

## Les Centres de Référence pour la Mucoviscidose

---

D. Baran, K. De Rijcke, G. Vereecken

- ✓ La mucoviscidose est une maladie complexe, tout à fait particulière. Sa prise en charge optimale suppose une large expérience clinique, une infrastructure importante, la disponibilité de multiples intervenants spécialisés.
- ✓ Le développement de centres spécialisés s'est imposé dans les pays médicalisés. De tels centres existent en Belgique, depuis plus de 20 ans pour certains.
- ✓ A partir de 1999, l'INAMI a choisi de soutenir activement leur développement.
- ✓ La motivation de cette démarche originale tient avant tout à l'amélioration du pronostic que permet cette centralisation, en termes de survie comme de qualité de vie.

*« Le fait que notre enfant soit quand même épanoui et qu'il sache qu'il doit lui-même se soigner est le fruit de toute une équipe : l'enfant lui-même, le médecin, le kinésithérapeute ... »*

*Tout cet encadrement fait que sa vie de patient muco est ainsi portée par l'espoir et par des moments de vrai bonheur. Nous savons qu'il y a des gens qui nous écoutent et chez qui nous pouvons nous rendre avec toutes nos questions. Ils prennent du temps pour nous donner des conseils et des solutions pratiques. »*

Des équipes spécialisées dans la prise en charge de la mucoviscidose existent en Belgique, depuis plus de 20 ans pour certaines. Dans de nombreux pays, comme la France, les Etats-Unis, le Canada, le développement de ces centres a été soutenu par des associations nationales de lutte contre la mucoviscidose disposant de beaucoup de moyens. Elles se sont engagées dans cette voie devant l'évidence que cette centralisation améliorerait le pronostic des patients, en termes de qualité de vie comme en termes de survie.

Pour la même raison, les pouvoirs publics ont en Belgique décidé en 1999 d'apporter leur soutien au développement de tels centres. L'INAMI (Institut National d'Assurance Maladie et Invalidité) conditionne l'octroi de son aide au respect de critères qualitatifs et quantitatifs considérés comme

les garants d'un fonctionnement optimal.

### QU'EST-CE QU'UN CENTRE DE REFERENCE POUR PATIENTS ATTEINTS DE MUCOVISCIDOSE ?

---

Un «centre de référence pour patients atteints de mucoviscidose» ou «centre muco» est une unité dans un hôpital, caractérisée par une compétence spécifique en matière de mucoviscidose et par un fonctionnement multidisciplinaire.

Le but de cette équipe est de garantir des soins optimaux sur la plan médical, paramédical, psychologique et social, pour et avec le patient souffrant de mucoviscidose et ses proches. Ce centre doit permettre à tout patient ou toute personne chez qui on suspecte la mucoviscidose, ainsi qu' à leur famille ou à d'autres intervenants de soumettre leurs questions et leurs problèmes concernant cette maladie. Il dispense un traitement spécialisé mais se préoccupe également de la recherche, du suivi, de l'accompagnement en matière de mucoviscidose, du bien-être du patient et de sa famille. La personne doit pouvoir y être considérée dans sa totalité (avec la diversité des problèmes médicaux mais sans se limiter à ceux-ci).

**Tableau 25.1***Le « Centre de référence pour la mucoviscidose » en quelques mots-clés.*

<i>Nom :</i>	Officiellement « Centre de référence pour patients atteints de mucoviscidose » ; dans le langage courant « centre muco » ou « centre »
<i>Où ?</i>	Unité hospitalière, spécialisée dans le traitement de la mucoviscidose
<i>Pour qui ?</i>	Chaque personne atteinte de mucoviscidose (ou supposée l'être), ainsi que sa famille et les intervenants locaux
<i>Par qui ?</i>	Equipe spécialisée de médecins, kinésithérapeutes, infirmiers, assistants sociaux, diététiciens et psychologues
<i>Services :</i>	Le diagnostic, les méthodes de traitement les plus modernes et les plus performantes, toutes les questions et tous les problèmes en rapport avec la mucoviscidose
<i>Fonction :</i>	Faire bénéficier le plus grand nombre possible de patients des meilleurs soins, sur le plan médical et psychosocial, en vue de prévenir, de retarder ou de traiter les problèmes causés par la maladie
<i>Objectif :</i>	Améliorer la qualité et l'espérance de vie
<i>Conditions :</i>	- Equipe multidisciplinaire spécialisée dans le traitement de la mucoviscidose - Infrastructure répondant à certaines exigences (cf infra) - Suivi d'au moins 50 patients atteints cette affection
<i>Suivi :</i>	Au moins trois contrôles par an, consultation régulière de différents membres de l'équipe et adaptation du traitement en temps opportun
<i>Avantages :</i>	Concentration de compétences, conduisant à un traitement spécialisé par un équipe multidisciplinaire résultant en un bénéfice clinique (e.a. amélioration de leur état nutritionnel, de meilleures valeurs aux épreuves fonctionnelles respiratoires et des scores radiologiques améliorés)
<i>Subvention :</i>	Le centre reçoit de l'INAMI un forfait annuel par patient atteint de mucoviscidose (par l'intermédiaire de la mutualité). Cette somme est proportionnelle au nombre de patients qui ont adhéré à la convention lien le centre et l'INAMI. Elle doit être affectée au salaire d'intervenants paramédicaux.

### QUEL EST LE BUT D' UN CENTRE MUCO ?

L'objectif est d'offrir les meilleurs soins et le meilleur accompagnement à tous les patients atteints de mucoviscidose et à leur famille (tableau 25.2).

La finalité ultime du centre est l'amélioration du pronostic (l'évolution de la maladie) du patient, en termes de qualité de vie comme de longévité.

### QUI A ACCES AU CENTRE MUCO ?

Tout patient souffrant de mucoviscidose a accès aux services d'un centre muco. Toute personne présumée souffrir de mucoviscidose peut s'adresser au centre pour un examen ou une guidance. La famille et les intervenants de première ligne (médecin de famille, kinésithérapeute,...) peuvent également consulter le centre.

**Tableau 25.2** *Missions du centre*

- Diagnostic optimal
- Examen, conseil et traitement des patients atteints de mucoviscidose
- Consultation, examen de patients à la demande de leur médecin local
- Traitements et services spécialisés
- Méthodes d'examen spécialisés
- Guidance psychosociale du patient et de sa famille
- Facilitation du passage de la pédiatrie aux soins d'adultes
- Conseil et guidance relatifs à la transplantation
- Formation continue et spécialisation des soignants
- Information des patients et des familles
- Recherche scientifique appliquée

## QUELLES CONDITIONS DOIT REMPLIR UN CENTRE MUCO?

Un centre ne peut être agréé que s'il satisfait à un certain nombre de conditions de base qui assurent une prise en charge de qualité. Ces conditions sont résumées ci-dessous :

- Equipe multidisciplinaire : existence d'une équipe pluri- et interdisciplinaire qui par le nombre de ses membres, leurs compétences, leurs qualifications, peut répondre aux besoins spécifiques et extrêmement variés de cette maladie ; médecins, infirmiers, kinésithérapeutes, assistants sociaux, diététiciens et psychologues doivent collaborer afin d'accompagner de manière optimale le patient et sa famille lors du diagnostic et à tous les stades de la maladie.
- Spécialisation : une connaissance approfondie de la maladie, une large expérience, une compétence dans tous les domaines touchant à la maladie, des outils et des structures spécialisées sont indispensables pour garantir des soins et une guidance efficaces des patients. Une formation continue des membres de l'équipe garantit la maîtrise des nouvelles méthodes thérapeutiques.
- Un minimum de 50 patients doivent être suivis de façon permanente dans le centre. Les structures, les connaissances, l'expérience et une spécialisation permanente nécessaires au traitement ne sont possibles que si le centre accompagne un nombre suffisamment élevé de patients.
- Au moins trois interventions par an : en plus du bilan annuel, l'équipe doit encore intervenir au moins 2 fois. Des visites régulières sont très importantes pour le patient ; dans les centres où les patients sont suivis plus fréquemment, l'état de santé et l'espérance de vie sont nettement supérieurs.
- Disponibilité : le centre doit être disponible en permanence. Cela ne veut pas dire que toute l'équipe doit être disponible à tout moment mais que les premiers soins et l'accompagnement sont assurés 24 heures sur 24. Il doit être clairement établi à qui le patient doit s'adresser en cas d'absence du spécialiste.
- Facilités de consultation et d'hospitalisation permettant l'application optimale des mesures d'hygiène et d'isolement requises, répondant aux besoins liés à l'âge des patients.

## DE TELS CENTRES DE REFERENCE SE JUSTIFIENT-ILS ?

De nombreuses études ont démontré un bénéfice clinique lorsque le traitement est instauré et contrôlé par un groupe spécialisé en mucoviscidose.

Une récente publication britannique a encore confirmé cette évidence et la justification de cette politique. Les patients suivis dans le cadre de cette étude montrent une nette amélioration de leur état nutritionnel, de meilleures valeurs aux épreuves fonctionnelles respiratoires et des scores radiologiques améliorés et ceci en comparaison avec des patients n'ayant pas bénéficié d'un tel encadrement. L'infection bactérienne est mieux contrôlée par une antibiothérapie agressive et bien conduite. Ce bénéfice est même évident lorsque les patients rejoignent un tel centre spécialisé plus tardivement, à l'âge adulte.

La plupart des médecins rencontrent peu de patients atteints de mucoviscidose au cours de leur carrière. Il ne leur est pas possible de développer une connaissance et une expérience suffisamment approfondies dans le domaine de cette affection.

La mucoviscidose est une maladie complexe, 'difficile', très polymorphe, avec de nombreuses complications pour la plupart assez rares et qui peuvent concerner bon nombre d'organes. Sa prise en charge est souvent spécifique. Il faut intervenir le plus rapidement possible et d'une manière optimale afin d'éviter que la maladie ne s'aggrave.

Suivre au mieux la maladie et dispenser à temps les soins adéquats exige beaucoup d'expérience et de connaissance scientifique. Cette expérience et cette spécialisation peuvent être garanties de façon optimale dans des centres spécialisés. C'est dans cette logique qu'un des critères de reconnaissance des centres est d'ordre quantitatif : au moins 50 patients doivent y être suivis régulièrement.

Le subside annuel accordé par l'INAMI permet au centre d'étoffer son personnel paramédical afin de garantir des soins optimaux.

Il est important que le médecin local envoie les patients concernés le plus rapidement possible vers un centre de référence et qu'il collabore étroitement avec ce centre.

Cela ne signifie pas qu'un patient suivi dans un centre ne sera plus traité par un médecin local ou dans un hôpital.

Au contraire, la collaboration d'un centre et des intervenants locaux est vivement encouragée.

## EXISTE-T-IL DES AVANTAGES FINANCIERS POUR LE PATIENT QUI S'ADRESSE AU CENTRE ?

Sur le plan financier, un patient suivi dans un centre n'aura pas beaucoup d'avantages directs. Pour toutes les prestations de soins pour lesquelles il existait déjà un régime de remboursement et pour les consultations du médecin, rien ne change. Le patient paie une quote-part personnelle (le ticket modérateur), le reste étant payé par la mutualité.

Par contre, l'avis et les instructions des intervenants paramédicaux comme le diététicien et le kinésithérapeute et la guidance du psychologue et de l'assistant social sont gratuits.

Les avantages pour le patient s'observent surtout à plus long terme. Le pronostic de la maladie est amélioré. Par le suivi et le traitement plus spécialisés, des problèmes sérieux peuvent être évités ou postposés. Dans certains cas, un bénéfice financier indirect est présent : instaurer au plus tôt un traitement correct amélioré l'état de santé mais évite également les coûts inutiles de prescriptions inadéquates.

Dans l'avenir, certains traitements, comme les cures intraveineuses à domicile, ne seront en principe remboursés que s'ils sont prescrits par un spécialiste d'un centre de référence.

## QUI FAIT PARTIE DE L'EQUIPE DU CENTRE ?

L'INAMI a précisé ses exigences quant à la composition de l'équipe elle-même (intervenants engagés spécifiquement pour la prise en charge de la mucoviscidose : tableau 25.2)

**Tableau 25.2** *Personnel requis pour 50 patients*

- un médecin à mi-temps disposant d'une compétence et d'une expérience particulières en mucoviscidose
- un infirmier à temps plein
- deux kinésithérapeutes à temps plein (pour le traitement, l'instruction et les conseils)
- un psychologue à temps partiel
- un diététicien à temps partiel
- un assistant social à temps partiel
- un responsable du secrétariat et de l'administration à temps plein / 50 patients

Une des conditions essentielles pour être reconnu comme centre de référence est par ailleurs la disponibilité de nombreux spécialistes (tableau 25.3), à même d'assurer un suivi thérapeutique optimal, dans des domaines très variés.

Le nom des médecins concernés peut être obtenu auprès du responsable de chaque centre.

**Tableau 25.3** *Compétences médicales disponibles*

- Coordinateur de l'équipe (médecin-spécialiste)
- Médecin de famille ou pédiatre (choisi par le patient ou sa famille)
- Pneumologue ou pédiatre spécialisé en pneumologie
- Gastro-entérologue ou pédiatre spécialisé en gastro-entérologie
- Diabétologue ou pédiatre diabétologue
- Oto-rhino-laryngologiste (médecin ORL)
- Chirurgien thoracique
- Chirurgien généraliste ayant l'expérience et la connaissance du traitement des complications de la mucoviscidose
- Anesthésiste expérimenté dans les affections respiratoires
- Obstétricien familiarisé avec les grossesses de patientes atteintes de mucoviscidose
- Microbiologiste
- Spécialiste en imagerie médicale
- Biologiste clinique possédant une réelle expérience des tests diagnostiques de la sueur
- Généticien

## INFRASTRUCTURE MATERIELLE DU CENTRE

### a. Soins ambulatoires

La plupart des patients atteints de mucoviscidose viennent quelques fois par an au centre pour un contrôle ou une consultation.

A cet effet, le centre prévoit :

- des consultations spécifiques laissant suffisamment de temps pour une discussion avec les patients
- des espaces spécifiques pour l'équipe médicale, les kinésithérapeutes et les diététiciens et pour le reste de l'équipe où les patients peuvent être examinés cliniquement et subir de petites interventions.

- les mesures nécessaires pour éviter les infections croisées.

Les patients doivent en permanence pouvoir accéder au centre afin d'y obtenir un avis spécialisé.

#### **b. Hospitalisations**

La convention avec l'INAMI impose :

- la disponibilité de 3 à 5 chambres d'une personne par 50 patients (pour éviter les infections croisées)
- la possibilité de stocker des aliments supplémentaires (frigo)
- la possibilité d'enseignement et de détente pour les enfants et adolescents
- la disponibilité permanente d'un lit pour les hospitalisations urgentes dans une unité adaptée aux patients

### **FAUT-IL ABSOLUMENT CONSULTER LE CENTRE DE REFERENCE ?**

Beaucoup de patients sont suivis par le centre de référence et par un médecin ou un hôpital local (soins de première ligne). Le patient consulte le médecin local pour les questions et problèmes courants et se rend au centre pour les visites de contrôle et les problèmes plus aigus. Idéalement, une concertation régulière s'effectue entre les deux parties. C'est ce que l'on appelle les "soins partagés" (shared care). Le patient peut cependant opter pour un traitement et un suivi dans le centre.

Le tableau 25.4 propose une liste de situations pour lesquelles il est absolument recommandé que le patient, sa famille ou le médecin local fassent appel au centre de référence.

### **ENFANTS ET ADULTES**

Conséquence de l'amélioration de la survie, le nombre de patients adultes a augmenté significativement. Il faut assurer aux jeunes patients adultes une évolution harmonieuse vers l'autonomie et une reconnaissance de leur statut d'adulte, même si des réticences et des difficultés peuvent apparaître, tant au niveau du patient que de ses parents, tellement impliqués dans le traitement de leur enfant. Les centres de soins doivent pouvoir prendre en charge les enfants et les adultes dans des structures adaptées. L'équipe pédiatrique a la responsabilité d'assurer de manière souple la transition vers une structure pour adultes.

Un tel passage ne peut être réussi que si le patient retrouve une équipe pluridisciplinaire, motivée,

compétente, assurant l'abord global de sa pathologie. Quelle que soit sa spécialité, le médecin d'un centre d'adultes, doit être perçu par le patient comme un spécialiste de la mucoviscidose dans sa globalité. Actuellement, peu de structures spécifiques pour adultes sont mises en place en Belgique, mais les responsables des centres s'y attèlent.

---

**Tableau 25.4** *Situations pour lesquelles le patient, sa famille ou son médecin local doivent toujours faire appel au centre*

---

- Infections persistante (plus de 2-3 semaines) malgré un traitement conventionnel, principalement : Burkholderia cepacia, MRSA, Pseudomonas aeruginosa multirésistant et mycobactérie
  - Dégradation de la fonction respiratoire, sans réaction à un traitement
  - Pneumothorax (accumulation d'air entre les enveloppes du poumon)
  - Hémoptysie grave (plus de 100 ml)
  - Aspergillose broncho-pulmonaire allergique
  - Atélectasie grave ou persistante (territoires pulmonaires qui ne sont plus ventilés et se collabent)
  - Insuffisance respiratoire ou cardiaque
  - Hémorragies gastro-intestinales (en général par varices oesophagiennes)
  - Obstruction intestinale
  - Douleurs abdominales sévères
  - Ictère
  - Perte de poids importante ou inexplicable, stagnation pondérale
  - Intolérance débutante au glucose
  - Vasculite (inflammation des vaisseaux)
  - Douleurs articulaires
  - Grossesse
  - Graves problèmes psychosociaux
  - Nécessité d'une transplantation
- 

### **CONCLUSION**

---

Les centres de référence contribuent pour une grande part à l'amélioration de la qualité et de l'espérance de vie des patients atteints de mucoviscidose. Tous les patients atteints de mucoviscidose ainsi que toutes les personnes concernées par cette maladie peuvent faire appel au centre de référence pour un conseil ou une guidance.

## REFERENCES

- Collins CE, Mac Donald-Wicks L, Rowe S, O'Loughlin EV, Henry RL. Normal growth in cystic fibrosis associated with a specialised centre. *Arch Dis Child* 1999; 81: 241-6.
- Convention de rééducation relative a la prise en charge par des centres de référence pour patients atteints de mucoviscidose, INAMI, 1999
- Dankert-Roelse JE, te Meerman GJ. Long-term prognosis of patients with cystic fibrosis in relation to early detection by neonatal screening and treatment in a cystic fibrosis centre. *Thorax* 1995; 50: 712-8
- Frederiksen B. Improved survival in the Danish center treated cystic fibrosis patients: results of aggressive treatment. *Pediatr Pulmonol* 1996; 21: 153-8.
- Harms HK, Navarro J, Hodson ME et al. What differences exist between countries and centers ? The European Registry for Cystic Fibrosis (ERCF). *XXIIIth European CF Conference*, Berlin 1998.
- Hill DJ, Martin AJ, Davidson GP, Smith FS. Survival of cystic fibrosis patients in South Australia: evidence that cystic fibrosis center care leads to better survival. *Med J Austr* 1985; 143: 230-2.
- Koch C, Rainisio N, Harms HK, Hodson ME, Mastella G, Mc Kenzie et al. Risk factors of importance for long-term survival of patients with cystic fibrosis. *Neth J Med* 1999; 54: suppl 1: S22.
- Mahadeva R, Webb K, Westerbeek RC et al. Clinical outcome in relation to care in centres specialising in cystic fibrosis: cross sectional study. *BMJ* 1998; 316: 1771-5.
- Merelle ME, Schouten JP, Gerritsen J et al.. Influence of neonatal screening and centralized treatment on long-term clinical outcome and survival of CF patients. *Eur Respir J*. 2001;18:306-15.
- Navarro J. L'impact de la prise en charge de la mucoviscidose est-il mesurable ? *Arch Pédiatr* 2000; 7 suppl 2: 349-51.
- Wilcken B and Chalmers G. Reduced morbidity in patients with cystic fibrosis detected by neonatal screening. *Lancet* 1985; ii: 1319-1321.
-