

Chères adhérentes, chers adhérents,

15^{ème} bulletin, 15 comme l'âge de notre association créée en octobre 2005. Ainsi, nous serons amenés à fêter début 2021 l'anniversaire de notre petite mais toujours aussi active association. Active car certaines de nos activités sont même présentées auprès d'autres associations et auprès des professionnels de la santé. Il en est ainsi de nos ateliers "annonce du diagnostic". L'AMVF a réalisé avec l'aide de Filfoie (filière des maladies rares du foie) et du Centre de Référence des Maladies Vasculaires du Foie (CRMVF) une vidéo sur l'annonce du diagnostic, à la fois un acte médical compliqué pour le médecin et un instant court impactant la vie du patient.

Cette vidéo est le résultat d'un travail commencé en 2012 lorsqu'un groupe de bénévoles, patients ou proches de patients, s'est réuni afin d'établir une liste des points leur paraissant les plus importants à partir de leurs expériences. Leurs réflexions n'avaient pas prétention d'être scientifiques ni moralisatrices mais se voulaient simplement une aide pour renforcer les relations personnel soignant/ malade à cette étape précise sur le chemin de la maladie. Ces points ont été listés : ce qui paraît bien, et en parallèle ce qu'il faudrait éviter. Cette première liste a ensuite été retravaillée avec les psychologues cliniciennes afin de tenir compte également de l'impact de l'annonce sur le professionnel de santé.

Par la suite, le CRMVF a proposé à l'AMVF d'organiser des ateliers sous forme de mise en situation avec externes et internes. L'un d'entre eux devant jouer le rôle du médecin et un bénévole de l'association celui du patient. A la fin un débriefing est effectué.

Filfoie a alors proposé que ces ateliers soient filmés et publiés sur Internet afin de sensibiliser un maximum de médecins sur l'importance de cette annonce pour les patients mais également pour les médecins. C'est maintenant chose faite. Cette vidéo a été présentée lors de notre assemblée générale du 29 février 2020 et vous pouvez la retrouver sur notre site Internet www.amvf.asso.fr

L'AMVF souhaite poursuivre ce travail en allant au-delà de ce premier film en le complétant par une série de vidéos explicatives sur les attitudes à avoir et celles à éviter.

Merci à tous ceux ayant permis la réalisation de ce travail.

Je vous souhaite une bonne lecture de ce bulletin consacré à la banque nationale des données des maladies rares.

Stéphane Coutin
Président AMVF

LA BANQUE NATIONALE DE DONNEES MALADIES RARES (BNDMR)

Présentation de la BNDMR



Le ministère des Solidarités et de la Santé a entrepris ces dernières années la mise en place de moyens importants pour les patients concernés par les maladies rares au travers du Plan National Maladies Rares (PNMR, plan quinquennal renouvelé à trois reprises). Ces plans prévoient notamment la mise en place de la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR).

Cet entrepôt de données de santé servira notamment, selon le PNMR 3, à un « *pilotage stratégique et médical des Centres de Référence Maladies Rares (CRMR), fournira les indicateurs nécessaires au suivi du plan et permettra la mise en place d'études pouvant générer de nouvelles connaissances sur les maladies rares, les pratiques professionnelles ou la faisabilité d'essais cliniques.* »

Objectifs de la BNDMR

Mieux documenter le malade et sa maladie

Offrir un support commun de documentation pour tracer l'histoire de la maladie chez les patients atteints d'une maladie rare lorsqu'ils sont pris en charge dans le réseau national.

Mieux organiser le réseau de soins

La constitution d'une base de données commune aux centres de référence et de compétences maladies rares permet de mieux décrire la demande de soins et son adéquation avec l'offre, par exemple en proposant des analyses territoriales de distance d'accès aux soins.

Rendre visible l'activité maladies rares et aider au reporting réglementaire

Proposer un outil de suivi et de recueil de données d'activité permettant de tracer et de rendre compte des hospitalisations, des consultations ou des avis sur dossier (en téléconsultation par exemple) et faciliter la remontée d'informations vers les tutelles (rapports d'activité annuels des centres de référence, rapports d'activité des filières de santé maladies rares...).

Faciliter la recherche dans le domaine

Faciliter le recrutement de patients atteints de maladies rares lors des phases d'étude de faisabilité pour la mise en œuvre de cohortes maladies rares (études pharmacologiques, histoire naturelle des maladies, etc.).

Mieux exploiter le potentiel des grandes bases de données nationales

Permettre le chaînage avec le système national de données de santé (SNDS) qui regroupe les grandes bases de données nationales (PMSI, SNIIRAM...) pour :

- produire des connaissances médico-économiques sur les maladies rares ;
- mettre en place des études épidémiologiques pour mieux évaluer la prévalence et l'incidence des maladies rares.

Gouvernance de la BNDMR

Le comité de pilotage de la BNDMR a été officiellement constitué en 2013. Suite à la signature de la convention entre le ministère en charge de la santé et l'APHP relative au pilotage de la BNDMR en septembre 2015, un nouveau comité de pilotage a été instauré. Il dirige et supervise la mise en place et le suivi de cette mission, notamment l'organisation générale, la répartition, l'évolution et la validation des travaux et le respect du calendrier. Il valide un programme de travail annuel et le montant du budget qui en découle.

Le comité de pilotage est présidé par le directeur général de l'offre de soins ou son représentant et est composé comme suit :

Représentants de l'Etat avec voix délibérative

- Un représentant de la Direction générale de la santé (DGS) ;
- Un représentant du ministère chargé de l'enseignement supérieur et de la recherche ;
- Un représentant de l'Agence Régionale de Santé d'Île-de-France (ARSIF).

Représentants institutionnels et associatifs avec voix délibérative

- Le président du comité scientifique de la BNDMR ;
- Le directeur d'Orphanet, ou son représentant ;
- Un représentant de l'INSERM ;
- Un représentant de la Fondation Maladies Rares ;
- Un représentant de l'Alliance maladies rares ;
- Un représentant de l'ASIP Santé (agence française de la santé numérique) ;
- Un représentant de RaDiCo (Programme National Cohortes Maladies Rares) ;
- Un représentant de la conférence des DG de CHU ;
- Deux représentants des coordonnateurs de CRMR désignés par la DGOS.

Des représentants de l'AP-HP assurant la maîtrise d'ouvrage de la BNDMR avec voix consultative.

Le Comité scientifique attaché à la BNDMR a un rôle de contrôle, de consultation et de proposition concernant les exploitations de données effectuées au sein de la BNDMR.

Il a pour mission de :

- valider la charte et les mécanismes de fonctionnement pour l'exploitation de la BNDMR proposés par la cellule opérationnelle ;
- définir et valider des nouveaux traitements de données à caractère national en lien avec les acteurs de terrain (sites, centres, filières) et/ou les systèmes de gouvernance définis par ces mêmes acteurs ;
- veiller notamment à s'assurer de la validité juridique des traitements et que chaque traitement est notamment porté par un responsable de traitement ;
- donner un avis sur les demandes externes d'exploitation de données ;
- donner un avis (opportunité, juridique...) sur les demandes de communication de données.

Le centre de référence des maladies vasculaires du foie et Filfoie sont partenaires au sein de la BNDMR.



Association des Malades du Foie (AMVF)



vice d'Hépatologie –

Les données collectées et les droits des patients



Le ministère des Solidarités et de la Santé a entrepris ces dernières années la mise en place de moyens importants pour les patients concernés par les maladies rares au travers du Plan National Maladies Rares (PNMR, plan quinquennal renouvelé à trois reprises). Ces plans prévoient notamment la mise en place de la Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR).

Cet entrepôt de données de santé servira notamment, selon le PNMR 3, à un « *pilote stratégique et médical des Centres de Référence Maladies Rares (CRMR), fournira les indicateurs nécessaires au suivi du plan et permettra la mise en place d'études pouvant générer de nouvelles connaissances sur les maladies rares, les pratiques professionnelles ou la faisabilité d'essais cliniques.* »

Les données concernant les patients et pouvant être utilisées dans le cadre des études sur les données de la BNDMR sont d'ordre **administratif et médical** et enregistrées lors de vos séjours à l'hôpital :

- mois et année de naissance, sexe ;
- lieu de naissance et de résidence ;
- lieu de prise en charge ;
- mois et année de prise en charge ;
- type de prise en charge ;
- diagnostic, description clinique, moment des premiers signes, moment du diagnostic.

Ces données sont collectées directement auprès du patient lors de son admission à l'hôpital ou à l'instruction de son dossier médical lors d'une consultation ou d'une hospitalisation dans le réseau maladies rares. Ces données sont pseudonymisées : les noms et prénoms n'y figurent pas. Seules les données strictement nécessaires à la réalisation de la recherche et pertinentes au regard des objectifs de la recherche sont utilisées.



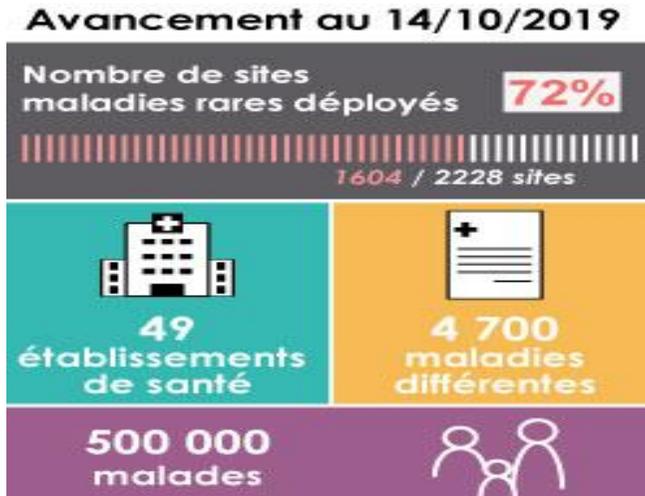
La BNDMR est autorisée par la Commission Nationale de l'Informatique et des Libertés CNIL (n° 2019-113 du 5 septembre 2019).

Les patients disposent d'un :

- droit d'**accès** aux données personnelles le concernant ;
- droit de **rectification** de données inexactes, incomplètes ou équivoques ;
- droit d'**opposition** à l'usage de ses données ou de celles de ses enfants âgés de moins de 15 ans ;
- droit d'**effacement** de ces données ou droit à l'oubli ;
- droit à la **limitation** du traitement.

Pour **exercer ces droits** : s'adresser au délégué à la protection des données de l'APHP (dpo@aphp.fr) ou bien compléter le formulaire en ligne disponible à l'adresse http://bndmr.fr/transparence/mes_droits

Si le patient s'oppose, ses données ne seront pas utilisées à des fins de recherche. Son opposition est valable pour toutes les études sur données de la BNDMR. Cette opposition n'affectera en rien la qualité des soins ni la relation avec le médecin qui le soigne. Cependant, dans l'intérêt public, elles seront tout de même utilisées pour le pilotage des politiques publiques.



Les études réalisées à partir des données de la BNDMR

Il s'agit exclusivement de recherches non-interventionnelles dans le domaine de la santé, telles que :

- le pilotage des politiques publiques, par la création et la publication d'indicateurs et l'établissement d'un rapport annuel sur les maladies rares ;
- des études de faisabilité d'essais cliniques ;
- des recherches multi-CRMR justifiées par l'intérêt public ;
- des recherches médico-économiques justifiées par l'intérêt public, impliquant la BNDMR et le Système National des Données de Santé (SNDS), dont celles décrites dans le protocole intitulé PARCOURARE, publié sur le site de la BNDMR.

Les personnes pouvant accéder aux données pour la réalisation d'étude

L'AP-HP est le « responsable de traitement », au sens du Règlement Général sur la Protection des Données (RGPD). Elle s'engage à garantir la sécurité du stockage des données à caractère personnel vous concernant. La cellule opérationnelle BNDMR fait partie de l'AP-HP.

Les professionnels de la cellule opérationnelle BNDMR, qui réalisent certains traitements, pourraient accéder à vos données pseudonymisées.

Pour les études qui ne sont pas réalisées par la cellule opérationnelle BNDMR, les chercheurs pourront soit effectuer leurs études depuis un poste informatique de la cellule opérationnelle

BNDMR, et sous supervision de celle-ci, soit demander l'extraction des données. Dans ce second cas, ils devront prouver qu'ils disposent d'un système informatique suffisamment sécurisé.

En tout état de cause, pour les études qui ne sont pas réalisées par la cellule opérationnelle BNDMR, les professionnels habilités :

- ont accès uniquement aux données demandées dans le cadre du projet de recherche qu'ils souhaitent réaliser et pour lequel ils ont obtenu l'avis favorable du Comité Scientifique (ce projet devant au préalable être conforme à la réglementation) ;
- sont soumis à des règles de conservation et de confidentialité et à la réglementation en vigueur dans ce contexte de recherche.

BaMaRa: l'application de recueil des données (BAsE MALADIE Rares)

BaMaRa est l'application web que l'AP-HP met gratuitement à la disposition de chaque établissement de santé partenaire du projet. Une fois déployée, elle offre aux professionnels des centres de référence et de compétences maladies rares la possibilité de collecter et d'exploiter eux-mêmes leurs données maladies rares.

Elle permet de recueillir dans le cadre du soin, un set de données minimum national (SDM) pour tous les patients atteints de maladies rares en mode « autonome », c'est-à-dire par une saisie directe dans l'application. Cette solution est proposée lorsque le recueil du SDM n'est pas (encore) possible dans le dossier patient informatisé de l'hôpital partenaire (mode connecté). Les données recueillies ou transmises à BaMaRa sont versées dans la BNDMR.

Le recueil de données dans BaMaRa ne nécessite pas de signature de consentement de la part du patient. L'hôpital partenaire doit rédiger une information (principe de non-opposition). Elle doit être affichée dans les différents lieux de prise en charge du patient (salles d'attente, box de consultations etc.), ainsi que, le cas échéant, mise à disposition dans le guide d'accueil des personnes hospitalisées.

Quelques données sur les maladies vasculaires du foie

A fin 2019, 10 300 patients touchés par une maladie rare du foie ont été enregistrés par les centres de référence et de compétences dont 2 740 atteints d'une maladie vasculaire du foie. La répartition de ces patients par pathologies est la suivante :

Cholangiopathie ischémique	15
Dilatation sinusoidale / Péliose hépatique idiopathique	23
Fistule portosystémique congénitale / shunt congénitaux portosystémiques	77
Hémangioendothéliome épithélioïde	12
Maladie veino-occlusive hépatique / syndrome d'obstruction sinusoidale	93
Syndrome de Budd-Chiari	357
Thrombose veineuse portale (TVP) /thrombose portale primitive	1 495
Hyperplasie nodulaire régénérative du foie	360
Veinopathie portale oblitérante / Sclérose hépato-portale	308

REFUS PRISE EN CHARGE 100%

Si votre caisse d'assurance maladie vous refuse une prise en charge à 100% des traitements et des soins pour une pathologie liée à une maladie des vaisseaux du foie, que ce soit pour une première demande ou un renouvellement, n'hésitez pas à nous contacter.

ASSURANCE EMPRUNTEUR



Si vous rencontrez des problèmes pour souscrire une assurance emprunteur dans le cadre d'une opération immobilière ou d'une prévoyance, vous pouvez contacter l'un des professionnels suivants.

Courtiers d'assurances

Solidaires Assurances

2 square La Fayette 49000 ANGERS

Tél : 02 96 86 87 41

gestion@solidaires-assurances.fr

<https://www.solidaires-assurances.fr>

Patrim One

Mme Anne-Laure Viel

33 rue de Naples 75008 Paris

Tel : 01 42 99 60 25.

aviel@patrimoine.com

Monsieur Jean-Pierre DUFOUR

Tel : 06.85.66.41.29

jeanpierredufour1@wanadoo.fr

Autres liens:

- **France Assos Santé** (Union Nationale des Associations Agréées d'usagers du Système de Santé)
Tel: 01 53 62 40 30
www.france-assos-sante.org
Lundi – mercredi & vendredi: 14 h 00 – 18 h 00
Mardi & jeudi : 14 h 00 – 20 h 00
- **AERAS (S'Assurer et Emprunter avec un Risque Aggravé de Santé)**
www.aeras-infos.fr

Il n'existe aucun partenariat entre l'AMVF et les courtiers d'assurances listés ci-dessus. L'AMVF intervient uniquement dans le cadre d'une simple mise en contact entre le patient et ces professionnels de l'assurance conformément à l'article R 511-3 III du code des assurances et ne perçoit aucune rémunération.

PERMANENCES 2020

Nos permanences rencontrent un franc succès puisque nous recevons jusqu'à 10 personnes par matinée. Aussi, il a été décidé de les renforcer.

Elles ont lieu désormais le **1^{er} lundi de chaque mois de 9h à 16h** (consultation du Dr Plessier) et **trimestriellement le mardi** (1er du mois) pour recevoir les patients du Pr Rautou et des Drs Payencé et Goria.

Des permanences sont également organisées en province à Rouen, Caen et Toulouse avec la participation d'adhérents (Liliane Véniat, Carole Rémigereau et Delphine Aznar) et l'aide des médecins des hôpitaux concernés. Nous les remercions tous vivement.

Voici les dates prévisionnelles :

- A Beaujon

- **les lundis de 9h à 16h** : 6 janvier, 3 février, 2 mars, 4 mai, 8 juin, 7 septembre, 5 octobre, 2 novembre, 7 décembre.
- **les mardis de 9h à 17h**: 3 mars et 9 juin, 8 septembre, 8 décembre.
Exceptionnellement pas de permanence en avril

- En province :

- **au CHU Rangueil à Toulouse** : La toute première permanence à Toulouse a été fixée le 23 mars de 10h00 à 16h00. N'hésitez pas à vous renseigner auprès du secrétariat du professeur Bureau.
- **au CHU de Rouen** : le 23 mars.
- **au CHU de Caen** : la date de cette permanence n'est pas encore été fixée au moment de la publication de ce bulletin.

N'hésitez pas à pousser la porte, vous êtes les bienvenus.

COURSE DES HEROS LE 21 JUIN 2020 à Paris - Parc de St-Cloud

L'AMVF sera présente pour la 8^{ème} fois au plus grand événement sportif de collecte. Les adhérents le souhaitant peuvent dès à présent s'inscrire (15 euros) au bénéfice de l'AMVF en cliquant sur le lien <https://www.coursedesheros.com> et démarrer ensuite leur collecte de dons afin de recueillir au moins 250 euros avant le 17 juin pour courir ou marcher.

Chacun choisi son challenge parmi les niveaux proposés.

Comme chaque année, il est également possible de venir encourager nos coureurs, et partager ensuite un pique-nique dans la joie et la bonne humeur.

Merci de faire connaître autour de vous cette manifestation et d'inviter vos proches à soutenir financièrement un coureur de l'association.



Depuis 2013, l'AMVF a recueilli environ **40 000** euros. Merci à nos fidèles soutiens.

Avec la Maladie, Vive la Forme

N'hésitez pas à consulter notre site internet et notre page FaceBook.