



**Ministère de la santé
et des solidarités**

**DIRECTION DE L'HOSPITALISATION
ET DE L'ORGANISATION DES SOINS**

Dr Alexandra FOURCADE

☎ : 01.40.56.70 09

Alexandra.FOURCADE@sante.gouv.fr

Guillaume HUART - ☎ : 01.40.56.51.26

Guillaume.HUART@sante.gouv.fr

DIRECTION GENERALE DE LA SANTE

Dr Carole CRETIN - ☎ : 01 40 56 60 00

Carole.CRETIN@sante.gouv.fr

Dr Lydia VALDES - ☎ : 01 40 56 53 63

Lydia.VALDES@sante.gouv.fr

Paris, le

Le Directeur de l'hospitalisation et
de l'organisation des soins

Le Directeur général de la santé

à

Mesdames et Messieurs les directeurs
des agences régionales de l'hospitalisation
(pour mise en œuvre)

Mesdames et Messieurs les préfets de région
Directions régionales des affaires sanitaires et
sociales (pour mise en œuvre)

Mesdames et Messieurs les préfets de
département
Directions départementales des affaires sanitaires
et sociales (pour information)

Mesdames et Messieurs les directeurs des
centres hospitaliers universitaires
(pour information et mise en œuvre)

Circulaire DHOS/DGS/O4/SD5D/2006/33 du 23 janvier 2006 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares » .

NOR :

Résumé : Les maladies rares ont été retenues comme une des cinq priorités de la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004. Un plan national a été annoncé par le Ministre des Solidarités, de la Santé et de la Famille le 20 novembre 2004. L'un des axes de ce plan prévoit la mise en place de centres de référence labellisés pour une maladie ou un groupe de maladies rares. Les appels à projets 2004 et 2005 ont permis de labelliser 67 centres de référence de maladies rares répondant aux critères du cahier des charges de la labellisation. La présente circulaire définit les modalités de l'appel à projets national 2006 qui permettra la labellisation de nouveaux centres de référence en précisant notamment les champs thématiques restant à couvrir dans le domaine des maladies rares. Les projets sont à adresser à la **DHOS avant le 28 février 2006** et seront soumis à une procédure d'expertise indépendante identique à celle des appels à projets 2004 et 2005.

Annexes :

- A 1 - Dossier de demande pour obtenir une labellisation de centre de référence de maladies rares
- A 2 - Guide pour remplir le dossier de demande
- A 3 - Typologie des groupes de maladies rares
- A 4 - Calendrier de l'appel à projets maladies rares 2006
- A 5 - Centres labellisés en 2004 et 2005
- A 6 - Procédure d'examen des candidatures

Mots-clés :

maladies rares - appel à projets - labellisation et financement des centres de référence.

Textes de référence :

- Loi n°2004 - 806 du 9 août 2004 relative à la politique de santé publique publiée au Journal officiel du 11 août 2004,
- Arrêté du 9 août 2004 portant création du Comité national consultatif de labellisation des centres de référence de maladies rares publié au Journal officiel du 9 septembre 2004,
- Arrêté du 19 octobre 2004 portant nomination au Comité national consultatif de labellisation des centres de référence de maladies rares publié au Journal officiel du 27 octobre 2004
- Arrêté du 19 novembre 2004 portant labellisation de centres de référence pour la prise en charge des maladies rares publié au Journal officiel du 28 novembre 2004.
- Arrêté du 6 octobre 2005 portant labellisation de centres de référence pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares publié au Journal officiel du 21 octobre 2005
- Circulaire DHOS/DGS 2004 n°245 du 27 mai 2004 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour la prise en charge de maladies rares »,
- Circulaire DHOS/DGS/2005 n° 129 du 9 mars 2005 relative à l'appel à projets auprès des centres hospitaliers universitaires en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares »

La présente circulaire a pour objet de lancer l'appel à projets 2006 pour la labellisation de nouveaux centres de référence maladies rares. Il s'agit d'une mesure du plan national maladies rares 2005-2008 inscrit dans la loi relative à la politique de santé publique du 9 août 2004, annoncé par le ministre des solidarités, de la santé et de la famille le 20 novembre 2004. Cet appel à projets vise à structurer l'offre de soins autour d'un nombre limité de centres experts, dits « centres de référence labellisés » et à organiser, à partir de ces centres, une filière de soins permettant d'améliorer la qualité de la prise en charge.

Le présent appel à projets concerne prioritairement les maladies rares ou groupes de maladies rares non couverts suite au terme des appels à projets intervenus en 2004 et 2005 (annexe n°5) en tenant compte des enjeux de santé publique. La démarche de labellisation engagée par la France s'inscrit également dans un cadre européen. La Commission européenne travaille prioritairement en 2006 sur l'identification de centres de référence européens dans le domaine des maladies rares.

La désignation des centres français repose, comme en 2004 et 2005, sur une procédure d'examen de candidature (décrite en annexe n°6) et notamment sur une expertise indépendante (rapport d'experts et Comité national consultatif de labellisation) donnant au ministre de la Santé et des Solidarités un avis consultatif.

A – APPEL A PROJETS 2006 POUR L'OBTENTION DU LABEL DE CENTRE DE REFERENCE POUR UNE MALADIE OU UN GROUPE DE MALADIES RARES

I -Le champ de l'appel à projets pour 2006

I-1 - Critères d'éligibilité et périmètre du label

Sont éligibles au titre du présent appel à projets, les centres hospitalo-universitaires répondant au cahier des charges tel qu'il est prévu dans l'annexe n°1. **Les pathologies concernées sont l'ensemble des maladies rares à l'exclusion des cancers et des maladies infectieuses rares (annexe n°3).** L'Institut National du Cancer lancera, dès cette année, un appel à projets spécifique sur les prises en charge cancérologiques rares et les évolutions rares vers un cancer de certaines situations bénignes, dans le souci d'assurer une continuité dans l'amélioration des conditions de prise en charge des patients dont les pathologies ne sont pas couvertes par le plan national maladies rares.

Le label correspond à la reconnaissance de l'excellence d'une organisation médicale et d'un haut niveau de recherche dans le domaine de la maladie rare concernée. Il vise à mettre en place progressivement sur la durée du plan des structures d'expertise nationale voire internationale dans le domaine d'une ou d'un groupe de maladies rares.

Le nombre de centres de référence labellisés doit donc rester limité car ces centres sont avant tout garants :

- de l'expertise médicale et scientifique dans leur domaine,
- de la coordination en jouant un rôle de « guidance » de la prise en charge par la diffusion de protocoles et la mise en place d'outils de coordination en lien avec les autres structures qui vont assurer le suivi des malades au plus près de leur vie quotidienne.

Les centres de référence labellisés n'ont donc pas vocation à prendre en charge tous les malades atteints de maladies rares et doivent organiser autour d'eux la filière de prise en charge en lien avec des structures régionales ou interrégionales.

I - 2 - Thématiques spécifiques

Le plan national maladies rares 2005 – 2008 prévoit la labellisation d'une centaine de centres de référence de maladies rares. Suite aux appels à projets 2004 et 2005, 67 centres de référence ont été labellisés. **L'appel à projets 2006 concerne prioritairement les thématiques non couvertes au terme des appels à projets 2004 et 2005 (annexe 5).**

Certaines maladies rares ont déjà fait l'objet d'une structuration de l'offre de soins et notamment :

- l'hémophilie par la mise en place des centres régionaux de traitement de l'hémophilie, les CRTH (circulaire DHOS/DGS N°97/142 du 20/02/97),
- la mucoviscidose, par la mise en place de centres de ressources et de compétence de la mucoviscidose, les CRCM (circulaire DHOS/DGS N°502 du 22 octobre 2001),

Sans remettre en cause les démarches engagées, il importe que des centres existants puissent entrer dans une démarche de labellisation s'ils répondent aux missions définies dans le cahier des charges précité. Il appartient aux fédérations constituées pour certaines de ces pathologies de s'approprier cette démarche dans le cadre de la procédure définie par la présente circulaire **en laissant toute liberté à chaque candidat CHU de déposer un dossier..**

II -Rappel des missions et organisation des centres de référence labellisés

II - 1- Définition des centres de référence labellisés

Le centre de référence d'une maladie rare ou d'un groupe de maladies rares est un ensemble de compétences pluridisciplinaires hospitalières organisées autour d'équipes médicales hautement spécialisées.

Il assure un rôle :

- d'expertise pour une maladie ou un groupe de maladies rares,
- de recours, qui lui permet, du fait de la rareté de la pathologie prise en charge et du faible nombre des équipes spécialistes dans le domaine, d'exercer une attraction (interrégionale, nationale ou internationale en particulier européenne) au-delà du territoire de santé de son lieu d'implantation.

II -2- Missions des centres de référence labellisés

Les centres de référence ont cinq missions :

1) Assurer au malade et à ses proches une prise en charge globale et cohérente :

- en améliorant l'accès au diagnostic de la ou des maladies rares et l'accompagnement de l'annonce du diagnostic,
- en définissant et en réévaluant régulièrement la stratégie de prise en charge et le suivi pluridisciplinaire des patients dans le cadre d'une filière de soins organisée et cohérente,
- en veillant à l'information et à la formation des malades et de leur entourage.

2) Améliorer la prise en charge de proximité en lien avec les établissements et professionnels de santé :

- en identifiant des correspondants hospitaliers et acteurs de proximité qui permettent d'assurer un suivi du malade au plus près de son domicile,
- en organisant une filière de soins,
- en formant et en informant les professionnels de santé non spécialistes sur les maladies rares.

3) Participer à l'amélioration des connaissances et des pratiques professionnelles dans le domaine des maladies rares :

- en participant à la surveillance épidémiologique de la maladie,
- en réalisant des recherches et essais thérapeutiques,
- en assurant la diffusion (indications et prescriptions) et le suivi des thérapeutiques et dispositifs orphelins,
- en mettant en place des bonnes pratiques professionnelles concernant la ou les pathologies, en liaison avec les équipes nationales et internationales en particulier européennes.

4) Développer les outils de la coordination entre les différentes structures et acteurs prenant en charge la même pathologie ou groupe de pathologies.

5) Apporter aux autorités administratives les connaissances essentielles pour évaluer et piloter la politique sanitaire dans le domaine des maladies rares **et être l'interlocuteur des associations de malades** pour œuvrer à l'amélioration de la prise en charge et de la qualité de vie du malade et de ses proches.

II - 3- Organisation des centres de référence labellisés

Le centre de référence peut se composer de plusieurs sites géographiquement distincts mais formant une entité cohérente de prise en charge de la ou du groupe de maladie(s) rare(s). Le site, qui peut être un service ou une unité fonctionnelle de service, est sous la responsabilité d'un médecin, lui-même membre du centre de référence. Un centre de référence commun peut également s'organiser entre deux structures hospitalo-universitaires au plus, sous la responsabilité de deux référents, l'un des deux étant le médecin coordonnateur.

Le centre de référence est placé sous la responsabilité d'un **médecin coordonnateur** clairement identifié. Il est chargé de promouvoir un ensemble d'actions destinées à améliorer la prise en charge des malades et intégrant l'ensemble des sites :

- mise en place et coordination d'un projet médical et médico-social, en lien avec les partenaires de santé et médico-sociaux avec identification et organisation de la filière de soins permettant d'assurer la prise en charge médicale et médico – sociale de proximité du malade et de ses proches,
- animation de projets dans les domaines de la recherche et de la surveillance épidémiologique,
- promotion d'actions d'enseignement sur la ou les pathologie et les modalités de prise en charge.

III - Critères et modalités de labellisation des centres de référence

Cet appel à projets vise à labelliser des centres de maladies rares :

1) selon un cahier des charges commun à toutes les pathologies, établi par un groupe de travail pluridisciplinaire, (annexe n°1),

2) selon les thématiques prioritaires définies au point I-2.

Chaque centre candidat constitue un dossier de demande en s'aidant du guide proposé en annexe 2. L'examen des dossiers se déroule selon une procédure identique à celle des appels à projets 2004 et 2005, en quatre étapes décrites en annexe n°6.

IV – Désignation des centres de référence labellisés

En 2006, la labellisation du centre est prononcée par le ministre des solidarités de la santé par arrêté **pour une durée de cinq années**. Le centre est désigné « **centre de référence labellisé pour une maladie ou un groupe de maladies rares** ».

En cas de changement de médecin coordonnateur, une nouvelle demande de labellisation doit être faite.

V – Evaluation des centres de référence et renouvellement de la labellisation

Le label « centre de référence » est délivré pour une période de cinq ans. Il est prévu une évaluation à la fin de la troisième année de fonctionnement du centre et à la fin de la période de labellisation. Les modalités de cette évaluation sont en cours d'élaboration en lien avec la Haute Autorité de Santé, selon les mêmes principes que ceux énoncés lors des appels à projets 2004 et 2005. Dès sa mise en place, le centre de référence se fixe des objectifs chiffrés à 5 ans, met en place une démarche d'auto-évaluation centrée sur ses objectifs et le respect du cahier des charges. A la fin de la 3ème année de labellisation, le centre fait l'objet d'une évaluation externe et adresse au ministère de la santé et des solidarités le bilan de son activité réalisée dans le cadre du cahier des charges. Au terme des cinq années de labellisation, une évaluation externe du centre de référence portant sur l'ensemble de la durée de fonctionnement du centre sera effectuée. Les résultats de ces deux évaluations sont transmis au Comité Consultatif National de Labellisation pour avis et conditionneront le maintien et le renouvellement de la labellisation.

B – CENTRES DE REFERENCE ET ORGANISATION DE LA FILIERE DE SOINS

La mise en place des centres de référence labellisés constitue une première étape dans l'organisation de la filière de soins pour les patients atteints de maladies rares. Les centres de référence labellisés n'ont pas vocation à prendre en charge tous les malades atteints de maladies rares, mais doivent organiser progressivement le maillage territorial avec des structures de prise en charge.

Il apparaît donc important de compléter le dispositif de labellisation par l'identification de « centres de compétences » qui ont vocation à travailler avec les centres de référence labellisés, notamment pour orienter les malades dont le diagnostic est particulièrement complexe, mais également pour assurer dans certains cas le suivi de la prise en charge des patients.

Ainsi, le dispositif proposé dans le cadre du Plan National Maladies Rares devrait permettre de structurer à partir de 2007 une organisation graduée de l'offre de soins associant :

- un niveau d'expertise le plus souvent national ou interrégional (les centres de référence labellisés) qui permet le diagnostic et la prise en charge des cas complexes (activité de recours), la définition des référentiels et protocoles thérapeutiques, la surveillance épidémiologique et la coordination des activités de recherche ;
- un niveau de prise en charge (le plus souvent régional, les centres de compétences) permettant d'établir un diagnostic dans le cas des maladies rares les plus courantes, de mettre en œuvre une thérapeutique quand elle est disponible et d'organiser la prise en charge en lien avec les centres de référence labellisés et les acteurs et structures sanitaires et médico-sociales de proximité.

Un cahier des charges sera établi courant 2006 afin de préciser les critères permettant de qualifier les centres de compétences qui relèveront d'une organisation régionale ou interrégionales des soins à travers les SROS notamment et dont les modalités vous seront explicités dans une circulaire au cours de 2006.

C – MODALITES DE MISE EN ŒUVRE, FINANCEMENT ET CALENDRIER

L'appel à projets en vue de l'obtention du label de « centre de référence pour une maladie ou un groupe de maladies rares » pour 2006 est lancé en collaboration avec les ARH et les DRASS auprès des centres hospitaliers universitaires qui constituent un dossier de candidature selon **les étapes suivantes** :

- 1) Les dossiers de demande sont remplis et signés par le médecin coordonnateur du centre candidat et par le directeur d'établissement d'implantation du centre, avec l'avis du ou des chefs de service auquel est rattaché le centre ; en cas de centres multi-sites, le dossier de demande doit comporter les avis de chacune des instances des différents sites ;

2) Les dossiers de candidature sont soumis à l'avis de la Commission médicale d'établissement et au Conseil d'administration de l'établissement où est implanté le centre ; cet avis est consigné dans le dossier de demande ;

3) Les dossiers de demande sont adressés par le directeur d'établissement **en quatre exemplaires par courrier postal et en un exemplaire par voie électronique, à l'ARH du lieu d'implantation du centre le 28 février 2006 au plus tard;**

4) Les ARH et les DRASS examinent les dossiers, donnent un avis circonstancié, émettent une conclusion sur le dossier de candidature (avis favorable ou défavorable) et établissent ensemble un ordre de priorité des demandes de labellisation qui leur sont parvenues ;

5) Les ARH transmettent **avant le 15 mars 2006** les quatre exemplaires de demande et leurs conclusions, par voie postale au :

Ministère des solidarités, de la santé et de la famille
Direction de l'hospitalisation et de l'organisation des soins
sous-direction de l'organisation du système de soins
bureau O4
14 avenue Duquesne
75530 Paris 07 SP

Le fichier électronique du dossier et les conclusions sont adressées par voie électronique à :

Madame Chantal GIRARD
Chantal.GIRARD@sante.gouv.fr

Au delà de la date limite de réception au ministère du 15 mars 2006, aucun dossier ne sera pris en compte.

La procédure de labellisation 2006 se déroulera selon le calendrier joint en annexe N° 4. Pour accompagner cet appel à projets, une enveloppe spécifique est prévue dans le cadre de la campagne budgétaire 2006.

Le dossier de demande, son guide et les diverses annexes sont téléchargeables sur le site Internet du ministère :

www.sante.gouv.fr
rubrique « maladies » puis « maladies rares »

En cas de difficultés, nos services restent à votre disposition. Les **personnes à contacter** sont :

Dr Lydia VALDES, bureau SD5D, DGS
Lydia.VALDES@sante.gouv.fr

Guillaume HUART, bureau O4, DHOS.
Guillaume.HUART@sante.gouv.fr