

Ouverture de séance



BNDMR et PNMR3

Anne-Sophie Lapointe (PhD)
Cheffe de projet adjointe mission « Maladies rares »
Ministère des solidarités et de la santé

3 juillet 2020 – Séminaire des utilisateurs



 bndmr.fr

Les enjeux majeurs autour du patient atteint par une maladie rare

Patient : mieux connaître sa maladie / conseils personnalisés : enjeu d'efficacité du soin

CCMR/CRMR/CRC : pharmacovigilance, PNDS-PFMG-arbres de diagnostic- enjeu de recherche

Médecine de ville : Informer sur les maladies rares pour orientation des patients, réduire errance diagnostique en amont des centres experts
enjeu de formation

Population générale : épidémiologie et santé publique –
enjeu de culture de la donnée

Renforcer la structuration des bases de données pour accroître le potentiel de recherche

Axe 1 : Observatoire du diagnostic +
Structurer les activités de foetopathologie +
Constitution d'un registre national dynamique
des personnes en impasse diagnostique

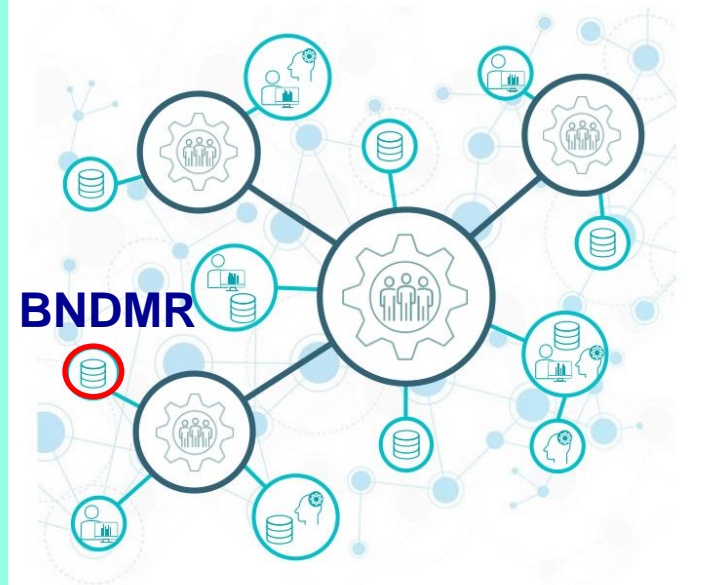
Axe 3 : Déploiement de la BNDMR dans les
CRMR en lien avec les systèmes d'information +
liens entre RaDiCO et la BNDMR

Axe 4 : Suivi des traitements

Axe 5 : EJP-RD : l'appariement et le partage
des données à l'échelle européenne

Axe 10 : Favoriser l'implémentation de bases de
données maladies rares – travail étroit avec les
FSMR

Axe 11 : Orphanet avec un soutien à la
production, l'actualisation et la diffusion de la
nomenclature ORPHA,



Hub central ou local, intégrant une
gouvernance, des compétences et un
accès à la plateforme technologique

- Expertise (médicale, juridique, données...)
- Utilisateurs du Hub
- Producteurs de données

FORCES

- Transparence
- Coordination FSMR et BNDMR + Fiabilité des acteurs
- Structuration rigoureuse : COPIL BNDMR / COSCi BNDMR / DGOS / APHP
- Soutien Politique : actions PNMR3
- Dialogue constant = ajustements au fil de l'eau

FAIBLESSES

- Viser une standardisation nationale du remplissage (réponse PNMR3 = lettre d'engagement sans diag)
- Impliquer tous les CCMR/CRMR/CRC pour exhaustivité = sensibiliser en continu les médecins (réponse PNMR3 = plateformes d'expertise MR & FSMR)
- Viser à un mode connecté pour l'ensemble des hôpitaux où il y a un centre (R = pilote Dpi-MR)
- MAJ des ORPHACODES : codification et interopérabilité (R = Financement d'un poste dédié aux FSMR)

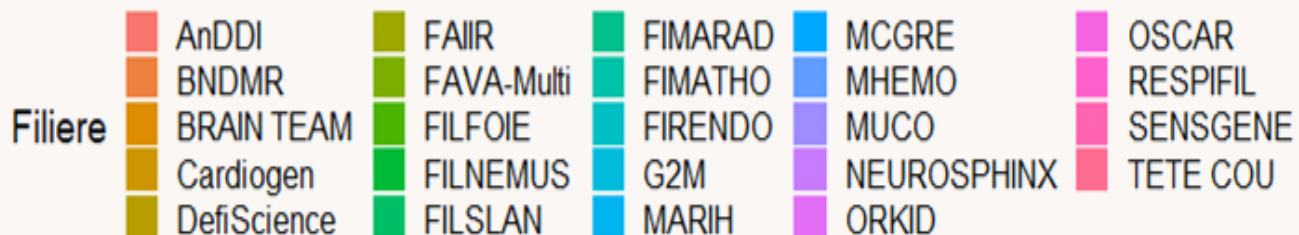
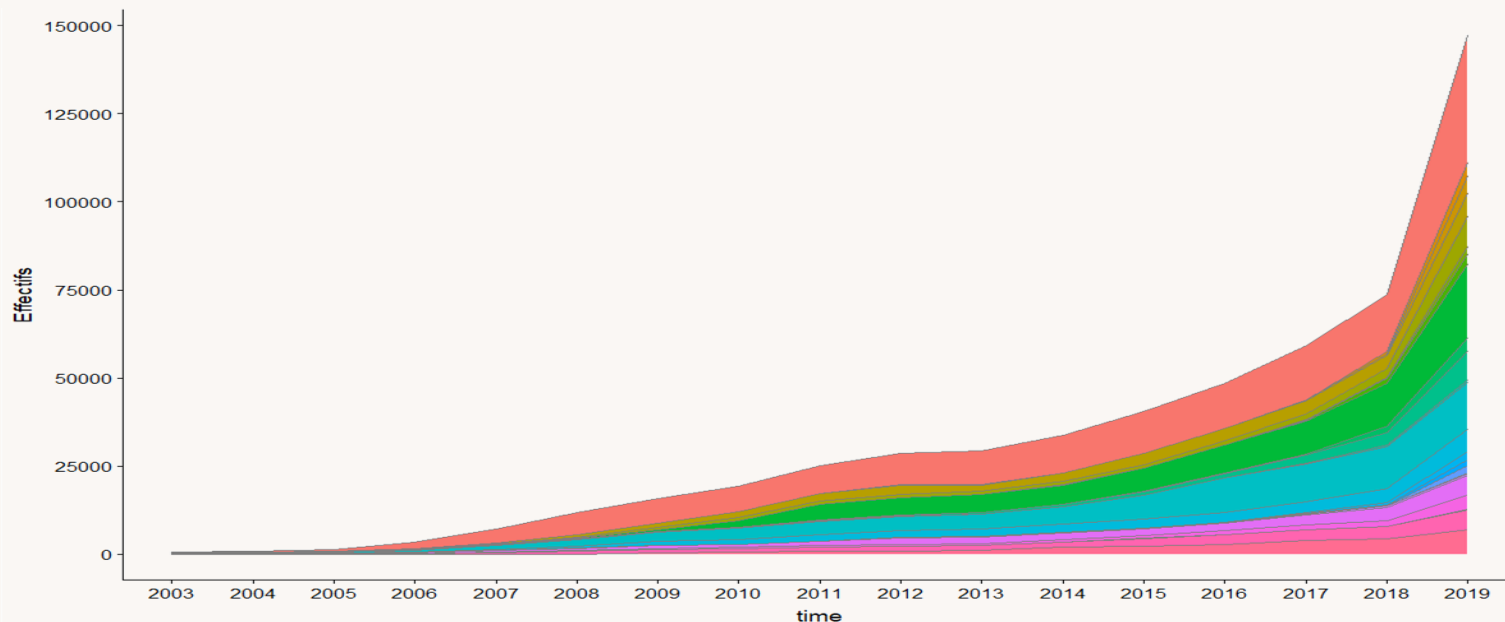
OPPORTUNITÉS

- Histoire naturelle maladie
- Publications
- Une base unique en Europe
- Valorisation des données : structurer les demandes d'exploitation
- Essais cliniques + recrutements
- Indicateurs de suivi de politique publique = indicateurs PNMR3
- **Interopérabilité** avec des registres externes + Health data Hub / DMP / Ma santé 2022

RISQUES

- Veiller à la qualité et la pertinence des données
- Sécurisation des données / démarches réglementaires et juridiques
- Manque d'ARC / TEC : pour une bonne incrémentation des données et une formation des professionnels + difficultés de recrutements

La représentativité de chacune des 23 filières progresse chaque année



MERCI