

# **Mise en place et reconnaissance des Centres de Référence et réseaux pour maladies rares :**

## **Projets pilotes dans le cadre de la mise en œuvre des mesures du concept national maladies rares**

---

Rapport final de la Coordination nationale des maladies rares (kosek) sur les travaux  
de mise en œuvre 2017-2021

A l'attention de l'Office fédéral de la santé publique

Elaboré par : Coordination nationale des maladies rares kosek

Date : 13.06.2022

## Sommaire

1.	Situation initiale et finalité du présent rapport .....	3
1.1.	Contexte du projet .....	3
1.2.	A propos de ce rapport.....	3
2.	Principes directeurs pour l'action de la kosek.....	4
3.	Description du projet .....	5
3.1.	Cadre conceptuel .....	5
3.2.	Création et développement des organes du projet.....	6
3.3.	Poursuite du développement du concept et mise en œuvre .....	7
3.4.	Mise en place du réseau .....	8
3.5.	Opérationnalisation des exigences envers les Centres de Référence et les réseaux.....	11
3.6.	Phase de candidature, évaluation et reconnaissances .....	11
3.7.	Travail de communication autour des reconnaissances .....	12
4.	Enseignements tirés du projet.....	12
4.1.	Le concept comme base du processus de reconnaissance .....	13
4.2.	Mise en place du réseau et opérationnalisation des critères.....	14
4.3.	Phase de candidature .....	16
4.4.	Phase d'évaluation .....	16
4.5.	Communication envers le public .....	18
4.6.	Calendrier.....	18
4.7.	Conditions cadres .....	18
5.	Bilan des parties prenantes sur le projet.....	20
5.1.	Retours concernant le projet pilote Métabolisme.....	20
5.2.	Retours concernant le projet pilote Maladies neuromusculaires .....	21
6.	Un premier aperçu de l'impact des projets pilotes .....	22
7.	Perspectives.....	23
7.1.	Le processus de reconnaissance ordinaire comme prochaine étape.....	24
7.2.	Le financement durable du projet : un défi permanent .....	24
7.3.	Perspectives des futures tâches de communication de la kosek .....	24
7.4.	Importance de la coopération entre les partenaires .....	24
8.	Remerciements .....	25
	Annexe I : Liste des documents de base de la kosek.....	26

## 1. Situation initiale et finalité du présent rapport

### 1.1. Contexte du projet

Le concept national maladies rares (CNMR) <sup>1</sup> a été adopté par le Conseil fédéral en 2014. Il sera ici question de la mise en œuvre des deux mesures clés que comporte le CNMR.

- Mesure 1 « Un processus qui établit les centres de référence est défini »,
- Mesure 2 « Les centres de référence sont établis selon des critères tels que l'expertise, la qualité des prestations de soins, le travail en réseau, la formation, l'établissement de directives (guidelines), l'engagement concernant la recherche et la gestion des données (voir recommandations ASSM) ». <sup>2</sup>

Dans le cadre de la première étape de mise en œuvre, l'OFSP a chargé l'Académie Suisse des Sciences Médicales (ASSM), d'élaborer une proposition de procédure visant à établir des centres de références (mesure 1). En 2016, l'ASSM a soumis un rapport à l'OFSP, dans lequel elle proposait d'élaborer des offres à deux niveaux pour les personnes concernées : d'une part des offres de diagnostic interdisciplinaire afin de remédier au problème actuel de diagnostic tardif, et d'autre part des « centres de référence » propres aux différentes maladies, fonctionnant en réseau, et dotés d'une solide expertise dans les différentes disciplines, afin d'assurer le traitement des patient-e-s. L'ASSM a ensuite élaboré un catalogue de critères que les deux types d'offres devaient prendre en compte. L'ASSM a alors recommandé de créer une association réunissant les principales parties prenantes pour la mise en œuvre du projet. <sup>3</sup> Les recommandations de l'ASSM ont été les principaux piliers du projet présenté ici.

C'est ainsi que la Coordination nationale des maladies rares (kosek) a vu le jour en 2017. Il s'agit d'une association réunissant les parties prenantes dans le but d'obtenir un dialogue sur un pied d'égalité entre les principaux protagonistes, favorisant ainsi l'élaboration commune de solutions adaptées afin d'améliorer la situation de prise en charge des personnes concernées par des maladies rares. Parmi ses membres, la kosek compte: ProRaris (association faîtière rassemblant les organisations de patient-e-s atteint-e-s de maladies rares), la Conférence suisse des directrices et directeurs cantonaux de la santé (CDS), l'Académie Suisse des Sciences Médicales (ASSM), l'association Médecine Universitaire suisse (unimedsuisse), l'Alliance des Hôpitaux pédiatriques Suisses (AllKidS), et un groupe d'hôpitaux et de cliniques non universitaires (un groupement des principaux hôpitaux cantonaux impliqués dans les projets de la kosek). Le but de la kosek est l'amélioration de la prise en charge des personnes atteintes de maladies rares à l'aide de projets impliquant l'ensemble des protagonistes.

### 1.2. A propos de ce rapport

Entre 2017 et 2021, la kosek a mené un projet visant à aider les hôpitaux universitaires et les grands centres hospitaliers de Suisse à mettre en place des réseaux de prestataires et de **Centres de Référence** pour la prise en charge de maladies ou de groupes de maladies, et de soumettre ensuite ces centres à une procédure de reconnaissance à des fins d'assurance qualité. Le projet a été mis en œuvre dans deux projets pilotes pour des groupes de maladies différents. Les deux projets pilotes se sont terminés en décembre 2021. Le présent rapport

---

1 Concept national maladies rares (CNMR) du 26 septembre 2014, voir <https://www.bag.ad-min.ch/bag/fr/home/strategie-und-politik/politische-auftraege-und-aktionsplaene/nationales-konzept-seltene-krankheiten.html> [21.9.2021].

2 CNMR (voir note de bas de page 1), p. 32.

3 ASSM, proposition de mise en œuvre de la mesure 1, «Un processus qui établit les centres de référence est défini», rapport de l'ASSM à l'attention de l'Office fédéral de la santé publique du 30 juin 2016, voir <https://www.samw.ch/fr/Projets/Apercu-des-projets/Maladies-rares.html> [21.9.2021].

final décrit la procédure appliquée par la kosek pour la mise en place et la reconnaissance des Centres de Référence et des réseaux, évalue dans quelle mesure cette procédure était adaptée, et quel en est le potentiel d'amélioration. Il fait état de premières conclusions prudentes concernant l'impact des structures reconnues sur la prise en charge des patients et donne un aperçu des perspectives de développement pertinentes.

## 2. Principes directeurs pour l'action de la kosek

Le projet de mise en place et de reconnaissance des Centres de Référence et des réseaux se base sur une série de principes directeurs définis au préalable par la kosek. Ceux-ci constituent le cadre de la procédure et se sont révélés pertinents pour la réussite du projet. Nous vous les présentons ici brièvement :

**Gentlemen's Agreement** : ce concept avait d'ores et déjà été défini lors de la création de la kosek en 2017. Le « gentlemen's agreement<sup>4</sup> » est un accord et un engagement des différents acteurs de la kosek à travailler sur une base définie ensemble. Cela présuppose que les décisions sont prises en concertation, d'un commun accord, par toutes les parties prenantes. A l'origine, le « gentlemen's agreement » a été créé en raison de l'absence de bases juridiques régissant la collaboration des acteurs du domaine des maladies rares. L'approche multipartite de la kosek a fait ses preuves.

**Participation** : le « gentlemen's agreement » présuppose une collaboration sur une base volontaire entre les différents acteurs du domaine des maladies rares. Ces acteurs sont eux-mêmes actifs dans le domaine des maladies rares, ou concernés par elles (patient-e-s via des organisations de patient-e-s). La kosek poursuit ainsi dans ses projets une approche participative selon laquelle les acteurs actifs dans le domaine des maladies rares ou touchés par une maladie rare participent à la conception des projets de la kosek. Cela signifie également que la collaboration s'effectue avec l'ensemble des intéressé-e-s et qu'aucun acteur n'est exclu des projets de la kosek, car cela serait contraire au gentlemen's agreement. En parallèle, la participation signifie aussi que tous les nouveaux acteurs doivent souscrire à ces principes directeurs et être impliqués.

**Approche « Bottom-up »** : l'approche « Bottom-up » (ascendante) constitue une autre condition préalable importante du concept. Elle permet de garantir que les projets et leur mise en œuvre ne sont pas imposés, mais développés et déployés en collaboration avec les acteurs impliqués et les organisations de patient-e-s. Il peut ainsi être garanti que les projets seront mis en œuvre en tenant compte de la réalité et de la pratique, ce qui est généralement synonyme d'une meilleure acceptation de la part des acteurs du domaine.

**Créer de l'engagement** : étant donné que la procédure de reconnaissance de la kosek présuppose la mise en place de structures de prise en charge, il était important d'informer les décideurs (direction d'hôpital, direction médicale) lors des étapes décisives, afin de s'assurer de l'engagement de l'hôpital. Cela était tout à fait indispensable et a permis de faire évoluer les projets dans certaines phases critiques.

**Transparence** : le projet de reconnaissance de la kosek dans le domaine des maladies rares étant un concept tout à fait nouveau, la kosek a d'abord dû convaincre les fournisseurs de

prestations de son bien-fondé. Cela signifiait, pour la kosek, de communiquer en toute transparence avec les fournisseurs de prestations sur ses objectifs, ses étapes et ses projets et d'en exposer ouvertement les tenants et les aboutissants. C'est ainsi que la kosek est parvenue, au fil de la procédure de reconnaissance, à convaincre de plus en plus de fournisseurs de prestations et d'acteurs de l'intérêt de son concept. Cependant, la kosek a également dû accepter des critiques, en raison de son approche participative, et adapter sa procédure ou son concept lorsque cela semblait pertinent. La kosek a ainsi non seulement augmenté le nombre de ses partisans, mais a aussi affiné son concept en l'adaptant davantage à la réalité.

**Reconnaître les efforts et promouvoir le développement :** la kosek poursuit en première ligne une approche basée sur la promotion du développement des structures existantes, ce qui signifie que les structures existantes internes à l'hôpital sont appelées à évoluer, et que des solutions prédéfinies décidées en amont ne seront en aucun cas exigées. Etant donné qu'il n'existe pas de modèles prédéfinis sur la manière dont un centre doit être organisé, il est judicieux, et même indispensable, de mettre en œuvre des réglementations individuelles.

**Focalisation sur la prise en charge globale :** la kosek veut mettre en place des solutions là où il existe de véritables problèmes de prise en charge. C'est pourquoi la kosek inclut toujours, dans sa vue d'ensemble, la perspective d'une « bonne prise en charge », à savoir d'une bonne couverture des soins de la population avec les offres existantes, et qu'elle tient compte, ce faisant, des aspects d'accessibilité, d'orientation sur les besoins, mais aussi de qualité, d'efficacité et d'efficience. Etant donné que, pour les maladies rares, une prise en charge purement régionale et cantonale ne fonctionne pas, les modèles de prise en charge doivent être considérés d'un point de vue supra-cantonal, voire national.

Sur la base de ces principes directeurs, la kosek est parvenue progressivement à définir son propre rôle en tant que plateforme de coordination.

### 3. Description du projet

#### 3.1. Cadre conceptuel

La kosek a commencé en 2017 à élaborer une ébauche de concept détaillé, dans laquelle elle décrivait comment la procédure de reconnaissance devait être mise en œuvre. Le Comité s'est tout d'abord mis d'accord sur une conception commune de la prise en charge conformément à ce qui est représenté dans l'illustration 1, et sur une terminologie commune des offres proposées : « Centres pour Maladies Rares » (pour les patient-e-s sans diagnostic) et « Centres de Référence » et réseaux (pour les maladies et groupes de maladies spécifiques). Cette étape était nécessaire afin d'ancrer la conception de base, qui avait déjà été élaborée dans les grandes lignes par l'ASSM, comme base commune pour l'ensemble des protagonistes.

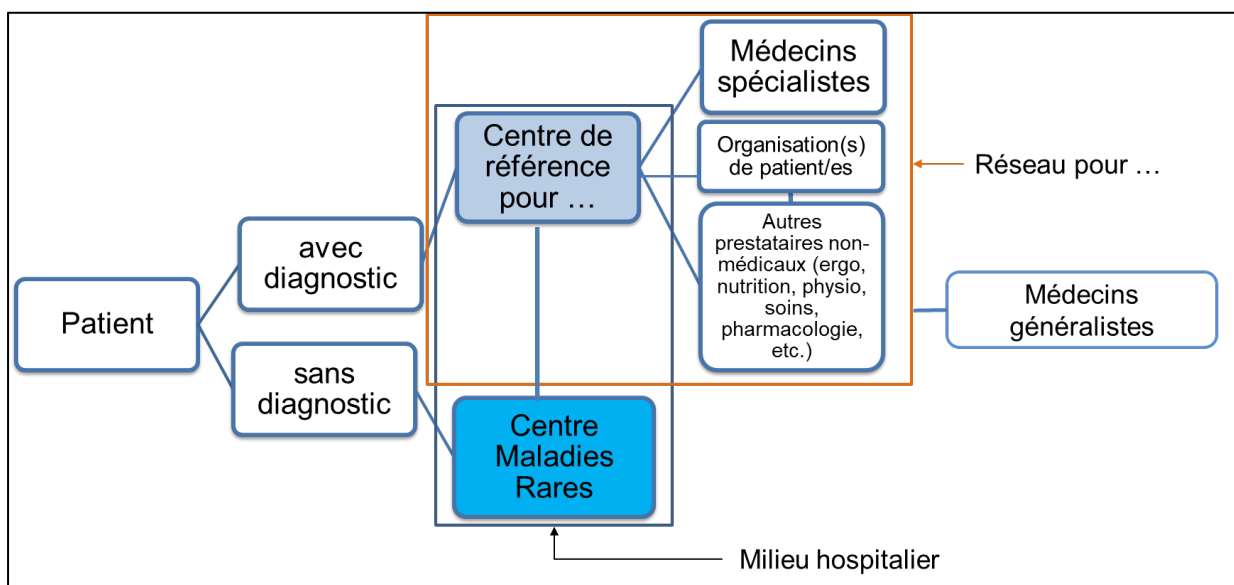


Illustration 1 : Conception de la kosek concernant la prise en charge de personnes souffrant d'une maladie rare

Ce présent rapport se concentre sur la mise en place de réseaux et la procédure de reconnaissance des Centres de Référence.

Dans le même temps, la terminologie de la procédure choisie pour l'assurance qualité a également été définie en concertation avec les acteurs. Conformément au principe du « gentlemen's agreement », il sera, dans la suite du document, toujours question de « reconnaissance des offres » (ce qui implique que les offres sont reconnues par l'ensemble des membres de la kosek comme étant des structures de prise en charge de bonne qualité). Il ne s'agit néanmoins pas d'une « désignation » officielle ni d'une « certification », puisqu'il faudrait pour cela que la kosek soit un organisme de certification reconnu. La procédure de reconnaissance comprend notamment une procédure de candidature, à laquelle tous les prestataires intéressés peuvent prendre part.

### 3.2. Création et développement des organes du projet

Parallèlement au développement du concept, le comité d'expert-e-s central, le *Groupe d'expert-e-s pour la prise en charge*<sup>5</sup>, a été créé pour la mise en œuvre de ce concept. Le comité d'expert-e-s a dans un premier temps réuni des expert-e-s défendant des points de vue différents, à savoir des représentant-e-s des hôpitaux et des cantons, des patient-e-s ou plus exactement des organisations de patient-e-s, la FMH et des assureurs-maladie. La médecine pédiatrique, la médecine adulte, et toutes les régions linguistiques étaient représentées au sein de ce comité d'expert-e-s. Fabrizio Barazzoni a été nommé président du groupe d'expert-e-s, en sa qualité de membre du Comité, et a assuré la communication avec le Comité. Le groupe d'expert-e-s s'est vu mandaté par le Comité de se pencher sur les questions de la mise en œuvre des structures de prise en charge et de la procédure de reconnaissance, de débattre des bases professionnelles et conceptuelles (en particulier concernant l'opérationnalisation des critères de reconnaissance, la définition de la procédure de reconnaissance et l'accompagnement de la mise en œuvre des projets), ainsi que de préparer les bases décisionnelles pour le Comité. Les expert-e-s ont entamé leur travail avec le sous-projet des Centres pour Maladies

5 La composition actuelle du groupe d'expert-e-s pour la prise en charge peut être consultée [ici](#)

Rares, en commençant par élaborer les étapes détaillées de la procédure de reconnaissance de manière encore plus précise, et par opérationnaliser ces exigences. Dans un second temps, le groupe d'expert-e-s s'est transformé en organe chargé de l'évaluation des candidatures. Pour cela, deux représentantes ont rejoint le groupe d'expert-e-s, apportant ainsi des connaissances importantes en médecine génétique et un éclairage de médecin-conseil concernant les Centres pour Maladies Rares. Les premières discussions au sein du groupe d'expert-e-s pour la prise en charge concernant l'opérationnalisation du projet des Centres de Référence et des réseaux ont débuté au printemps 2019. Le lancement effectif des projets a toutefois eu lieu plus tôt.

Lors du développement du concept de la kosek, le Comité a décidé à un stade précoce de lancer des projets pilotes pour la mise en place de centres de référence et de réseaux avec deux groupes de maladies. Cela a permis d'adapter le processus en cas de besoin, avant que le processus de reconnaissance ne soit étendu à tous les autres groupes de maladies. Le choix s'est porté sur les groupes des maladies métaboliques rares et des maladies neuromusculaires rares. Dans ces deux groupes de maladies, la collaboration entre les prestataires de soins et les organisations de patient-e-s concernées était déjà établie, et toutes et tous étaient prêts à mettre en œuvre l'initiative de la kosek sous la forme d'un projet pilote. En outre, les approches des projets pilotes étaient différentes, ce qui a permis à la kosek de recueillir différentes expériences : tandis que le pilote pour les maladies métaboliques rares a été mis en place sous l'impulsion d'une association de prestataires de soins (Swiss Group of Inborn Errors of Metabolism, SGIEM), le pilote pour les maladies neuromusculaires rares a été coordonné par la Schweizerische Muskelgesellschaft, une organisation influente de patient-e-s de ce domaine. Par ailleurs, dans le domaine du métabolisme, il existait déjà une certaine organisation de la prise en charge, avec la répartition de certaines interventions ou de certains traitements par le biais de la médecine hautement spécialisée. Cette répartition des prises en charge avait toutefois été décidée avant et indépendamment du processus de reconnaissance de la kosek.

Dans le même temps, le Comité a décidé de suivre la répartition européenne des maladies par groupes<sup>6</sup>, dans l'espoir que les centres de référence reconnus par la kosek puissent ainsi trouver un point de rattachement aux réseaux européens de référence<sup>7</sup>.

### 3.3. Poursuite du développement du concept et mise en œuvre

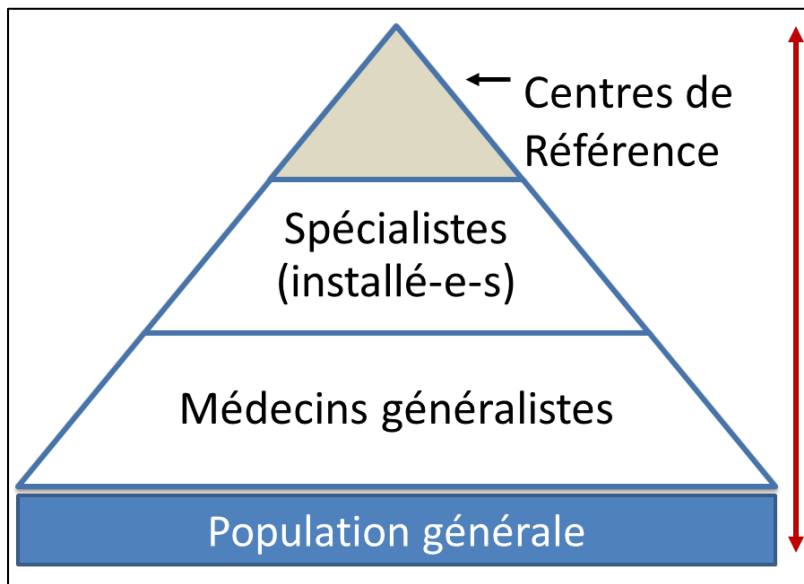
Pour améliorer la prise en charge, il faut la penser du point de vue des patient-e-s. Cela doit permettre d'offrir à celles et ceux qui sont atteint-e-s de maladies rares un accès égalitaire au système de santé.

La prise en charge des maladies rares est par essence une prise en charge spécialisée. Selon le modèle de gestion des maladies chroniques (modèle Kaiser Permanente – voir l'illustration 2 ci-dessous), la prise en charge se déroule à différents niveaux, en fonction de la complexité de la maladie. Le degré de spécialisation des expert-e-s augmente à chaque niveau. L'objectif de ce modèle vise à traiter les patient-e-s au bon niveau.

---

<sup>6</sup> La liste des groupes de maladies définis au niveau de l'UE se trouve [ici](#).

<sup>7</sup> Toutefois, en raison de la position de la Suisse en tant que pays non membre de l'UE, ce n'était déjà pas possible en 2017.



*Illustration 2 : Modèle pour la prise en charge des maladies chroniques, adapté à la prise en charge des maladies rares (selon le modèle Kaiser Permanente)*

D'après ce concept, différentes structures sont à la disposition des patient-e-s : des centres de référence dans des réseaux pour les patient-e-s avec une maladie rare diagnostiquée. Ce sont des structures disposant d'une grande compétence pour un certain groupe de maladies. La prise en charge de ces patient-e-s n'exige toutefois pas toujours le niveau de spécialisation le plus élevé, et doit être assurée au plus proche de leur domicile. Dans son concept, la kosek a donc défini plus précisément le réseau de prise en charge recommandé par l'Académie suisse des sciences médicales (ASSM) : le réseau permet d'intégrer des expert-e-s spécialisé-e-s en dehors des centres de référence, et donc de coordonner les efforts et la prise en charge de tout un groupe de maladies, ainsi que la prise en charge spécialisée autour des patient-e-s. Cette approche permet d'identifier les lacunes existantes pour un groupe de maladies et pour toutes les parties prenantes du réseau. Ainsi, tout le spectre de la prise en charge est couvert et rendu visible par la reconnaissance par la kosek.

La kosek s'est abstenue de reconnaître des réseaux entiers comme « réseaux de référence » comme cela se fait au niveau européen. Des réseaux de référence rendraient nécessaire un processus juridiquement contrôlé, ce qui n'est pas compatible avec les principes de la kosek (il faudrait probablement définir la forme juridique des réseaux, ce qui pourrait entraîner l'exclusion de certain-e-s prestataires/formes de réseau, et il faudrait également préciser si la reconnaissance du réseau est maintenue en cas de départs de partenaires).

La kosek n'a sciemment pas défini trop strictement la mise en œuvre du réseau de prise en charge, afin de ne pas exclure dès le départ dans les projets pilotes des collaborations déjà développées et fonctionnelles. Cette approche ouverte a toutefois été source d'incertitudes dans les projets pilotes, et a été critiquée au cours du projet (voir chapitre 4).

### **3.4. Mise en place du réseau**

Le choix des projets pilotes par le Comité, avec l'accord des parties prenantes responsables dans les deux domaines, a eu lieu à un stade précoce du processus afin de donner aux prestataires le temps nécessaire pour mettre en place le réseau de prise en charge, tout en structurant et en élargissant le réseau existant. Ainsi, après le choix des deux groupes de maladies,

un groupe central a été formé dans chaque projet pilote, avec pour mission de faire avancer la mise en œuvre.

À ce moment-là, les critères pour la reconnaissance du groupe d'expert-e-s pour la prise en charge n'étaient pas encore opérationnels. Cela a entraîné de nombreuses questions de la part des prestataires, qui ont permis à la kosek de préciser davantage le concept et de l'affiner.

La kosek a également dû convaincre les groupes centraux de la justesse de son concept, pour que ceux-ci commencent la mise en œuvre dans les projets pilotes. Il a rapidement été clair que la mise en réseau représentait une grosse charge supplémentaire pour les prestataires, pour laquelle ils ne disposaient pas de ressources. Les projets ont donc dû être accompagnés. Le projet pilote pour les maladies neuromusculaires a été coordonné par la Schweizerische Muskelgesellschaft et son directeur Martin Knoblauch. Comme Martin Knoblauch est membre du Comité de la kosek, il connaissait bien les discussions internes à l'institution. Le projet pilote des maladies métaboliques a été accompagné par le secrétariat de la kosek (Christine Guckert en tant que collaboratrice scientifique).

Cet accompagnement a eu l'avantage de résulter en un échange ouvert entre les prestataires et la kosek, qui a permis d'examiner en continu les difficultés rencontrées lors de la mise en œuvre du concept, et de l'adapter le cas échéant.

Lors de l'étape suivante, les groupes centraux ont dû préparer la mise en œuvre. Ce travail préparatoire concernait aussi bien l'organisation du projet que ses contenus. Des objectifs communs, des méthodes de travail, des parties impliquées, des interfaces et des partenaires ont donc été définis. Une analyse des parties prenantes, ainsi qu'une photographie du paysage actuel de la prise en charge, en faisaient également partie. Avec ces informations nouvellement acquises, le groupe central du projet pilote Métabolisme a organisé une séance de lancement, pour marquer le démarrage officiel du projet.

Le tableau 1 ci-après montre, de manière détaillée, les différentes étapes du projet jusqu'à la reconnaissance des centres de référence, telles qu'elles sont prévues dans le concept.

Phases de projet	Description
<b>1 – Choix des groupes de maladies pour les projets pilotes</b>	Le choix se fait selon certains critères, comme l'état de la prise en charge et de la collaboration entre les acteurs à l'intérieur du groupe de maladies.
<b>2 – Constitution d'un groupe de pilotage, mise en place du préprojet</b>	Les acteurs intéressés constituent un groupe restreint de pilotage pour démarrer la mise en œuvre opérationnelle au sein du groupe de maladies. Selon les besoins des acteurs, la kosek peut accompagner ce travail. Le groupe de pilotage définit les objectifs communs, les méthodes de travail ainsi que les parties prenantes du projet, les points d'intersection et les partenaires. Les tâches de cette phase sont également une analyse des acteurs du domaine, une identification du paysage de prise en charge et la préparation du coup d'envoi du projet (kick-off). Le groupe de pilotage décrit les processus dans un concept.

<b>DEMARRAGE DU PROJET<sup>8</sup></b> <b>3 – Concept et coup d’envoi (kick-off)</b>	Les institutions intéressées sont invitées au lancement du projet (kick-off) et à former un réseau de prise en charge. La kosek peut également accompagner cette phase.
<b>4 – Opérationnalisation des critères pour la reconnaissance</b>	Les critères de reconnaissance pour les Centres de Référence sont concrétisés/opérationnalisés selon le rapport de l’ASSM. Ceux-ci sont réunis dans deux questionnaires (le premier relatif au Centre de référence, le second au réseau de prise en charge) auxquels les institutions candidates doivent répondre, afin de se faire évaluer. La kosek est responsable de cette étape. Les critères sont évalués auparavant par les projets pilotes dans une phase test. Des modifications peuvent être proposées. La kosek valide la version finale des questionnaires.
<b>5 – Mise en œuvre du réseau de prise en charge dans la pratique</b>	Le groupe de pilotage s’organise. Création d’une vision commune au sein du réseau de prise en charge. Échange au sujet des modèles organisationnels et des rôles entre les institutions intéressées. Pour les Centres de Référence, discussion sur les critères opérationnalisés. Répartition des tâches au sein du réseau sur la base des critères opérationnalisés. Décision du nombre de Centres de Référence au sein du « Gentlemen's Agreement. » Accompagnement par la kosek. Important : Les membres du groupe de pilotage doivent informer le réseau de prise en charge. Le processus doit également être soutenu par la direction respective de chaque institution membre du réseau.
<b>6 – Organisation de la mise en œuvre des Centres de Référence</b>	Les prestataires de services individuels organisent leurs offres/services en fonction des besoins et des tâches convenues dans le réseau de prise en charge.
<b>7 – Phase de candidature pour les Centres de Référence</b>	Constitution d’un dossier de candidature pour le(s) Centre(s) de Référence. Les Centres de Référence peuvent soumettre leurs dossiers ensemble.
<b>8 – Evaluation des candidatures</b>	La kosek évalue les candidatures. S’il y a des points problématiques, la discussion est privilégiée. <b>Résultat</b> : les Centres de Référence sont évalués et reconnus / reconnus sous conditions / non reconnus.
<b>9 – Documentation et communication des décisions de reconnaissance</b>	Documentation de l’expertise dans Orphanet. Documentation et décisions de reconnaissance rendues transparentes sur le site internet de la kosek. Annonce de la reconnaissance, éventuellement sur le site internet de l’OFSP. Publication par les cantons (par exemple au moyen de recommandations de la CDS).
<b>10 – Elaboration des rapports sur les projets pilotes</b>	Evaluation des projets pilotes

<sup>8</sup> Les phases 3 et 4 apparaissent de manière chronologique. Cependant elles peuvent se produire en même temps ou chronologiquement inversées, c’est-à-dire l’étape 4 avant l’étape 3.

**Tableau 1 : Phases détaillées des projets pilotes**

### 3.5. Opérationnalisation des exigences envers les Centres de Référence et les réseaux

L'opérationnalisation des exigences concernant les offres de prise en charge a eu lieu parallèlement à la mise en place des réseaux. Le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge a élaboré une première ébauche de deux questionnaires distincts, l'un pour décrire les offres spécifiques des différents hôpitaux et l'autre pour décrire le réseau. Ce dernier questionnaire ne devait être rempli qu'une seule fois par le réseau. Ainsi l'existence d'un réseau structuré, comme condition préalable à la reconnaissance des Centres de Référence, conformément au concept de la kosek était garantie. Les ébauches des deux questionnaires ont d'abord été discutées au sein du Comité, puis présentées aux groupes de pilotage respectifs. Ils avaient ainsi la possibilité d'évaluer la mise en œuvre concrète dans la pratique des exigences définies dans les grandes lignes par l'ASSM, et d'attirer l'attention sur les éventuels points faibles. Une phase de test supplémentaire, sur la base du questionnaire adapté, réalisée dans plusieurs hôpitaux issus des groupes de pilotage, a permis d'achever la phase de consolidation et le questionnaire fut complété, adapté et finalisé à partir des retours recueillis. En parallèle, cette phase de consolidation a permis qu'un dialogue régulier s'instaure entre les hôpitaux et la kosek, afin d'aborder des questions comme les tâches incombant à un Centre de Référence et/ou au réseau, et la manière de les organiser. Comme la Suisse ne disposait jusqu'alors pas de tels centres, ces discussions étaient primordiales, afin d'élaborer un langage commun et des visions communes des offres à mettre en place.

Concernant l'opérationnalisation des critères, la coordination avec Orphanet Suisse était tout à fait essentielle, afin de garantir la publication des décisions de reconnaissance prises par la kosek. La mise en œuvre a en outre également été effectuée en tenant compte des critères des réseaux européens de référence (ERN), afin de garantir la compatibilité des exigences.

### 3.6. Phase de candidature, évaluation et reconnaissances

Dès le début du projet, il était déjà clair que les projets pilotes de la kosek serviraient à acquérir des connaissances importantes, afin de pouvoir ensuite mettre en place un processus de reconnaissance ordinaire pour les Centres de Référence dans tous les autres groupes de maladies. En juin 2020, la procédure de reconnaissance fut lancée au sein des projets pilotes, et la première phase de candidature ouverte (questionnaire pour les Centres de Référence). En raison de la pandémie de Covid et de la pression qui en résulta sur les hôpitaux, la kosek décida de repousser de 6 mois le délai de remise du questionnaire réseau. Ainsi, les prestataires de soins avaient davantage de temps pour le consolider au sein du réseau. Ce premier pas a été communiqué par tous les canaux disponibles à la kosek (site web et newsletter). Tous les documents ont été mis en ligne sur le site Internet de la kosek, afin de garantir une communication claire. La date limite de soumission du questionnaire pour les Centres de Référence candidats a été fixée au 31.12.2020. Le délai de soumission du questionnaire relatif au réseau a été prolongé jusqu'au 31.3.2021. Il n'y avait pas de possibilité, ni pour les réseaux, ni pour les centres candidats, de prolonger ces dates limites.

La phase de candidature fut suivie de la phase d'évaluation : après la date de clôture du premier dépôt des candidatures (questionnaires centres), le groupe d'expert-e-s s'est partagé le travail en lien avec les candidatures. Chaque candidature du projet pilote neuromusculaire a

été évaluée par un sous-groupe de deux personnes. Les candidatures du projet pilote métabolisme ont été évaluées par un petit sous-groupe. Après la remise des questionnaires de réseau, les candidatures ont été examinées une nouvelle fois en binôme (ou en petit groupe) sur la base des nouvelles informations fournies. Elles ont ensuite été discutées au sein du groupe d'expert-e-s, et enfin, soumises au Comité dans un rapport accompagné de recommandations. Trois types de décisions étaient ici recommandées : reconnaissance, reconnaissance sous conditions ou refus. L'option « reconnaissance sous conditions » devait être envisagée lorsque les candidats répondaient aux exigences dans les grandes lignes, mais pas suffisamment pour pouvoir obtenir une reconnaissance à part entière à ce stade. Avec une reconnaissance sous conditions, les structures d'offres spécialisées existantes sont toutefois valorisées et la qualité des offres encouragée.

Le Comité a discuté du rapport d'évaluation, et formulé une proposition concernant les décisions en matière de reconnaissance à l'attention des organes responsables de chacun de ses membres. Ces décisions ont été adoptées par tous les organes responsables, dans le cadre de la procédure de consolidation. Suite à une décision formelle du Comité de la kosek, les reconnaissances ont ensuite été définitivement accordées, constituant le point de départ de la communication publique des reconnaissances.

Le 8 décembre 2021, la reconnaissance de six Centres de Référence pour les maladies neuromusculaires et 4 Centres de Référence pour les maladies métaboliques a fait l'objet d'un communiqué de presse et ces Centres et leurs réseaux ont été enregistrés dans la base de données Orphanet.

### **3.7. Travail de communication autour des reconnaissances**

La communication concernant les reconnaissances a été effectuée via différents canaux :

- Orphanet : enregistrement des Centres de Référence avec la mention « Centre officiellement désigné »
- Communiqué de presse de la kosek, coordonné avec les Centres de Référence (distribution propre)
- Site Internet de la kosek. Une newsletter est parue en janvier 2022.
- Lien vers les reconnaissances sur le site web de la CDS et de l'OFSP
- Mise en ligne d'informations par les partenaires

## **4. Enseignements tirés du projet**

Dans le présent rapport, les projets pilotes et la procédure vont être analysés. On pourra ainsi constater quelles approches ont fait leurs preuves, et en parallèle, aborder les facteurs ayant compliqué le processus et le potentiel d'amélioration existant. Les rubriques suivantes correspondent à l'analyse que le Comité de la kosek en fait. Le chapitre 5 présente les expériences des prestataires et des organisations de patient-e-s avec leurs projets pilotes correspondants.

Les sections suivantes s'appuient sur les principales étapes du processus de reconnaissance qui ont déjà eu lieu. En conséquence, les étapes de la vérification des conditions et de la réévaluation ne sont pas prises en compte ici :

1. **Concept** : le concept forme la base du processus de reconnaissance. Il définit les principales étapes et les aspects principaux de la reconnaissance (p. ex., organisation selon les groupes de maladies des réseaux européens de référence [RER], mise en place d'un réseau de prise en charge).
2. **Mise en réseau** (par les prestataires) **et opérationnalisation des critères** (par le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge). Ces deux étapes ont été menées en parallèle et ont concrétisé la mise en œuvre du concept.
3. **Phase de candidature** : pour cette phase, le groupe d'expert-e-s a élaboré les questionnaires (un questionnaire pour le réseau, un questionnaire pour le centre candidat).
4. **Phase d'évaluation** : dans cette phase, le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge a évalué les dossiers de candidature à l'aide d'une grille, tout d'abord à deux ou en sous-groupes puis avec l'ensemble du groupe. Ensuite, il a rédigé un rapport avec ses recommandations de reconnaissance à l'attention du Comité.

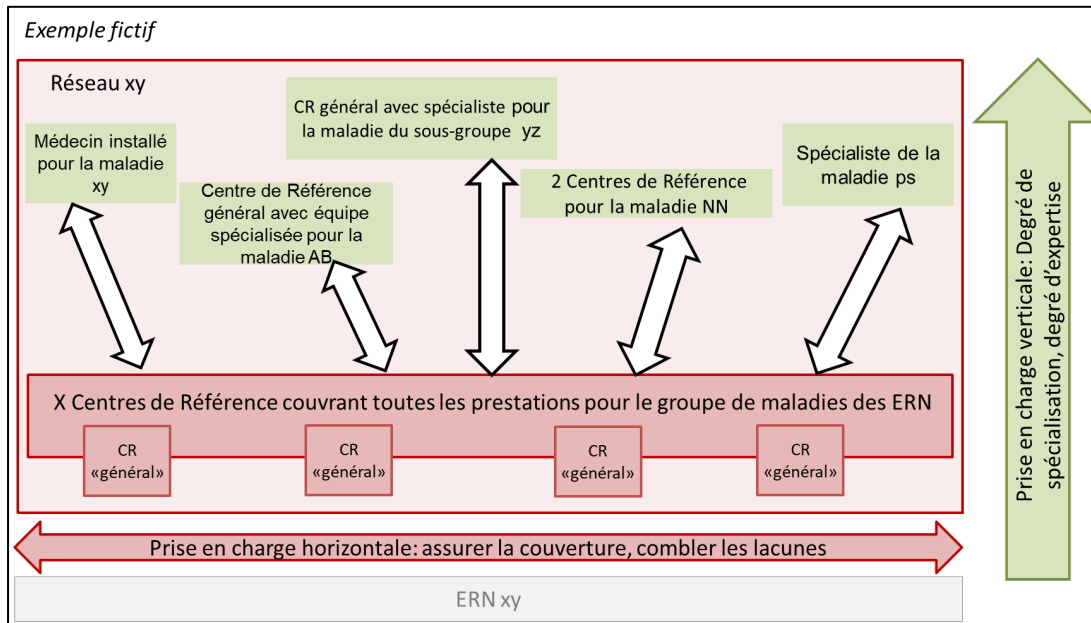
#### 4.1. Le concept comme base du processus de reconnaissance

La kosek est d'avis que les principes du concept ont généralement fait leurs preuves. La reconnaissance de dix Centres de Référence au total et la structuration autonome des deux réseaux par les prestataires et l'organisation de patient-e-s montrent que l'approche fonctionne. En outre, les projets pilotes ont montré que différents modèles d'auto-organisation sont possibles dans le réseau (reconnaissance de Centres de Référence généraux pour le métabolisme, et d'un Centre de Référence pour un sous-groupe de maladie [porphyrie], réseau animé par les prestataires, ou réseau animé par une organisation de patient-e-s).

Certains aspects se rapportant au concept présentent toutefois un potentiel d'amélioration ou ont encore besoin d'un examen approfondi et de précisions de la part du Comité de la kosek :

- a. L'approche du réseau qui englobe l'ensemble des prestataires et des compétences a atteint son but. Le concept doit toutefois encore être affiné. Dans le projet pilote Métabolisme, le réseau a introduit deux nouveaux niveaux, les « centres associés » et les « structures de prise en charge », et a élaboré des critères pour définir ces niveaux. Afin de garantir un accès égalitaire à toutes les patientes et tous les patients, la kosek doit examiner si la prise en charge doit être structurée d'une façon similaire pour tous les groupes de maladies. La kosek devrait donc définir des critères pour un à deux autres niveaux de prise en charge. Cela réduirait le potentiel de conflit au sein du réseau, et faciliterait son travail, car ce processus ne doit pas être défini par les parties prenantes. De cette façon, la kosek pourrait aussi mieux s'assurer qu'aucun-e prestataire n'est exclu-e.  
D'un autre côté, une telle différenciation générale des fournisseuses et fournisseurs spécialisé-e-s augmente également la charge de travail pour la kosek, et peut aller à l'encontre de son approche ascendante. La possibilité de trouver des critères similaires pour d'autres niveaux dans tous les différents groupes de maladies n'a pas encore été clarifiée. La kosek abordera ces questions dans le cadre de la poursuite de ses projets.
- b. La prise en charge horizontale et verticale, ainsi que la répartition des rôles au sein du réseau, doivent être rendues accessibles aux patientes et aux patients. Il incombe au réseau d'organiser et de couvrir la prise en charge de l'ensemble ou de la plupart des

maladies au sein du groupe correspondant. Dans le même temps, l'expertise spéciale, qui existe déjà pour une maladie ou un sous-groupe de maladies, doit être rendue visible et accessible. De cette façon, les deux dimensions de la prise en charge des personnes atteintes deviennent visibles (voir l'illustration 3 ci-dessous).



*Illustration 3 : Modèle de prise en charge pour un groupe spécifique de maladies rares (fictif)  
CR = centre de référence*

#### 4.2. Mise en place du réseau et opérationnalisation des critères

Ces deux phases se sont pratiquement déroulées en parallèle dans les projets pilotes. La phase de mise en réseau est une phase centrale, dans laquelle il s'agit d'impliquer toutes les parties prenantes, et de les convaincre de participer au projet et au réseau.

Cette étape est essentielle pour le processus de reconnaissance, car elle pose les bases du réseau et de la reconnaissance des Centres de Référence. Dans cette phase, la transparence de la communication est un instrument important, qui permet de réduire les résistances et les peurs des différent-e-s prestataires, de résoudre des conflits ou des malentendus, ou de les éviter. Même si les éléments clés n'étaient pas encore tous définis à ce moment-là, les parties prenantes ont toutefois pu commencer la mise en œuvre. En effet, elles étaient régulièrement en contact avec le secrétariat de la kosek, et entretenaient des échanges réguliers sur le cadre conceptuel de l'institution.

Le facteur temps joue un grand rôle dans la mise en réseau : comme les tâches du réseau et de la coordination viennent s'ajouter aux autres tâches de la conception de l'offre, il est important de donner suffisamment de temps aux parties prenantes pour les étapes à accomplir dans cette phase (comprendre le concept de la kosek, le concrétiser dans une vision commune pour le réseau, rallier d'autres protagonistes à cette vision et, pour finir, la mettre en œuvre).

Dans cette phase, la charge de travail était très élevée pour les prestataires candidat-e-s et leurs partenaires du réseau. À travers l'expérience acquise au cours des projets pilotes, la kosek a reconnu qu'il s'agit d'un véritable défi, car les tâches de coordination au sein du réseau viennent s'ajouter à toutes les autres tâches des protagonistes, et ne sont pas rémunérées.

Toutes les parties prenantes des projets pilotes ont donc ainsi prouvé leur grand engagement en faveur des patientes et des patients, et de la kosek. À l'avenir, il faudra trouver des ressources ou fournir une rémunération pour ces tâches, car le temps investi pourrait l'être aux dépens de la prise en charge des patientes et des patients.

Dans le cadre des projets pilotes, les projets ont été accompagnés par le secrétariat de la kosek, cet accompagnement ayant été plus approfondi dans le cas du projet pilote Métabolisme que dans celui sur les maladies neuromusculaires. Il s'est avéré qu'un accompagnement étroit est nécessaire dans cette phase, afin de répondre aux questions soulevées dans le réseau. Avec les nombreuses étapes à accomplir dans cette phase, le soutien opérationnel du groupe central est essentiel pour que le projet continue à avancer. Les prestataires peuvent ainsi mieux se concentrer sur l'organisation concrète de leur réseau. La boîte à outils de la kosek est également issue de l'accompagnement intensif du projet Métabolisme. Elle met à disposition divers instruments et modèles, utiles pour la discussion de l'organisation et des tâches au sein du réseau (p. ex. la photographie du paysage de prise en charge). La boîte à outils doit également aider les parties prenantes à concevoir la mise en œuvre concrète du réseau pendant le processus de reconnaissance ordinaire. Ainsi, chaque réseau n'a pas à développer lui-même ses instruments pour les processus, mais peut s'appuyer sur les modèles de la boîte à outils. Cela doit contribuer à la réduction de la charge de travail pour les prestataires, et permettre de gagner du temps.

Pour la kosek, il s'est avéré que l'accompagnement des projets demandait des ressources considérables. Au début des deux projets, les attentes des parties prenantes envers la kosek étaient grandes, et le besoin d'informations élevé. Comme la kosek elle-même était également en train de formuler concrètement ses concepts pour les projets, ce besoin n'a pas toujours pu être comblé de manière satisfaisante, et la communication n'a pas toujours été optimale. Pour le processus de reconnaissance ordinaire, les canaux et les étapes de communication doivent être définis de manière plus précise. En outre, dans le cadre du processus ordinaire, les deux étapes de la mise en réseau et de l'opérationnalisation des critères (et l'adaptation des instruments et des processus) seront séparées. Dans le cadre des travaux à venir, la kosek adaptera d'abord ses critères et processus à partir de l'expérience acquise dans les projets pilotes, et ne lancera qu'ensuite d'autres projets de mise en réseau. On peut donc s'attendre à ce que la communication soit plus claire avec les parties prenantes à la mise en œuvre, et que l'accompagnement par la kosek puisse être plus efficace.

Lors de l'opérationnalisation des exigences, la kosek a pu s'appuyer sur les bases fournies par l'ASSM, vu qu'elles faisaient d'ores et déjà l'objet d'un large consensus. En parallèle, les questionnaires concrets d'Orphanet et des réseaux européens de référence étaient disponibles, permettant également une opérationnalisation des exigences de base en matière de qualité. Sur la base de ces éléments, un premier questionnaire a été élaboré, en veillant tout particulièrement à se concentrer sur les points importants. La pluridisciplinarité était au cœur de la conception professionnelle des centres (Rare Disease Board, itinéraire clinique des patient-es). Si l'orientation de base de l'opérationnalisation était considérée comme juste par tous les protagonistes, la formulation concrète des questions et des exigences a malgré tout suscité de vives discussions.

**Harmonisation de la mise en œuvre versus diversité :** Les différentes structures, les processus et dynamiques internes, ont très tôt constitué un véritable défi pour la kosek : comme chaque hôpital présente une organisation interne spécifique, les concepts et les approches

devaient être formulés de façon suffisamment générale pour pouvoir être applicables par tous, même si en pratique, ils ne sont pas appliqués partout de la même manière. L'échange mutuel et la comparaison entre les hôpitaux a, au début, soulevé quelques craintes chez les protagonistes, inquiets de voir un modèle unique de mise en œuvre imposé lors de l'opérationnalisation, qui contraindrait certains à procéder à des ajustements compliqués. Il était donc important, lors de l'opérationnalisation, de trouver un équilibre entre le maintien de critères de qualité importants, et une certaine liberté pour les fournisseurs de prestations de s'organiser en fonction des besoins de leur cadre hospitalier interne. Les structures déjà établies et fonctionnant bien dans la pratique ne devaient pas être compromises. Nous sommes d'avis que nous avons dans l'ensemble réussi ce défi.

Un autre élément important sur le plan de l'opérationnalisation a été la phase test pour le questionnaire, à laquelle ont pris part deux centres candidats (un en Suisse alémanique, l'autre en Suisse romande). Ce test a permis de clarifier les dernières questions et a été jugé très utile. Par conséquent, la kosek prévoit à l'avenir de soumettre tout nouveau questionnaire à une phase test.

#### **4.3. Phase de candidature**

Le déroulement de la phase de candidature est en partie concluant : pour la reconnaissance des Centres de Référence, il est judicieux d'évaluer aussi bien les centres candidats que le réseau correspondant. Les projets pilotes ont montré à la kosek que les instruments à cet effet n'étaient pas encore entièrement aboutis, et qu'elle devait se pencher de manière plus approfondie sur le déroulement et les objectifs de la reconnaissance.

La documentation et les questionnaires devraient être retravaillés et simplifiés, afin de réduire la charge de travail pour les prestataires et le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge. Les critères, et donc les questions associées, doivent être précisés, afin de réduire le travail de description des offres pour les centres candidats. Les questions trop larges doivent être plus précises.

La simplification et la formulation plus claire des questionnaires doivent aussi permettre de réduire la charge de travail pour les prestataires candidat-e-s, et de ce fait favoriser une mise en réseau et une coordination optimales des tâches centrales au sein du réseau.

Dans tous les cas, avec les instruments actuels, les délais de la procédure de candidature sont trop serrés. En réduisant la charge de travail des centres pour la candidature, les délais pourraient probablement être maintenus. Pour les structures qui se portent candidates, il est important que les délais soient annoncés dès le début, en toute transparence.

Par ailleurs, pour le processus de reconnaissance ordinaire, il convient de réfléchir à l'opportunité d'un accompagnement des centres candidats par la kosek pendant la phase de candidature. Cela permettrait de répondre plus tôt aux questions soulevées, et d'éviter ainsi des malentendus.

#### **4.4. Phase d'évaluation**

Au début de l'évaluation, il était nécessaire d'établir un système d'évaluation commun au sein du groupe d'expert-e-s. Cela a été fait au moyen d'une discussion commune du questionnaire et des candidatures transmises. En outre, la procédure uniforme développée et établie lors du

processus de reconnaissance des Centres pour Maladies Rares a été reprise dans un formulaire d'évaluation structuré à l'attention des évaluatrices et évaluateurs du groupe d'expert-e-s.

Une fois de plus, la composition interdisciplinaire et multidisciplinaire du groupe d'expert-e-s pour la prise en charge a permis de réaliser une évaluation à partir de perspectives différentes. L'intégration de prestataires et (d'organisations) de patient-e-s dans le comité a permis d'évaluer les candidatures suivant deux approches complémentaires. Le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge souhaite renforcer cette complémentarité pour le processus de reconnaissance ordinaire, et élargir le groupe d'expert-e-s à d'autres prestataires et à d'autres représentant-e-s des patient-e-s. Le recrutement de nouvelles et nouveaux membres qui répondent à ce besoin est considéré comme essentiel.

Entretenir une communication ouverte avec les centres candidats a été aussi une tâche importante pendant la phase d'évaluation : cela a permis de répondre rapidement et sans complication administrative à différentes questions soulevées dans le cadre de l'examen et de l'évaluation, afin d'aboutir ensemble avec les prestataires à des solutions optimales. Ici aussi, il s'avère que l'approche du gentlemen's agreement est complexe à mettre en œuvre, mais très prometteuse dans ses résultats.

La possibilité de reconnaissance sous conditions est aussi un élément important de cette approche. Ainsi, avec les conditions, les structures qui ne remplissent pas (encore) tous les critères sont soutenues dans leur développement par la kosek, et non sanctionnées.

La différenciation entre l'expertise et l'excellence pour une maladie rare spécifique a constitué un défi supplémentaire pour le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge. Des discussions à ce sujet ont été lancées dans le cadre des deux projets pilotes.

Rétrospectivement, le groupe d'expert-e-s pour la prise en charge estime la procédure de candidature et de reconnaissance extrêmement compliquée, et recommande à l'avenir de mener une discussion sur la réorganisation ou la professionnalisation de l'évaluation des candidatures, car un tel effort ne pourra plus être fourni lors du processus de reconnaissance ordinaire. La kosek abordera concrètement ce point en 2022.

Pour de plus amples informations sur les retours des prestataires et des organisations de patient-e-s concernant la procédure de candidature et de reconnaissance, se reporter au chapitre 5.

Il faut, ici encore, souligner que l'intégration des patientes et des patients dans les réseaux de prise en charge à travers leur(s) organisation(s) présente un énorme potentiel pour améliorer la qualité de la prise en charge. Ce potentiel n'est pas encore entièrement exploité. Lors de l'implication des personnes atteintes et de leurs organisations, il est important de prendre en compte la diversité des patientes et des patients (p. ex. par rapport aux différentes maladies, à leur évolution, au degré d'invalidité ou à la phase de vie concernée). Il est à espérer que la collaboration entre les prestataires et les personnes atteintes continuera à se développer, et que la forme de collaboration structurée qui commence juste à se dessiner continuera de croître. Sur ce point, l'expérience acquise à l'étranger pourrait représenter des possibilités de mise en œuvre potentielles.

#### 4.5. Communication envers le public

Du point de vue de la kosek, la communication a été efficace. L'ouverture de la phase de candidature a été transparente, et mise à profit par les parties prenantes. Les décisions concernant la reconnaissance, en novembre 2021, ont été peu reprises par les médias. La kosek considère que le travail de communication n'est pas terminé. Un objectif de la kosek en 2022 sera de faire connaître davantage les structures de prise en charge (voir pour cela le point 7.3. ci-dessous).

La kosek a assuré la collaboration avec Orphanet dans le cadre de la communication des reconnaissances, et tout s'est déroulé parfaitement et de manière non bureaucratique. Tous les Centres de Référence sont donc désormais visibles dans la base de données Orphanet. Certaines questions relatives à la visibilité des réseaux sont encore en suspens, et nécessitent une poursuite de la réflexion, ainsi que des discussions concrètes sur la représentation des réseaux entre Orphanet, les réseaux de prise en charge et les professionnels de santé, et la kosek.

Le site Internet de la kosek, sur lequel tous les documents liés aux projets, processus et organes figurent, s'est révélé être un canal important pour une communication transparente et facilement accessible.

En ce qui concerne la visibilité des informations, la kosek voit de plus en plus clairement la nécessité d'un portail d'information national en ligne, qui regrouperait toutes les informations relatives aux maladies rares.

#### 4.6. Calendrier

Au cours du projet, il s'est avéré que le calendrier initial (voir point 4.7. Conditions cadres) n'était pas réaliste. Eu égard à l'approche participative de ce projet multipartite, il était important d'impliquer les différents acteurs. Plusieurs séances de discussion / clarification ont été nécessaires, afin de préciser certains aspects, et d'obtenir un consensus quant à la marche à suivre. La kosek a donc considéré que l'élaboration consensuelle de bases solides et bien structurées était plus importante que le respect d'un calendrier prédéfini. Cela était d'autant plus important que le projet était basé sur le volontariat.

La priorité de l'établissement d'un consensus sur l'approche était importante à chaque nouvelle étape, et a contribué à établir solidement les projets. Toutefois, cette approche a entraîné des reports répétés du calendrier jusqu'à l'ouverture de la phase de candidature, et ensuite dans la phase d'évaluation. Dans l'ensemble, on peut toutefois constater qu'il vaut la peine d'investir suffisamment de temps pour constituer un réseau et se mettre d'accord sur des idées communes. Les retards intervenus par rapport au calendrier initial étaient essentiellement dus au fait qu'il fallait davantage de temps pour clarifier certaines questions entre la kosek et les différents protagonistes, et étaient de ce fait nécessaires pour mener à bien le projet.

#### 4.7. Conditions cadres

Finalement, il faut également noter que le projet de la kosek a été confronté à des conditions générales difficiles, qui ont également eu des répercussions sur ses différentes phases.

Pour la mise en œuvre des mesures du CNMR, **les bases juridiques**, ou un règlement, font défaut, notamment concernant la définition des offres pour les maladies rares, les acteurs à impliquer et comment appliquer les processus de reconnaissance. Cette absence de conditions cadres a été palliée avec l'approche du gentlemen's agreement, et ce défaut a ainsi été

transformé en approche productive. Le projet multipartite ainsi mis sur pied, avec un niveau de consensus élevé, procure une réelle valeur ajoutée et rend la coopération possible. Le défi a été relevé avec succès, notamment grâce aux nombreux entretiens avec les différents acteurs, ayant permis de prendre connaissance directement des préoccupations des parties prenantes. Il n'en reste pas moins que le concept du gentlemen's agreement comporte des risques : si l'un des acteurs majeurs n'est pas d'accord avec l'une des étapes prévues, cela peut entraîner un blocage, voire l'échec de tout le projet. Ce risque a plané sur la kosek pendant toute la procédure d'évaluation. La kosek espère que les reconnaissances réussies ont permis de jeter les bases d'une collaboration fondée sur la confiance, permettant ainsi de réduire au maximum le risque de désaccord futur lors de la suite du projet.

**Un calendrier serré pour le CNMR** : la procédure de reconnaissance de la kosek s'effectue dans le cadre du Concept national maladies rares adopté par le Conseil fédéral. La planification de mise en œuvre du concept prévoyait à l'origine que la reconnaissance des Centres de Référence soit achevée fin 2017. Le rapport de l'ASSM de 2016 montrait déjà que cette exigence ne tenait pas suffisamment compte de la complexité du projet, qui visait à mettre en place plusieurs types de centres, et implémenter en parallèle une organisation devant assurer la procédure de reconnaissance. L'objectif politique d'une désignation des offres avant fin 2017 s'est avéré peu réaliste. C'est ainsi que la kosek fut créée en 2017 seulement. Elle a alors élaboré des planifications de projets et des calendriers indépendants, suivant la logique du projet. La kosek est très reconnaissante que l'OFSP ait accepté cette logique interne des projets. Même si les projets ont pris plus de temps que prévu, nous ne considérons pas cela comme un véritable retard, car la mise en place d'offres nouvelles et leur coordination était un processus complexe et de longue haleine.

La plus grande difficulté dans ce cadre a toutefois été **l'incertitude concernant les perspectives financières de la kosek elle-même, et la question des ressources, sans cesse discutée, chez les partenaires impliqués dans le projet**. Cette perspective à long terme incertaine pour la kosek et ses projets a régulièrement été à l'origine de difficultés de motivation et de doutes de la part des centres impliqués, qui s'interrogeaient sur l'intérêt de prendre part à ce projet. Le fait que la kosek ait malgré tout réussi à convaincre les protagonistes de l'utilité du projet est dû au grand engagement des personnes de contact et des groupes centraux, ainsi qu'à une implication forte des directions des hôpitaux, régulièrement informées par la kosek. Toutefois, la question des ressources se pose aussi constamment chez les spécialistes, les prestataires et les organisations de patient-e-s participant au projet. Toutes et tous ont dû concilier leur participation au projet et leurs autres tâches, et ont pour cela eu besoin du soutien de leur hiérarchie – aussi bien au niveau des principes que concrètement par la mise à disposition de temps et de ressources. Lorsque l'on souligne la valeur ajoutée des coopérations et de la coordination de la prise en charge dans le secteur de la santé, cet aspect est souvent oublié. Les coopérations apportent une plus-value au secteur de la santé. Toutefois, les efforts de coordination que les prestataires fournissent doivent aussi avoir leur place dans le système, et être identifiés et rémunérés en tant que prestation. En revanche, si les coûts des transactions ne sont indiqués nulle part, il restera longtemps difficile de faire participer des hôpitaux et des spécialistes à des projets de coopération et de s'assurer de leur présence à long terme.

## 5. Bilan des parties prenantes sur le projet

Juste après la communication publique des reconnaissances, le secrétariat de la kosek a prié les responsables de réseau de participer à une réunion commune, pour recueillir les commentaires des parties prenantes. Les rencontres convenues se sont déroulées en décembre 2021, sous la forme de visioconférences, durant lesquelles les prestataires et les patient-e-s du réseau ont discuté des expériences acquises lors des projets pilotes avec le secrétariat de la kosek et la présidence du groupe d'expert-e-s pour la prise en charge.

### 5.1. Retours concernant le projet pilote Métabolisme

#### Phase de candidature :

Toutes les parties prenantes, sans exception, ont annoncé que la charge de travail pour le processus de reconnaissance et ses deux questionnaires était trop élevée. Les questions étaient parfois formulées de manière peu précise, et les prestataires ne voyaient pas toujours les objectifs que la kosek poursuivait avec ces questions, ni ses attentes quant aux réponses. Il a également été noté que les questions inutiles devaient être évitées, notamment en ce qui concerne l'infrastructure, qui est de toute façon présente dans les grands centres hospitaliers. Un autre point important abordait les descriptions écrites fastidieuses, qui ne peuvent rendre compte de la pratique réelle que de manière limitée. D'autres instruments d'évaluation sont nécessaires à cette fin. Le questionnaire n'est pas assez ouvert pour prendre en compte toute la diversité des structures candidates.

Les délais trop courts ont fait l'objet d'un autre retour d'ordre général des personnes impliquées dans le projet pilote Métabolisme : les prestataires ont dû se charger de ce travail en plus de leurs autres tâches. Ce n'est qu'en raison des trois années de préparation pour la mise en réseau et la candidature au processus de reconnaissance, ainsi que des collaborations déjà existantes entre les parties prenantes, qu'il a été possible de respecter les délais de la kosek.

#### Création du réseau et adaptation :

Le fait qu'il existait déjà un réseau informel de prestataires dans le domaine du métabolisme a été un grand avantage. Il suffisait donc de formaliser le réseau et de l'adapter aux critères de la kosek. En plus des critères de la kosek, le réseau a encore créé deux autres niveaux avec les critères correspondants : les « centres associés » et les « structures de prise en charge ». Ce fut un processus délicat, qui a déclenché une très grande incertitude parmi les membres du réseau. Comme c'est le réseau qui s'est fixé lui-même ces niveaux et ces critères, la question de la légitimité de cette structuration s'est souvent posée parmi ses membres. Ce fut une phase critique, avec un gros potentiel de conflits. De même, une communication plus intelligible aurait pu éviter quelques malentendus au sein du réseau. Cependant, comme les délais du processus étaient courts, cela n'a pas toujours été possible.

Une organisation anticipative des étapes du projet dans le réseau n'était pas totalement possible, car l'objectif de la kosek au cours des projets pilotes était de « tester » la mise en œuvre concrète de son cadre conceptuel. Les membres du réseau ont donc dû faire preuve de beaucoup de flexibilité et de motivation, car la planification s'est parfois faite à très court terme (p. ex., réunion des groupes centraux).

#### Processus global :

Tous les prestataires étaient d'avis que le soutien opérationnel du secrétariat de la kosek a été décisif pour le respect des délais dans le processus de reconnaissance.

Rétrospectivement, certains prestataires ont souhaité une communication plus transparente des interactions ou des délimitations entre le processus de reconnaissance et la procédure de médecine hautement spécialisée (MHS).

#### **Effets :**

Lors de la réunion d'évaluation, les participant-e-s au projet ont exprimé le souhait que la reconnaissance des Centres de Référence par la kosek contribue à la simplification de certaines procédures administratives, en particulier avec les caisses-maladie. Dans le domaine du métabolisme, il y a par exemple des analyses spécifiques que les prestataires réalisent presque chaque jour dans leur laboratoire, et qui sont particulièrement importantes pour les maladies rares. Cependant, la justification de ces coûts auprès des organismes de financement ou des caisses-maladie est souvent complexe, ce qui fait qu'une clarification juridique de la prise en charge des coûts est souhaitée pour les Centres de Référence.

Un effet visible du projet est une meilleure prise de conscience de la collaboration entre les prestataires et les organisations de patient-e-s. Même si, jusqu'à présent, le réseau est plutôt conçu comme une organisation professionnelle, des progrès ont été réalisés dans l'intégration structurée des patient-e-s. Toutefois, la collaboration au sein du projet n'est pas simple pour les organisations de patient-e-s, car celles-ci sont plutôt de petite taille dans le domaine du métabolisme, et fonctionnent sur la base du bénévolat. Par conséquent, elles ne disposent bien souvent pas des ressources nécessaires pour une coopération continue.

En outre, certaines patientes et certains patients rapportent que la collaboration des prestataires, qui existait déjà avant le processus de reconnaissance dans un réseau informel, avait un impact positif, car cette collaboration professionnelle permet une bonne prise en charge de toutes les personnes atteintes dans l'ensemble de la Suisse. Cela aide aussi les patientes et les patients à développer un réseau au-delà des frontières du pays. Le fait que les lignes directrices européennes sur la prise en charge sont également appliquées en Suisse est accueilli favorablement, car cela permet un accompagnement homogène de ces patientes et patients dans toute la Suisse. Cela n'est pas (encore) le cas dans tous les groupes de maladie.

La série d'évaluation dans ce projet pilote a donc montré qu'une bonne collaboration existait avant même le processus de reconnaissance. Avec le processus de la kosek, cette collaboration a été mieux structurée, et rendue plus visible aux personnes externes.

## **5.2. Retours concernant le projet pilote Maladies neuromusculaires**

### **Phase de candidature :**

Dans ce projet pilote aussi, les parties prenantes présentes étaient unanimes pour dire que le processus de la kosek était très complexe, et que ses attentes de réponses aux questions spécifiques n'étaient pas toujours claires. La redondance entre certaines questions du questionnaire pour le réseau et celles du questionnaire pour le Centre de Référence a été critiquée. Enfin, le souhait de recevoir tous les documents concernant le processus de reconnaissance (y compris la mise en réseau) dans les trois langues a été exprimé. Cela éviterait des malentendus.

Concernant les délais du processus, il ressort des commentaires que le délai pour remplir le questionnaire des Centres de Référence était probablement approprié, mais qu'il faudrait probablement plus de temps pour la constitution et l'auto-organisation du réseau, et donc pour la préparation et le remplissage du questionnaire correspondant.

Il a également été constaté que la représentation de la prise en charge verticale et horizontale, dans ce projet pilote, a mené à des discussions fondamentales dans le réseau et au développement d'un esprit de compétition néfaste.

#### **Création du réseau et adaptation :**

Lorsque l'on compare les deux projets pilotes, on voit rapidement qu'il existe des différences dans la constitution des projets et dans la structuration des réseaux. Par exemple, il n'est pas certain que les niveaux supplémentaires, qui ont été développés dans le projet pilote Métabolisme, pourraient aussi être mis en place dans celui des maladies neuromusculaires. D'un autre côté, cela renforcerait la structuration du réseau, qui regroupe déjà six Centres de Référence, et améliorerait la visibilité des parties prenantes du réseau qui ne sont pas reconnues ou ne visent pas la reconnaissance.

Il a également été mentionné que l'organisation d'un lancement pour le projet pilote aurait été souhaitable, car cela aurait permis aux parties prenantes de mieux connaître la procédure de reconnaissance de la kosek, avant sa mise en œuvre, de la comprendre et de poser des questions.

#### **Processus global :**

En général, les prestataires étaient dans une large mesure satisfaits du processus global : la coopération avec le secrétariat a été considérée comme un soutien, et la disposition de la kosek à donner des renseignements sur le processus et à répondre aux questions a été appréciée. Tant les prestataires présents lors de la session de commentaires que les patientes et les patients ont considéré le processus de reconnaissance comme le coup d'envoi à un développement durable du réseau, amorcé par le processus de reconnaissance de la kosek.

#### **Effets :**

Les parties prenantes du projet pilote Maladies neuromusculaires étaient toutes d'avis que le processus de la kosek a permis aux protagonistes du réseau de questionner leur organisation. Il est probable que cela aura aussi une influence sur la prise en charge des patientes et des patients.

Un souhait spécifique a également adressé à la kosek dans le cadre de ce projet pilote : les prix élevés des médicaments, et l'accès des patientes et des patients à ceux-ci, doivent être abordés (politiquement), car il s'agit d'un point important dans ce groupe de maladies.

## **6. Un premier aperçu de l'impact des projets pilotes**

La reconnaissance des Centres de Référence par la kosek a pu être menée à bien dans les deux groupes de maladies. Même si ces Centres de Référence reconnus ne couvrent pas (encore) toutes les régions du pays et toutes ses langues, ils assurent une bonne prise en charge de l'ensemble de la population suisse dans les domaines des maladies métaboliques rares et des maladies neuromusculaires rares. L'objectif de proposer une offre de prise en charge accessible et répondant bien aux besoins des personnes concernées a donc été atteint.

En règle générale, au sein de chaque Centre de Référence, la collaboration établie entre le service de pédiatrie et celui de médecine adulte permet une approche pluridisciplinaire, visant à assurer le respect et la bonne prise en charge des patientes et patients. Ces centres répondent donc à des exigences qualitatives importantes. Chaque Centre de Référence est rattaché à un hôpital, mais propose néanmoins principalement des consultations ambulatoires.

Les patientes et les patients sont enregistré-e-s dans le système d'information clinique à l'aide d'un code Orpha, ce qui permet de rendre visibles les prestations internes à l'hôpital dans le domaine des maladies rares, et constitue un prérequis important pour la discussion de la prise en charge dans ce domaine.

Tous les Centres de Référence sont intégrés dans un réseau de prise en charge qui regroupe d'autres parties prenantes, et qui vise à offrir une prise en charge optimale des patientes et des patients, indépendamment de leur lieu de domicile. Les réseaux de prise en charge des deux groupes de maladies coordonnent les tâches entre eux dans leurs comités de réseau, et impliquent des organisations de patient-e-s de toutes les régions du pays. Cela permet un échange entre des centres organisés de différentes manières, dans le but d'harmoniser certains processus.

L'implication directe des patient-e-s, par le biais de leur organisation de patient-e-s dans tous les projets et tous les comités (y compris les comités décisionnaires), fonctionne parfaitement au niveau supérieur des organes de la kosek, et s'est avérée être une caractéristique importante des projets de l'institution. Au niveau des différentes offres, cette forme de participation des personnes atteintes n'en est encore qu'à ses balbutiements. Cela est notamment dû au fait qu'il n'existe aucune forme établie d'échange structuré entre les structures de prise en charge et les organisations de patient-e-s, et que les échanges dans le quotidien de la clinique doivent toujours être organisés en supplément, ce qui nécessite des bases conceptuelles. Les Centres de Référence eux-mêmes, tout comme les représentant-e-s de patient-e-s, sont encore dans l'incertitude concernant la mise en place d'un échange structuré adapté. Un dialogue plus approfondi est là aussi nécessaire.

Une analyse scientifique des répercussions des projets pilotes sur la reconnaissance des Centres de Référence aurait été souhaitable, et aurait vraisemblablement permis des affirmations plus différenciées. Pour des raisons de coûts et de temps, une telle analyse n'a toutefois pas pu être menée. La kosek propose de mettre en œuvre cette analyse des répercussions dans un avenir proche en évaluant l'impact de la mise en réseau et de la reconnaissance des Centres de Référence sur la qualité de la prise en charge, dans l'ensemble de la Suisse, au moyen d'une étude spécifique.

## 7. Perspectives

La kosek fait le bilan de quatre années de travail intensif sur le projet pilote « Réseaux et Centres de Référence » : ces projets pilotes, menés à bien, montrent que l'approche choisie a généralement fait ses preuves, mais qu'il serait judicieux de poursuivre la réflexion pour continuer d'optimiser le processus de développement de l'offre et de la mise en réseau, ainsi que la procédure de reconnaissance pour les autres groupes de maladies. La kosek est convaincue que le sous-projet des réseaux et des Centres de Référence est parvenu à atteindre les objec-

tifs des mesures 1 et 2 du concept national maladies rares (CNMR). D'autres étapes sont toutefois nécessaires pour y parvenir pour tous les groupes de maladies et toutes les personnes atteintes.

Ce premier bilan intermédiaire, globalement positif, permet de se tourner vers un avenir qui nous réserve nombre de nouveaux défis porteurs à la fois d'opportunités et de risques :

### **7.1. Le processus de reconnaissance ordinaire comme prochaine étape**

En 2022, la kosek mettra l'accent sur l'adaptation de ses instruments et processus pour la reconnaissance des Centres de Référence. C'est un aspect central pour la clarification de différentes questions fondamentales soulevées dans le cadre des projets pilotes, et auxquelles la kosek doit réfléchir et trouver de nouvelles solutions, pour ensuite mener à bien le processus de reconnaissance ordinaire. L'aspect temporel joue ici aussi un rôle important, car le processus de reconnaissance ordinaire est déjà attendu par certains prestataires de différentes spécialités. En raison du manque de ressources, la kosek ne pourra ouvrir le processus de reconnaissance que pour deux groupes de maladies par an. L'ouverture du processus de reconnaissance pour certains groupes de maladies dans quelques années seulement pourrait démotiver les prestataires, ce qui mettrait en péril l'ensemble du processus de reconnaissance.

### **7.2. Le financement durable du projet : un défi permanent**

Le principal défi de la kosek reste le financement de l'association et de ses projets à moyen et long terme, afin de pouvoir continuer ses reconnaissances et ses activités de coordination. Il s'agit d'une part de garantir le financement du secrétariat et de ses comités d'expert-e-s, nécessaires pour parvenir à soutenir correctement le déroulement des projets à venir.

D'autre part, il faut noter que les nombreuses et nombreux partenaires de projet de la kosek, à savoir les prestataires et les organisations de patient-e-s, fournissent une contribution considérable à l'amélioration de l'organisation de la prise en charge globale. La coordination des offres, ainsi que le développement de parcours des patient-e-s et de recommandations de traitement, demandent beaucoup d'efforts, et ne sont pas des tâches qui peuvent être effectuées accessoirement. Elles exigent de la motivation et des ressources. Il convient d'en tenir compte lors du lancement des projets de mise en réseau et de reconnaissance des offres dans d'autres groupes de maladies.

### **7.3. Perspectives des futures tâches de communication de la kosek**

Comme les projets la kosek sont nouveaux, et que ses offres sont encore relativement peu connues, il serait judicieux à l'avenir de concevoir une plus large communication sur ce que fait la kosek et les structures qu'elle reconnaît. Une telle communication devra notamment déployer plus d'efforts pour faire connaître les structures existantes à la population, aux médecins référents et aux professionnels de santé, ainsi qu'à d'autres acteurs importants comme les autorités sanitaires cantonales, les médecins traitants, les spécialistes installés, les spécialistes dans les hôpitaux sans Centres pour Maladies Rares, et les assureurs.

### **7.4. Importance de la coopération entre les partenaires**

Pour améliorer durablement la prise en charge des maladies rares, il est, selon nous, nécessaire de maintenir durablement les structures suivantes : les Centres de Référence et les réseaux, les Centres pour Maladies Rares, la kosek en tant que plateforme de coordination,

Orphanet en tant que plateforme d'information et base de données, ainsi que le Registre suisse des maladies rares pour les données épidémiologiques et la recherche. Dans tous ces projets, il est essentiel que les personnes concernées par une maladie rare et les organisations soient impliquées en tant que partenaires égaux. La nécessité d'avoir des organisations de patients fortes, afin que l'implication des personnes concernées dans les projets de la kosek puisse être garantie de manière durable, est bien réelle et se fait ressentir. Pour cela, il est important de renforcer les organisations de patients, et leur association faîtière ProRaris, afin qu'elles puissent assumer leur rôle dans les projets de la kosek.

La kosek considère le projet « Centres de Référence et réseaux » comme un projet novateur dans le système de santé qui, en raison de son caractère consensuel, son implication systématique des personnes touchées, et sa perspective de prise en charge méthodique, a valeur d'exemple. L'important est que celui-ci puisse continuer à se développer.

La kosek est fière de contribuer ainsi avec ses projets, et en collaboration avec tous les acteurs impliqués, à l'amélioration de la prise en charge de personnes concernées par une maladie rare. Elle a confiance en l'avenir, et espère pouvoir poursuivre les efforts considérables engagés au cours des dernières années.

## **8. Remerciements**

La kosek remercie tous les participant-e-s au projet « Mise en place et reconnaissance des Centres de Référence et des réseaux » pour leur extraordinaire engagement en faveur des patientes et des patients, et dans le processus de la kosek. Ils ont travaillé, au sein des hôpitaux et des comités d'expert-e-s, ainsi qu'au sein du Comité de la kosek, et se sont beaucoup investis afin d'atteindre notre objectif commun, à savoir l'amélioration de la prise en charge des personnes concernées, et ont contribué activement à toutes les étapes du projet.

Nos remerciements vont également à l'OFSP pour son soutien bienveillant tout au long du projet, et l'aide financière perçue en 2021, grâce à laquelle nous avons pu achever ces projets pilotes avec succès.

## Annexe I : Liste des documents de base de la kosek

Les documents de base de la kosek ainsi que les liens vers les sites internet correspondants (si existants) sont listés ci-dessous.

Documents de base	Liens vers les sites internet correspondants
Concept détaillé de la kosek	<a href="https://www.kosekschweiz.ch/application/files/2815/9257/4692/20190619_concept_CMFR_kosek_FR.pdf">https://www.kosekschweiz.ch/application/files/2815/9257/4692/20190619_concept_CMFR_kosek_FR.pdf</a>
Questionnaire pour la reconnaissance en tant que Centre de Référence (en anglais)	<a href="https://www.kosekschweiz.ch/application/files/6816/0345/6022/20201023_Questionnaire_RC_DEF_V2_web.pdf">https://www.kosekschweiz.ch/application/files/6816/0345/6022/20201023_Questionnaire_RC_DEF_V2_web.pdf</a>
Questionnaire réseau pour la reconnaissance des Centres de Référence (en anglais)	<a href="https://www.kosekschweiz.ch/application/files/2616/0345/6022/20201023_Questionnaire_NW_DEF_V2_web.pdf">https://www.kosekschweiz.ch/application/files/2616/0345/6022/20201023_Questionnaire_NW_DEF_V2_web.pdf</a>
Boîte à outils contenant des documents utiles pour la constitution du réseau et la rédaction de la candidature (en allemand et en français)	Französisch <a href="#">DOC/PDF</a> Deutsch <a href="#">DOC/PDF</a>
Grille d'évaluation (disponible sur demande auprès de la kosek)	-