saultier)



FranceCoag

- **Objectifs du projet**

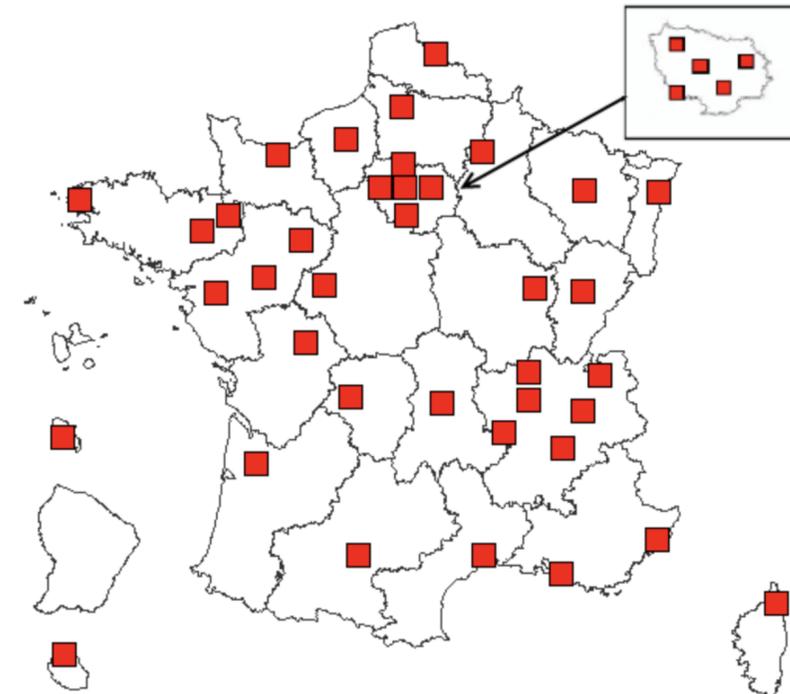
- Connaissance de la répartition géographique, des caractéristiques, des traitements et de l'évolution des patients atteints de maladies hémorragiques
- Outil de veille sanitaire
- Outil de recherche ouvert

- **Coordination APHM depuis 2017**

- **86 058 visites enregistrées**

- **13 485 patients suivis**

- Hémophilie A : 7623 cas (844 PUPs)
- Hémophilie B : 1841 cas (171 PUPs)
- Maladie de Willebrand : 3306 cas
- Autres déficits rares apparentés : 715 cas



Version 3 de FranceCoag

- **Intégration des maladies plaquettaires dans FranceCoag** en complément des autres pathologies de la filières MHEMO
- **Autres apports de la V3 :**
 - Portail d'accès au patients (info santé de vie perçu et QoL)
 - Interopérabilité avec autres bases (BaMaRa) et avec le carnet numérique MHEMO
 - Interface nominative hors EDS pour interface SNDS
- **Calendrier respecté : mise en place février-mars 2023**

Rétroplanning Livraison Version 3

T2 2022

T3 2022

T4 2022

T1 2023

T2 2023



Notification du marché avril 2022 - Eiffage – Clemessy

août 2022

Phase d'étude



- ⇒ Ateliers fonctionnels
- ⇒ Ateliers techniques
- ⇒ Atelier Sécurité Informatique
- ⇒ Atelier RGPD

Phase 1 : Mise en production de la V3

- ⇒ Mise en place du site internet FC
- ⇒ Mise en place de l'application privée
- ⇒ Migration de la V2 vers la V3

Février-mars 2023



Phase 2 : Mise en place évolutions de la V3

- ⇒ Ouverture de l'application aux partenaires
- ⇒ Ouverture de l'application aux patients
- ⇒ Étude de la V3 pour optimisation

juin 2023



Phase 3 : Optimisations V3



août 2023



Version 3 de FranceCoag

- **Thrompénies
Thrombopathies
Orphanet**
- **Registres
Collections de cas**

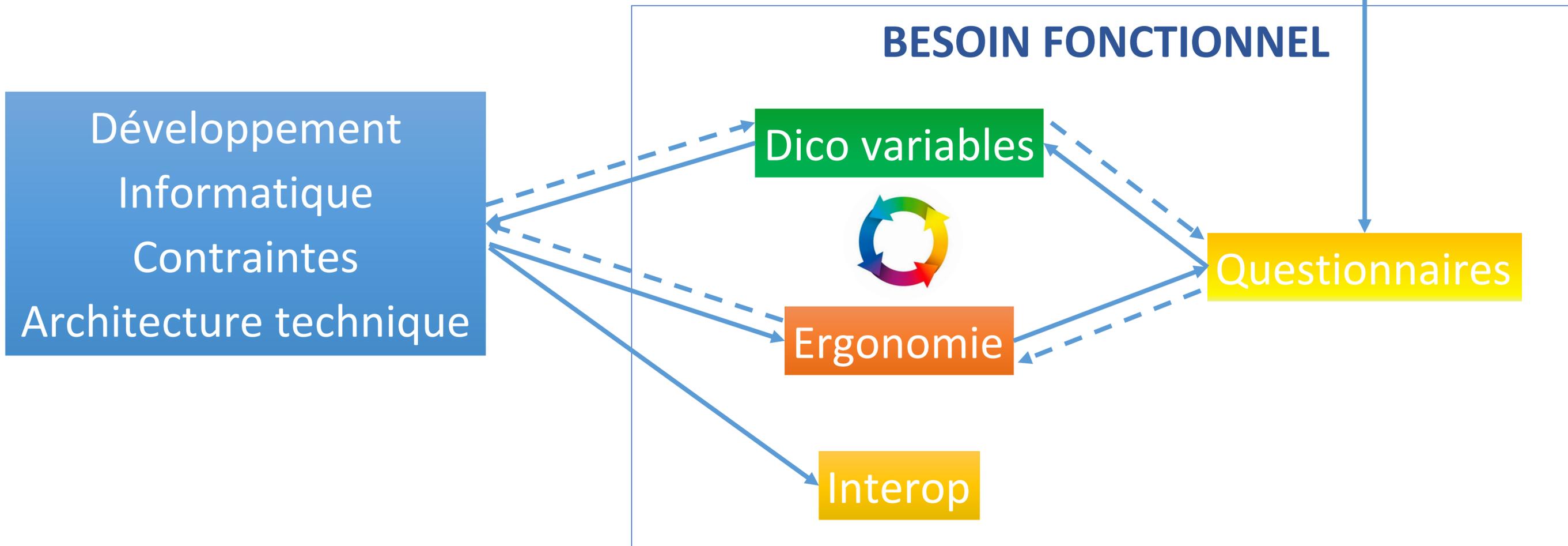
849	Disease	Thrombasthénie de Glanzmann (TGA2B, TGSB)
420566	Disease	Troubles hémorragiques par déficit en CalDAG-GEFI (RASGRP2)
99844*	Disease	Troubles hémorragiques par déficit en kindline 3 (gène FERMT3) (LADIII)
36355	Disease	Troubles hémorragiques par anomalie du récepteur P2Y12 (P2RY12)
72371	Disease	Troubles hémorragiques par déficit en récepteur du collagène
98885	Etiological subtype	GPVI
98886	Etiological subtype	Alpha2 beta 1
NEW	Disease	Thrombopathie par anomalie de l'éphrine B2 (EPH2)
806	Disease	Syndrôme de Scott (SANC6)
52530	Disease	Maladie de willebrand de type plaquettaire (GF18A)
	Group of phenomes	Thrombopathie par anomalie de la voie de l'acide arachidonique
220443*	Disease	Troubles hémorragiques par déficit de synthèse de la thromboxane
NEW	Disease	Troubles hémorragiques par déficit en TXAR
477787	Disease	Maladie hémorragique par déficit en phospholipase-A2 alpha cytosolique - gène PLA2G4A
98456	Group of phenome	Maladies hémorragiques rares par thrombopathie dues à une anomalie des granules denses
167	Disease	Syndrôme de Chediak Higashi (Lys1)
79430	Disease	Syndrôme de Bernardy Pufflack (SHF)
231500	Etiological subtype	SHF avec fibrose pulmonaire (HPS1 et HPS4)
183678	Etiological subtype	HPS2 avec neutropénie (AP3B1)
231512	Etiological subtype	HPS3, HPS5, HPS6
231531	Etiological subtype	HPS7 (DTNBP1)
231537	Etiological subtype	HPS8 (BLOC1S3)
280663	Etiological subtype	HPS9 (BLOC1S6)
	Thrombopathie associée à un syndrome	
648*	Disease	Syndrôme de Noonan (PPN1)
79477*	Etiological subtype	Griscelli syndrome type 2 (Ra27a)
2697*	Disease	ARC syndrome (VPS33B - VIPAS39)
1802*	Disease	Syndrôme de Ghosal (dysplasie diaphysaire - anémie) (TXAS1)
94089*	Disease	Pseudothrombocythémie type 1 : syndrome hémorragique par anomalie de GNA
132645*	Disease	Déficit du transport vésiculaire cérébral de la dopamine et de la sérotonine (SLC18A2)
	Dans le cadre des thrompénies	
275729	Group of phenomes	Maladie hémorragique rare par thrombocytopénie constitutionnelle
477797	Group of phenomes	Maladie hémorragique rare par thrombocytopénie constitutionnelle isolée (non syndromique)
248340	Disease	Thrombopénie avec déficit en granules denses (anomalie de FL11 ou de RUNX1)
466806	Etiological subtype	Thrombopénie autosomique dominante avec défaut de sécrétion plaquettaire=Macrothrombopénie par anomalie de messagers intracellulaires (DLFN 14)
NEW	Disease	Thrombopénie normocytaire par mutation NFE2
268322	Disease	Thrombopénie héréditaire avec plaquettes normales CYCS, IKAROS-IKZF5, MASTL, WAS
168629	Etiological subtype	CYCS, IKAROS-IKZF5, MASTL
852	Etiological subtype	Thrombopénie liée à l'X gène WAS
		Thrombopénie familiale avec prédisposition à la LAM=Thrombopénie par anomalie des facteurs de transcription exposant à un risque de leucémie =
71290	Disease	Anomalies plaquettaires familiales avec prédisposition aux leucémies aigües myéloïdes=FPD/AML-HPDMM=HPS/AML - lié au gène ETW6 ou gène RUNX1 ou ANKRD26
566192	Disease	Thrombopénies à petites plaquettes congénitales AR (Fv6)
NEW	Disease	Thrombopénie par anomalie du récepteur G6B (C6orf25)
220462	Group of phenome	Macrothrombopénie héréditaire isolée
363727	Disease	Anémie dysérythroïdique liée à l'X avec plaquettes anormales et neutropénie - gène GATA1
231993	Disease	Thalassémie bêta-thrombocytopénie liée à l'X-Bêta-thalassémie-thrombocytopénie liée à l'X gène GATA1-XXLT
67044	Disease	Thrombocytopénie avec anémie dysérythroïdique congénitale - lié au gène GATA1 «Anémie dysérythro-poïétique congénitale avec thrombocytopénie-Syndrôme d'anémie dysérythro-poïétique congénitale-thrombocytopénie lié à l'X
438207	Disease	Macrothrombocytopénie sévère autosomique récessive due à PRKAG3
274	Disease	Syndrôme de Bernard Soulier (GPIIb/IIIa)
		Macrothrombopénie autosomique dominante
140957	Disease	Etiological subtypes: ACTN1, TUBB3, TPM4, GPIIB, GF118, GPIIb1a
734	Disease	Thrombopénie avec déficit en granules alpha et delta (gène GF118)
98455	Group of phenome	Macrothrombopénie héréditaire isolée avec une anomalie des granules alpha
721	Disease	Syndrôme des plaquettes grises (gène NBEAL2)
370127	Disease	macrothrombopénie de Medich (pas de gène associé)
220436	Disease	Syndrôme québec (gène PLAU)
370131	Disease	Thrombocytopénie de white (pas de gène associé)
851	Disease	Paris troussau
101022	Disease	Macrothrombopénie méditerranéenne (pas de gène associé)
	Group of phenom (à créer)	Amégacaryocytose
3219	Disease	Thrombocytopénie amégacaryocytaire congénitale=CAMT
397692	Disease	Aplasie isolée héréditaire (THPO et MPL)
47794	Group of phenomes	Thrombocytopénie constitutionnelle syndromique
98892*	Disease	hétérotopie nodulaire périventriculaire=Macrothrombopénie par anomalie des protéines du cytosquelette (FLNA)
2882*	Disease	Sitosterolemie (ABCG5 ou ABCG8)
2307*	Disease	Syndrôme de McCune-Albright (GAL4)
567*	Disease	Syndrôme de délétion 22q11 (DiGeorge)
480851	Disease	Thrombocytopénie héréditaire avec myélofibrose à début précoce=Thrombocytopénie par anomalie de SRC (atteinte osseuse, myélofibrose, édentation)
182050	Disease	Syndrôme MHN9
71289	Disease	Syndrôme de myostose radio-ulnaire-thrombocytopénie amégacaryocytaire=Syndrôme ATRUS / RUSAT (HOKA11)
494444	Disease	Syndrôme de surdité neurosensorielle-thrombocytopénie associée à DIAPH1
3204	Disease	Syndrôme de Stormorken Sjaastad-Langlet (STIM1)
2308	Disease	Syndrôme de Jacobson (HHL1) (q23.3)
487796	Disease	Syndrôme de macrothrombocytopénie-lymphoedème retard de développement-dysmorphie faciale-ctenodactylie=syndrôme de Takenouchi-Kosaki (CDC42)
261323	Disease	Syndrôme de microdélétion 21q22.11q22.12=Monosomie 21q22.11q22.12+Del(21)(q22.11q22.12)
602	Disease	Myopathie liée à GNE
		Wikloft Aldrich (WAS)
906	Disease	NB - Etiological subtypes (sans déficit immunitaire 852)
534*	Disease	Syndrôme de New (CCR1)
220448	Disease	Macrothrombopénie avec insuffisance mitrale (pas de gène associé)
308487*	Disease	Déficit en galactose épimérase (gène GALE). Degré de sévérité très variable. Existe des formes à expression purement hématologiques
3330	Disease	TAI syndrome (gène RBM8)
1775	Disease	Dyskératose congénitale. Le DC possède un large spectre phénotypique. L'entrée dans la maladie peut être une thrombopénie (TERT)
316*	Disease	Erythrokatodermie (gène KDSR)

Questionnaire plaquettes



Ateliers commande initiale

Transposition cahier des charges
→ document de spécifications

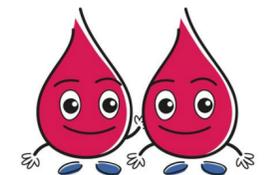


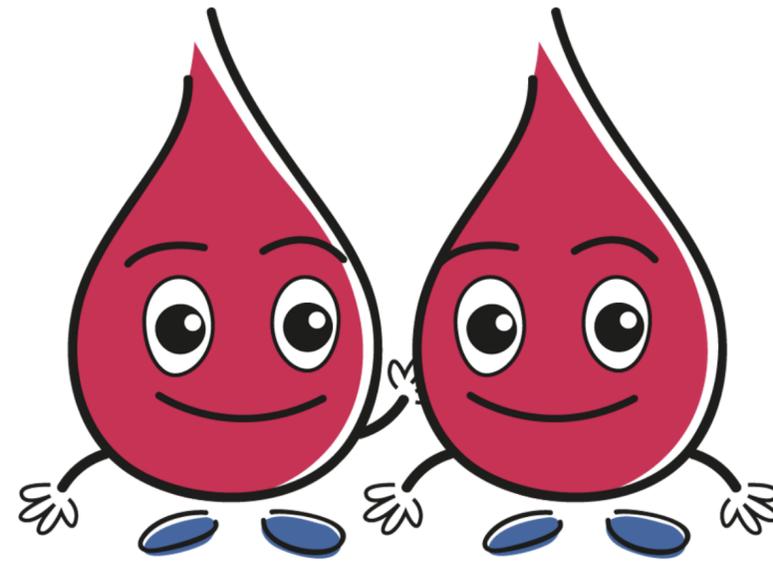
Financement

- **Financement MIG** 435k€ par an (coordination, informatique, monitoring, qualité)
- **Déploiement d'un partenariat industriel** 600k€
→ **Aide au centres saisie des données** (ARC centres)
- **Contractualisation avec les centres** pour financement sur nombre de visites FC réalisées par rapport au programme attendu
- **Première phase : estimatif des files actives**
(patients 2021 dossier labellisation CRPP / BaMaRa)
- **Réajustement annuel sur les files actives réelles**

Prochaines étapes

- **Note d'information** toutes pathologies confondues prête à emploi et validée par la CNIL
- **Soumission CNIL V3** imminente
- **Phase pilote d'inclusion dans la V2 pour Glanzmann**
 - **Phase test de quelques mois** : Bordeaux Bicêtre Marseille
 - **Capacité inclusion patients Glanzmann** : consentement, visite d'inclusion
 - **Données ultérieurement rapatriées dans V3** (questionnaire de rattrapage)





Merci de votre attention !