

Filière de santé
maladies rares

pour la **mucoviscidose** et les
affections liées à une
anomalie de CFTR



AMÉLIORATION DE LA PRISE EN
CHARGE DES PATIENTS



RECHERCHE



FORMATION ET INFORMATION



LIENS AVEC L'EUROPE



Qu'est ce qu'une filière de santé maladies rares ?

Il s'agit d'une organisation qui a pour vocation d'animer et de coordonner les actions entre les différents acteurs impliqués dans la prise en charge de maladies rares.

LA FILIÈRE MUCO-CFTR

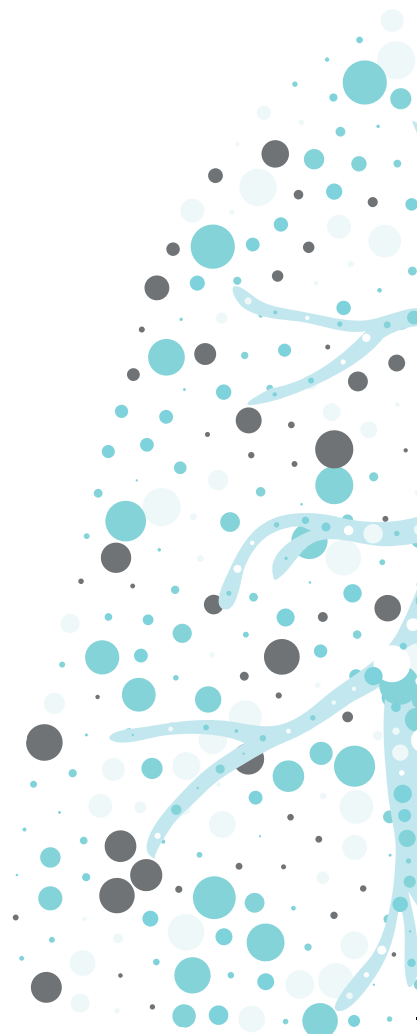
Le domaine d'expertise de la Filière Muco-CFTR couvre la **mucoviscidose** et l'ensemble des affections liées à une anomalie de CFTR, en dehors des formes typiques de la mucoviscidose. Le nombre de patients est estimé à 8008, d'après les données du Registre français de la mucoviscidose 2024.

Le **Conseil national de la mucoviscidose** (réunion des Bureaux du Conseil d'Administration de Vaincre la Mucoviscidose et de la Société Française de la Mucoviscidose) définit la stratégie et les grandes orientations au sein de la Filière.

LES ACTEURS

La Filière regroupe :

- **1 Centre de Référence Maladie Rare Coordonnateur (CRMR) :**
 - Paris adulte (Hôpital Cochin, AP-HP)
- **3 CRMR Constitutifs :**
 - Lyon adulte (Hospices Civils de Lyon)
 - Paris enfant (Hôpital Necker, AP-HP)
 - Suresnes adulte (Hôpital Foch)
- **43 CRCM**
- La **Société Française de la Mucoviscidose (SFM)**
- L'association de patients / parents **Vaincre la Mucoviscidose**
- Le réseau des laboratoires de génétique **GenMucoFrance**



4 AXES D'INTERVENTION : quelques exemples



AMELIORATION DE LA PRISE EN CHARGE GLOBALE DES PATIENTS

- Aide à la collecte et au data management des données pour la **Banque Nationale de Données Maladies Rares (BNDMR)** et le **Registre Français de la Mucoviscidose**
- Suivi et soutien du projet **HORIZON** « Co-construire et évaluer la faisabilité d'une nouvelle organisation des CRCM à l'ère de la trithérapie modulatrice »
- Organisation des **Réunions de Concertation Pluridisciplinaire nationales (RCP)** Mucoviscidose
- Soutien aux projets d'**éducation thérapeutique**, publication de brochures
- Coordination de la rédaction des **PND**S
- Co-financement de la **base de données CFTR-France**
- ...



RECHERCHE

- Soutien financier et logistique à des **projets de recherche** (projets en vie réelle (Kaftrio, Modul-CF) ; projets en SHS ; diabète,)
- Participation à la **Plateforme Nationale de Recherche Clinique en Mucoviscidose (PNRC)**
- Soutien du **colloque des jeunes chercheurs** de la mucoviscidose (Vaincre la Mucoviscidose)
- ...



FORMATION ET INFORMATION

- Soutien aux **journées thématiques des paramédicaux** (IDEC, kinésithérapeutes, diététiciens) organisées par Vaincre la Mucoviscidose
- Réalisation de **modules d'e-learning** (EduMuco)
- Organisation des **Journées annuelles de la Filière** (Journées Scientifiques, Journées Francophones)
- Soutien logistique et financier à la formation par simulation aux **annonces difficiles**
- Participation au pilotage du projet de **formation de parents-patients/soignants partenaires** en ETP
- Prise en charge de professionnels de santé, de salariés et parents/patients de Vaincre la Mucoviscidose pour leur participation au congrès européen et nord-américain de la mucoviscidose
- ...



LIENS AVEC L'EUROPE

- Soutien de réunions de groupes de travail de la Société européenne de Mucoviscidose (ECFS)
- Liens avec l'European Reference Network (ERN-LUNG)
- ...



L'ÉQUIPE DE LA FILIÈRE

- Pr Isabelle Durieu - Coordinatrice médicale
- Stéphane Mazur - Chef de projet
- Cécile Morel - Secrétaire
- Dr Cathy Llerena - Coordination nationale ETP
- Amélie Perrin - Coordination nationale ETP
- Marie Roux-Perceval - Chargée de mission RCP, BaMaRa
- Elise Bonomo-Jouzel - Chargée de communication



NOS CONTACTS



<https://www.muco-cftr.fr>



contact@muco-cftr.fr



Les projets que nous soutenons sont financés par le plan national maladies rares du ministère de la santé (DGOS) via la Filière Muco-CFTR