



LES FICHES PRATIQUES de l'Alliance



LES CENTRES DE RÉFÉRENCE ET DE COMPÉTENCE MALADIES RARES

A retenir

La prise en charge des maladies rares est assurée par un **réseau de centres experts** : les centres de référence et les centres de compétence.

Les centres de référence assurent **5 missions majeures** : coordination, expertise, recours, recherche, et formation.

Les associations de malades participent à la **gouvernance** des centres de référence.

Les associations sont parties prenantes du parcours de soins des malades. A ce titre, elles interviennent au sein de nombreuses structures dédiées aux maladies rares pour porter la voix des malades et co-construire stratégies et projets.

Parmi ces structures, les centres de référence sont des acteurs clés dans la prise en charge des maladies rares. Comment sont-ils organisés ? Quelles sont leurs missions ? De quelle façon les associations participent-elles à leur gouvernance ? Cette fiche pratique de l'Alliance maladies rares a pour but de donner quelques éléments de réponse pour une meilleure implication des associations de malades.

De quoi s'agit-il ?

Un centre de référence maladies rares (CRMR) est une structure hospitalière hautement spécialisée ayant une expertise avérée pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares.

L'organisation des soins grâce à ces centres de référence facilite l'orientation des personnes malades et de leur entourage, et permet aux professionnels de santé de proposer un parcours de soins cohérent. L'équipe d'un centre de référence est médicale mais intègre également des compétences paramédicales, psychologiques, médico-sociales, éducatives, sociales et des partenariats avec les associations de personnes malades.

Chiffres-clés

387

centres de référence
(fin 2022)

1844

centres de compétence
(fin 2022)

23

filiales de santé maladies rares

Un centre de référence peut aussi être défini comme un réseau de soins comprenant un site coordonnateur, un ou plusieurs sites constitutifs s'il y en a, et de nombreux centres de compétence.

Ainsi, les centres de référence peuvent être coordonnateurs ou constitutifs. Un site coordonnateur est celui qui pilote le réseau de soins du centre de référence. Les sites constitutifs apportent une complémentarité d'expertise au centre de référence coordonnateur (par exemple en pédiatrie ou en médecine adulte, sur certaines maladies ou formes de la maladie ou dans certains territoires lorsque le nombre de malades est trop important pour un seul site).

Les centres de compétence (CCMR) assurent la prise en charge et le suivi des personnes atteintes de maladies rares au plus proche de leur domicile, sur la base d'un maillage territorial adapté. Ils rassemblent des équipes hospitalières ayant une expertise avérée pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares.

Les centres relatifs à la mucoviscidose, aux maladies hémorragiques rares et à la sclérose latérale amyotrophique sont appelés centres de ressources et de compétences (CRC) et ont des caractéristiques propres.

Ce qu'il faut savoir

Historique

La définition et la mise en place des centres de référence et des centres de compétence remonte au premier plan national maladies rares (2005-2008). La création de ces centres a découlé du constat du besoin et de la rareté de l'expertise pour une maladie rare ou un groupe de maladies rares, par la complexité de la prise en charge et par la nécessité d'organiser une offre de soins structurée permettant d'éviter l'errance diagnostique, thérapeutique et de suivi.

En 2022, il existe 109 centres de référence multisites (comprenant 109 sites coordonnateurs et 278 sites constitutifs) et 1844 centres de compétence. Ces 109 centres de référence multisites constituent de véritables réseaux de soins pour les malades.

Missions

Les centres de référence maladies rares, qu'ils soient coordonnateurs ou constitutifs, déploient leurs actions autour de 5 missions : coordination, recours, expertise, recherche, enseignement/formation.

- La mission de coordination consiste à animer un réseau de soins, avec des centres de compétence, des correspondants hospitaliers et de ville, des structures éducatives et médicosociales, des associations, les administrations nationales et régionales.

- La mission de recours correspond à la prise en charge des malades. Elle est assurée par une équipe pluridisciplinaire et pluriprofessionnelle pour le

diagnostic, les soins et le suivi d'une maladie rare. Le centre de référence coordonne aussi la prise en charge médico-sociale et administrative. Pour être labellisé centre de référence, un service hospitalier doit atteindre un seuil minimal de consultations et de malades suivis chaque année.

- La mission d'expertise organise l'accès à l'information. Le centre de référence a un rôle de conseil et de ressource auprès des professionnels de santé et médico-sociaux. Il produit des recommandations de bonnes pratiques et des PNDs (protocoles nationaux de diagnostic et de soins).

- Le centre de référence coordonne des projets de recherche et a un haut niveau de publications scientifiques et médicales.

- Le centre de référence promeut, anime ou participe à des diplômes universitaires, interuniversitaires, en formation initiale ou continue.

Les centres de compétence assurent la prise en charge et le suivi des malades au plus près de leur domicile, en lien avec les professionnels de santé et médico-sociaux du territoire. Ils remplissent aussi les bases de données relatives aux maladies rares. Ils participent aux actions du réseau de leur centre de référence.

Comment ça marche ?

Organisation

Le réseau d'un centre de référence multisite est piloté par un responsable médical au sein du site coordonnateur. Chaque centre de référence constitutif et chaque centre de compétence est également représenté par un responsable médical. Certains centres de référence s'appuient également sur des équipes salariées : chefs de projets et chargés de mission dédiés aux thématiques prioritaires par le centre de référence.

Financement et évaluation

Les centres de référence sont financés par des MIG (missions d'intérêt général). Les montants dédiés ont été revalorisés après le Ségur de la santé : 128 millions d'euros par an pour l'ensemble des CRMR auxquels s'ajoutent environ 25 millions d'euros pour des appels à projets relatifs à des actions du plan national maladies rares.

Chaque centre de référence coordonnateur et constitutif est financé avec une part fixe et une part

Le point de vue de l'Alliance

Impliquer les associations dans la gouvernance

Le pilotage du réseau d'un centre de référence est assuré par le responsable médical du site coordonnateur. Il s'appuie sur un organe collégial de décision, un « comité de gouvernance » qui associe les sites constitutifs, les centres de compétence, les associations de malades s'il y en a et d'éventuels partenaires (structures médico-sociales, équipes de recherche, etc.).

Les associations peuvent être parties prenantes des gouvernances des centres de référence si elles le souhaitent et en ont la disponibilité. Elles contribuent ainsi à l'élaboration du plan d'action et participent aux projets qui répondent aux cinq missions des centres.

Les gouvernances des CRMR ne sont pas toujours automatiquement structurées. Les associations sont souvent à l'initiative des échanges avec le centre et de la construction d'une gouvernance.

Prendre part aux travaux de leur centre de référence permet aux associations de s'impliquer davantage dans

variable qui dépend son activité. Les centres saisissent dans un logiciel de suivi national leur activité en lien avec les maladies rares. Chaque labellisation des centres de référence par la DGOS (Direction générale de l'offre de soins) leur garantit un financement pour 5 ans indépendamment des plans nationaux maladies rares.

Les centres de compétence n'ont pas de financements dédiés, à l'exception des centres de ressources et compétences (pour la mucoviscidose, les maladies hémorragiques rares et la SLA).

Les actions des centres de référence et de compétence sont régulièrement suivies par un comité de suivi de labellisation piloté par la DGOS, dont l'Alliance maladies rares fait partie. Les associations peuvent faire appel à ce comité de suivi de labellisation pour faire réévaluer l'activité d'un centre de référence ou de compétence.

les projets relatifs à leur pathologie, là où les filières de santé maladies rares sont transversales à un plus grand nombre de maladies.

Défendre le statut du représentant associatif

Impliquer les associations dans la gouvernance et dans les actions des centres de référence est un objectif de démocratie en santé. A ce titre, le représentant associatif qui siège dans les différentes commissions des centres de référence doit avoir un statut reconnu. De la même façon que le statut des représentants des usagers dans les centres hospitaliers leur ouvre le droit à des formations, à une indemnisation et à des congés de représentation, il sera indispensable de défendre un vrai statut pour les représentants associatifs au sein des centres de référence lors d'un prochain plan national maladies rares. Cela peut se traduire par une reconnaissance des centres de référence comme des instances hospitalières de santé publique. Il faut valoriser le savoir expérientiel de ces représentants, qui est très souvent complété par des formations universitaires ou associatives.

Labellisation des centres de référence : un moment clé pour les associations

En 2017 les centres de référence ont été labellisés pour 5 ans, suite à un appel à projets national auquel les centres hospitaliers ont candidaté pour être reconnus comme CRMR. Leur labellisation est donc arrivée à échéance fin 2022.

Le re-labellisation des centres début 2023 permet d'actualiser la liste des centres de référence, de reconnaître les différents sites coordonnateurs et constitutifs au sein d'un même CRMR et d'identifier les centres de compétences. Afin d'être reconnu comme centre de référence ou de compétence, les centres hospitaliers qui candidatent sont évalués selon différents indicateurs liés à leurs missions. Ces indicateurs sont détaillés dans l'appel à projet relatif à la labellisation publié par la Direction générale de l'offre de soins (DGOS).

Dans le dossier de candidature d'un centre de référence, une lettre de soutien comportant un avis argumenté est demandée aux associations pour valoriser la collaboration du CRMR avec l'association. La labellisation est le bon moment pour prendre contact avec un centre de référence afin de nouer un partenariat opérationnel avec l'association. Dans leur argumentation, les associations peuvent témoigner de leur implication dans la gouvernance du CRMR, exprimer leurs attentes sur la prise en charge et d'autres enjeux importants, lister les actions co-construites avec l'association, etc.

Suite à cette nouvelle labellisation des centres de référence, il sera particulièrement important de veiller à ce que les associations de malades restent impliquées dans les actions de leur centre de référence. L'Alliance maladies rares sera attentive à ce que le lien qui a été tissé à l'occasion de la labellisation soit suivi d'une réelle participation des associations à la gouvernance de leur centre de référence.

Financer les parcours de soins complexes

L'Alliance maladies rares appelle à une vraie réflexion sur la valorisation financière des soins pluridisciplinaires pour les maladies rares dans un éventuel 4e plan national maladies rares.

Tarifification à l'activité et gradation des soins

La MIG (mission d'intérêt général) qui finance les centres de référence est dédiée à la réalisation de leurs 5 missions, notamment l'expertise. Les soins

(consultations) sont, eux, financés par la tarification à l'activité (T2A) qui est le mode de financement unique des établissements de santé. Cependant, la complexité des soins pour les maladies rares mérite d'être reconnue. Les maladies rares nécessitent des consultations longues et un suivi multidisciplinaire, médical et paramédical, qui ne sont pas suffisamment valorisés par la tarification à l'activité.

La valorisation de ces soins pluridisciplinaires s'effectue dans certains CHU grâce à la gradation des soins. En réunissant 3 consultations ou actes (consultation médicale, infirmière, séance avec un psychologue, un conseiller en génétique, etc.) sur une même journée, on peut les déclarer comme une hospitalisation de jour (HDJ). L'hôpital sera mieux financé pour ces 3 actes en HDJ qu'il ne l'aurait été pour 3 consultations distinctes. La gradation des soins s'applique bien au suivi des maladies rares, souvent pluridisciplinaire, et valorise mieux les actes paramédicaux. Pour le malade c'est aussi un gain de temps car cela permet un regroupement de plusieurs consultations sur une journée.

La gradation des soins est utilisée aussi bien dans les centres de référence que dans les centres de compétence. Aujourd'hui, ce mécanisme n'est pas utilisé de la même façon dans tous les établissements de santé. Par exemple, c'est couramment utilisé par le CHU de Bordeaux mais plus compliqué dans les centres de référence dépendant de l'AP-HP. Le déploiement de la gradation des soins ne pourra se faire sans l'appui des directions hospitalières et sans une formation des personnels hospitaliers, indispensable pour expliquer l'intérêt et la cotation des actes dans les logiciels de l'hôpital. Les filières de santé maladies rares et les plateformes d'expertise ont un rôle à jouer pour former les médecins aux nomenclatures et accompagner les équipes.

Néanmoins la gradation des soins n'est pas une solution miracle pour financer les parcours de soins maladies rares. Elle ne finance pas les consultations longues « isolées », courantes pour les patients atteints de maladies rares. Tous les parcours de soins ne sont pas éligibles à l'HDJ. Il est indispensable d'avoir suffisamment de personnel formé pour organiser les hospitalisations de jour et pour assurer la traçabilité des parcours des patients. Le reste à charge peut aussi être un frein pour les personnes qui ne sont pas prises en charge à 100% par l'Assurance maladie.

Le cas particulier de l'ETP

La gradation des soins peut être utilisée pour financer des séances d'ETP, si la séance est coordonnée par un médecin et fait intervenir au moins 3 intervenants pendant la même journée. Elle oblige à une traçabilité des séances (par compte-rendu, questionnaire) qui peut être un peu plus longue à mettre en place. Les soignants des centres s'impliquent beaucoup dans les programmes d'ETP, mais toutes les directions hospitalières ne permettent pas de valoriser les séances par la gradation des soins.

Les frais de gestion

Les centres hospitaliers qui hébergent les centres de référence prélèvent une partie du financement alloué par la DGOS pour des frais fixes de gestion. Des négociations ont eu lieu, notamment avec l'AP-HP, pour diminuer et harmoniser ces frais. Certaines associations ont participé à la formation des médecins au dialogue de gestion avec leurs directions hospitalières.

Le financement des centres de compétence

Les centres de compétence, qui jouent un rôle essentiel pour le suivi des malades au plus près de leur domicile, ne reçoivent pas de financement spécifique. Actuellement, ils sont seulement soutenus indirectement par les filières de santé maladies rares et les plateformes d'expertise. Le besoin de financement des centres de compétence est régulièrement remonté par les associations de malades et par les professionnels des centres et des filières.

Textes de référence

[Premier plan national maladies rares](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2020/07/plan-national-maladies-rares-2005-2008.pdf>

[Deuxième plan national maladies rares](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2020/07/plan-national-maladies-rares-2011-2014-1.pdf>

[Troisième plan national maladies rares](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2020/07/plan-national-maladies-rares-2018-2022.pdf>

[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](#)

<https://www.legifrance.gouv.fr/circulaire/id/44024>

[Note d'information interministérielle N° DGOS/PF4/DGRI/2022/154 du 24 mai 2022 relative à l'appel à projets national pour la labellisation des centres de référence pour la prise en charge des maladies rares \(CRMR\)](#)

<https://sante.gouv.fr/fichiers/bo/2022/2022.14.sante.pdf#page=176>

En savoir plus

[Fiche pratique Alliance maladies rares « Les protocoles nationaux de diagnostic et de soins »](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2020/11/fiche-pratique-parcours-vie-PNDS.pdf>

[Fiche pratique Alliance maladies rares « Les programmes d'éducation thérapeutique »](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2022/10/fiche-pratique-parcours-vie-ETP-2022.pdf>

[Fiche pratique Alliance maladies rares « Participation des associations à la relabellisation des centres de référence et de compétence »](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2022/06/fiche-relabellisation.pdf>

[Fiche pratique Alliance maladies rares « Les acteurs de santé maladies rares, mode d'emploi »](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2022/07/fiche-pratique-centres-de-reference-filieres-plateformes-dexpertise-et-reseaux-europeens-mode-demploi.pdf>

[Actes CARE 2022 « Centres de référence et de compétence maladies rares, une excellence française à défendre ! »](#)

<https://alliance-maladies-rares.org/wp-content/uploads/2022/06/ACTES-CARE-V3.pdf>

Des questions sur cette fiche ?
hthiollet@maladiesrares.org

Plateforme Maladies Rares
alliance-maladies-rares.org

Association reconnue d'utilité publique
SIRET : 432 502 839 000 33 | APE : 9499Z

[@AllianceMR](#)

[linkedin.com/company/alliance-maladies-rares](https://www.linkedin.com/company/alliance-maladies-rares)

[@AllianceMaladiesRares](#)



L'Alliance maladies rares bénéficie du soutien déterminant de



et de

