

**GOVERNEMENT**

Liberté
Égalité
Fraternité

NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE N° DGOS/MMR/DGRI/2024/164 du 22 novembre 2024
relative à l'appel à projets national pour la labellisation des filières de santé maladies rares (FSMR)

La ministre de la santé et de l'accès aux soins
Le ministre de l'enseignement supérieur et de la recherche

à

Mesdames et Messieurs les directeurs généraux
des agences régionales de santé (ARS)

Référence	NOR : MSAH2430661N (numéro interne : 2024/164)
Date de signature	22/11/2024
Emetteurs	Ministère de la santé et de l'accès aux soins Direction générale de l'offre de soins (DGOS) Ministère de l'enseignement supérieur et de la recherche Direction générale pour la recherche et l'innovation (DGRI)
Objet	Appel à projets national pour la labellisation des filières de santé maladies rares (FSMR)
Contacts utiles	Direction générale de l'offre de soins Pôle de la recherche et de l'accès à l'innovation Mission maladies rares (MMR) Anne-Sophie LAPOINTE Tél. : 06 13 86 62 23 Mél. : anne-sophie.lapointe@sante.gouv.fr Direction générale pour la recherche et l'innovation Nacer BOUBENNA Tél. : 01 55 55 88 55 Mél. : nacer.boubenna@recherche.gouv.fr
Nombre de pages et annexes	10 pages + 5 annexes (10 pages) Annexe I : Liste des FSMR et leur périmètre Annexe II : Dossier de candidature Annexe III : Cartographie de la FSMR Annexe IV : Liste exhaustive des structures intégrées à la FSMR Annexe V : Liste des maladies rares couvertes par la FSMR avec les codes ORPHA associés
Résumé	Le présent appel à projets vise à labellisation des filières de santé maladies rares (FSMR) pour la période 2025-2029 sur la base d'un projet collectif de soin, de recherche et de formation impliquant l'ensemble des acteurs intervenant sur une maladie rare ou un groupe de maladies rares.
Mention Outre-mer	Ces dispositions s'appliquent aux Outre-mer, à l'exception de la Polynésie française, de la Nouvelle-Calédonie et de Wallis et Futuna.

Mots-clés	Labellisation – Maladies rares – Établissement de santé – Filières de santé maladies rares – Associations de patients.
Classement thématique	Établissements de santé
Textes de référence	<ul style="list-style-type: none"> - Règlement (CE) N° 141/2000 du parlement européen et du conseil du 16 décembre 1999 concernant les médicaments orphelins ; - Décret n° 2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares ; - Arrêté du 26 décembre 2023 portant labellisation des réseaux des centres de référence prenant en charge les maladies rares ; - NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares ; - NOTE D'INFORMATION N° DGS/PP2/DGOS/2021/106 du 20 mai 2021 relative à la mise en place d'un observatoire des traitements au sein de chaque filière de santé maladies rares.
Rediffusion locale	Établissements de santé
Inscrite pour information à l'ordre du jour du CNP du 8 novembre 2024 – N° 108	
Publiée au BO	Oui

I. INTRODUCTION

Une maladie rare est une pathologie touchant un nombre restreint de personnes, à savoir moins de 1 personne sur 2000 en population générale. Plus de 3 millions de personnes sont atteintes d'une maladie rare en France. Le plan national maladies rares (PNMR) promeut une politique de santé et de recherche ambitieuse, et met en évidence l'articulation vertueuse dans le domaine des maladies rares entre organisation des soins, production des connaissances et retour vers le patient. Le 3^{ème} plan national maladies rares (PNMR3) contient 11 axes :

- Axe 1 : Réduire l'errance et l'impasse diagnostique.
- Axe 2 : Faire évoluer le dépistage néonatal et les diagnostics prénatal et préimplantatoire pour permettre des diagnostics plus précoces.
- Axe 3 : Partager les données pour favoriser le diagnostic et le développement de nouveaux traitements.
- Axe 4 : Promouvoir l'accès aux traitements dans les maladies rares.
- Axe 5 : Impulser un nouvel élan à la recherche sur les maladies rares.
- Axe 6 : Favoriser l'émergence de l'innovation et l'accès à l'innovation.
- Axe 7 : Améliorer le parcours de soins.
- Axe 8 : Faciliter l'inclusion des personnes atteintes de maladies rares et leurs aidants. Et le lien avec les équipes relais handicaps rares.
- Axe 9 : Former les professionnels de santé à mieux identifier et prendre en charge les maladies rares.
- Axe 10 : Renforcer le rôle des filières de santé maladies rares (FSMR) dans les enjeux du soin et de la recherche.
- Axe 11 : Préciser le positionnement et les missions d'autres acteurs nationaux des maladies rares.

Des missions spécifiques sont portées par les FSMR et vont être renforcées dans le prochain plan :

- Suivre l'observatoire du diagnostic (Axe 1).
- Participer aux travaux sur le dépistage néonatal (Axe 2).
- Travailler étroitement avec la BNDMR pour favoriser le remplissage des données et la formation (Axe 3).
- Assurer un lien en inter filières de santé maladies rares à travers le groupe inter-FSMR de l'observatoire des traitements (GRIOT) (Axe 4).
- Favoriser l'élaboration des protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS), de programmes d'éducation thérapeutique des patients (ETP) et de protocoles d'urgence en lien avec les centres de référence coordonnateurs (Axe 7).
- Travailler avec les réseaux européens de référence (ERNs).

En 2023, 603 centres de référence coordonnateurs, constitutifs (CRMR) et centres de ressources et de compétences (CRC) ainsi que de 1708 centres de compétence pour la prise en charge des maladies rares (CCMR) ont été labellisés. Dans la même logique de labellisation, l'axe 10 du PNMR3 avait permis une nouvelle désignation à partir de 2018 des filières de santé maladies rares (FSMR).

Les FSMR ont été mises en place initialement en 2014 lors du PNMR2 et elles visent à rendre plus lisibles et plus transversaux les processus et organisations dans les maladies rares. Dotées de missions désormais étendues dans les domaines du soin, de la recherche et de la formation, les FSMR constituent le socle du PNMR3 et du prochain plan. Il importe, qu'elles soient confirmées dans leur rôle, de leur donner toute légitimité à leur action, pour les 5 années à venir. Le rôle des FSMR doit être clairement distingué de celui des centres de référence maladies rares. Concernant les soins, elles ne prennent pas en charge directement des personnes atteintes de maladies rares. Concernant la recherche et la formation, elles ont un rôle d'impulsion, de soutien, de promotion, de prospective de l'action présente et à venir des centres.

Rattachée à un établissement de santé et placée sous la responsabilité d'un coordonnateur médical ou d'une coordinatrice médicale, une FSMR réunit tous les acteurs impliqués dans une maladie rare ou un groupe de maladies rares : professionnels de santé, laboratoires de diagnostic, acteurs de la recherche, universités, structures éducatives, sociales et médico-sociales, associations de personnes malades, et tout autre partenaire, y compris du secteur privé, apportant une valeur ajoutée à l'action collective dans un champ de maladies rares donné.

Les FSMR collaborent entre elles et élaborent des actions communes. Ces FSMR interagissent avec les réseaux européens de référence (ERNs) sur les maladies rares mis en place en 2017 et sont impliquées dans la gouvernance du plan national maladies rares.

La labellisation des FSMR est prévue par le décret du 16 mai 2022¹ pour une durée de cinq ans. Ce décret définit les FSMR comme étant « constituées d'équipes ayant pour objectif de coordonner, sans préjudice des règles encadrant ces activités, l'action des centres de référence maladies rares et de l'ensemble des acteurs œuvrant dans le domaine de la maladie ou du groupe de maladies rares concerné ». Une FSMR contribue à garantir un continuum entre les différents acteurs engagés dans le champ des maladies rares et en premier lieu entre les CRMR qui la composent. La FSMR facilite les échanges, et aide à mutualiser, fédérer toutes les actions qui participent à une meilleure prise en charge des personnes malades.

¹ [Décret n° 2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares](#)

L'objectif de cet appel à projets est d'identifier les filières de santé maladies rares répondant aux missions décrites dans la NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares².

Le présent appel à projets vise à désigner les FSMR pour la période 2025-2029 sur la base d'un projet collectif de soin, de recherche et de formation impliquant l'ensemble des acteurs intervenant sur une maladie rare ou un groupe de maladies rares.

II. MODALITÉS DE SOUMISSION DES DOSSIERS ET SÉLECTION DES CANDIDATURES

A. Modalités de soumission des dossiers

Tout dossier de candidature au présent appel à projets doit être porté par un établissement de santé.

Un seul dossier par FSMR doit être déposé pour un périmètre de maladies rares donné.

Le dossier de candidature pour une FSMR doit être composé comme suit :

- Une présentation générale de la FSMR ;
- Une brève description du précédent plan d'actions et des réalisations de la FSMR pour la période écoulée ;
- Les projets de la FSMR pour les 5 prochaines années dans les domaines suivants :
 - Diagnostic et prise en charge
 - Recherche
 - Europe (dont les ERNs) et international
 - Formation et information
 - Bases de données et collecte d'échantillons biologiques

Pour chaque candidature de FSMR, l'établissement siège de sa coordination valide et transmet sur la plateforme Démarches Simplifiées le dossier complet de candidature à la Direction générale de l'offre de soins (DGOS). Le dossier de candidature de la FSMR devra être transmis sous format dématérialisé à l'agence régionale de santé (ARS), à savoir la direction générale et le référent maladies rares de l'ARS compétente de son territoire.

Les pièces suivantes doivent être jointes au dossier :

- Le dossier de candidature à remplir sur Démarches Simplifiées (annexe II) ;
- Un organigramme nominatif avec les fonctions du comité de gouvernance de la FSMR (annexe II) ;
- Une cartographie de la FSMR disponible sur Démarches Simplifiées (annexe III) ;
- Une liste exhaustive des structures constitutives de la FSMR (annexe IV) ;
- Le CV au format court du coordonnateur/coordonnatrice de la FSMR (mentionnant uniquement les publications en rapport avec les maladies rares faisant partie du périmètre de la FSMR) ;
- La déclaration d'intérêt du coordonnateur/coordonnatrice de la FSMR ;
- Un courrier co-signé du directeur d'établissement d'accueil de la FSMR et du président de la CME assurant notamment le soutien financier de l'établissement par délégation des crédits pour assurer les missions nationales de la FSMR dans le cadre du PNMR ;
- L'avis argumenté de chacun des responsables des CRMR coordonnateurs de la FSMR sur la candidature présentée ;
- Les avis argumentés (maximum 3) des associations de personnes malades – il est recommandé qu'elles se coordonnent.

² [NOTE D'INFORMATION INTERMINISTÉRIELLE N° DGOS/DIR/DGRI/2018/218 du 19 septembre 2018 relative aux filières de santé, aux centres de référence et aux plateformes d'expertise et outre-mer dédiés aux maladies rares](#)

Le dossier de candidature complet doit être transmis à la DGOS impérativement jusqu'au **19 décembre 2024**, 23h59 à l'adresse suivante :

<https://www.demarches-simplifiees.fr/commencer/aap-fsmr-2024>

B. Conditions de recevabilité des candidatures

- Le respect des modalités de soumission des dossiers avec pour rappel un seul dossier déposé pour un périmètre de maladies rares donné ;
- Une FSMR candidate doit s'inscrire dans l'un des périmètres listés limitativement ci-après, et s'engager à développer ses actions pour l'ensemble des pathologies incluses dans ce périmètre :
 - **AnDDI-Rares** - Anomalies du développement avec ou sans déficience intellectuelle de causes rares
 - **BRAIN-TEAM** - Maladies rares à expression motrice ou cognitive du système nerveux central
 - **CARDIOGEN** - Maladies cardiaques héréditaires ou rares
 - **DéfiScience** - Maladies rares du neurodéveloppement
 - **FAI2R** - Maladies auto-immunes et auto-inflammatoires systémiques rares
 - **Fava-Multi** - Maladies vasculaires rares avec atteinte multi systémique
 - **FILFOIE** - Maladies hépatiques rares de l'enfant et de l'adulte
 - **FILNEMUS** - Maladies neuromusculaires
 - **FILSLAN** - Sclérose latérale amyotrophique et autres maladies rares du neurone moteur
 - **FIMARAD** - Maladies rares en dermatologie
 - **FIMATHO** - Maladies rares abdomino-thoraciques
 - **FIRENDO** - Maladies rares endocriniennes
 - **G2M** - Maladies héréditaires du métabolisme
 - **MARIH** - Maladies rares immuno-hématologiques
 - **MCGRE** - Maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythropoïèse
 - **MHEMO** - Maladies hémorragiques constitutionnelles
 - **MUCO-CFTR** - Mucoviscidose et affections liées à une anomalie de CFTR
 - **NEUROSPHINX** - Malformations pelviennes et médullaires rares
 - **ORKID** - Maladies rénales rares
 - **OSCAR** - Maladies rares de l'os, du calcium et du cartilage
 - **RESPIFIL** - Maladies respiratoires rares
 - **SENSGENE** - Maladies rares sensorielles
 - **TETECOUCO** - Malformations rares de la tête, du cou et des dents
- Une FSMR candidate doit présenter une organisation et un fonctionnement structurés. Elle doit notamment être identifiée comme unité fonctionnelle ou de gestion au sein de l'établissement de santé qui l'accueille ;
- Une FSMR candidate doit s'engager à assurer l'ensemble des missions des FSMR, rappelées dans la partie C du présent appel à projets.

C. Critères d'éligibilité des candidatures

1. Éléments organisationnels et de fonctionnement

▪ Périmètre d'une FSMR

Une FSMR couvre un champ large et cohérent de maladies rares, soit proches dans leurs manifestations, leurs conséquences ou leur prise en charge, soit responsables d'une atteinte d'un même organe ou système. Une FSMR doit expliciter les liens fonctionnels entretenus ou envisagés avec des FSMR dont elle partage une partie du champ d'intervention et à la cohérence de son périmètre avec celui du (des) réseau(x) européen(s) de référence (ERNs) dont ses centres de référence dépendent.

▪ Composition d'une FSMR

Une FSMR a vocation à rassembler tous les acteurs impliqués dans une maladie rare ou un groupe de maladies rares (associations de personnes malades, laboratoires de diagnostic, structures de recherche...). Ces acteurs sont répertoriés par la FSMR : une liste est publiée sur son site internet et régulièrement actualisée, en lien avec les différents organismes concernés (agences, sociétés savantes...).

▪ Organisation d'une FSMR

Le pilotage d'une FSMR est assuré par un coordonnateur ou une coordonnatrice médicale, proposé(e) par le comité de gouvernance de la FSMR et désigné(e) par la DGOS. Son mandat couvre la période de labellisation de la FSMR, soit 5 ans.

Cette coordination est assurée par un professeur des universités - praticien hospitalier (PU-PH) en activité, qui est ou a été responsable médical à un centre de référence maladies rares.

Par dérogation, la coordination peut être assurée par un praticien hospitalier, reconnu par l'ensemble des centres de référence coordonnateurs de la FSMR pour ses compétences en termes de soins, de recherche et d'enseignement, en motivant le choix réalisé.

Une FSMR dispose, outre son coordonnateur médical, de ressources humaines dédiées, notamment un(e) chef(fe) de projet et plusieurs chargé(es) de mission thématique(s).

Les instances de gouvernance d'une FSMR et leurs modalités de fonctionnement (réunions régulières...) sont définies dans un règlement intérieur, accompagné d'un organigramme. Ce règlement intérieur est concerté et validé avec l'ensemble des acteurs dont les centres de référence coordonnateurs et les associations de personnes malades ou aidants. Ces derniers font partie des instances de gouvernance d'une FSMR. Une évaluation de la satisfaction de l'ensemble des acteurs quant au fonctionnement d'une FSMR est régulièrement réalisée et transmise à la mission maladies rares (DGOS).

▪ Budget et relations avec l'établissement d'accueil

Les modalités de l'intégration d'une FSMR au sein de son établissement d'accueil sont définies. Elle présente chaque année un budget prévisionnel et un compte de résultat, validés par son instance de gouvernance et son établissement d'accueil. Les besoins en ressources humaines sont planifiés et le suivi des personnels de la FSMR dans l'établissement d'accueil est organisé en lien avec la DRH. Chaque année, une FSMR rend compte à la mission maladies rares (DGOS) avec les instances de son hôpital de l'utilisation du budget qui lui est alloué. Une FSMR met en place des actions d'amélioration quant à son fonctionnement en lien avec son établissement d'accueil. À l'inverse, l'établissement de santé s'engage à favoriser le bon accomplissement des missions d'une FSMR.

- Communication et information

Une FSMR définit une stratégie de communication au sein de sa FSMR mais aussi en inter-FSMR afin de valoriser ses actions. Elle organise une journée annuelle et/ou plusieurs journées thématiques. Elle dispose d'un site internet régulièrement actualisé et accessible. Elle utilise des moyens de communication adaptés à son public (infolettre, réseaux sociaux...). Elle est particulièrement attentive à délivrer une information adaptée à l'égard des différentes parties prenantes (médecins traitants, personnes malades...). Elle mène ses actions de communication en coordination avec les autres FSMR et avec d'autres acteurs du champ des maladies rares (ex. Plateforme d'expertise et de coordination maladies rares). Elle évalue l'impact des actions de communication dans lesquelles elle s'investit et met en place des actions d'amélioration de sa stratégie de communication.

- Participations des patients et des aidants

Vis-à-vis des patients, la FSMR encourage un modèle de médecine participative, où les patients et leurs aidants jouent un rôle plus actif dans la définition des priorités des FSMR, notamment via des échanges réguliers.

2. Réalisations et projet à 5 ans de la FSMR

23 FSMR, désignées lors du précédent appel à projets (annexe I), ont mis en œuvre des plans d'actions structurés depuis 2018. Ces FSMR doivent justifier de la mise en œuvre de leur plan d'actions en faisant état de leurs réalisations. Le coordinateur de la FSMR s'engage à participer aux comités de pilotage des filières de santé maladies rares. Il désignera un suppléant clinicien éventuel en cas d'impossibilité pour rejoindre la réunion.

Une FSMR candidate doit également proposer un projet pour la période 2025-2029 permettant la mise en œuvre des missions suivantes, conférées aux FSMR dans le cadre du PNMR3 et du prochain plan :

Améliorer le diagnostic et la prise en charge dans les maladies rares :

- Augmenter la visibilité des structures de prise en charge dont les centres de référence maladies rares (CRMR), centres de compétence (CCMR) et, pour les FSMR concernées, centres de ressources et compétences maladies rares (CRC), pour les personnes malades, leur entourage et les professionnels en lien avec les plateformes d'expertise maladies rares au niveau local ;
- Favoriser l'organisation de la prise en charge pluridisciplinaire des patients par les CCMR ;
- Favoriser la production de protocoles nationaux de diagnostic et de soins (PNDS) par les centres de référence ou les centres de compétence et leur apporter le soutien méthodologique nécessaire ;
- Promouvoir la qualité (guide de codage, données FAIR, sécurité des données...) et l'interopérabilité des bases de données des acteurs au sein des FSMR ;
- S'assurer de la participation des CRMR/CCMR/CRC au recensement des personnes malades en impasse diagnostique et participer au registre dynamique des impasses diagnostiques organisé par la banque de données maladies rares (BNDMR) ;
- Veiller à la formalisation des réseaux de diagnostic moléculaire incluant CRMR/CCMR/CRC, laboratoires de diagnostic en partenariat avec les plateformes du plan France médecine génomique (PFMG) 2025, identifier les lacunes et les difficultés rencontrées pour le diagnostic moléculaire en veillant à l'intégration dans les pratiques cliniques de nouveaux outils diagnostiques notamment biologiques, radiologiques ou biologiques moléculaires pour les pathologies dont elle est responsable ;

- Mettre à disposition un annuaire actualisé des services et laboratoires diagnostiques impliqués dans le diagnostic et la prise en charge des maladies rares de la FSMR ;
- Réunir les informations et mettre à disposition les traitements d'intérêt par FSMR (accès précoces, accès compassionnel et cadre de prescription compassionnelle) ;
- Élaborer ou participer aux études médico-économiques concernant l'arrivée de nouveaux outils diagnostiques, traitements et/ou dispositifs médicaux ;
- Porter ou encourager des actions dans la FSMR et en inter-FSMR visant à dynamiser la transition enfant-adulte et adulte-personne âgée et plus largement visant à fluidifier le parcours de soins des personnes touchées par une maladie rare (annonce diagnostique, grossesses, urgences, ...) et diffuser pour évaluation la méthode du patient traceur ;
- Porter ou encourager l'autonomisation des personnes malades et de leur entourage, à travers notamment le soutien à l'éducation thérapeutique ;
- Contribuer à organiser une couverture de l'ensemble du territoire et un accès équitable à l'expertise, notamment en outre-mer, avec les plateformes d'expertise maladies rares et de coordination outre-mer maladies rares ; les FSMR se mobilisent pour faciliter dans leurs centres la tenue de réunions de concertation pluridisciplinaires (RCP) régionales et nationales ;
- Établir des liens avec le secteur social, médico-social et l'Éducation nationale au bénéfice des personnes malades et de leur entourage ;
- Aider les personnes touchées par une maladie rare à gérer l'information sur leur maladie et leur handicap à leur enseignant, et quand plus âgés à leur employeur ;
- Contribuer aux échanges avec les autorités de santé et la mission maladies rares (DGOS) en lien notamment avec le groupement inter-FSMR de l'observatoire des traitements (GRIOT) avec les directions d'administrations centrales, la Haute autorité de santé (HAS), l'Agence nationale de sécurité du médicament (ANSM), l'Agence de biomédecine (ABM), la plateforme maladies rares (Alliance Maladies Rares, Orphanet, Fondation Maladies Rares, Maladies Rares Info Services), etc.

Favoriser la recherche sur les maladies rares :

- Proposer des objectifs de recherche et d'innovation thérapeutique au sein de la FSMR et en inter-FSMR ;
- Concevoir et faciliter la mise en place des projets de recherche collaboratifs au sein de la FSMR et en inter-FSMR et aider les acteurs de la FSMR à rechercher des financements nationaux et européens ;
- Favoriser l'émergence d'études pilotes en recherche translationnelle au sein de la FSMR et en inter-FSMR ;
- Faciliter les connexions entre les équipes de recherche, les CRMR et les laboratoires de diagnostics de la FSMR pour assurer un continuum entre recherche fondamentale et clinique ;
- Assurer la diffusion des principaux appels à projets aux centres de référence (CRMR/CCMR/CRC), notamment via son site internet, et aider à coordonner les réponses entre unités de recherche, centres de référence et autres partenaires ;
- Organiser selon les besoins avec les CRMR/CRC/CCMR la recherche clinique pour répondre aux demandes des industriels dans le champ thématique de la FSMR ;
- La FSMR a le rôle de soutenir toutes les étapes de la recherche clinique si un de ses CCMR/CRC/CRMR la sollicite, elle a un rôle de conseil méthodologique ;
- Aider au rapprochement des équipes de recherche des associations de patients ;
- Favoriser l'accès à un parcours de recherche pour le personnel médical et non médical ;
- Promouvoir le partenariat ou la co-construction des programmes de recherche avec le patient et les associations ;
- Aider à la préparation et à la gestion des projets maladies rares selon les standards internationaux (rôle des FSMR, de la structure nationale d'appui pour les bases de données, de F-CRIN), en lien avec les DRCl ;
- Assurer une information sur les technologies et traitements innovants.

Développer les volets européen et international :

- Soutenir la création de consortia pour la soumission de projets collaboratifs aux appels à projets européens et internationaux en s'appuyant sur les opérateurs et organismes de recherche ;
- Aider les équipes de recherche françaises des centres de référence labellisés par les ERNs à répondre aux appels à projets européens dans le cadre de ERDERA ;
- Veiller à la cohérence des actions des FSMR avec les réseaux européens de référence (ERNs) correspondants ;
- Évaluer les documents émis par les ERNs et leur applicabilité en France, favoriser leur diffusion. La FSMR doit transmettre ou organiser la transmission des travaux de l'ERN correspondante vers les centres de référence et de compétence, et également favoriser leur participation active à ces projets (par exemple en relisant et critiquant les documents émis) ;
- Favoriser la participation des membres de la filière aux ERNs correspondants ;
- Soutenir les coordonnateurs français d'ERNs ;
- Poursuivre l'élaboration des standards et la formation en inter-FSMR, ERNs, reposant sur l'utilisation d'une nomenclature unique des maladies rares (code Orpha) établie en collaboration avec Orphanet et partagées au sein des réseaux européens de référence.

Favoriser l'information et contribuer à la formation sur les maladies rares :

- Développer l'information relative aux maladies rares à destination des personnes malades, des médecins traitants des pharmaciens, des fédérations, des sociétés savantes mais aussi, en inter-FSMR et du grand public ;
- Organiser ou participer à des enseignements universitaires et à des formations éligibles au développement professionnel continu (DPC) ou enseignements post-universitaires (EPU), en particulier via des outils numériques, tels que le e-learning ;
- Formation du personnel médical et non médical ;
- Organiser ou participer à des formations, y compris qualifiantes, à destination des personnes malades (patients partenaires).

Une FSMR est encouragée à organiser ou participer à des actions inter-FSMR portant sur des objectifs transversaux avec l'ensemble des parties prenantes.

Une FSMR définit collectivement son projet pour chacune de ses missions et plus largement son plan d'actions pluriannuel. Ce plan est partagé avec l'ensemble des acteurs impliqués. Une évaluation annuelle est prévue par la mission maladies rares (DGOS) et pourrait conduire à des ajustements. Des indicateurs adaptés au suivi des objectifs sont identifiés. Le projet de la FSMR fait l'objet d'un rapport annuel obligatoire communiqué à la DGOS et à la DGRI.

La réponse au présent appel à projets devra permettre de suivre les actions de la FSMR au fur et à mesure du déroulement du plan national maladies rares.

D. Évaluation des candidatures

L'évaluation des candidatures sera réalisée par un jury réuni par la DGOS et la DGRI, composé de 12 membres : un(e) président(e) et un(e) vice-président(e), lesquels sont à la fois cliniciens et enseignants-chercheurs, 2 représentant(e)s de CRMR, un(e) représentant(e) de la conférence des directeurs généraux de CHU, un(e) représentant(e) des ARS, un(e) représentant(e) de la conférence de PCME de CHU, un(e) représentant(e) de la conférence des doyens de faculté de médecine, un(e) membre du Haut conseil de la santé publique (HCSP), un(e) membre du Haut conseil de l'évaluation de la recherche et de l'enseignement supérieur (HCERES), un(e) représentant(e) d'association de personnes malades, un chercheur dans le champ des maladies rares, le PDG de l'INSERM ou son représentant.

Chaque dossier sera confié en amont de l'évaluation par le jury à un groupe d'experts composé de (I) un clinicien dans le domaine des maladies rares, (II) un chercheur ou enseignant-chercheur et (III) un référent dans l'organisation des parcours de soins (Agence régionale de santé, Direction d'établissement de santé hospitalo-universitaire, agences de santé, ...).

Un expert clinicien dans le domaine des maladies rares sera proposé par chacune des FSMR.

Les chercheurs et/ou enseignants-chercheurs du domaine des maladies rares seront désignés par la Direction générale de la recherche et de l'innovation (DGRI).

Les référents dans l'organisation des parcours de soins seront désignés par la DGOS.

Les membres du jury concernés par une candidature ne participeront pas aux délibérations pour cette candidature. Les experts participent, en tant que de besoin, à la délibération pour ce qui concerne les dossiers qui leur ont été attribués.

Chaque expert ou membre du jury remettra à la DGOS sa déclaration d'intérêts dûment complétée avant de participer aux réunions.

La DGOS assurera le secrétariat de ce jury.

Les candidats pour coordonner une FSMR seront auditionnés par les membres du jury.

Le jury établira des avis motivés de décision pour chaque candidature. Il pourra ne pas retenir en l'état une candidature. Sur invitation du jury, la FSMR candidate aura alors 15 jours pour présenter au jury, sur la base de ses recommandations, un nouveau projet.

E. Décision de labellisation, de suivi et de renouvellement

La décision de labellisation des FSMR sera prise sur avis du jury par la DGOS, en accord avec la DGRI. La labellisation sera valable **5 ans**.

Des modalités de suivi seront mises en place, notamment la remise annuelle d'un rapport d'activité.

Le non-respect de ces modalités de suivi par la FSMR labellisée pourra entraîner la suspension provisoire ou définitive de tout ou partie du financement, voire le retrait de la labellisation.

F. Notification, publication et diffusion

Les décisions seront notifiées aux établissements sièges de l'animation des différentes FSMR.

Un arrêté fixant la liste des FSMR labellisés sera publié, précisant leur établissement siège et leur coordonnateur, conformément au décret n° 2022-821 du 16 mai 2022 relatif à la labellisation des centres de référence maladies rares et des filières de santé maladies rares.

G. Modalités de financement

Les établissements sièges de l'animation de la FSMR sont éligibles au financement par une mission d'intérêt général (MIG) dédiée.

Pour la ministre et par délégation :
La directrice générale de l'offre de soins,



Marie DAUDÉ

Pour le ministre et par délégation :
Le directeur général de la recherche
et de l'innovation par intérim,



Nicolas JEANJEAN

Annexe I – Liste des FSMR et leur périmètre

AnDDI-Rares - Anomalies du développement avec ou sans déficience intellectuelle de causes rares

BRAIN-TEAM - Maladies rares à expression motrice ou cognitive du système nerveux central

CARDIOGEN - Maladies cardiaques héréditaires ou rares

DéfiScience - Maladies rares du neurodéveloppement

FAI2R - Maladies auto-immunes et auto-inflammatoires systémiques rares

Fava-Multi - Maladies vasculaires rares avec atteinte multi systémique

FILFOIE - Maladies hépatiques rares de l'enfant et de l'adulte

FILNEMUS - Maladies neuromusculaires

FILSLAN - Sclérose latérale amyotrophique et autres maladies rares du neurone moteur

FIMARAD - Maladies rares en dermatologie

FIMATHO - Maladies rares abdomino-thoraciques

FIRENDO - Maladies rares endocriniennes

G2M - Maladies héréditaires du métabolisme

MARIH - Maladies rares immuno-hématologiques

MCGRE - Maladies constitutionnelles rares du globule rouge et de l'érythropoïèse

MHEMO - Maladies hémorragiques constitutionnelles

MUCO-CFTR - Mucoviscidose et affections liées à une anomalie de CFTR

NEUROSPHINX - Malformations pelviennes et médullaires rares

ORKID - Maladies rénales rares

OSCAR - Maladies rares de l'os, du calcium et du cartilage

RESPIFIL - Maladies respiratoires rares

SENSGENE - Maladies rares sensorielles

TETECOUCO - Malformations rares de la tête, du cou et des dents

Annexe II – Dossier de candidature à remplir sur Démarches Simplifiées**A. FICHE D'IDENTITE DE LA FSMR CANDIDATE****1. Nom de la FSMR (*) :**

Réponse à liste : sélectionner dans la liste déroulante des 23 FSMR, cf. annexe I

2. Nom de la personne qui candidate pour coordonner la FSMR et titre (*) :

2.1. Titre : (liste : Pr/Dr) (*)

2.2. NOM (*)

2.3. Prénom (*)

2.4. RPPS du responsable médical (*)

2.5. Mail professionnel (*) : réponse mail

2.6. Joindre CV au format court (*) : Réponse : Choisir un fichier

2.7. Joindre la déclaration d'intérêt (*) : Réponse : Choisir un fichier

3. Êtes-vous ou avez-vous été responsable d'un CRMR coordonnateur ou constitutif ? (*)

Oui, mandat en cours (labellisation 2023)

Si oui à cette question :

Nom du CRMR : réponse courte

Oui, précédente(s) labellisation(s)

Si oui à cette question :

Nom du CRMR : réponse courte

Dernière date de labellisation : réponse date

Non

Si non :

Justification de cette dérogation : réponse limitée à 1 000 caractères

4. Êtes-vous PU-PH ? (*)

Oui

Non

Si non :

Quel est votre statut ? réponse liste (PH / MCU-PH / Professeur associé / autre)

Si autre : préciser le statut

Justification de cette dérogation au statut de PU-PH : réponse limitée à 1 000 caractères

4.1. Joindre un avis argumenté de chacun des responsables des CRMR coordonnateurs de la FSMR sur la candidature présentée (*) Réponse : Choisir un fichier

4.2. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** Joindre des avis argumentés (maximum 3) des associations de personnes malades – il est recommandé qu'elles se coordonnent. (*) Réponse : Choisir un fichier

5. Établissement d'accueil et adresse (*) :

5.1. Nom de l'établissement : réponse courte

5.2. Adresse : réponse adresse

6. Directeur de l'établissement d'accueil (*) :

6.1. NOM (*)

6.2. Prénom (*)

6.3. Mail professionnel (*) réponse mail

6.4. Joindre l'avis co-signé par le directeur de l'établissement et le président de la CME, assurant le soutien financier de l'établissement par délégation des crédits MIG pour assurer les missions nationales de la FSMR dans le cadre du PNMR (*) Réponse : Choisir un fichier

7. Étiez-vous déjà responsable de la FSMR au cours du mandat précédent ? (*)

Oui

Non

Si non :

Nom de la personne qui coordonnait précédemment la FSMR :

Titre (liste : Pr/Dr)

NOM

Prénom

Motif de ce changement :

Réponse limitée à 1 000 caractères

8. Un changement de coordonnateur est-il prévu en cours de mandat ? (*)

Oui

Si oui :

Date prévue de changement : réponse date

Nom envisagé pour reprendre la coordination de la FSMR : Réponse courte

Motif de ce changement en cours de mandat : Réponse limitée à 1 000 caractères

Non

9. Y a-t-il une co-animation médicale de la FSMR (pour rappel un seul coordinateur sera nommé sur l'arrêté de labellisation) ? (*)

Oui

Si oui :

[+ CHAMP RÉPÉTABLE] Nom du ou des co-animateurs : Réponse :

Titre (liste : Pr/Dr)

NOM

Prénom

Motif (exemple : valence adulte ou pédiatrique) : Réponse limitée à 1 000 caractères

Non

10. L'établissement de rattachement de la FSMR change-t-il par rapport à la précédente labellisation ? (*)

Oui

Si oui :

Nom de l'établissement précédent : Réponse courte

Motif de ce changement : Réponse limitée à 1 000 caractères

Non

11. Souhaitez-vous proposer un changement de nom de FSMR (à périmètre de maladies rares couvertes identiques à la précédente labellisation) ? (*)

Oui

Si oui :

Nom proposé pour la FSMR : Réponse courte

Motif de ce changement : Réponse limitée à 1 000 caractères

Non

B. PÉRIMÈTRE (MALADIES RARES CONCERNÉES)

1. Réponse limitée à 5 000 caractères (*)
2. *Joindre une liste des maladies rares couvertes par la FSMR avec les codes ORPHA associés (modèle : annexe V) (*) : Réponse : Choisir un fichier*

C. COMPOSITION SYNTHÉTIQUE DES ACTEURS DE LA FSMR (CRMR / CCMR / CRC / LABORATOIRES / ASSOCIATIONS / AUTRES)

1. Réponse limitée à 5 000 caractères (*)
2. *Joindre un tableau avec une liste exhaustive des structures intégrées à la FSMR (*) (modèle : annexe IV) : Réponse : choisir un fichier*

D. ORGANISATION PROPOSÉE

1. Réponse limitée à 10 000 caractères (*)
2. *Joindre une cartographie de la FSMR (modèle : annexe III) (*) Réponse : choisir un fichier*
3. *Joindre un organigramme nominatif du comité de gouvernance (*) Réponse : choisir un fichier*

E. BUDGET PRÉVISIONNEL (ANNUEL ET PLURI-ANNUEL) ET RELATIONS AVEC L'ÉTABLISSEMENT D'ACCUEIL

1. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** *Préciser le(s) référent(s) pour la direction (*) :*
 - 1.1. NOM
 - 1.2. Prénom
2. Réponse limitée à 5000 caractères (*)

F. COMMUNICATION ET INFORMATION

1. Réponse limitée à 10 000 caractères (*)

G. ACTIONS MAJEURES RÉALISÉES SUR LA PÉRIODE 2018-2024 PAR LA FSMR (*)

1. Présentation générale : Réponse limitée à 5000 caractères (*)
2. Les actions vis-à-vis des CRMR et CCMR :
 - 2.1. Les actions en lien avec les équipes relais handicaps rares Réponse limitée à 5000 caractères (*)
 - 2.2. Diagnostic et prise en charge (dont nombre de PNDS et ETP) : Réponse limitée à 5000 caractères (*)

- 2.3. Recherche : Réponse limitée à 5000 caractères (*)
- 2.4. Europe (dont les ERN) et international : Réponse limitée à 5000 caractères (*)
- 2.5. Formation et information : Réponse limitée à 5000 caractères (*)

H. PROJET A 5 ANS (*)

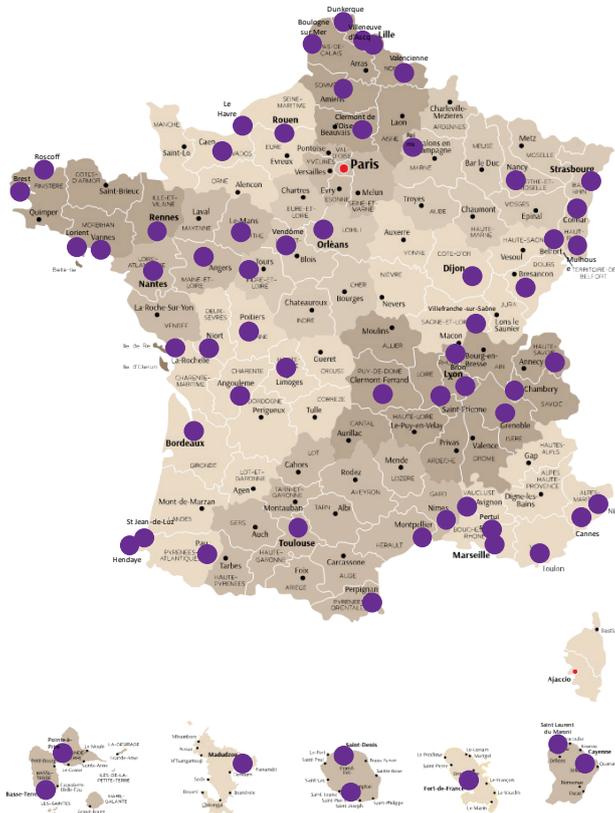
1. Présentation générale : Réponse limitée à 5000 caractères (*)
2. Diagnostic et prise en charge :
 - 2.1. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** Préciser le(s) nom(s) du(des) référent(s) clinicien diagnostic (*) :
Réponse :
 - 2.1.1. Titre (liste : Pr/Dr)
 - 2.1.2. NOM
 - 2.1.3. Prénom
 - 2.2. Réponse limitée à 5000 caractères (*)
3. Recherche :
 - 3.1. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** Préciser le(s) nom(s) du(des) référent(s) clinicien recherche (*) Réponse :
 - 3.1.1. Titre (liste : Pr/Dr)
 - 3.1.2. NOM
 - 3.1.3. Prénom
 - 3.2. Réponse limitée à 5000 caractères (*)
4. Europe (dont les ERN) et international :
 - 4.1. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** Préciser le(s) nom(s) du(des) référent(s) clinicien ERN (*) :
Réponse :
 - 4.1.1. Titre (liste : Pr/Dr)
 - 4.1.2. NOM
 - 4.1.3. Prénom
 - 4.2. Réponse limitée à 5000 caractères (*)
5. Formation et information :
 - 5.1. **[+ CHAMP RÉPÉTABLE]** Préciser le(s) nom(s) du(des) référent(s) clinicien formation (*) :
Réponse :
 - 5.1.1. Titre (liste : Pr/Dr)
 - 5.1.2. NOM
 - 5.1.3. Prénom
 - 5.2. Réponse limitée à 5000 caractères (*)
6. Modalités d'évaluation / indicateurs proposés par la FSMR : Réponse limitée à 5000 caractères (*)

Annexe III – Cartographie de la FSMR

Nom du CRMR :

Filière :

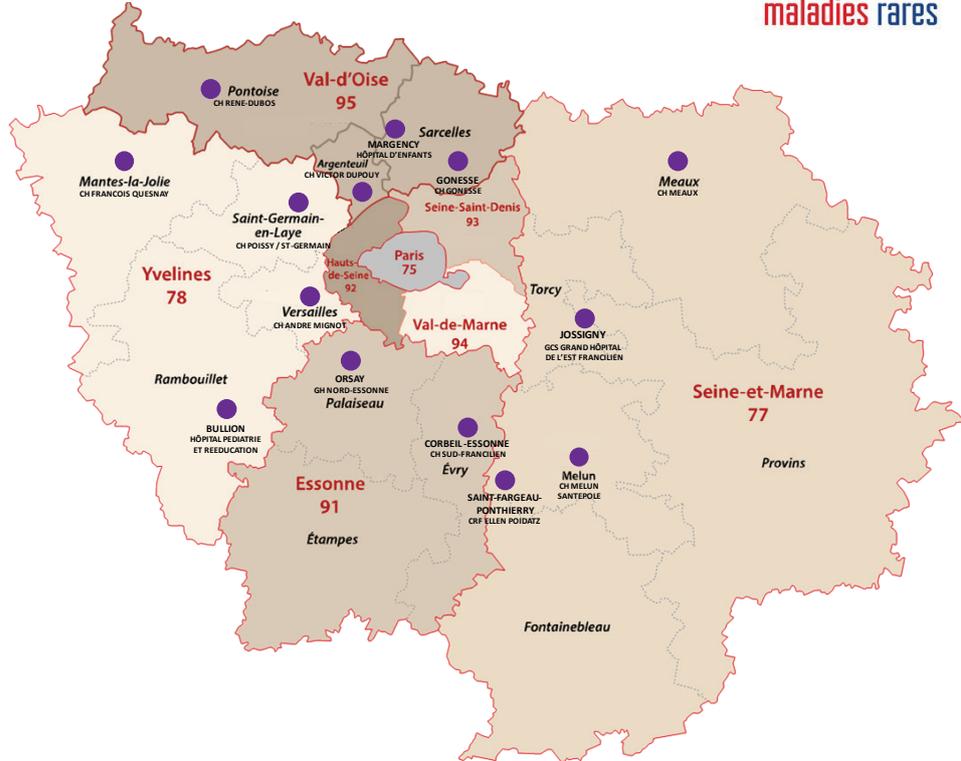
- Coordonnateur
- Constitutif
- Compétences



Nom du CRMR :

Filière :

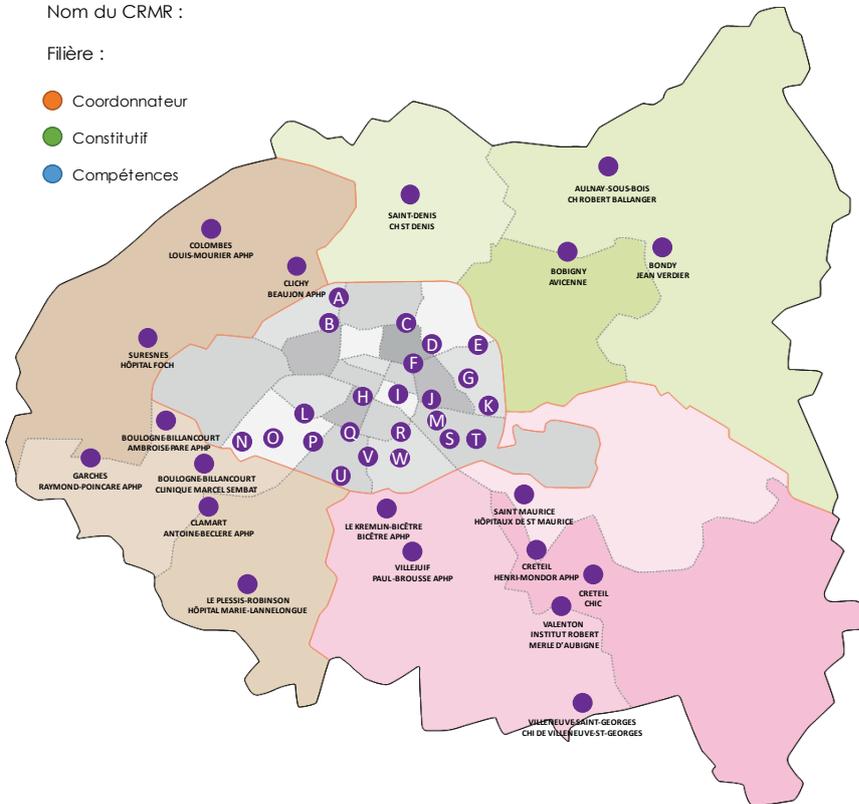
- Coordonnateur
- Constitutif
- Compétences



Nom du CRMR :

Filière :

- Coordonnateur
- Constitutif
- Compétences



- A** BICHAT APHP
- B** BRETONNEAU APHP
- C** LARIBOISIÈRE FERNAND WIDAL APHP
- D** ORL Fondation Ophtalmologique Rothschild
- E** ROBERT-DEBRE APHP
- F** SAINT-LOUIS APHP
- G** TENON APHP
- H** HÔTEL-DIEU APHP
- I** CHNO DES QUINZE-VINGT
- J** SAINT-ANTOINE APHP
- K** GH DIACONESSES CROIX ST SIMON
- L** NECKER APHP
- M** DIACONESSES
- N** GEORGES-POMPIDOU APHP
- O** COGNACQ-JAY
- P** SAINT-JOSEPH
- Q** COCHIN APHP
- R** PITIE-SALPETRIERE APHP
- S** ROTHSCHILD
- T** TROUSSEAU APHP
- U** INSTITUT MUTUALISTE MONTSOURIS
- V** CH SAINT-ANNE
- W** FONDATION ROTHSCHILD

Annexe IV – Liste exhaustive des structures intégrées à la FSMR

Tableau libre de la FSMR avec les différents acteurs à joindre au dossier de candidature

